

Relazione di Missione

Consuntivo 2022 e Previsionale 2023



Joan Miró, *Série des Constellations*, 1939-1941

INDICE

1	INTRODUZIONE	3
2	TREND FINANZIARIO E PATRIMONIALE.....	4
3	RENDICONTO GESTIONALE 2022	7
	3.1 Gestione Caratteristica	7
	3.1.1 Proventi Caratteristici	8
	3.1.2 Oneri Caratteristici.....	15
	3.1.3 Costi delle Risorse Umane	19
	3.2 Gestione Finanziaria e Straordinaria	20
	3.3 Contributo volontario annuale	20
4	PROGRAMMAZIONE 2023.....	22
5	ATTIVITÀ DI RILIEVO.....	26
	5.1 STUDI del GIMEMA.....	26
	5.2 IMPLEMENTAZIONE del REGOLAMENTO 536/2014.....	28
	5.3 RIUNIONE generale GIMEMA	31
	5.4 PRESENTAZIONI orali ALL'ASH.....	32
	5.5 ATTIVITÀ di REGOLATORIO	32
	5.6 ATTIVITÀ di BIOSTATISTICA.....	36
	5.7 ATTIVITÀ di DATA MANAGEMENT.....	37
	5.8 ATTIVITÀ di FARMACOVIGILANZA	40
	5.9 ALTRE ATTIVITÀ di PROGETTO	43
	5.9.1 ATTIVITÀ di DRUG SUPPLY e ACCOUNTABILITY	43
	5.9.2 ALLINEAMENTO LABORATORI di CENTRALIZZAZIONE	45
	5.9.3 UNITÀ IT	45
	5.10 ATTIVITÀ unità QOL	46
6	PROGETTO LABNET	47
	6.1 MRD ITALLAB.....	49
7	STUDI CLINICI E PROGETTI IN COLLABORAZIONE CON TERZI	51
	7.1 PROGETTI in COLLABORAZIONE con ALTRI ENTI.....	51
	7.2 PROGETTI in COLLABORAZIONE con altre FONDAZIONI.....	51
	7.3 PROGETTI per conto di TERZI.....	53
8	AREA COMUNICAZIONE E FORMAZIONE	56
	8.1 ATTIVITÀ di COMUNICAZIONE	56
	8.2 Formazione	57
	8.2.1 MASTER “GESTIONE della SPERIMENTAZIONE CLINICA in EMATOLOGIA e ONCOLOGIA”	57
9	ELENCO DELLE PUBBLICAZIONI E ABS 2022	58
	9.1 UNITÀ DI QOL	58
	9.2 UNITÀ DI BIOSTATISTICA	60



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 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 allo scopo 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 nel 2022 hanno partecipato 77 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: Leucemie Acute e Mielodisplasie, Sindromi Linfoproliferative Croniche, Sindromi Mieloproliferative Croniche, Mieloma Multiplo, Emostasi e trombosi, Anemie e Piastrinopenie, Malattie Rare non neoplastiche, Immunoterapie e Qualità di vita.

Il Centro Dati è dotato di un sistema di qualità, che soddisfa i requisiti sia delle Norme ISO sia delle *Good Clinical Practice*; nel 2021 ha altresì ottenuto la conferma della certificazione ECRIN (*The European Clinical Research Infrastructure Network*).



VISION & MISSION

Vision & Mission: All Medical Practice Based on Scientific Evidence

ECRIN's vision is to generate scientific evidence to optimise medical practice. To achieve this vision, ECRIN supports the conduct of multinational clinical research in Europe (i.e. its vision). By managing and supporting clinical trials across borders, connecting networks, and advising and implementing policy, ECRIN advances knowledge flow, competitiveness and integration in European clinical research.

ECRIN's Values

ECRIN's values include healthcare optimisation, health innovation, patient involvement, scientific excellence, ethics, transparency, data sharing, high-quality data, not-for-profit focus, and international cooperation.

2 TREND FINANZIARIO E PATRIMONIALE

A consuntivo 2022 si rilevano Proventi totali per 5.604.012 euro (-17% rispetto al 2021) e Oneri totali per 5.539.582 euro (-19,2% rispetto al 2021): pertanto, il risultato d'esercizio è positivo e pari a euro 64.429.

Nel 2018 il Consiglio Direttivo ha ri-determinato il fondo associativo in 400.000 euro, quale patrimonio indisponibile congruo al dimensionamento conseguito dalla Fondazione. Da marzo 2020, l'importo equivalente al Fondo associativo è stato investito in BTP Italia.

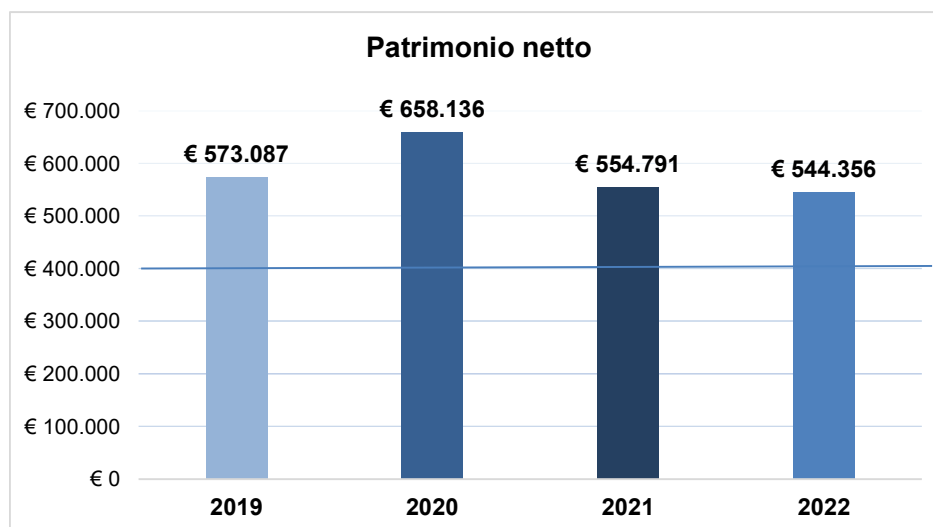
Tabella 1. Andamento economico-patrimoniale 2019-2022

	2019	2020	2021	2022
Fondo associativo	€ 400.000	€ 400.000	€ 400.000	€ 400.000
Risultato della gestione	€ 77.538	€ 85.049	-€ 103.346	€ 64.429
Riserva risultati anni precedenti	€ 95.549	€ 173.087	€ 258.136	€ 154.791
Rettifica PN ex OIC 29				-€ 74.864
Patrimonio netto	€ 573.087	€ 658.136	€ 554.791	€ 544.356

Nel 2022, per quanto concerne la voce del conto di riserva "*Risultato della gestione esercizi precedenti*", si sottolinea che è stata calcolata la diminuzione di € 74.866,47, in applicazione del principio OIC 29, quale risultato dei movimenti in positivo e in negativo nella voce "debiti" effettuati al 1/01/ dello stesso esercizio.

Pertanto, la rettifica ex OIC 29 e il risultato positivo 2022 determinano una sostanziale stabilità del patrimonio netto, pari a 544.356 euro.

Grafico 2. Andamento del patrimonio netto GIMEMA 2019-2022



L'esercizio 2022 è stato condizionato dai fattori esogeni quali post-pandemia da Sars-Cov2, forte aumento dell'inflazione e, di conseguenza, dei costi diretti di Progetto; in particolare, si è continuato a registrare il rallentamento dei progetti in essere, con particolare difficoltà nel raggiungimento dei *target* di arruolamento pazienti e sono aumentati i costi unitari di beni e servizi.

