



Guida AIPaSiM per il paziente consapevole: la partecipazione alle sperimentazioni cliniche

Dott. Annamaria Nosari, vicepresidente AIPaSiM

CHI E' AIPASIM ?

QUAL'E' LA SUA PRINCIPALE FINALITA'?

AIPASIM (Associazione Italiana Pazienti con Sindrome Mielodisplastica) nasce nel 2017 da pazienti con MDS e familiari con l'intento **di fornire una corretta e puntuale informazione sulla patologia, le problematiche che affrontano i pazienti, le novità sulle terapie** a disposizione e di **condividere le esperienze** di malattia e le problematiche di vita

Tre pilastri: scienza, dati, tutela e patients empowerment

GLI STRUMENTI:

I Media , gli incontri «Medici-Pazienti»



- Il sito
- La newsletter
- I «social»

Seguici anche su

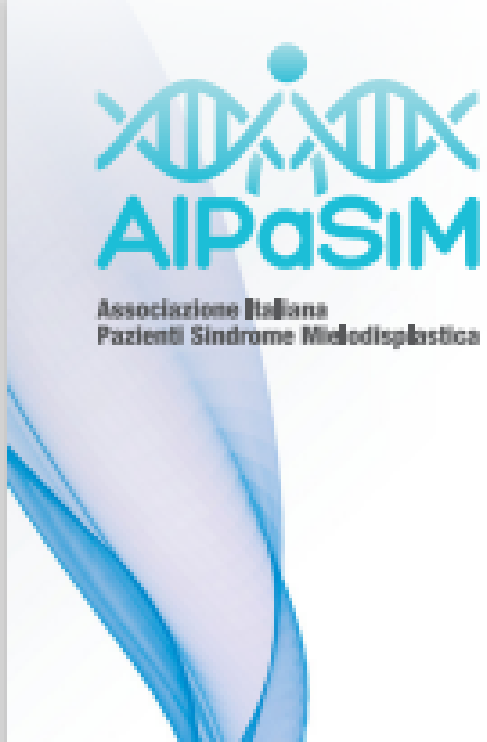


Collegamenti veloci



Lo sportello psicologico: **AIPASIM** ti ascolta

- **Lo sportello consiste di 1-3 sedute totalmente gratuite** con una psicologa esperta prenotata telefonicamente che dovrebbe aiutare il paziente nelle scelte e nella consapevolezza che riguarda la sua patologia
- Abbiamo a disposizione **due psicologhe esperte** in malattie rare provenienti da UNIAMO che abbiamo formato sulla nostra patologia
- Perché dedicato agli associati? Perché abbiamo bisogno di Soci, che ci diano sempre più forza per sostenere le necessità dei pazienti con MDS, e più idee per aiutare sempre più persone



AIPaSiM
TI ASCOLTA

Servizio di orientamento psicologico dedicato agli associati

Se pensi che un supporto di orientamento psicologico ti possa aiutare, contattaci per un appuntamento con le nostre specialiste.



