

# Relazione di Missione

*Anno 2017*

# SOMMARIO

---

1	INTRODUZIONE .....	3
2	TREND FINANZIARIO E PATRIMONIALE.....	3
3	RENDICONTO GESTIONALE 2017 E PREVISIONE 2018 .....	5
3.1	Gestione Caratteristica .....	6
3.1.1	Proventi Caratteristici .....	6
3.1.2	Oneri Caratteristici.....	8
3.2	Gestione Finanziaria e Straordinaria .....	11
4	STUDI CLINICI E PROGETTI PROMOSSI DA GIMEMA .....	12
4.1	Risultati.....	15
4.2	Progetto LabNet .....	17
5	STUDI CLINICI E PROGETTI PROMOSSI DA TERZI .....	18
6	PROGETTI CONNESSI ALLA RICERCA.....	19
7	ATTIVITÀ GENERALE E ISTITUZIONALE GIMEMA.....	20



## 1 INTRODUZIONE

---

La missione della Fondazione GIMEMA è quella di condurre, in Italia, la ricerca sulle malattie ematologiche dell'adulto, intendendo con il termine ricerca tutti gli studi epidemiologici, biologici e clinici atti a verificare, migliorare e a standardizzare le metodologie diagnostiche e le terapie specifiche, da utilizzare nelle diverse entità nosologiche, nonché gli studi volti a valutare le problematiche di natura etica, psicologica e sociale, che a tali procedure diagnostiche e terapeutiche possono essere correlate.

Le attività relative agli obiettivi di cui sopra, vengono coordinate e svolte dal Centro Dati che assicura alla Fondazione di svolgere ricerca secondo i più elevati *standard* internazionali e secondo le normative vigenti; il coordinamento riguarda la Rete dei Centri di Ematologia GIMEMA, a cui partecipano 64 Centri Effettivi e 62 Centri Aderenti, presenti e attivi nella clinica e nella ricerca in tutte le Regioni italiane.

Le linee di ricerca attualmente attive sono: i) Leucemia Acuta Mieloide (LAM); ii) Leucemia Mieloide Cronica (LMC); iii) Leucemia Acuta Linfoide (LAL); iv) Leucemia Linfoide Cronica (LLC); v) Leucemia Acuta Promielocitica (LAP); vi) Sindrome Mielo Displastica (SMD); vii) Porpora Trombocitopenica Idiopatica (PTI);

---

### Ambito d'attività

Progettazione, realizzazione e gestione di sperimentazioni cliniche.

Progettazione ed erogazione di eventi e di corsi di formazione.

---

### Base normativa

ISO 9001:2015

---

viii) Qualità della Vita (QOL).

Il Centro Dati è dotato di un sistema di qualità che soddisfa i requisiti sia delle Norme ISO sia delle *Good Clinical Practice*; ha altresì ottenuto la certificazione ECRIN (*The European Clinical Research Infrastructure Network*) che nel 2017 è

stata rinnovata. Numerosi sono, inoltre, i progetti che vengono portati avanti dal Centro Dati, oltre i protocolli di ricerca. La presente Relazione di Missione viene, pertanto, articolata nel seguente modo:

1. la prima parte dà conto, in termini di attività svolte e risultati conseguiti, di:
  - a. Studi clinici e progetti di cui la Fondazione è promotrice e che vengono gestiti dal Centro Dati;
  - b. Studi clinici e progetti svolti in collaborazione o promossi da Enti terzi, per i quali il Centro Dati ha avuto incarichi nella gestione;
2. la seconda presenta i progetti attinenti con le attività di Ricerca propriamente dette;
3. la terza parte riporta le attività generali e istituzionali della Fondazione.

A premessa di quanto detto sopra e quale "traduzione economica" delle stesse aree d'intervento - ovvero evidenza delle pratiche di gestione delle risorse - si propone una relazione del *trend* patrimoniale e finanziario e una analisi delle macro dimensione del Bilancio di Esercizio 2017, con previsione 2018.

## 2 TREND FINANZIARIO E PATRIMONIALE

---

A consuntivo 2017 si rilevano Proventi totali per 3.281.630 euro (-17,6% rispetto al 2016) e coerentemente Oneri totali per 3.228.503 euro (-10,9% rispetto al 2016): il risultato d'esercizio è, pertanto, positivo per il sesto anno di seguito, ed è pari a € 53.127.

Tale continuità di risultati positivi ha consentito di ricostituire il fondo associativo (fissato in 245.270 euro, significativamente eroso nel 2011) e dal 2016 di incrementare il patrimonio netto di oltre il 122%, potendosi così dichiarare conseguito l'obiettivo di recuperare / implementare la solidità patrimoniale della Fondazione.



**Tabella 1. Andamento economico-patrimoniale 2011-2017 e previsione 2018**

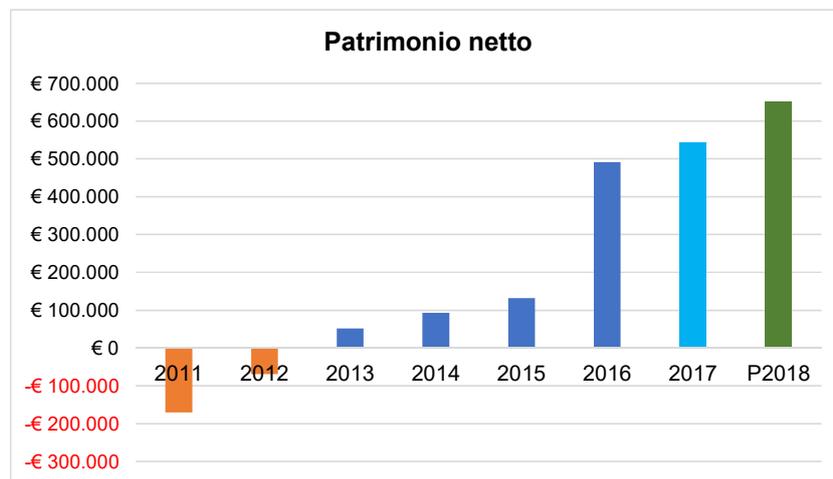
	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	P2018
Fondo associativo	€ 245.270	€ 245.270	€ 245.270	€ 245.270	€ 245.270	€ 245.270	€ 245.270	€ 245.270
Risultato di gestione	-€ 415.775	€ 101.165	€ 121.036	€ 41.287	€ 38.764	€ 360.045	€ 53.127	€ 107.021
Risultato gestione esercizi precedenti		-€ 415.775	-€ 314.610	-€ 193.574	-€ 152.287	-€ 113.523	€ 246.522	€ 299.650
Patrimonio netto	-€ 170.505	-€ 69.340	€ 51.696	€ 92.983	€ 131.747	€ 491.792	€ 544.920	€ 651.941

In ragione di quanto si esporrà nel paragrafo “*Gestione Caratteristica*”, per il 2018 si sono previsti Proventi totali pari a 4.177.513 euro (+27,3% rispetto al 2017) e coerentemente Oneri totali pari a 4.070.492 euro (+26,1% rispetto al 2017), con un ulteriore risultato positivo di oltre 100 mila euro.

**Grafico 2. Andamento risultato della gestione 2011-2017 e previsione 2018**



**Grafico 3. Andamento del patrimonio netto GIMEMA 2011-2017 e previsione 2018**



Il realizzarsi di quanto programmato per il 2018 - e la piena entrata in vigore del D.Lgs. 117/2017 di riforma del Terzo Settore - dovrebbe consentire agli Organi della Fondazione di:

- ri-determinare la consistenza ottimale del Fondo Associativo, quale elemento di garanzia per la sostenibilità e continuità di medio-lungo periodo, e anche verso terzi;
- vincolare parte delle eccedenze per sviluppare la capacità di GIMEMA di finanziare / co-finanziare “idee” di ricerca (fondo vincolato per decisione degli Organi).



In questi anni, il recupero e l'implementazione della solidità patrimoniale si sono realizzate senza generare indebitamento di medio lungo termine per la Fondazione, bensì grazie - innanzi tutto - allo sviluppo delle attività tipiche e connesse sempre all'ambito delle progettualità di ricerca e assistenziali, sostenute da buone pratiche tese a sincronizzare l'efficientamento della gestione economica e l'efficientamento della gestione finanziaria. A evidenza meramente esemplificativa e non esaustiva si riporta che al 31/12/2017 la voce di Stato Patrimoniale *Depositi bancari* è di 1.450.118 euro (236.356 euro al 31/12/2016) e - in termini di *trend* - la disponibilità liquida media mese è stata: 348.270 euro nel 2013; 222.379 euro nel 2014; 75.377 euro nel 2015; 656.585 euro nel 2016; 1.410.401 euro nel 2017.