Ciò detto, nel 2022 sono state raggiunte importanti *milestone* dei maggiori progetti in corso, si sono conclusi progetti, con riassegnazione dei fondi residui, e si è incrementata l'attività strumentale, fattori che - come si analizzerà di seguito - motivano la tenuta dei proventi sul livello del biennio 2019-2020 (-1% sul 2019 e +8,5%

sul 2020), in quanto va ricordato che l'esercizio 2021 ha registrato il ricavo "eccezionale" del protocollo ALL 2820 - pari a complessivi 1.961.212 euro (prime due *tranche*) - rendendo il dato di specie per così dire *outlier*. Il conseguimento dell'obiettivo "risultato positivo della gestione", posto a programmazione 2022, è sostanzialmente dovuto a:

- **maggiore "copertura" del costo del personale, peraltro stabile sul 2021, con finanziamenti per progetti:** rispetto all'impegno lavoro su progetto / attività strumentale registrato nel 2021, risultano a consuntivo 2022 101.488 euro in più "ribaltati" (circa +2.800 ore lavoro);
- **sostanziale stabilità del margine di contribuzione delle attività strumentali, con maggiore assorbimento di risorse delle stesse attività:** 377.735 euro nel 2022 vs 362.993 euro nel 2021, con un aumento sia dei ricavi di specie (+21,7%) sia dei costi (+34,2%).

Grafico 3. Andamento risultato della gestione 2019-2022



In questi anni, il recupero, l'implementazione e la stabilità della solidità patrimoniale si sono accompagnate al miglioramento della posizione finanziaria e del *cash-flow* operativo, in totale assenza di indebitamento finanziario per la Fondazione, sia di breve sia di medio lungo termine: a evidenza meramente esemplificativa e non esaustiva, si riporta che al 31/12/2022 la voce di Stato Patrimoniale *Disponibilità liquide* è di euro 6.531.584 (vs 6.981.100 euro nel 2021) e la disponibilità liquida media mese è stata di euro 6.933.078 (vs 5.031.887 euro nel 2021). Tali importanti risultati sono stati conseguiti grazie - innanzi tutto - allo sviluppo delle attività tipiche e delle attività connesse all'ambito delle progettualità di ricerca (anche assistenziali), sostenute da buone pratiche di gestione del ciclo attivo, tese a sincronizzare l'efficientamento della gestione economica con l'efficientamento della gestione finanziaria.

Come evidente nello Stato Patrimoniale, le consistenti passività della Fondazione sono per la quasi totalità "impegni" di spesa su Progetti, per i quali sono stati già ricevuti finanziamenti (quasi 7,8 milioni di euro), a fronte dei quali stanno, in primo luogo, le rilevanti disponibilità liquide dell'attivo patrimoniale.

Si può pertanto ribadire che:

1. la dinamica dei flussi di entrata e uscita della Fondazione è potenzialmente vantaggiosa dal punto di vista finanziario (quota parte dei contributi vengono di norma ricevuti prima dello svolgimento delle

attività e, quindi, del pagamento ai “fornitori”, ovvero dell’assorbimento “interno” di risorse impiegate), e ciò è stato messo a valore e ottimizzato dalla gestione finanziaria, in questi ultimi anni;

2. la gestione di bilancio per competenza - e non per cassa - si dimostra cruciale per evitare fenomeni di “illusione finanziaria” e i rischi gestionali connessi;
3. il fenomeno descritto al primo punto può diventare un segnale parzialmente negativo laddove derivi da un rallentamento nella capacità e tempestività di spesa nelle attività tipiche, per le quali la Fondazione esiste. Così come per il 2020 e il 2021, questo in parte accade nel 2022, in quanto l’aumento dei costi è più un evento collegato all’inflazione, piuttosto che significare un aumento di attività, e la differenza tra fondi e disponibilità liquide/fatture da emettere (poco meno di 400 mila euro) e il patrimonio netto di cui sopra testimonia che GIMEMA ha “anticipato” la copertura di spese per circa 500 mila euro.

3 RENDICONTO GESTIONALE 2022

Il Conto Economico 2022 propone la declinazione a proventi/ricavi e oneri/costi, che rappresenta - in modo veritiero, chiaro, corretto e 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 precipuamente 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 *Contributi istituzionali* e 1.2 *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 1.2), a coprire i progetti cofinanziati (eventuali sbilanci proventi/oneri 1.1) e i costi di funzionamento;
2. **attività connessa, ovvero accessoria** - trattasi di attività diverse 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, e sono 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*.

Anche per il 2022, si propone il Conto Economico riclassificato secondo lo schema *Rendiconto Gestionale per gli Enti del Terzo Settore*, pubblicato in Gazzetta Ufficiale il 18 aprile 2020, e la cui adozione è obbligatoria dal 2021.

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.

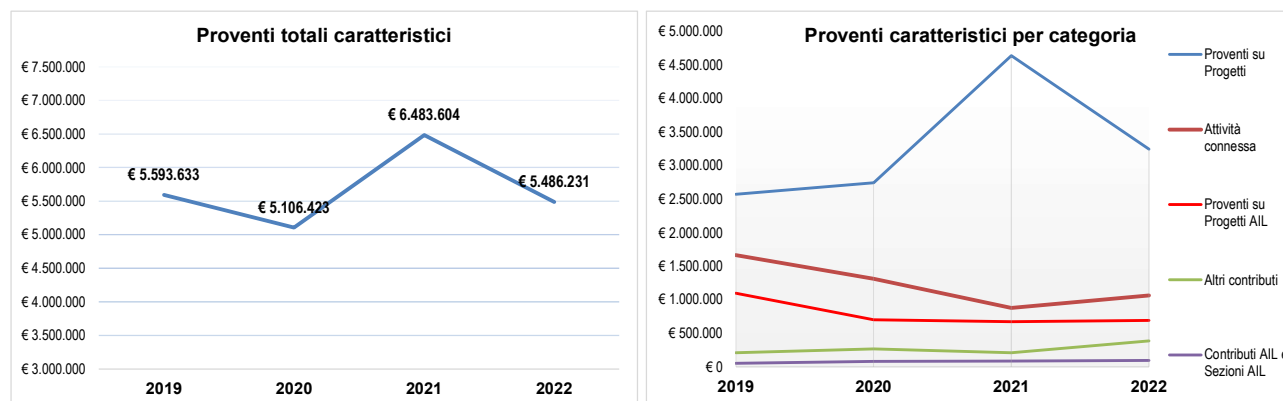
La gestione caratteristica della Fondazione è agita per mantenere/incrementare il livello delle risorse reperite e mantenere/incrementare gli impieghi e gli *outcome* nella Ricerca e nelle altre attività e progettualità collegate. Il risultato della gestione caratteristica 2022, pur riguardando l'obiettivo del sostanziale pareggio e pari a 1.877, risulta peggiore rispetto al risultato finale di 64.429 euro, in ragione delle dinamiche registrate da proventi e oneri caratteristici e del significativo saldo positivo della gestione finanziaria e straordinaria (+62.551) di cui a seguire si propongono le analisi.

3.1.1 Proventi Caratteristici

A consuntivo 2022, si rilevano Proventi caratteristici per 5.486.231 euro, con un decremento del -15,4%, rispetto all'esercizio precedente - che come già detto si è caratterizzato per l'entrata peculiare di ALL 2820 - e un riposizionamento sui valori pre-2021 (+7,4% su 2020 e -1,9% su 2019).