FOTOGRAFA I TUOI BISOGNI

Sei un paziente e/o caregiver?
Raccontaci la tua esperienza

Il questionario sulla qualità di vita

Pubblicazioni scientifiche

**Nel 2025..... I dati
vengono pubblicati
sulla rivista scientifica
Cancers**



cancers

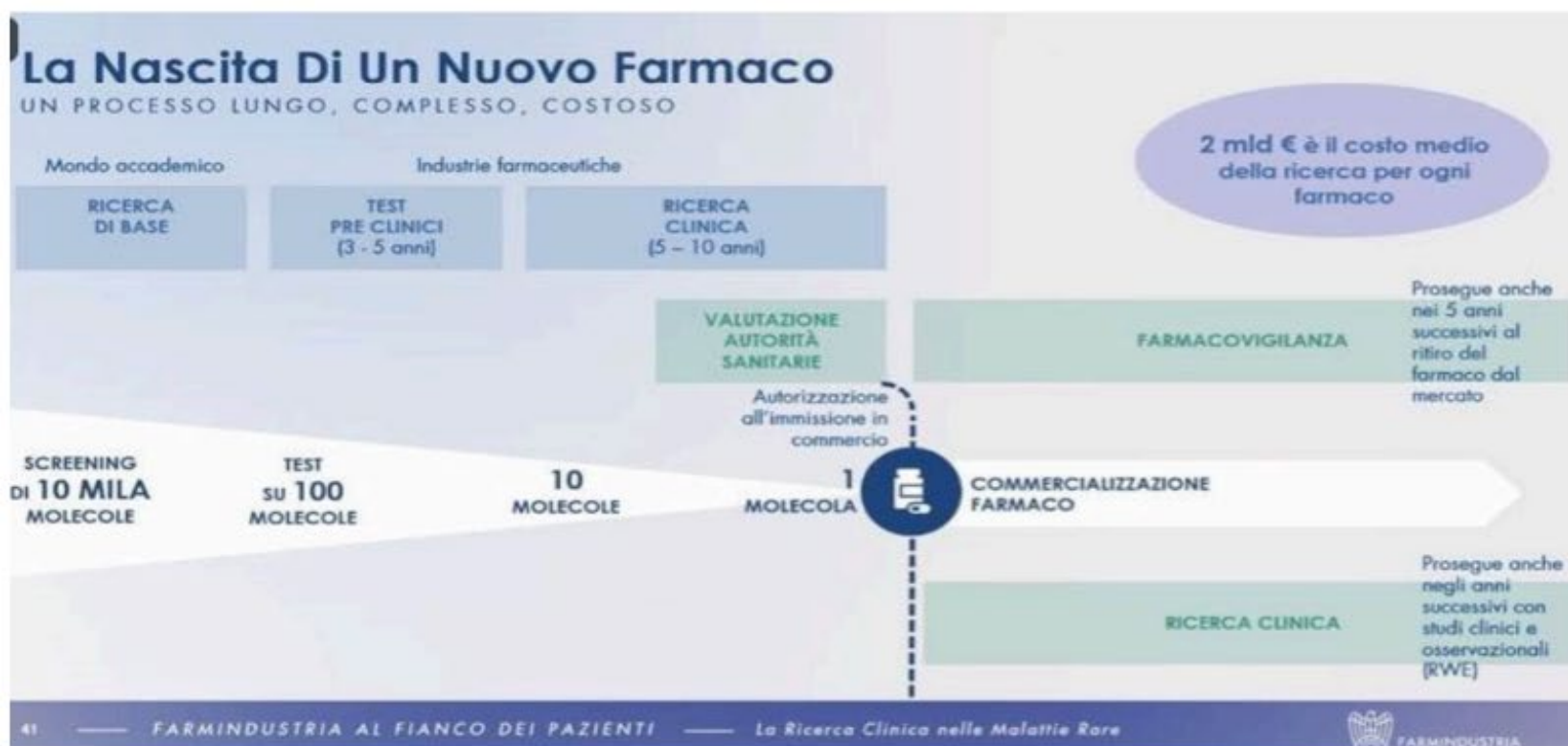


Article

Unmet Needs and Their Impact on Quality of Life and Symptoms in Myelodysplastic Neoplasm Patients and Caregivers

Elena Crisà ^{1,*} , Daniela Cilloni ² , Marta Riva ³, Enrico Balleari ⁴ , Daniela Barraco ⁵, Beatrice Manghisi ⁶, Lorenza Borin ⁶, Michela Calmasini ⁷, Anna Calvisi ⁸, Isabella Capodanno ⁹, Matteo Giovanni Della Porta ¹⁰, Elisa Diral ¹¹ , Bruno Fattizzo ¹² , Susanna Fenu ¹³, Stefania Paolini ¹⁴, Carlo Finelli ¹⁴ , Claudio Fozza ¹⁵, Chiara Frairia ¹⁶, Valentina Giai ¹⁶ , Mauro Turrini ¹⁷ , Maria Antonia Isoni ¹⁸, Federico Itri ¹⁹, Luca Maurillo ²⁰ , Alfredo Molteni ²¹, Giuseppe Alberto Palumbo ²² , Anna Maria Pelizzari ²³, Federica Pilo ²⁴, Antonella Poloni ²⁵, Costanza Bosi ²⁶, Grazia Sanpaolo ²⁷, Rosaria Sancetta ²⁸, Cristina Amato ²⁹, Valeria Santini ²⁹ , Maria Teresa Voso ³⁰ , Sam Salek ³¹, Tatyana Ionova ³², Annamaria Nosari ⁷ and Esther Natalie Oliva ^{33,*} 

REALIZZARE UN FARMACO: I PRINCIPI DI BASE



Sono necessari più di 12 anni e in media più di 1 miliardo di euro per condurre tutte le ricerche e lo sviluppo richiesti prima che un nuovo medicinale sia disponibile per l'uso da parte dei pazienti.