### 3 RENDICONTO GESTIONALE 2017 E PREVISIONE 2018

---

Il *Rendiconto Gestionale 2017* e il *Conto Economico di previsione 2018* propongono la declinazione a proventi/ricavi e oneri/costi, che rappresenta - in modo veritiero, chiaro, corretto, trasparente - i valori monetari, secondo una classificazione utile a descrivere nella presente *Relazione*:

- l'evoluzione delle attività del GIMEMA, aderendo pienamente al principio della continuità di applicazione dei modelli e dei criteri;
- le modalità con le quali sono acquisite le risorse;
- la correlazione tra proventi finalizzati a singoli protocolli e costi diretti dei medesimi (principio di competenza economica);
- i proventi non finalizzati, impiegati per sostenere i progetti senza contributo dedicato - anziché con contributo a copertura parziale - e i costi di funzionamento del GIMEMA.

Lo schema è articolato per le aree gestionali degli enti *no profit*, corrispondenti a segmenti di attività omogenei, che per il GIMEMA sono i seguenti:

1. **attività tipica, ovvero di istituto** - trattasi delle attività svolte dall'ente *no profit* seguendo le indicazioni previste dallo Statuto. Per il GIMEMA è la Ricerca e, con riferimento allo schema di bilancio, si distinguono: 1.1 *Proventi per finanziamento Progetti* e 1.1 *Oneri per Progetti*, quando i protocolli di ricerca GIMEMA hanno un fondo dedicato, derivante da accordo con Casa Farmaceutica o Ente terzo, anziché donazione liberale con destinazione vincolata *ex ante*, a copertura o a copertura parziale dei costi diretti; 1.2 *Proventi da Progetti soggetti a IVA/IRAP* e 1.2 *Oneri per Progetti soggetti a IVA/IRAP*, quando i protocolli di ricerca GIMEMA hanno un fondo dedicato, derivante da accordo con Casa Farmaceutica o Ente terzo, che richiede la fatturazione con IVA (fattispecie di accordo in fase di esaurimento) a copertura o a copertura parziale dei costi diretti; 1.3 *Contributi istituzionali* e 1.3 *Oneri per Progetti di Ricerca*, che comprendono tutti i ricavi non finalizzati a singoli protocolli, bensì destinati precipuamente a sostenere i progetti senza fondo dedicato (costi 1.3), a coprire i progetti cofinanziati (sbilanci proventi/oneri 1.1 e 1.2) e i costi di funzionamento;
2. **attività connessa, ovvero accessoria** - trattasi di attività diversa da quella istituzionale e complementare alla stessa, in grado di garantire altresì all'ente *no profit* risorse utili a perseguire le finalità istituzionali espresse dallo Statuto. Per il GIMEMA sono attività accessorie la formazione, alcuni progetti clinici e di ricerca e i *service* affidati da soggetti terzi, in ambiti pertinenti con le competenze "interne", comprese nell'aggregato 2) *Proventi da attività connesse* e *Oneri da attività connesse*;



3. **attività di gestione finanziaria, patrimoniale e straordinaria** - trattasi delle attività inerenti la gestione dei flussi finanziari e patrimoniali, strumentali rispetto all'attività istituzionale, e delle sopravvenienze attive e passive di esercizio, comprese nell'aggregato 3) *Proventi finanziari e straordinari e Oneri finanziari e straordinari*;
4. **attività di supporto generale** - trattasi delle attività di direzione e conduzione dell'ente, che garantiscono il permanere delle condizioni organizzative di base e ne assicurano la continuità, comprese nell'aggregato 4) *Oneri della Gestione ordinaria*.

### 3.1 GESTIONE CARATTERISTICA

La gestione caratteristica è la rappresentazione contabile, ordinata e trasparente delle dinamiche gestionali condotte direttamente dall'ente, per realizzare continuativamente il suo scopo e i processi di funzionamento. La gestione caratteristica della Fondazione non deve dimostrare la capacità di generare utili come il privato *profit* né è condizionata da alti costi generali come le Aziende pubbliche, bensì è agita per mantenere/incrementare il livello delle risorse reperite e mantenere/incrementare gli impieghi e gli *outcome* nella Ricerca e nelle altre attività e progettualità collegate. In tal senso, va interpretato il risultato della gestione caratteristica 2017, pari a circa +192 mila euro, e il risultato di specie previsto per il 2018, posto a circa 109 mila euro.

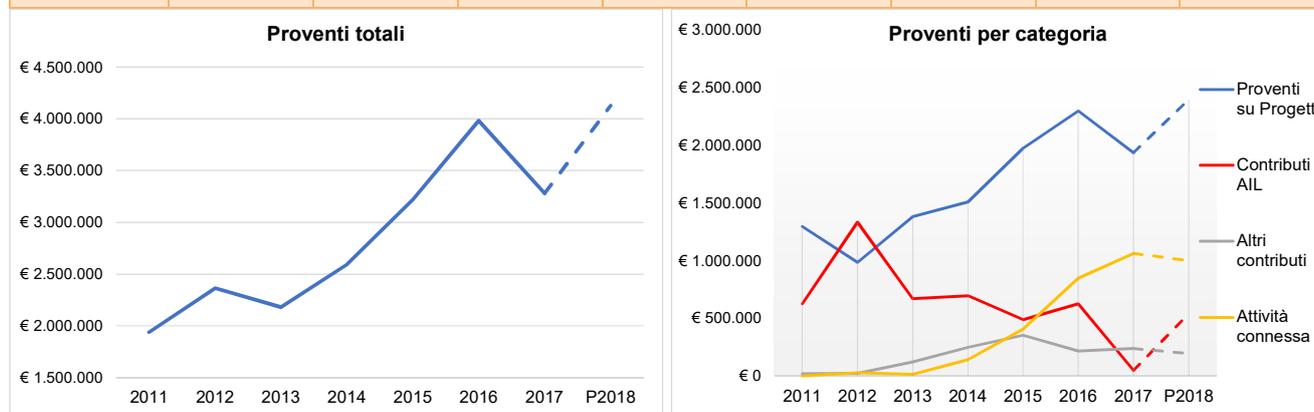
#### 3.1.1 Proventi Caratteristici

A consuntivo 2017 si rilevano Proventi caratteristici per 3.281.576 euro, con un decremento del -17,6% rispetto al 2016, dato praticamente sovrapponibile al totale di specie da bilancio di cui sopra, a causa della sostanziale assenza di ricavi della componente non caratteristica, come si vedrà nel paragrafo dedicato.

Per il 2018 si sono previsti Proventi caratteristici pari a 4.127.513 euro (+25,8% rispetto al 2017).

**Tabella e Grafici 4. Andamento Proventi caratteristici 2011-2017 e previsione 2018**

Proventi	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	P2018
Progetti	€ 1.295.898	€ 983.170	€ 1.381.314	€ 1.509.266	€ 1.974.496	€ 2.296.869	€ 1.936.820	€ 2.396.836
Contributi AIL	€ 625.665	€ 1.332.991	€ 667.972	€ 696.008	€ 487.826	€ 624.079	€ 47.526	€ 538.357
Altri contributi	€ 16.883	€ 20.381	€ 119.489	€ 247.466	€ 351.182	€ 214.929	€ 235.344	€ 193.000
Connessi	€ 0	€ 25.876	€ 11.209	€ 139.401	€ 405.351	€ 846.169	€ 1.061.886	€ 999.320
<b>tot</b>	<b>€ 1.938.446</b>	<b>€ 2.362.418</b>	<b>€ 2.179.984</b>	<b>€ 2.592.141</b>	<b>€ 3.218.855</b>	<b>€ 3.982.046</b>	<b>€ 3.281.576</b>	<b>€ 4.127.513</b>



Il calo dei Proventi a consuntivo 2017 è dovuto a:

- mancata imputabilità del 10% della raccolta AIL 5x1.000, in quanto derivante - per la prima volta - dal MIUR, e resa liquida a fine dicembre 2017 (erogata a GIMEMA a febbraio 2018), con obbligo di utilizzo per competenza (impiego e impegno) nei 12 mesi successivi, su singoli Progetti di ricerca;
- ritardo nel raggiungimento della *milestone* di accesso alla quarta *tranche* del Progetto CML 1415 Sustrenim (reclutamento di n. 350 pazienti);
- esercizio sostanzialmente di progettazione, per l'avvio di nuovi studi (5 attivati nel 2017, di cui 3 avviati a fine 2017, e 10 la cui attivazione è prevista nel 2018).