Tabella e Grafici 4. Andamento Proventi caratteristici 2019-2022

	2019	2020	2021	2022
Proventi su Progetti	€ 2.571.883	€ 2.742.873	€ 4.637.857	€ 3.247.070
Attività connessa	€ 1.662.656	€ 1.314.697	€ 874.643	€ 1.064.329
Proventi su Progetti AIL	€ 1.100.000	€ 700.000	€ 673.038	€ 689.304
Altri contributi	€ 207.650	€ 268.770	€ 211.448	€ 388.182
Contributi AIL e Sezioni AIL	€ 51.444	€ 80.083	€ 86.619	€ 97.346
Tot proventi caratteristici	€ 5.593.633	€ 5.106.423	€ 6.483.604	€ 5.486.231
Totale proventi	€ 5.660.402	€ 5.166.484	€ 6.751.103	€ 5.604.012
(di cui) Utilizzi su progetti	€ 414.394	€ 519.335	€ 774.663	€ 684.292
(di cui) Utilizzi su attività connessa	€ 111.600	€ 63.437	€ 39.250	€ 73.170
(di cui) Altri utilizzi (fondi rischi etc.)	€ 66.421	€ 0	€ 20.000	€ 228.351



Nel 2022 i Proventi caratteristici calano sensibilmente nella tipologia Proventi su progetti (-25,9%) crescono nelle tipologie da attività connessa (+21,7%) e Contributi istituzionali (+62,9%).

Il calo su progetti è praticamente tutto dovuto a ALL 2820. L'aumento per attività connessa è sostanzialmente dovuto a:

- Corso di formazione "*It's CTIS time*", organizzato e condotto da GIMEMA in tema di nuovo Regolamento 536/2014 (si veda Cap. 5 Attività di rilievo);
- avvio del service per il Progetto HEMANEXT;
- aumento degli utilizzi del 86,4%, in gran parte per avvio chiusura service CML OITI.

L'aumento per contributi istituzionali è dovuto all'utilizzo residuo fondi afferenti i WP CML, AML, LLC, ALL, Altre Patologie, per sostenere i costi del Convegno Nazionale GIMEMA, svoltosi a nelle giornate del 28 e del

29 aprile 2022, così come da Delibera del Consiglio Direttivo del 23 giugno 2022 (*Approvazione destinazione fondi per il Congresso Nazionale GIMEMA dagli studi GIMEMA di tutte le patologie*). Bisogna segnalare altresì l'aumento sia delle *Donazioni liberali* (da € 6.730 nel 2021 a € 23.265 nel 2022) sia dei *Contributi Sezioni AIL* (+16,1%): da 34.177 euro nel 2019, a 57.036 euro nel 2020, a 66.612 euro nel 2021, a 77.346 nel 2022 (Matera, Vercelli, Bari, Massa Carrara, Parma, Belluno, Pordenone, Vicenza, Venezia).

Nel 2022 - a stabilità della condizione di una sola quota imputata all'esercizio di 5xmille AIL / MIUR (574.304 euro nel 2022, 554.707 euro nel 2021, 523.047 euro nel 2020 e 517.267 euro nel 2019) - il contributo AIL Nazionale e Sezioni AIL per progetti è in lieve incremento (+2,4%) grazie in particolare nuovamente alle Sezioni AIL:

- AIL Treviso ha co-finanziato il Progetto AML1919 con ulteriori 50.000 euro;
- AIL Ravenna ha co-finanziato il Progetto CLL 1920 con 30.000 euro;
- RomAIL ha co-finanziato il Progetto GIMEMA ALLIANCE con ulteriori 30 mila euro;
- AIL Foggia ha co-finanziato il Progetto ITP 1021 con 15.000 euro;
- AIL Rimini ha finanziato il Progetto MAIC IN ALL PH+ con 10.000 euro.

Il Consiglio Direttivo, nella seduta del 23 giugno 2022, ha deliberato di destinare la quota del 5 per mille AIL / MIUR, edizione 2020, a bilancio GIMEMA 2022 (per GIMEMA pari a € 574.304) come di seguito:

- 50.000 euro Progetto AML 1310 (analisi statistiche ulteriori, rispetto al lavoro principale già pubblicato, sui dati del protocollo - PI Dott. Buccisano);
- 50.000 euro Progetto "*TRackKing neutrophin tyrosine kinases receptor (NTRK) genes and exploring their leukemogenesis role in NPM1-mutated AML*" (progetto primo in graduatoria del Bando delle Idee 2021, che è stato in seguito "semplificato" e reso multicentrico - PI Dott.ssa Martelli);
- 50.000 euro Progetto "*Quality of End-of-Life Care for Patients with Blood Cancers. A GIMEMA Quality of Life WP Survey on the Italian Hematologists Perception*" (primo Progetto multicentrico in graduatoria 2021, dopo i due progetti finanziati - PI Dott. Luppi);
- 50.000 "*Studio prospettico osservazionale sulle complicanze trombotiche insorte nei pazienti con mieloma multiplo*" (PI Dott. De Stefano);
- 24.304 euro per costi di funzionamento e costi indiretti di progetto;
- 350 mila euro Bando Fondo delle Idee, VI edizione 2023.

Entro il 31 dicembre 2022, GIMEMA ha rendicontato ad AIL Nazionale la destinazione di cui sopra, ai fini della complessiva rendicontazione istituzionale al MIUR, e prodromica alla erogazione della quota 2023 del 5 per mille AIL / MIUR, edizione 2021 (pari a 545.826 euro).



Ministero dell'Istruzione, dell'Università e della Ricerca

Direzione Generale per il Coordinamento, la Promozione e la Valorizzazione della Ricerca Uff. V.

Rendiconto di spesa Fondi 5 per mille ANNO 2020 - Enti della Ricerca Scientifica
Ente: FONDAZIONE GIMEMA - Franco Mandelli ONLUS
Codice fiscale: 97154650580
Indirizzo sede legale: via Casilina, n. 5, 00182 Roma



Referenti (nominativo, telefono, e.mail): Dott.ssa Paola Fazi, telefono 06 70390528; e-mail p.fazi@gimema.it		
Attività Titolo Progetto: Lavori secondari allo studio AML1310 PI: Francesco Buccisano Descrizione Progetto Dal 2019 sono state eseguite diverse analisi statistiche, che hanno portato alla pubblicazione di articoli secondari e sottomissioni di abstract e relative presentazioni a congressi nazionali ed internazionali. Stato di avanzamento del progetto Sono in corso la stesura del lavoro clinico di aggiornamento dello studio AML1310 e l'analisi sul ruolo della malattia minima residua su sangue periferico. Nell'anno 2023 saranno completate le pubblicazioni inerenti gli abstract sottomessi ai congressi 2022. Pubblicazioni Buccisano F, Palmieri R, Piciocchi A, Arena V, Maurillo L, Del Principe MI, Paterno G, Irno-Consalvo MA, Ottone T, Divona M, Conti C, Fraboni D, Lavorgna S, Arcese W, Voso MT, Venditti A. <i>Clinical relevance of an objective flow cytometry approach based on limit of detection and limit of quantification for measurable residual disease assessment in acute myeloid leukemia. A post-hoc analysis of the GIMEMA AML1310 trial.</i> Haematologica. 2022 Dec 1;107(12):2823-2833. doi: 10.3324/haematol.2021.279777. PMID: 35295076. Palmieri R, Buccisano F, Arena V, Irno Consalvo MA, Piciocchi A, Maurillo L, DelPrincipe MI, Di Veroli A, Paterno G, Conti C, Fraboni D, Voso MT, Arcese W, Venditti A. <i>CD34 + CD38-CLL1+ leukemic stem cells persistence measured by multiparametric flow cytometry is a biomarker of poor prognosis in adult patients with acute myeloid leukemia</i> Leuk Lymphoma. 2022 Apr;63(4):996-1000. doi: 10.1080/10428194.2021.2005042. Epub 2021 Nov 21. PMID: 34806525. Buccisano F, Palmieri R, Piciocchi A, Arena V, Candoni A, Melillo L, Calafiore V, Cairoli R, de Fabritiis P, Storti G, Salutati P, Lanza F, Martinelli G, Luppi M, Capria S, Maurillo L, Del Principe MI, Paterno G, Irno Consalvo MA, Ottone T, Lavorgna S, Voso MT, Fazi P, Vignetti M, Arcese W, Venditti A. <i>ELN2017 risk stratification improves outcome prediction when applied to the prospective GIMEMA AML1310 protocol.</i> Blood Adv. 2022 Apr 26;6(8):2510-2516. doi: 10.1182/bloodadvances.2021005717. PMID: 34731884; PMCID: PMC9043923. Sottomissioni abstracts e presentazioni ASH 2022 <i>The Added Value of Multi-State Modelling in Acute Myeloid Leukemia: The GIMEMA AML1310 Study Post-Hoc Analysis</i> Piciocchi A et al. <i>The Addition of Venetoclax to Induction Chemotherapy in No Low-Risk AML Patients: A Propensity Score-Matched Analysis of the GIMEMA AML1718 and AML1310 Trials.</i> Piciocchi A et al. Sottomissioni abstracts e presentazioni SIE 2022 GIMEMA AML1310 STUDY VS HOVON-SAKK-132 TRIAL FOR YOUNG ADULTS WITH NEWLY DIAGNOSED ACUTE MYELOID LEUKEMIA: AN UNANCHORED MATCHING-ADJUSTED INDIRECT COMPARISON OF SURVIVAL OUTCOMES Piciocchi A et al. RISULTATI A 6 ANNI DEL PROTOCOLLO GIMEMA AML1310: UNA STRATEGIA BASATA SUL RISCHIO DI MALATTIA E SULLA VALUTAZIONE DELLA MRD IN SOGGETTI ADULTI CON LEUCEMIA ACUTA MIELOIDE DI NUOVA DIAGNOSI Buccisano F et al.		
Data di inizio progetto:		01/01/2019
Data di fine progetto:		31/12/2023
VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)	€ 67.480	€ 52.341
Spese amministrative	€ 4.000	
Altro (indicare quali) pubblicazioni	€ 8.419	€ 5.919
TOTALE	€ 79.899	€ 58.260