Lo sviluppo di farmaci è un'impresa ad alto rischio.

Circa il 98% delle sostanze che iniziano lo sviluppo non riesce ad arrivare sul mercato

Le sperimentazioni cliniche

La proposta di partecipare a una sperimentazione clinica può suscitare interesse ed entusiasmo, ma anche a volte perplessità ed indecisione

La guida per il paziente, vuole assicurare la piena consapevolezza di chi è coinvolto nella sperimentazione di nuove terapie superando i timori, legati all'incertezza sui benefici e sui possibili rischi di una nuova terapia definita "sperimentale".



Guida per il Paziente

A cura del prof. Matteo Giovanni Della Porta

LE SPERIMENTAZIONI
CLINICHE NELLE
**SINDROMI
MIELODISPLASTICHE**

I SERVIZI :GUIDA PER UN PAZIENTE CONSAPEVOLE

- Booklet AIPASIM-FISIM sul tema dei clinical trials "farmaci innovativi e sperimentazioni: perché sono importanti" **Matteo della Porta**
-continuando con i progetti già avviati

.....dal novembre 2023

Terapia sperimentale

VANTAGGI

- Espone il paziente ad un farmaco innovativo e promettente
- Possibilità di beneficio "anticipato"
Il paziente viene osservato da tante persone (il suo medico, altri componenti dello staff presso il centro di cure, persone esperte addette alla sperimentazione che ricevono le informazioni e monitorizzano il comportamento degli sperimentatori)

RISCHI

- Tossicità
- Inefficacia (futilità) o risultati peggiori



I diritti dei pazienti nella sperimentazione clinica:

LA CONOSCENZA

è il primo diritto dei pazienti riguardo alla partecipazione ad una sperimentazione clinica.

Il paziente deve

ricevere informazioni sullo **scopo** della sperimentazione clinica

ricevere informazioni su tutti i **rischi, gli effetti collaterali** o i disagi ragionevolmente prevedibili

ricevere informazioni sui **benefici** ragionevolmente **attesi**

ricevere informazioni sulle **opzioni disponibili** e su come tali opzioni possono essere migliori o peggiori rispetto all'oggetto di studio nella sperimentazione clinica

avere la **possibilità di rifiutare** la partecipazione, per qualsiasi motivo, prima e dopo l'inizio della sperimentazione

I diritti dei pazienti nella sperimentazione clinica:

LA SICUREZZA

I Comitati Etici

Gli studi vengono rivisti e approvati dai Comitati Etici. Il Comitato Etico (CE) ha la funzione di proteggere i diritti e il benessere delle persone che partecipano agli studi clinici.

AIFA pubblica l'elenco dei centri autorizzati alle sperimentazioni nel sito internet dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA).

Le agenzie regolatorie del farmaco (EMA, FDA)

Le agenzie regolatorie insieme a parametri obiettivi clinici quali:

- Prolungamento della sopravvivenza
- Miglioramento dei parametri clinici

richiedono la misurazione della qualità di vita e la percezione soggettiva del paziente:

- Miglioramento fisico, della fatigue e della dispnea
- Miglioramento delle aspettative e del senso di angoscia

come misure di efficacia e di sicurezza.

I PAZIENTI SONO GLI **ESPERTI**

*Le sperimentazioni cliniche moderne
si fanno non “sui” pazienti ma “con”
i pazienti*

Le sperimentazioni cliniche

- La partecipazione dei pazienti ai processi di realizzazione e approvazione di una sperimentazione clinica è preziosa ed è anche stata sancita dal Regolamento Europeo n° 536 del 2014



QUALI DOMANDE FARE AL MEDICO SPERIMENTATORE PER UNA SCELTA CONSAPEVOLE

- Qual è lo scopo dello studio?
- Quali sono i potenziali rischi e benefici?
- In uno studio randomizzato, quante sono le probabilità di essere assegnati al gruppo che riceve il farmaco sperimentale?
- Quali sono i possibili effetti collaterali?
- Con quale frequenza è necessario venire in ospedale per le visite?
- È necessario farsi accompagnare da qualcuno alle visite presso il centro?
- È necessario il ricovero in ospedale?
- Quanto dura lo studio?
- Se il trattamento risulta utile, si potrà continuare dopo la fine della sperimentazione?



le alleanze
internazionali



GRAZIE A TUTTI PER L'ATTENZIONE