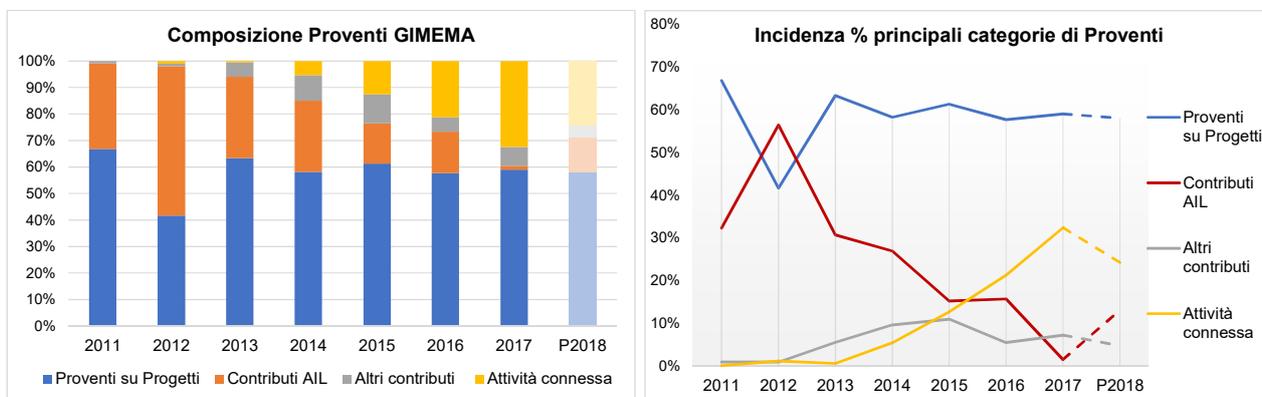
La previsione in sensibile incremento dei Proventi 2018 è dovuta, specularmente:

- alla quota 5x1.000 AIL-MIUR (pari a € 508.357);
- all'avvio previsto di 10 nuovi studi (+3 di fine 2017) di cui 8 con contributo dedicato.

Il Consiglio Direttivo a febbraio 2018 ha deliberato di destinare la quota 2018 5x1.000 "AIL/MIUR" come di seguito:

- ✓ 90 mila euro co-finanziamento NP 16-275 AML Venetoclax (finanziamento complessivo 255 mila euro);
- ✓ 70 mila euro co-finanziamento NP 17-284 LAL INO EWALL (finanziamento complessivo 150 mila euro);
- ✓ 100 mila euro finanziamento Progetto LabNet standardizzazione NGS;
- ✓ 200 mila euro destinati al Bando Fondo per le idee, I edizione 2018;
- ✓ 48.357 euro (9,5%) per costi indiretti di progetto.

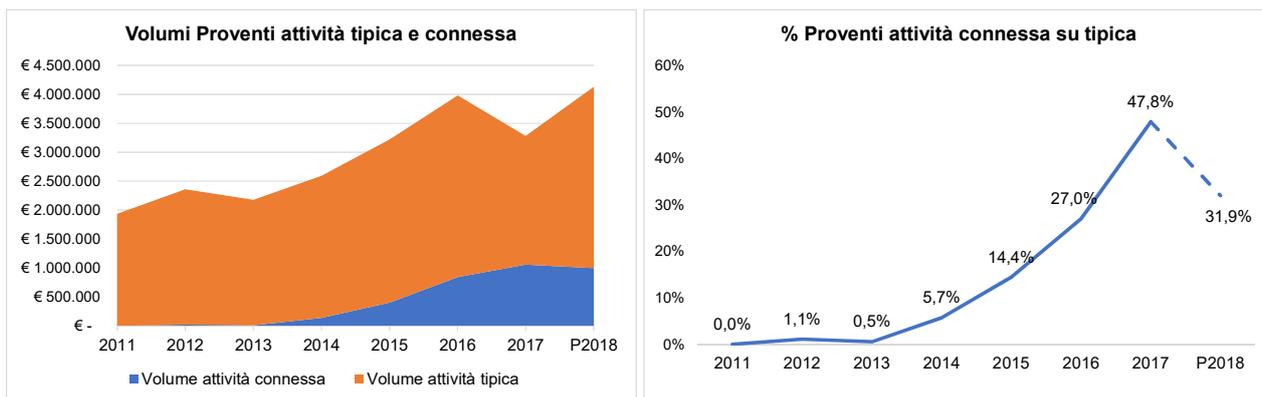
**Grafico 5. Composizione dei Proventi caratteristici 2011-2017 e previsione 2018**



Con riferimento alla composizione dei Proventi caratteristici, si evidenzia: i) l'apporto significativo dell'AIL Nazionale, nel periodo 2011-2012, per il ripristino della sostenibilità economica e finanziaria del GIMEMA, con successivo assestamento del contributo AIL sostanzialmente corrispondente al 10% della sua raccolta 5x1.000, così come da determinazione del suo CdA; ii) l'importante sviluppo della attività tipica di Ricerca con contributi finalizzati, nel periodo 2013-2018; iii) lo sviluppo della attività connessa dal 2014, che sostanzialmente sopperisce al calo dei contributi AIL; iv) l'incremento degli altri ricavi, corrispondente pressoché *in toto* all'introduzione, dal 2014, del contributo annuale volontario dei Centri Aderenti e Centri Effettivi GIMEMA.



**Grafico 6. Rapporto proventi da attività tipica e connessa 2011-2017 e previsione 2018**



Come anticipato sopra, l'apporto della attività connessa rileva una significatività «incrementale» dal 2014, fino a rappresentare in previsione 2018 circa in 25% dei proventi totali (1/4), con un picco nel 2017 che ha consentito di contenere il calo dei proventi caratteristi.

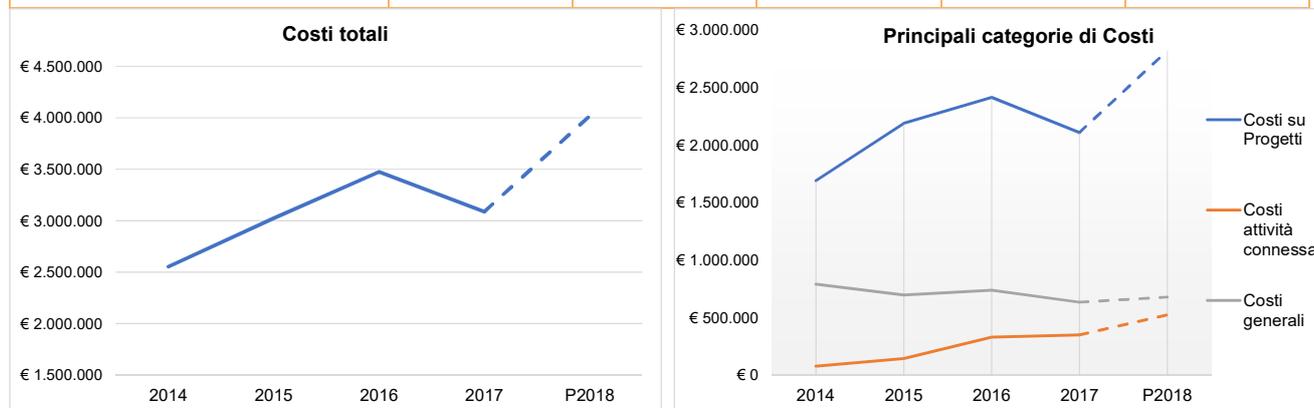
### 3.1.2 Oneri Caratteristici

Si anticipa alla disamina dei costi caratteristici che il *trend* è riportato dal 2014, in quanto è solo da tale esercizio che si è completata la contabilità per progetto / attività e, pertanto, per i consuntivi di specie 2011, 2012 e 2013 non sarebbe rispettato il principio di confrontabilità secondo criteri omogenei di aggregazione.

Ciò detto, nel 2017 si rilevano Oneri caratteristici per 3.089.301 euro, con un decremento del -11,1% rispetto al 2016, dato coerente con il calo dei proventi caratteristici e sensibilmente inferiore al valore totale dei costi da bilancio di cui sopra, in quanto la componente non caratteristica, come si vedrà nel paragrafo dedicato, registra oneri per 139.202 euro (147.118 euro nel 2016).