Attività Titolo Progetto: Studio dei geni neutrophin tyrosine kinases receptor (NTRK) e del loro ruolo nella leucemogenesi nei pazienti con LAM NPM1-mutata (Protocollo GIMEMA NP AML 22-387) PI: Maria Paola Martelli Tipologia studio: Sperimentale multicentrico Descrizione Progetto Studio biologico volto allo studio del ruolo dei geni NTRK nella LAM NPM1-mutata. A tal fine, l'espressione delle proteine TRKA/B/C, codificate dai geni NTRK1/2/3, sarà valutata in biopsie midollari archiviate di campioni di pazienti affetti da LAM NPMc- e NPMc+. L'iperpressione delle proteine TRK sarà studiata mediante immunohistochimica ed è generalmente causata da fusioni geniche o mutazioni. La presenza di queste alterazioni sarà validata e correlata con le caratteristiche cliniche dei pazienti. Obiettivo primario Valutazione dell'incidenza delle alterazioni molecolari dei geni NTRK nella LAM. Stato di avanzamento del progetto Lo screening dei campioni è in corso presso il Centro coordinatore.		
Data di inizio progetto: 01/10/2022 Data di fine progetto: 01/10/2024		
VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)	€ 35.000	€ 30.000
Materiale d'uso destinato alla ricerca (per laboratori di ricerca, ecc.) reagenti	€ 25.000	€ 20.000
Elaborazione dati	€ 3.000	
Spese amministrative	€ 2.500	€ 2.500
TOTALE	€ 65.500	€ 52.500
Attività Titolo Progetto: La qualità dell'assistenza nel fine-vita dei pazienti con malattie del sangue: un questionario ad opera del WP Qualità di vita del GIMEMA, sulla percezione degli ematologi italiani ((Protocollo GIMEMA NP QOL 22-393) PI: Mario Luppi Tipologia studio: Osservazionale multicentrico Descrizione Progetto Studio osservazionale basato sui risultati di un questionario, rivolto agli ematologi italiani, per raccogliere la loro percezione sull'assistenza al fine vita, le loro opinioni su come misurare la stessa assistenza e sugli ostacoli che si incontrano nel fornire questo supporto. Obiettivo primario Valutare la proporzione di ematologi che ritengono accettabile l'assistenza al fine vita in pazienti italiani affetti da malattie del sangue. Stato di avanzamento del progetto La progettazione del questionario è in corso ad opera del WP Qualità di vita.		
Data di inizio progetto: 01/12/2022 Data di fine progetto: 31/12/2023		
VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)	€ 40.000	€ 30.000
Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi, missioni ecc.)	€ 20.000	€ 20.000
Elaborazione dati	€ 5.000	
Spese amministrative	€ 1.500	€ 1.500
TOTALE	€ 66.500	€ 51.500

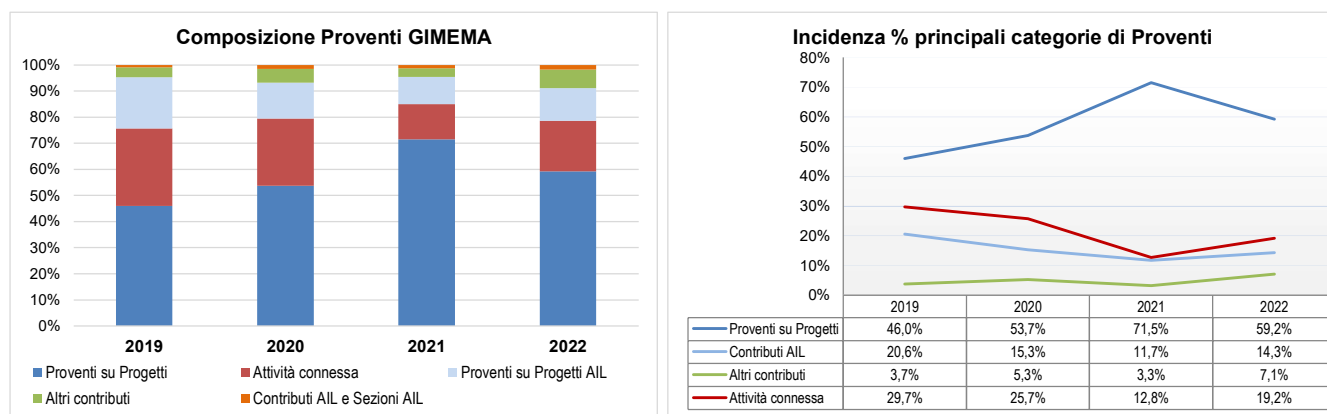
Attività Titolo Progetto: Studio prospettico osservazionale sulle complicanze trombotiche insorte nei pazienti con mieloma multiplo PI: Valerio De Stefano Tipologia studio: Osservazionale multicentrico Descrizione Progetto La prognosi dei pazienti affetti da mieloma multiplo è migliorata in modo significativo dopo l'introduzione dei cosiddetti nuovi farmaci (immunomodulatori, inibitori del proteasoma, anticorpi monoclonali diretti su antigeni target); tuttavia è emerso un importante rischio trombotico legato all'impiego di immunomodulatori (IMiDs), con tassi di complicanze, in assenza di profilassi, fino al 26% dei soggetti trattati. L'impiego di profilassi antitrombotica nei soggetti a maggior rischio ha ridotto l'incidenza di trombosi, ma ancora nel 2020, stante i risultati dello studio randomizzato Myeloma XI, il tasso di tromboembolismo venoso era pari all'11,8%, nonostante la profilassi fosse stata adottata nell'87,7% dei pazienti. Gli scopi dello studio sono: • elaborare un consenso di esperti sulle raccomandazioni di profilassi antitrombotica nei pazienti con mieloma multiplo; • effettuare una survey nei centri ematologici italiani sulla pratica clinica in quest'ambito; • effettuare una raccolta dati sulle complicanze trombotiche insorte nei pazienti con mieloma multiplo (studio prospettico osservazionale); • elaborare una raccomandazione da applicare nei centri con successiva verifica dei risultati (studio prospettico di intervento). Stato di avanzamento del progetto In occasione della riunione nazionale WP GIMEMA del 28-29 aprile 2022 è stato finalizzato un questionario con 36 domande a risposta multipla sottoposto ai membri del Board WP Emostasi e Trombosi. Il questionario è stato elaborato da un Panel, costituito da un coordinatore metodologico (MM) e dai responsabili del Board (VDS, AF, AT). I domini del questionario riguardano scenari di profilassi antitrombotica primaria e secondaria e alcuni casi particolari (fibrillazione atriale, insufficienza renale, piastrinopenia).		
Data di inizio progetto: 01/04/2022 Data di fine progetto: 31/12/2023		
VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)	€ 45.000	€ 40.000
Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi, missioni ecc.)	€ 7.000	
Elaborazione dati	€ 10.000	€ 10.000
Spese amministrative	€ 2.000	€ 2.000
TOTALE	€ 63.000	€ 52.000
AGGIORNAMENTO Rendiconto "Bando Fondo per le idee GIMEMA - Edizione 2021" In data 14 febbraio 2022, il Consiglio Direttivo del GIMEMA, nel rispetto della graduatoria di merito stilata dal Comitato Scientifico, in attuazione dei criteri aggiuntivi riservati al Consiglio stesso per l'assegnazione dei fondi - esplicitati a Bando - e sulla base dell'importo a disposizione, pari a 350.000 euro, di cui alla propria Delibera del 5 febbraio 2021, all'unanimità ha deliberato di: - finanziare con 40.000-euro più 141.250 euro di costi diretti, che saranno sostenuti dal Centro Dati GIMEMA, quale Promotore, per un totale di 181.250 euro, il progetto multicentrico "<i>Caratterizzazione dell'eterogeneità biologica dei pazienti con piastrinopenia immune (ITP)</i>", presentato dalla Dott.ssa Elisa Lucchini; - finanziare con 95.000-euro più 73.750 euro di costi diretti, che saranno sostenuti dal Centro Dati GIMEMA, quale Promotore, per un totale di 168.750 euro, il progetto multicentrico "<i>MID-My: An integrative multi-center study of oral Microbiome composition and Immunological Dysregulation in newlydiagnosed transplant-ineligible patients with Multiple Myeloma to prevent infectious complications by probiotics</i>", presentato dal Prof. Francesco Di Raimondo. Titolo Progetto: Caratterizzazione biologica dei pazienti affetti da trombocitopenia immune (ITP) PI: Elisa Lucchini Descrizione del progetto Studio accademico, no-profit, multicentrico, biologico, prospettico, non-farmacologico con lo scopo di caratterizzare dal punto di vista biologico i pazienti affetti da ITP. A tal fine, i campioni di sangue periferico, midollare, e di feci saranno raccolti all'arruolamento e dopo il trattamento (30 e 180 giorni), così come prima di iniziare una nuova linea di terapia		

