



fondazione GIMEMA onlus

per la promozione e lo sviluppo della ricerca scientifica
sulle malattie ematologiche.

**Studio prospettico multicentrico, non
interventistico, per la valutazione del rischio
infettivo in pazienti affetti da sindrome
mielodisplastica: utilità della profilassi
antimicrobica e dei fattori di crescita
granulocitari**

Sinossi dello Studio GIMEMA MDS0413

Lo studio è dedicato a **Stefano Saviozzi**
ed è stato realizzato grazie al prezioso contributo
di Federica Romia Mignucci e Gino Virgili

Data 9.9.2013

Versione finale #1.0

Questo protocollo di studio è stato scritto e sarà condotto nel rispetto della dichiarazione di Helsinki,
della Good Clinical Practice e delle normative nazionali applicabili.

Fondazione del Gruppo Italiano
Malattie Ematologiche dell'Adulto
Central Office

ROMA | Via Casilina, 5 - 00182

T: (+39) 06 70390521

F: (+39) 06 70390540

www.gimema.it

gimema@gimema.it



Responsabilità dello studio:

Fondazione GIMEMA:

| | |
|--|--|
| Sponsor secondo le direttive europee: | Fondazione GIMEMA, Roma |
| Coordinatore dello Studio | Prof. Livio Pagano |
| Co-coordinatore dello Studio | Dr.ssa Maria Teresa Voso |
| Centro Coordinatore: | Università Cattolica del Sacro Cuore - Policlinico A. Gemelli - Roma |
| Writing Committee: | Morena Caira, Rino Musto, Susanna Fenu, Massimo Breccia, Francesco Buccisano, Giuseppe Fioritoni, Carlo Finelli, Luana Fianchi, Emanuele Angelucci, Valeria Santini, Giuseppe Leone, Marta Stanzani |
| Progettazione e Gestione dello Studio: | Centro Dati GIMEMA, Roma |
| MDS WP GIMEMA Chairman: | Prof. Giuseppe Leone |
| Rappresentante legale della Fondazione GIMEMA: | Prof. Franco Mandelli |



Sinossi

Studio prospettico multicentrico, non interventistico, per la valutazione del rischio infettivo in pazienti affetti da sindrome mielodisplastica: utilità della profilassi antimicrobica e dei fattori di crescita granulocitari

Tipo di studio: osservazionale prospettico

Obiettivi:

Primario:

Valutazione dell'incidenza e dello spettro delle infezioni nelle SMD.

Secondari:

- Descrizione della gestione diagnostica e terapeutica degli eventi febbrili in pazienti con SMD;
- Valutazione dell'impatto di potenziali fattori di rischio (livello e durata della neutropenia, dipendenza trasfusionale, sottotipo SMD, rischio IPSS, WPSS, e IPSS-revised, sovraccarico marziale) sull'incidenza di infezione;
- Valutazione dell'impatto del tipo di terapia ricevuta sull'incidenza di infezione;
- Valutazione dell'*outcome* delle diverse complicanze infettive;
- Utilità della profilassi antibiotica;
- Utilità della profilassi antifungina;
- Utilità della profilassi antivirale;
- Utilità dei fattori di crescita granulocitari;
- Utilità della terapia ferrochelante;
- Necessità ed eventuale durata del ricovero in Ospedale;
- Impatto dell'evento infettivo sul programma terapeutico del paziente;
- Valutazione dell'impatto del tipo di terapia ricevuta sulla risposta alla terapia;
- Sopravvivenza globale;
- Sopravvivenza libera da progressione.

Disegno dello studio:

Studio multicentrico, no-profit, prospettico, osservazionale per la valutazione del rischio infettivo di pazienti affetti da sindrome mielodisplastica. L'inclusione nello studio non avrà alcuna conseguenza sulle modalità di trattamento dei pazienti, che saranno trattati secondo decisione dei medici curanti, in accordo con le linee guida e gli standard locali.

**Popolazione:**

Criteri d'inclusione:

- Tutti i pazienti adulti (≥ 18 anni) affetti da sindrome mielodisplastica seguiti presso il centro che, a partire dall'apertura dello studio, ricevano una nuova diagnosi di mielodisplasia o eseguano una rivalutazione midollare di malattia
- Consenso informato scritto firmato.

Criteri d'esclusione:

- Pazienti incapaci di aderire alle terapie oggetto di osservazione o di firmare il consenso informato (es. malattie psichiatriche);
- Pazienti con aspettativa di vita inferiore a tre mesi.

La dimensione del campione non è specificata, saranno inseriti tutti i soggetti eleggibili con diagnosi di SMD arruolati in un intervallo di tempo di 2 anni dalla data di inizio dello studio. Stimando che le complicanze infettive rappresentano la causa di morte in circa il 20% dei pazienti affetti da SMD (Della Porta, Hematol 2010) è previsto nell'arco di 3 anni la raccolta di informazioni relativa ad un numero approssimativo di circa 1000 eventi infettivi.

Durata dello studio: tre anni (due anni di arruolamento e uno di follow up).