**Tabella e Grafici 7. Andamento Oneri caratteristici 2014-2017 e previsione 2018**

COSTI	2014	2015	2016	2017	P2018
Costi su Progetti	€ 1.690.634	€ 2.188.371	€ 2.413.437	€ 2.108.932	€ 2.820.866
Costi attività connessa	€ 74.859	€ 141.711	€ 326.226	€ 348.439	€ 522.189
Costi generali	€ 787.793	€ 693.498	€ 735.443	€ 631.930	€ 675.437
<b>tot</b>	<b>€ 2.553.285</b>	<b>€ 3.023.580</b>	<b>€ 3.475.105</b>	<b>€ 3.089.301</b>	<b>€ 4.018.492</b>

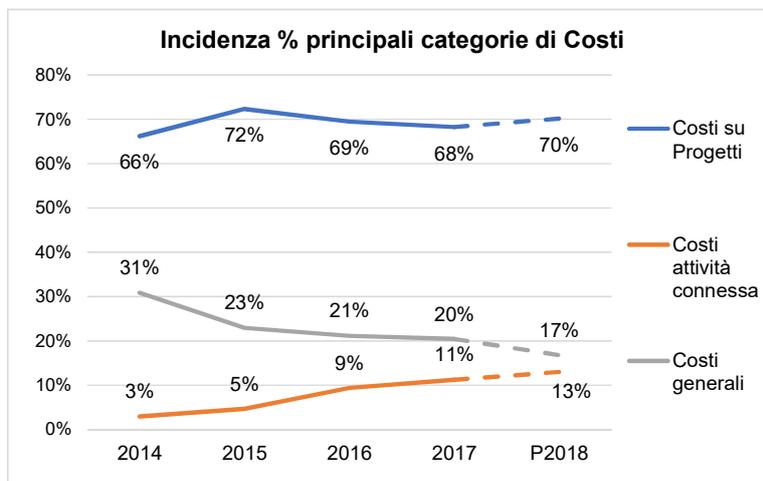


Per il 2018 si sono previsti Oneri caratteristici pari a 4.018.492 euro (+30,1% rispetto al 2017).



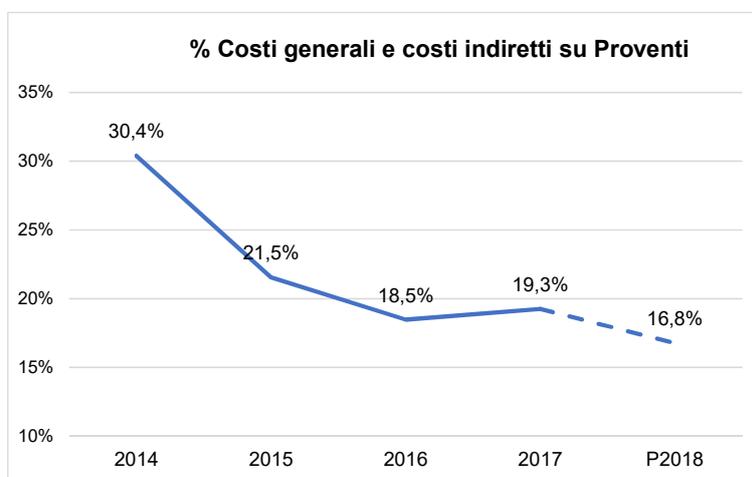
Il calo degli costi a consuntivo 2017 e il sensibile incremento a previsione 2018 sono dovuti alle medesime ragioni che motivano l'analogo andamento sul versante dei Proventi caratteristici, oltre al fatto che nel 2018 sono previste 3 nuove assunzioni (si veda Tabella 12.).

**Grafico 8. Composizione dei Costi caratteristici 2014-2017 e previsione 2018**



L'andamento della % dei costi per Progetto (proxy dell'impegno dell'Ente sulla finalità statutaria di Ricerca) è pressoché stabilmente intorno all'ottimale 70%.

**Grafico 9. Andamento incidenza costi generali su proventi caratteristici 2014-2017 e previsione 2018**

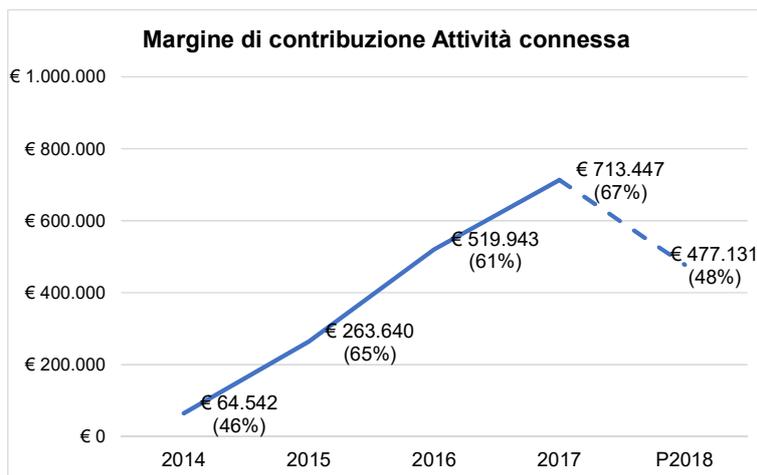


Nel periodo in esame gli oneri della gestione generale sono positivamente in calo come incidenza sui Proventi caratteristici, ponendosi per il 2018 di stare al di sotto del 17%. Ciò detto, si rileva che nei costi di funzionamento restano imputati quali costi indiretti di Progetto (ovvero non ribaltati o ribaltabili sul singolo protocollo) il Supporto Legale per gli Accordi, le attività prodromiche di progetto, i trasporti tra GIMEMA e i Centri Sperimentatori, ecc..

Il margine di contribuzione della attività connessa di cui al Grafico 10 è evidenza di come la medesima sia effettivamente strumentale alla attività tipica (si veda il valore assoluto), e - al contempo - secondaria rispetto alla attività tipica medesima, essendo la % del margine sui proventi da attività connessa ben ampia, ovvero l'attività di specie assorbe risorse della Fondazione solo per il 13%, nel 2017 (si veda Grafico 8).

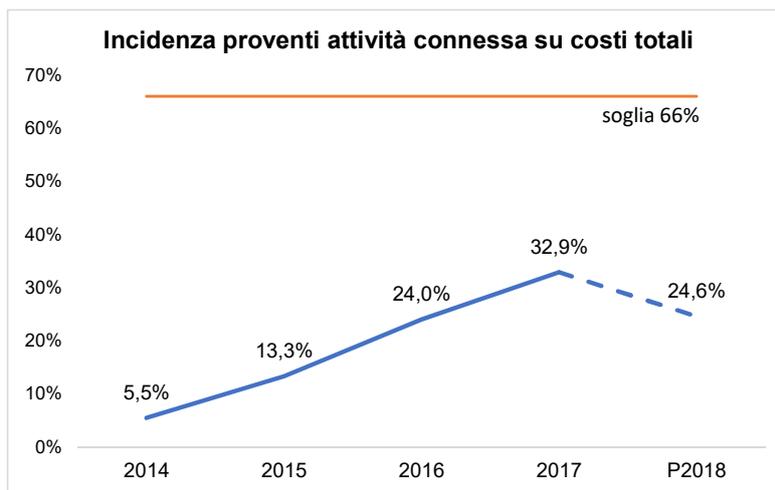


**Grafico 10. Andamento margine di contribuzione da attività connessa 2014-2017 e previsione 2018**



Nel Grafico 11. si dà evidenza del pieno rispetto di quanto previsto dal D.Lgs. 460/97 - vigente fino alla istituzione del Registro Nazionale Unico degli Enti del Terzo Settore di cui al D.Lgs. 117/2017 - in proposito al limite posto per i ricavi da attività connessa, al fine di mantenere la qualifica di ONLUS.

**Grafico 11. Trend incidenza Proventi da attività connessa su costi totali 2014-2017 e previsione 2018**



I Proventi totali 2017 da attività connesse sono pari a 1.061.886 euro, con un incremento rispetto al 2016 del +25,5% (+215.717 euro) praticamente interamente dovuto all'avvio del *Service* per Incyte LAL 1811, e - ai fini della soglia fissata in *non oltre il 66%*, ex art. 10, comma 5 del D.Lgs. 460/97 - rappresentano il 32,9% dei costi totali 2017.

In fine, sul versante dei costi si riporta l'andamento quantitativo e monetario del fattore produttivo fondamentale per la Fondazione, le risorse umane, che si caratterizzano per know how altamente specialistico e differenziato, in ragione delle attività che conducono (attività regolatorie, di analisi, farmacovigilanza, *data management*, biostatistica, ecc.).