I risultati degli studi biologici eseguiti alle tempistiche stabilite saranno confrontati tra loro, al fine di cercare i cambiamenti dovuti alla storia naturale della malattia, la terapia somministrata e la risposta ottenuta. Obiettivo primario: caratterizzare i pazienti affetti da ITP da un punto di vista biologico, in particolare di determinare la porzione di pazienti con una malattia prevalentemente mediata da cellule B. Stato di avanzamento del progetto Il protocollo è in fase di sottomissione alle autorità regolatorie. Data inizio progettazione: marzo 2022 Data di inizio e fine studio (prevista): gennaio 2023-gennaio 2026 Titolo Progetto: PRO-MM1: studio di fase I per investigare le strategie di profilassi infettiva del tratto respiratorio superiore con probiotici nel mieloma multiplo PI: Francesco Di Raimondo Descrizione del progetto Studio di fase I, accademico, no-profit, open label, monocentrico, volto a valutare la sicurezza e la fattibilità della profilassi infettiva basata su probiotici del tratto respiratorio superiore, nei pazienti affetti da mieloma multiplo, trattati con immunoterapia anti-CD38/anti-BCMA o anti-SLAMF7. La profilassi sarà eseguita con il probiotico <i>S.salivarius</i> mupirocine (Bactroban) somministrato per via nasale. Obiettivo primario: valutare la sicurezza del trattamento con lo spray nasale basato sul probiotico <i>S. Salivarius</i>, in termini di incidenza di eventi avversi, incluse le DLT. Stato di avanzamento del progetto Il protocollo è in fase di stesura da parte del PI. Data inizio progettazione: marzo 2022 Data di inizio e fine studio (prevista): settembre 2023-settembre 2026, condizionato all'attivazione della fase I a Catania AGGIORNAMENTO Rendiconto “Bando Fondo per le idee GIMEMA - Edizione 2022” In data 24 giugno 2021 il Consiglio Direttivo della Fondazione GIMEMA - Franco Mandelli ONLUS ha deliberato di destinare € 350.000 della quota 5x1.000 AIL/MIUR (anno 2019) alla 5ª edizione del Bando “Fondo per le idee”, da svolgersi nel 2022. In data 1° dicembre 2022 è stato pubblicato il Bando Fondo per le idee V edizione 2022, la cui tempistica è la seguente: • 31/01/2023: Scadenza sottomissione proposte. • 20/02/2023: Istruttoria del Centro Dati • 31/03/2023: Graduatoria di merito da parte del CS • 27/04/2022: Delibera del CD per assegnazione finanziamenti e pubblicazione graduatoria e delibera di finanziamento Attività Bando Fondo per le idee GIMEMA – Edizione 2023 In data 23 giugno 2022, il Consiglio Direttivo del GIMEMA ha deliberato di destinare 350.000-euro della quota del 5 per mille AIL / MIUR, edizione 2020, a bilancio GIMEMA 2022, al Bando Fondo per le idee, VI edizione 2023.		
Data di inizio progetto:	01/09/2023	
Data di fine progetto:	31/01/2024	
VOCI DI SPESA	COSTO COMPLESSIVO	QUOTA FINANZIATA CON FONDI 5 PER MILLE
Personale di ricerca (borsista, a contratto e di ruolo in quota parte)	€ 6.440	€ 6440
Spese di organizzazione (manifestazioni e convegni, viaggi, missioni ecc.) Comitato Scientifico	€ 1.500	€ 1.500
Spese amministrative	€ 2.104	€ 2.104
Altro (indicare quali) Fondo per le Idee 2023	€ 350.000	€ 350.000
TOTALE	€ 360.044	€ 360.044

Per quanto concerne il Bando per le idee 2022, in data 27 aprile 2023, il Consiglio Direttivo, nel rispetto della graduatoria di merito stilata dal Comitato Scientifico, in attuazione dei criteri aggiuntivi riservati al Consiglio stesso per l'assegnazione dei fondi - esplicitati a Bando - e sulla base dell'importo a disposizione, pari a 350.000 euro, di cui alla propria Delibera del 5 febbraio 2021, all'unanimità ha deliberato di:

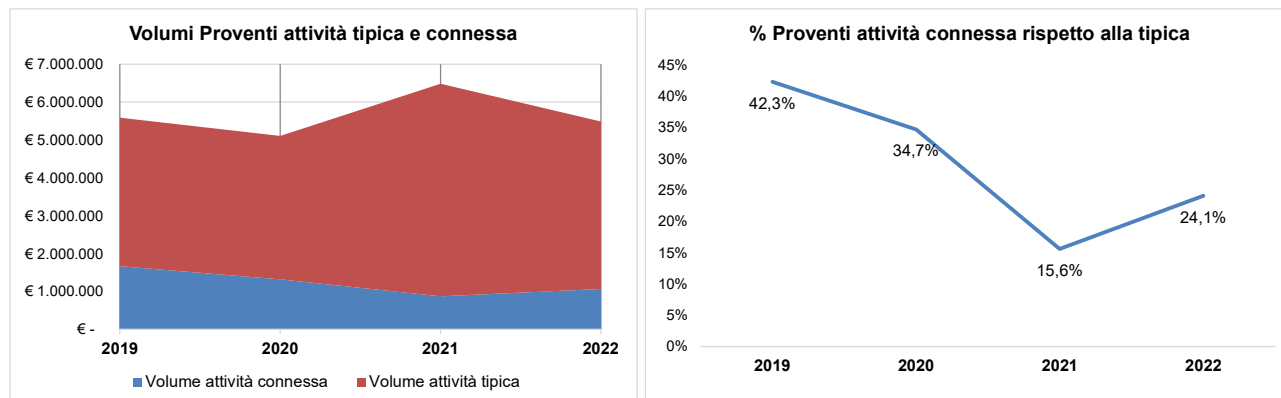
- finanziare con 105.000 euro, il progetto *"Virtual Twins for personalized medicine in myeloid neoplasms"*, presentato dal Dott. Matteo Giovanni Della Porta;
- finanziare con 66.000 euro, più 119.000 euro di costi diretti, che saranno sostenuti dal Centro Dati GIMEMA, quale Promotore, per un totale di 185.000 euro, il progetto multicentrico *"Digital PCR for Deep Sensitivity BCR/ABL1 Mutation Screening in CML (DiP-in-CML)"*, presentato dalla Dott.ssa Simona Soverini;
- finanziare con 60.000 euro il progetto *"Proteotoxic stress in combination with FLT3 or bcl-2 inhibitors as a therapeutic strategy to target FLT3-ITD+ acute myeloid leukemia cells"*, presentato dalla Dott.ssa Silvia Masciarelli.

Grafici 5. Composizione dei Proventi caratteristici 2019-2022



La visualizzazione della composizione dei Proventi caratteristici (Grafici 5) evidenzia la particolarità dell'esercizio 2021 (71% Proventi su Progetti) e il "ripristino" nel 2022 di *trend* comparabili con il biennio 2019-2020.

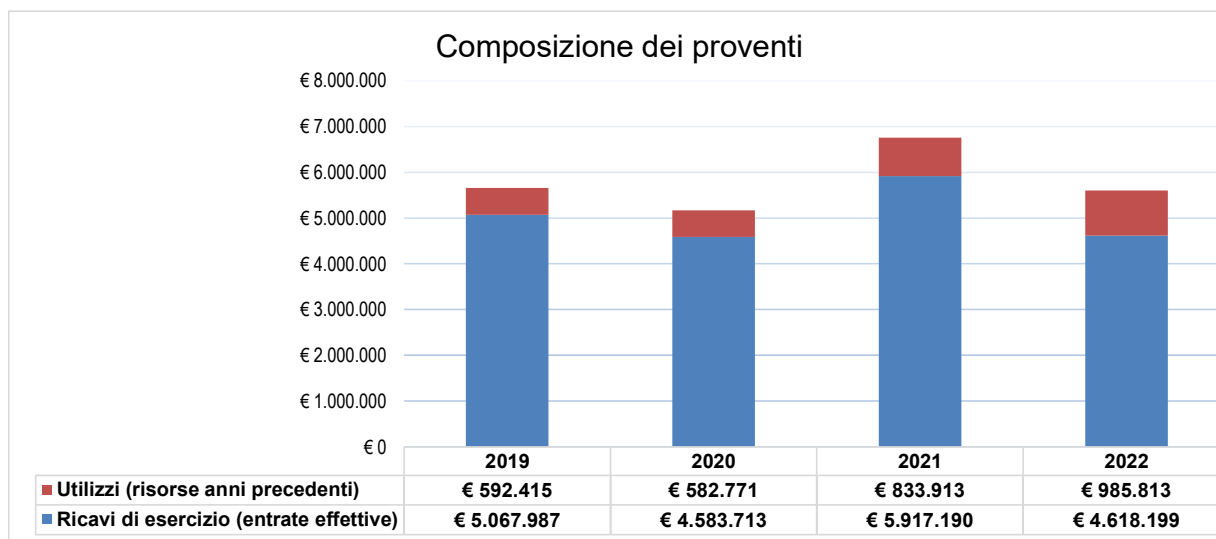
Grafici 6. Rapporto proventi da attività tipica e connessa 2019-2022



Nei Grafici 6. si confrontano gli andamenti dei proventi da attività tipica e dei proventi da attività connessa.

Nel Grafico 7. si presenta la “scomposizione” dei Proventi, evidenziando separatamente i ricavi effettivi di esercizio - *proxy* della capacità di sviluppo e continuità della Fondazione - e gli utilizzi dei fondi pluriennali destinati ai progetti e dei fondi di “garanzia” per l’ente, derivanti da ricavi di anni precedenti.

Grafico 7. Composizione proventi: Ricavi d’esercizio e Utilizzi 2019-2022



La dinamica “utilizzi, accantonamenti e ricavi d’esercizio” - così come quella finanziaria (entrate-uscite) già descritta - è speculare alla dinamica di conduzione della attività.

Nella Tabella 8 si evidenzia come, a fronte di significative variazioni annuali nei ricavi, in particolare ridotti nel 2020 - come già detto, causa la criticità pandemica - poi fortemente cresciuti nel 2021 solo in ragione delle *tranche ALL2820* e, pertanto, “tornati” prossimi al 2020 nel 2022, gli “impieghi” dell’esercizio, ovvero le risorse effettivamente utilizzate nell’anno di competenza (*proventi dell’anno più utilizzi di proventi di anni precedenti meno accantonamenti per utilizzi futuri*), rimangano sostanzialmente stabili intorno ai 3,8 / 3,9 milioni di euro, e presentino un lieve aumento nel 2022, dovuto all’inflazione, più che a una maggiore attività.

Tabella 8. Analisi proventi 2019-2022

	2019	2020	2021	2022
Ricavi di esercizio (entrate effettive)	€ 5.067.987	€ 4.583.713	€ 5.917.190	€ 4.618.199
Utilizzi (risorse anni precedenti)	€ 592.415	€ 582.771	€ 833.913	€ 985.813
Accantonamenti (risorse spostate ad anni successivi)	€ 1.856.424	€ 1.211.431	€ 2.978.117	€ 1.748.953
Impieghi d'esercizio (entrate + utilizzi - accantonamenti)	€ 3.803.978	€ 3.955.053	€ 3.772.986	€ 3.855.058

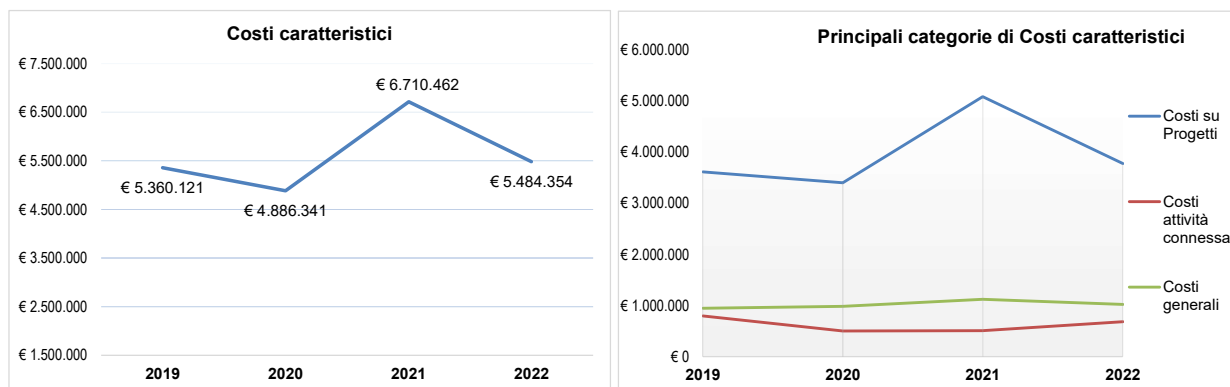
3.1.2 Oneri Caratteristici

Nel 2022, si rilevano Oneri caratteristici per euro 5.484.354, con un decremento del -18,3%, rispetto al 2021. Specularmente ai proventi di specie, anche il forte calo dei costi rispetto all’esercizio precedente è determinato dall’accantonamento peculiare dell’ALL 2820 (€ 1.671.763) mentre è interessante evidenziare il riposizionamento sui valori 2019 (+2,3%) e il sensibile aumento sul 2020 (+12,2%) sostanzialmente dovuto

all'aumento dei prezzi, per l'inflazione, e ai costi sostenuti per la prima edizione, nel 2022, del Convegno Nazionale GIMEMA (complessivi 175.282 euro).