**Tabella 12. Dotazione e Costo del Personale 2016-2017 e previsione 2018**

	2016		2017		var %	P2018		var %
	Teste	FTE	Teste	FTE		Teste	FTE	
Dipendenti	24	19,5	23	19,8	1,71%	26	22,5	13,47%
Co.co.co	2	1,75	2	1,42		2	1,5	
<b>Totale FTE</b>		<b>21,2</b>		<b>21,2</b>	<b>0,02%</b>		<b>24,0</b>	<b>12,94%</b>
<b>Costo</b>	<b>€ 996.163</b>		<b>€ 1.048.410</b>		<b>5,24%</b>	<b>€ 1.160.000</b>		<b>10,64%</b>

In forza al Centro Dati, fino al 2017, una sola dipendente si è occupata di amministrazione (si prevede una unità in più da reclutare a fine 2018) supportata da professionisti LP per le attività di: trattamento giuridico ed economico del personale; affari legali e istituzionali; programmazione e controllo direzionali; controllo di gestione; contabilità generale, gestione finanziaria e bilancio.

### 3.2 GESTIONE FINANZIARIA E STRAORDINARIA

La gestione finanziaria e patrimoniale comprende: i) interessi attivi e passivi, riguardanti sia le disponibilità liquide sia gli eventuali investimenti finanziari; ii) componenti straordinarie di costo e ricavo, ovvero sopravvenienze afferenti a esercizi precedenti.

La gestione finanziaria GIMEMA, nella sua rappresentazione a Bilancio, è sostanzialmente ininfluenza, al momento, sul risultato della gestione, in ragione di: i) assenza di attività finanziarie e depositi bancari rilevanti, o meglio, stante le condizioni applicate dalle banche; ii) assenza di indebitamento e, conseguentemente, di oneri finanziari connessi.

La gestione straordinaria, invece, presenta - già nel 2016, con l'accantonamento a fondo rischi di 100 mila euro, e la svalutazione di contributi volontari anno dei Centri GIMEMA, per 44 mila euro - nel 2017 voci di costo significative, tra le quali si dettano:

- costituzione del Fondo Ferie non Godute relativamente agli anni precedenti il 2017, per € 52.538;
- svalutazione di contributi volontari anno dei Centri Aderenti e dei Centri Effettivi, per anzianità del credito residuo 2014, e dai Centri stessi documentati inesigibili, per gli esercizi 2015 e 2016, pari a un importo complessivo di € 80.000;

**Tabella 13. Andamento Contributi anno dei Centri GIMEMA 2014-2017**

Centri	2014			2015				2016				2017		
	richiesto	erogato	inesigibile	richiesto	erogato	inesigibile	in attesa	richiesto	erogato	inesigibile	in attesa	richiesto	erogato	in attesa
Aderenti	76	39	37	68	38	19	11	67	39	8	20	60	32	28
valore	€ 76.000	€ 39.000	€ 37.000	€ 68.000	€ 38.000	€ 19.000	€ 11.000	€ 67.000	€ 39.000	€ 8.000	€ 20.000	€ 60.000	€ 32.000	€ 28.000
Effettivi	68	49	19	67	47	14	6	65	43	7	15	62	39	23
valore	€ 136.000	€ 98.000	€ 38.000	€ 134.000	€ 94.000	€ 28.000	€ 12.000	€ 130.000	€ 86.000	€ 14.000	€ 30.000	€ 124.000	€ 78.000	€ 46.000
<b>totale</b>	<b>€ 212.000</b>	<b>€ 137.000</b>	<b>€ 75.000</b>	<b>€ 202.000</b>	<b>€ 132.000</b>	<b>€ 47.000</b>	<b>€ 23.000</b>	<b>€ 197.000</b>	<b>€ 125.000</b>	<b>€ 22.000</b>	<b>€ 50.000</b>	<b>€ 184.000</b>	<b>€ 110.000</b>	<b>€ 74.000</b>

Si coglie qui l'occasione per rilevare l'importante adesione dei Centri GIMEMA alla introduzione del contributo volontario anno: dal 2014 ad oggi, è stato erogato un importo totale pari 504 mila euro, con una risposta positiva sull'importo richiesto del 63,4%.

Per il 2018 il contributo volontario da richiedere è confermato in 1.000 euro per i Centri Aderenti e 2.000 euro per i Centri Effettivi.



## 4 STUDI CLINICI E PROGETTI PROMOSSI DA GIMEMA

Nelle Tabelle e nei grafici a seguire si presentano i principali indicatori della attività tipica studi clinici e progetti di cui la Fondazione è promotrice.

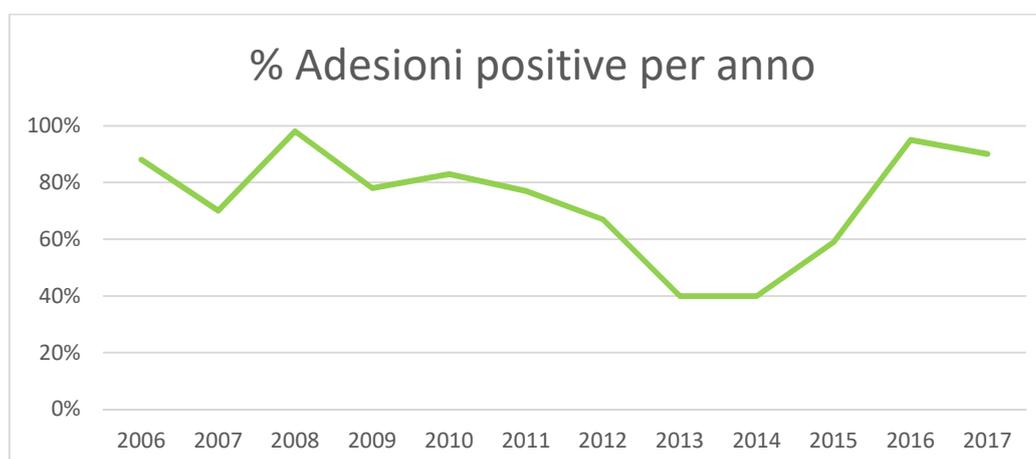
**Tabella e Grafico 14. Adesione agli Studi 2006-2017**

Invio Adesione	Mancata risposta	Negativa	Positiva	Totale	% adesioni positive
<b>2006</b>	9	0	68	77	88%
<b>2007</b>	33	4	87	124	70%
<b>2008</b>	0	1	41	42	98%
<b>2009</b>	30	12	146	188	78%
<b>2010</b>	24	4	136	164	83%
<b>2011</b>	49	11	204	264	77%
<b>2012</b>	116	24	278	418	67%
<b>2013</b>	220	22	164	406	40%
<b>2014</b>	256	35	194	485	40%
<b>2015</b>	176	45	322	543	59%
<b>2016</b>	<b>6</b>	<b>0</b>	<b>104</b>	<b>110</b>	<b>95%</b>
<b>2017</b>	<b>11</b>	<b>0</b>	<b>99</b>	<b>110</b>	<b>90%</b>
<b>Totale</b>	<b>930</b>	<b>158</b>	<b>1843</b>	<b>2931</b>	<b>63%</b>



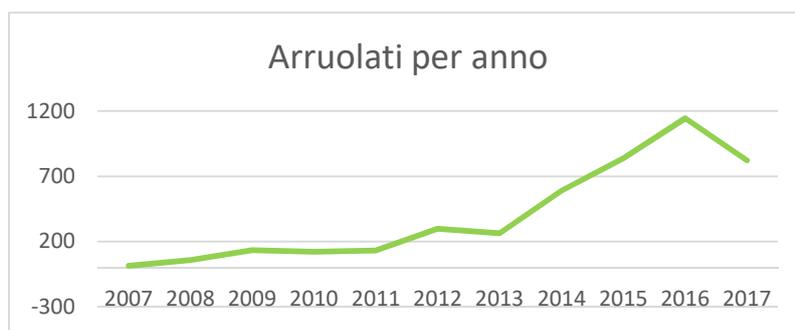
È interessante notare come negli ultimi due anni non vi siano state risposte negative alla richiesta di adesione e come si siano ridotte le mancate risposte.

**Grafico 15. Adesione positiva agli Studi 2006-2017**



**Tabella e Grafico16. Arruolamento per Anno 2007-2017**

ANNO	n. arruolati	n. arruolati (progressivo)
2007	14	14
2008	58	72
2009	133	205
2010	123	328
2011	132	460
2012	298	758
2013	265	1.023
2014	589	1.612
2015	840	2.452
2016	1.144	3.596
2017	822	4.418



Il numero medio di pazienti arruolati per Centro Effettivo GIMEMA, nell'anno 2017, è pari a 8 (range 58 / 1).

**Tabella 17. Arruolamento per Tipo di Studio**

Studio	2007	2008	2009	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	Totale
Sperimentale	3	43	117	117	128	293	229	310	253	677	254	2.424
Osservazionale	11	15	16	6	4	5	36	279	587	467	568	1.994
<b>Totale</b>	<b>14</b>	<b>58</b>	<b>133</b>	<b>123</b>	<b>132</b>	<b>298</b>	<b>265</b>	<b>589</b>	<b>840</b>	<b>1.144</b>	<b>822</b>	<b>4.418</b>

**Tabella 16. Studi clinici gestiti nel 2017**

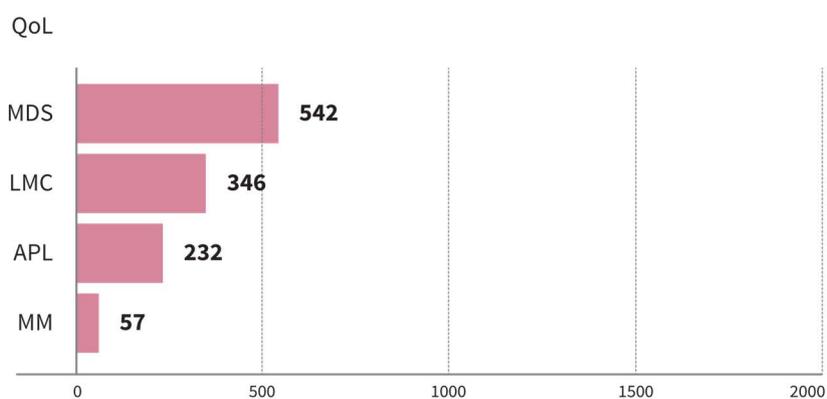
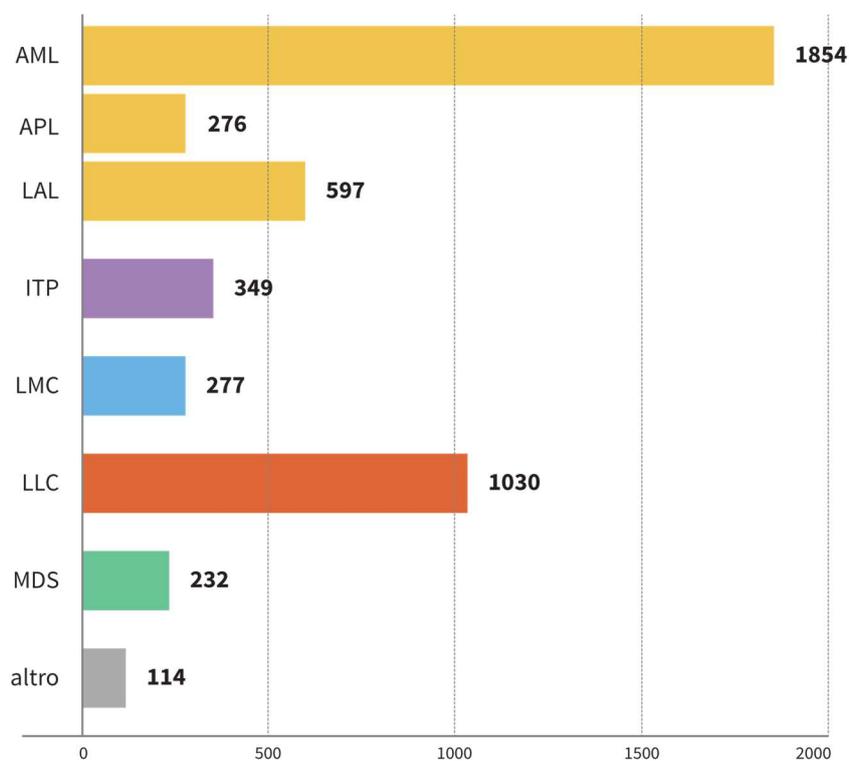
Categoria	Tipologia	Aperti all'arruolamento	Chiusi all'arruolamento	In attivazione	In lavorazione	Studi Chiusi nel 2017	Totale complessivo
LMC	Osservazionale	6	2	1			9
	Sperimentale	3	2				5
	<b>Totale</b>	<b>9</b>	<b>4</b>	<b>1</b>			<b>14</b>
ITP	Osservazionale	2			1		3
	Sperimentale	2					2
	<b>Totale</b>	<b>4</b>			<b>1</b>		<b>5</b>
LA	Osservazionale	4		1	3		8
	Sperimentale	6	14	1	7	3	31
	<b>Totale</b>	<b>10</b>	<b>14</b>	<b>2</b>	<b>10</b>	<b>3</b>	<b>39</b>
LLC	Osservazionale	3	1		3		7
	Sperimentale	1	2		3		6
	<b>Totale</b>	<b>4</b>	<b>3</b>		<b>6</b>		<b>13</b>
MDS	Osservazionale	2					2
	Sperimentale		1		1		2
	<b>Totale</b>	<b>2</b>	<b>1</b>		<b>1</b>		<b>4</b>
MM	Osservazionale	1					1
	Sperimentale						
	<b>Totale</b>	<b>1</b>					<b>1</b>
Altro	Osservazionale	2					2
	Sperimentale					1	1
	<b>Totale</b>	<b>2</b>				<b>1</b>	<b>3</b>
<b>Totale complessivo</b>		<b>32</b>	<b>22</b>	<b>3</b>	<b>18</b>	<b>4</b>	<b>79</b>



**Tabella 18. Studi clinici attivati nel 2017**

Categoria	Tipologia	Studi attivati
LA	Osservazionale	2
	Sperimentale	1
	<b>Totale</b>	<b>3</b>
LMC	Osservazionale	1
	Sperimentale	0
	<b>Totale</b>	<b>1</b>
MM	Osservazionale	1
	Sperimentale	0
	<b>Totale</b>	<b>1</b>
<b>Totale complessivo</b>		<b>5</b>

**Grafico 19. Pazienti gestiti per studi clinici nel 2017**



**Tabella 20. Pazienti arruolati nel 2017**

Categoria	Tipologia	Pazienti arruolati nel 2017
LMC	Osservazionale	215
	Sperimentale	99
	<b>Totale</b>	<b>314</b>
ITP	Osservazionale	20
	Sperimentale	25
	Totale	45
LA	Osservazionale	33
	Sperimentale	92
	<b>Totale</b>	<b>125</b>
LLC	Osservazionale	40
	Sperimentale	38
	Totale	78
MDS	Osservazionale	206
	Sperimentale	-
	<b>Totale</b>	<b>206</b>
MM	Osservazionale	54
	Sperimentale	
	Totale	54
<b>Totale complessivo</b>		<b>822</b>

#### 4.1 RISULTATI

Il 13 Ottobre 2016 l'Agencia Europea del Farmaco (EMA) ha esteso l'originale indicazione d'uso del farmaco *Trisenox* (Triossido di Arsenico), rendendolo disponibile per il trattamento di prima linea dei pazienti con Leucemia Acuta Promielocitica, in combinazione con ATRA. Per il parere positivo da parte della Commissione Europea che si occupa dei prodotti medicinali destinati all'uso su uomo (CHMP), sono stati fondamentali i risultati dello Studio GIMEMA LAP 0406 (<http://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1300874>).

In data 12 gennaio 2018 (dopo una lunga trattativa, condotta dalla Fondazione, e svoltasi nel 2017) l'indicazione per l'uso del *Trisenox*, in prima linea, per i pazienti a basso rischio, è stata estesa anche dall'FDA (<https://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&applno=021248>).