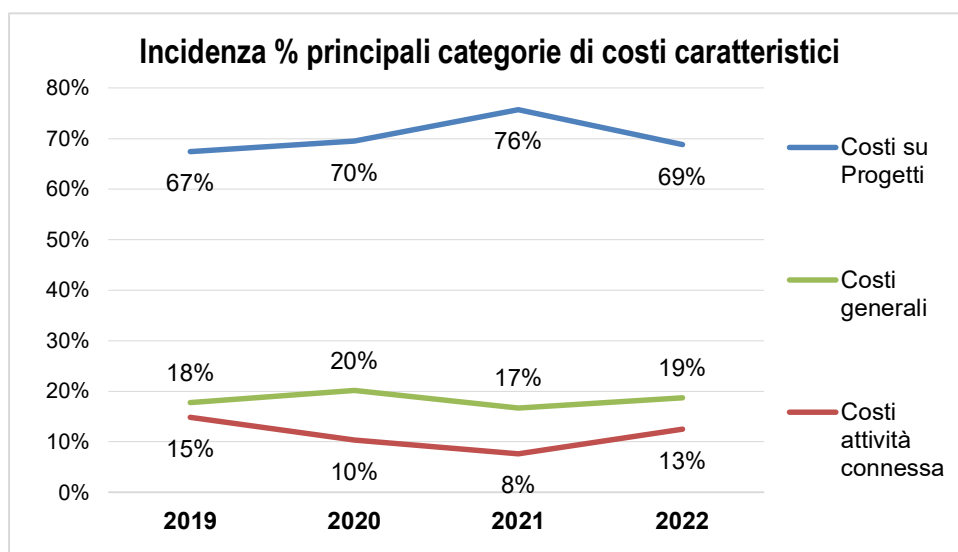
Tabella e Grafici 9. Andamento Oneri caratteristici 2019-2022

TREND COSTI	2019	2020	2021	2022
Costi su Progetti	€ 3.612.919	€ 3.396.598	€ 5.080.025	€ 3.771.847
Costi attività connessa	€ 796.077	€ 504.665	€ 511.650	€ 686.594
Costi generali	€ 951.125	€ 985.078	€ 1.118.787	€ 1.025.913
Totale costi caratteristici	€ 5.360.121	€ 4.886.341	€ 6.710.462	€ 5.484.354
Costi finanziari e straordinari	€ 222.742	€ 195.106	€ 143.987	€ 55.229
Totale costi	€ 5.582.863	€ 5.081.447	€ 6.854.449	€ 5.539.582



I costi generali sono in riduzione del -8,3% rispetto al 2021, per quanto tale variazione, in valore assoluto pari a circa 100 mila euro - come già evidenziato - sia tutta imputabile alla maggiore quota di costo del personale ribaltata sulla attività tipica e accessoria, a fronte di un costo complessivo dello stesso personale in lievissimo aumento rispetto al 2021 (+0,54%); pertanto, i restanti fattori produttivi dell'aggregato sono sostanzialmente stabili, sull'esercizio precedente.

Grafico 10. Composizione dei Costi caratteristici 2019-2022



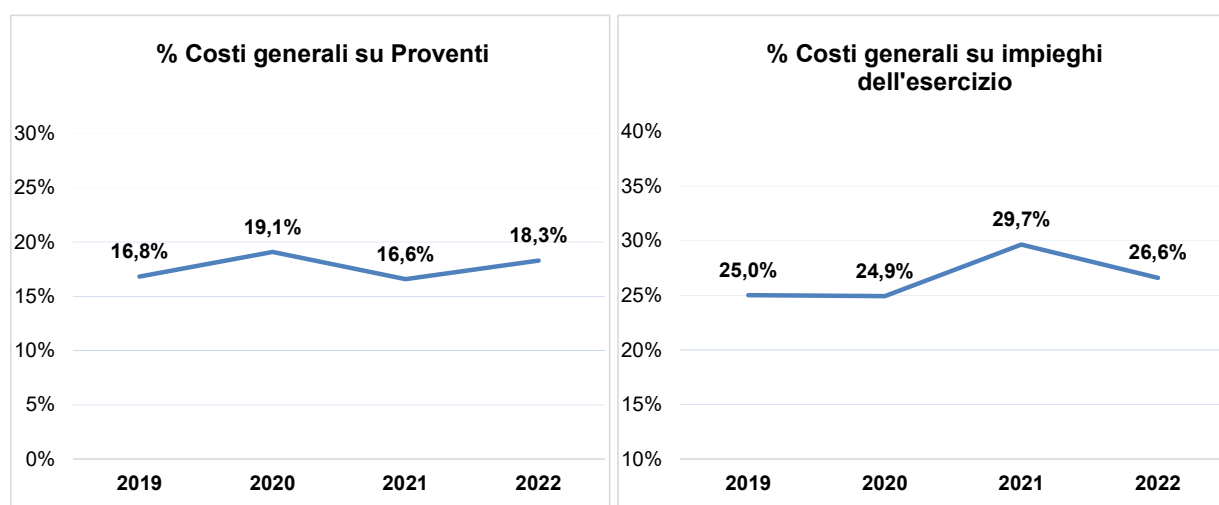
L'andamento della incidenza dei costi per Progetto sui costi caratteristici totali - indicatore *proxy* dell'impegno dell'ente sulla finalità statutaria di Ricerca - ridiscende nel 2022 poco sotto l'ottimale 70% (Grafico 10.), per

quanto debba sottolinearsi che ciò è fortemente influenzato, nel confronto con il 76% del 2021, dall'ammontare degli accantonamenti ALL 2820, come già più volte detto sopra.

Per attenzionare l'andamento dei costi generali, si propone l'analisi sviluppata nei grafici e tabella a seguire. L'incidenza dei costi generali sui proventi scende al 18,3%, rispetto al "picco" del 19,1% nel 2020 (esercizio in cui i ricavi risultano effettivamente in calo).

Se lo stesso indicatore si calcola sugli impieghi - ossia *le entrate più gli utilizzi e meno gli accantonamenti* che, come si è visto, non sono influenzati da eventi straordinari e sono sostanzialmente stabili e confrontabili nel quadriennio - allora si registra una sostanziale stabilità nel biennio 2019-2020 (circa 25%), mentre nel 2021 si rileva una impennata (29,7%) in quanto considerevole risultò la quota di lavoro / costo del personale non ribaltabile su progetto / attività strumentale; nel 2022 si posiziona al 26,6% in ragione inversa, ovvero l'aumento del lavoro / costo del personale ribaltabile.