In occasione della progettazione dello Studio LLC 1315, è iniziata un'importante collaborazione internazionale con ERIC CLL, un'organizzazione europea *no profit* - registrata con il nome di *European Research Initiative* su CLL - il cui Presidente è il Prof. Paolo Ghia. La sede ERIC è a Barcellona ed è ospitata dall'Istituto di Ricerca dell'Ospedale Sant Pau (IR-HSCSP). Gli obiettivi di ERIC sono:

- ✓ sviluppo e promozione di ricerca clinica, traslazionale e di base sulla Leucemia Linfoide Cronica e sui disturbi correlati;
- ✓ sviluppo dell'interazione e della cooperazione tra le competenze cliniche (medici, gruppi di studio) e scienziati / gruppi di ricerca, a livello europeo e internazionale;
- ✓ creazione di *standard* comuni per la gestione diagnostica e terapeutica dei pazienti con LLC
- ✓ implementazione e gestione di studi clinici sulla LLC e le malattie correlate;

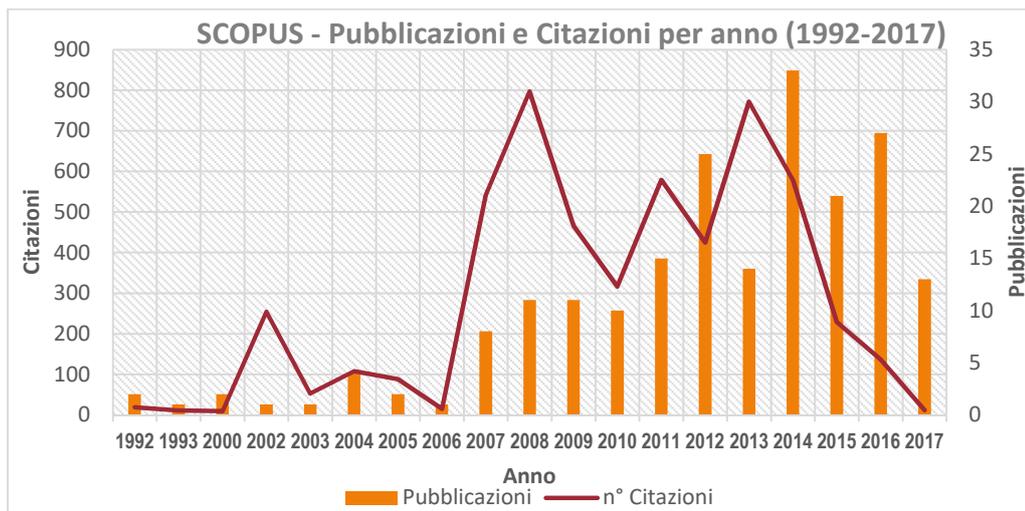


- ✓ promozione della comunicazione transnazionale tra medici / scienziati, e pubblicazione di conoscenze cliniche e scientifiche sulla LLC e sui disturbi correlati;
- ✓ collaborazione con gruppi di pazienti e sostenitori dei pazienti, verso il miglioramento dell'assistenza ai malati di Leucemia Linfatica Cronica.

Nel corso del 2017, a seguito della riunione con i *Chairman* e *co-Chairman* dei WP del GIMEMA, tenutasi in data 3 e 4 aprile, la Fondazione GIMEMA ha ricevuto due richieste di Patrocinio che sono state accordate.

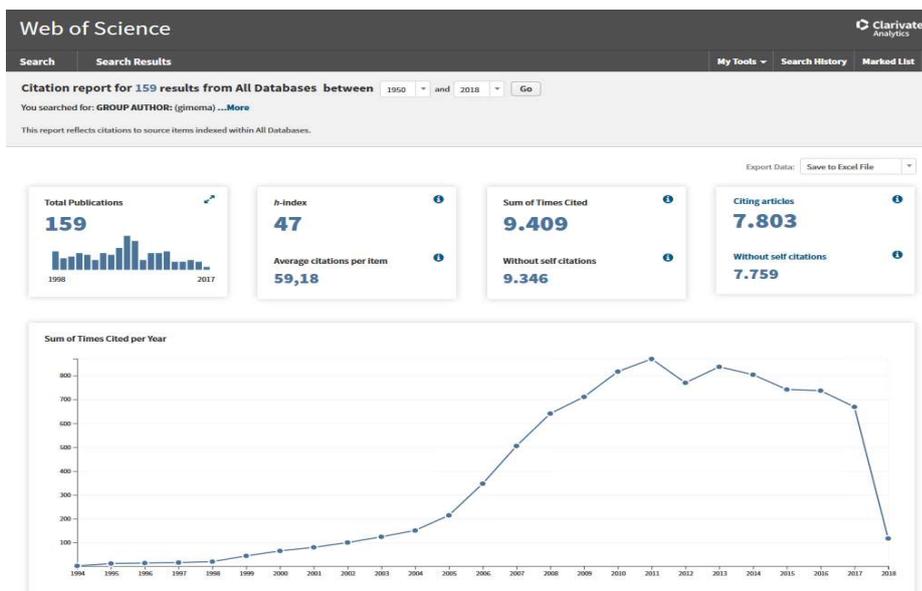
I lavori scientifici pubblicati nell'esercizio sono stati 13 con un valore di *Impact Factor* pari a 105 punti.

**Grafico 21. Andamento *h-index* GIMEMA secondo SCOPUS**



Secondo il *data base* SCOPUS l'*h-index* 2017 GIMEMA è 37.

**Figura 22. *H-index* 2017 GIMEMA secondo *Web of Scienze***



Secondo il *data base* *Web of Scienze* l'*h-index* 2017 GIMEMA è 47.



**Tabella 23. Abstract e Presentazioni a Congressi nel 2017**

	ASH 2017	EHA 2017	MDS Foundation	ISOQOL	SIE 2017	Totale
<b>CML</b>	4	1			3	<b>8</b>
<b>LA</b>	5	5			2	<b>12</b>
<b>LLC</b>	1	2			2	<b>5</b>
<b>MM</b>	5	3			4	<b>12</b>
<b>QoL</b>	2	1	1	12	0	<b>16</b>
<b>Altro</b>	1	0			2	<b>3</b>
<b>Totale</b>	<b>18</b>	<b>12</b>	<b>1</b>	<b>12</b>	<b>13</b>	<b>56</b>

Nel 2017 è proseguita l'attività di organizzazione/partecipazione a *workshop* come docenti e *invited talk*, e precisamente:

- “Alimentazione, stili di vita e multidisciplinarietà” - 10 e 11 marzo 2017 - Corso di Aggiornamento Internazionale, Sala Conferenze Ordine Medici Roma
- “Leggere un articolo scientifico” - 26 maggio 2017 - Evento GIDM, Sala AIL;
- Master Universitario di II livello in Ematologia Pediatrica, Sapienza, Roma;
- “Il paziente con neoplasie ematologiche. nuove prospettive di cura e di vita” - 11 e 12 maggio 2017 - Conferenza Nazionale, Roma;
- *Postgraduate Leukemia Conference – Leukemia 2017* - 19-20 maggio 2017 – Roma, *discussant*;
- “La Salute: un bene da difendere, un diritto da promuovere” - 27 giugno 2017 - Convegno “Il patto medico paziente in onco-ematologia: la corretta informazione come valore e responsabilità”, Istituto Luigi Sturzo;
- *European Society of Medical Oncology (ESMO), September, 2017, Madrid (Spain), invited talk*;
- *HARMONY General Assembly* - 24 ottobre 2017 - Berlino;
- “Tumori rari, la domanda dei pazienti, la risposta delle istituzioni” - 16 novembre 2017 - Camera dei Deputati, Roma,
- *19th Annual John Goldman Conference on Chronic Myeloid Leukemia: Biology and Therapy” October, 2017, Estoril, (Portugal), invited talk*;
- *Workshop Studi Adattativi in Oncologia* - 17 novembre 2017 - Istituto Superiore di Sanità, Tavola rotonda, Roma;
- “La misurazione della qualità di vita nei clinical trials: strumenti, metodi, applicazione” - 20 novembre 2017 - Ospedale Mayer (Firenze);

## 4.2 PROGETTO LABNET

LabNet è una rete che coinvolge i medici di oltre 130 Ematologie italiane e 57 Laboratori specializzati, permettendo un'interpretazione diagnostica corretta e un monitoraggio della risposta al trattamento farmacologico per pazienti con Leucemia Mieloide Cronica (LMC), Leucemia Mieloide Acuta (LMA), Neoplasie Mieloproliferative Philadelphia negative (MPN Ph-) e, in futuro, pazienti con Sindromi Mielodisplastiche.

Il progetto nasce con una finalità assistenziale: garantire a tutti i pazienti la stessa accuratezza negli esami diagnostici, indipendentemente dal Centro presso il quale sono in cura. Il paziente in trattamento presso un Centro di Ematologia può avvalersi di un esame diagnostico effettuato in Laboratori in rete, che operano



secondo elevati *standard* europei, senza doversi spostare dal proprio Ospedale di riferimento. Il paziente esegue il prelievo di sangue presso il centro ematologico dove è in cura che spedisce il campione con un corriere dedicato al Laboratorio aderente al *network* LabNet. Il campione sarà quindi analizzato dal Laboratorio, tramite sofisticate indagini molecolari o istopatologiche, standardizzate e condivise dal *network*.

**Tabella 23. Attività 2017 Network LabNet**

Anno 2017	Pazienti	Esami richiesti	% Esami refertati
LabNet CML	4.145	14.162	72%
LabNet AML	641	3183	81%
<b>Totale</b>	<b>4.786</b>	<b>17.345</b>	<b>74%</b>

Di seguito si riporta lo stato della Certificazione di qualità dei Laboratori LabNet:

1. AML: la stesura delle procedure di laboratorio è stata completata. I laboratori di coordinamento (5 su 10 totali) hanno standardizzato le analisi del pannello avanzato.
2. JakNet: i Laboratori JakNet hanno eseguito due controlli di qualità, proficiency test e 1st panel.
3. CML: svolti i controlli di qualità in tutti e 57 laboratori.

## 5 STUDI CLINICI E PROGETTI PROMOSSI DA TERZI

Nella presente parte si dà conto degli studi clinici e dei progetti promossi in collaborazione dal GIMEMA o per i quali il Centro Dati ha avuto incarichi nella gestione.

### Progetti in collaborazione con altri enti

**Rete dei Tumori Rari:** è stato affidato al GIMEMA, dal Ministero della Salute, il coordinamento della Rete dei Tumori Rari per la parte dell'Ematologia degli adulti.

**Progetto Harmony:** si tratta di un progetto di *Big Data*, in cui vi è la condivisione dei dati tra Gruppi Cooperatori. Il progetto - che prevede lo stanziamento di un finanziamento rilevante a livello europeo - è così organizzato: i) presenza di *partner* ufficiali (*stake holders*) che ricevono un *grant*; ii) presenza di *associated members*, che possono accedere alle risorse messe a disposizione, inserendo dati e presentando progetti. La Fondazione GIMEMA è uno degli *associated member*. Vi sono poi i *Key Opinion Leader*: per le LAM, in Italia, è il Prof. Francesco Lo Coco. Al momento, il GIMEMA ha proposto uno studio nelle LAP sui problemi legati alla terapia di induzione, quali profilassi sindrome da ATRA, profilassi infiltrazione CNS, etc..

**Bando AIRC:** si tratta del Progetto *Accelerator*, promosso dal Consorzio di AIRC Italia, Inghilterra e Spagna, con *call* per progetto di ricerca. Ad oggi ha superato la prima fase un progetto GIMEMA sulla LAP, che prevede la costituzione di un *merged database* GIMEMA/NCRI/PETHEMA, per analizzare il *follow-up* a lungo termine di circa 5.000 pazienti, trattati uniformemente e arruolati nei singoli studi dei tre Paesi.

### Progetti per conto di terzi

**OITI:** si tratta di un Protocollo Osservazionale sull'uso del *Ponatinib* nella Leucemia Mieloide Cronica, di cui è promotore un'Azienda Farmaceutica (*Incyte*) e per il quale il Centro Dati GIMEMA ha l'incarico di CRO.



**GIMEMA LAL 1811:** è stata avviata la procedura per l'acquisto dei dati del Protocollo GIMEMA LAL 1811 (*Ponatinib* nelle LAL Ph+) da parte di *Incyte*. Si è trattato di emendare lo studio perché da *no profit* passasse allo *status* di *profit*. L'AIFA ha dato la sua approvazione in data 06/04/2018. Attualmente è in fase di valutazione presso i Comitati Etici; seguirà poi la parte relativa alle visite di monitoraggio, da eseguire presso i Centri, e la messa a punto di tutte le procedure, per assicurare la qualità dei dati. Infine, dovrà essere fatto un altro emendamento per il cambio dello *Sponsor* da GIMEMA a *Incyte*.

**PASS Study:** son in corso gli accordi con TEVA per l'implementazione di un Protocollo (su richiesta di EMA) per la valutazione della tossicità a lungo termine dell'Arsenico nei pazienti con Leucemia Acuta Promielocitica. GIMEMA implementerà uno studio *profit*, in modo che l'Azienda possa utilizzare i dati.

**ADIPOA:** è un progetto coordinato dal Prof. Christian Jorgensen (*University Hospital Montpellier*), e affidato a GIMEMA da ECRIN (*The European Clinical Research Infrastructure Network*) per la parte delle prassi regolatorie (amministrative ed etiche). Il Progetto vede coinvolti gli ortopedici/reumatologi del Rizzoli di Bologna e dell'Ospedale di Padova.

#### Progetti finanziati da Istituzioni

**GIMEMA CARE:** è stato completato il progetto co-finanziato dalla Regione Lazio, che prevedeva la messa a punto di un *data base* per la raccolta dei dati di *follow-up* a lungo termine dei pazienti inseriti negli studi GIMEMA. Il progetto è articolato di due parti:

- a) raccolta dei dati dei pazienti inseriti negli studi "più vecchi", che non prevedevano una data di chiusura e per i quali non è necessario passare per il Comitato Etico e far firmare nuovamente il consenso informato al paziente;
- b) raccolta dei dati dei pazienti inseriti negli studi "più nuovi", che prevedono una data di chiusura e per i quali è necessario passare per il Comitato Etico e far firmare nuovamente il consenso informato al paziente.

Il *data base* di cui al punto a) è pronto e numerosi sono già i pazienti inseriti; il protocollo, di cui al punto b) e tutta la documentazione necessaria per il passaggio in CE è pronta, e l'invio avverrà entro la fine di aprile 2018. In questa parte è anche inclusa la valutazione della Qualità di Vita, attraverso la somministrazione dei questionari ai pazienti lungo sopravvivenza.

**Bando AIFA:** sono stati sottoposti ad AIFA due studi: uno sull'uso della *Decitabina* nelle MDS e uno sulle forme familiari di LA/MDS. Si è in attesa di conoscere l'esito della prima fase delle selezioni.

## 6 PROGETTI CONNESSI ALLA RICERCA

---

1. **Laboratori di chimica clinica:** i Laboratori di analisi, collegati alle Ematologie, sono parti interessate nel processo di ricerca. Va, pertanto, documentato il loro stato circa le procedure di qualità. GIMEMA ha iniziato, per ciò, il censimento dei Laboratori di chimica clinica italiani, per conoscere quanti di questi abbiano la certificazione di qualità, per le indagini che impattano sui protocolli di ricerca. È stato inviato un questionario conoscitivo a 57 laboratori. Per il momento hanno risposto in 35, e di questi 33 hanno già da tempo la certificazione ISO e 2 la stanno ottenendo. Vi sono poi 15 Laboratori che fanno anche parte delle strutture certificate dal Ministero della Salute per lo svolgimento degli studi di fase 1. Si confida di completare questo lavoro entro l'anno 2018.



2. **Attività di monitoraggio:** l'essere in grado di effettuare visite di monitoraggio, in maniera autonoma, era un obiettivo del Centro Dati per il 2017. Attualmente sono tre le risorse interne in grado di svolgere attività di monitoraggio e sono già state eseguite oltre dieci visite presso i Centri di Ematologia GIMEMA.
3. **Attività di formazione e informazione:** è stato realizzato il *Master "Gestione della sperimentazione clinica in ematologia ed oncologia"*, in collaborazione con l'Università di Tor Vergata, Facoltà di Scienze Biologiche. Il *Master* ha ottenuto una ottima valutazione da parte degli studenti, tanto che i nove partecipanti hanno fatto richiesta di svolgere il tirocinio obbligatorio presso il Centro Dati (4 l'hanno effettivamente svolto).

## 7 ATTIVITÀ GENERALE E ISTITUZIONALE GIMEMA

---

Nel 2017 le principali altre attività del Centro Dati, struttura operativa della Fondazione GIMEMA, sono state:

- Gestione del Sito WEB. Ad oggi si registrano circa 10.000 visite al mese, perlopiù concentrate sulle news e pillole;
- Gestione *Facebook*. Ad oggi i *follower* sono circa 3.700, e sono in costante aumento;
- Gestione rassegna stampa ematologica. Nel 2017 sono stati inviati 42 numeri ad una platea di circa 1.700 indirizzi *mail*;
- Elezioni per il rinnovo dei *Board* dei WP e nuovo Regolamento;
- Modifiche allo Statuto, al fine di aggiornarlo all'attuale stato di sviluppo della Fondazione e in applicazione delle previsioni di cui al Decreto Legge 117/2017 di Riforma del Terzo Settore;
- Organizzazione e/o partecipazione a 7 *Working Party* e relative riunioni dei board;
- Riunione congiunta dei *Chairman* e *CoChairman*;
- Circa 80 riunioni/TC con aziende e PI degli studi clinici;
- Partecipazione a commissione su Monitoraggio civico delle strutture oncologiche italiane.