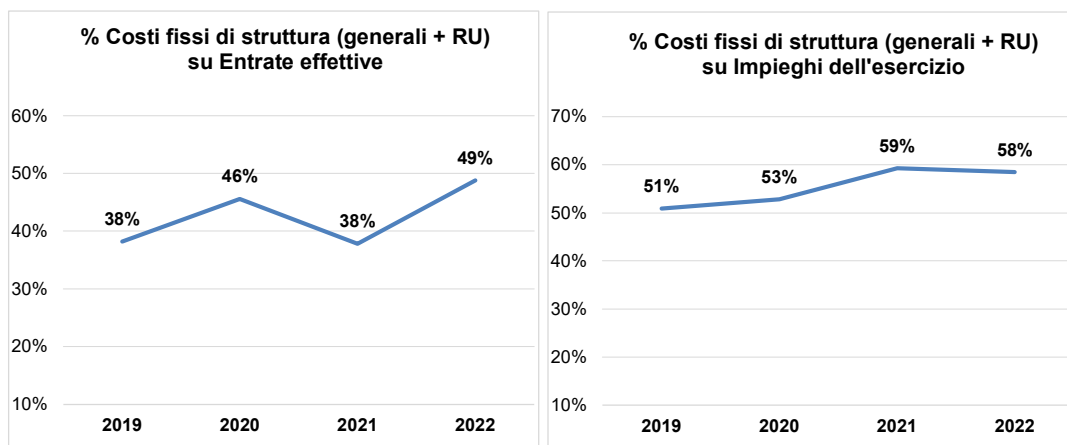
Grafico 11. Andamento incidenza costi generali su proventi 2019-2022



In Tabella 12. si riporta altresì il *trend* dei costi fissi e semi-fissi di struttura (costi di funzionamento + costo del personale) evidenziandone sia la percentuale di crescita anno su anno sia l'incidenza sulle entrate effettive di esercizio e sugli impieghi: anche in questo caso il dato da attenzionare è quello relativo agli impieghi, e risulta che l'incidenza nel 2022 si conferma al 58% prossima al livello più alto raggiunto nel 2021 (59%).

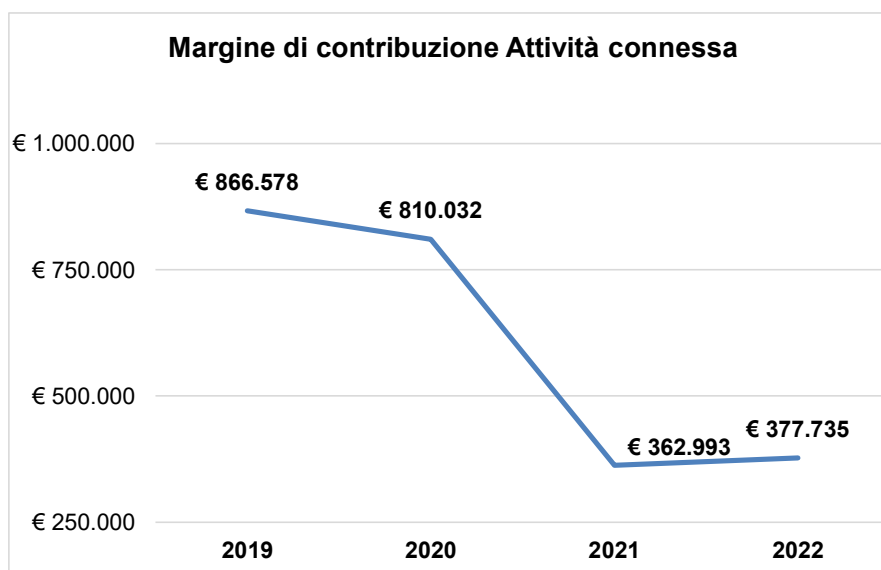
Tabella 12. Andamento costi fissi di struttura in relazione alle entrate effettive 2019-2022

	2019	2020	2021	2022
Ricavi di esercizio (entrate effettive)	€ 5.067.987	€ 4.583.713	€ 5.917.190	€ 4.618.199
Impieghi d'esercizio (entrate + utilizzi - accantonamenti)	€ 3.803.978	€ 3.955.053	€ 3.772.986	€ 3.855.058
Costi fissi di struttura (generali + personale)	€ 1.934.941	€ 2.090.247	€ 2.237.098	€ 2.254.011
Incidenza su entrate effettive	38%	46%	38%	49%
Incidenza su impieghi	51%	53%	59%	58%
variazione su anno precedente	€ 85.393	€ 155.306	€ 146.851	€ 16.913
variazione annua %	4,6%	8,0%	7,0%	0,8%



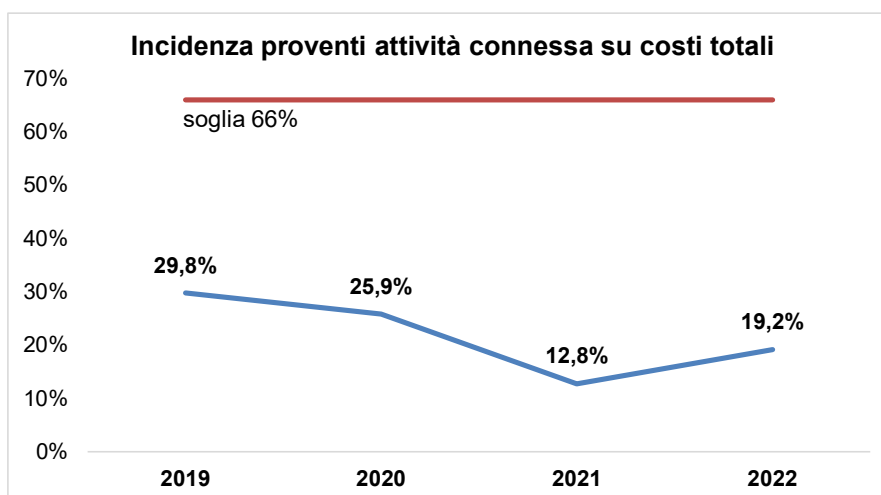
Il margine di contribuzione della attività connessa di cui al Grafico 13. è evidenza di come la medesima sia effettivamente strumentale alla attività tipica (si veda il valore assoluto) e - al contempo, essendo caratterizzata da elevati margini percentuali - secondaria rispetto alla attività tipica medesima, in termini di assorbimento relativo di risorse (si veda Grafico 10.). Ciò detto, nel 2022 - pur aumentando i proventi di specie - il margine di contribuzione è stabile, rispetto al 2021, proprio in ragione di un maggiore impegno/impiego in tali attività (dal 8%, al 13%).

Grafico 13. Andamento margine di contribuzione da attività connessa 2020-2022



Nel Grafico 14. si dà evidenza del pieno rispetto di quanto previsto dal D.Lgs. 460/97 anche nel 2022, in proposito al limite posto per i ricavi da attività connessa, al fine di mantenere la qualifica di ONLUS.

I Proventi totali 2022 da attività connesse sono 1.064.329 euro, con un aumento rispetto al 2021 del +21,7% e - ai fini della soglia fissata in *non oltre il 66%*, ex art. 10, comma 5 del D.Lgs. 460/97 - rappresentano il 19,2% dei costi totali.

Grafico 14. Trend incidenza Proventi da attività connessa su costi totali 2020-2022

3.1.3 Costi delle Risorse Umane

Infine, sul versante dei costi caratteristici, 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 di progettazione, regolatorie, di analisi, farmacovigilanza, *data management*, biostatistica, attività di laboratorio, ecc.).

Tabella 15. Dotazione e Costo del Personale 2019-2022

Personale	2019		2020			2021			2022		
	Teste	FTE	Teste	FTE	var%	Teste	FTE	var%	Teste	FTE	var%
Dipendenti	25	24,2	24	22,6	-9,8%	31	28,6	27,0%	32	27,9	-2,5%
Co.co.co	1	1	3	0,5		3	0,5		3	0,5	
Totale FTE		25,2		23,05	-8,5%		29,14	26,4%		28,43	-2,4%
Costo	€ 1.190.987		€ 1.393.027		17,0%	€ 1.549.540		11,2%	€ 1.557.839		0,54%

Nel 2022, pur calando le FTE dipendenti del -2,5%, il costo è di fatto stabile (+0,54% sul 2021) e ciò è dovuto a: i) il coefficiente di rivalutazione del TFR al 31 dicembre 2022, pari al 9,97%, conseguente l'adeguamento all'inflazione; ii) il riemergere di alcune variabili di costo (missione, buoni pasto) azzeratesi negli anni 2020 e 2021, a seguito delle relative dinamiche lavorative condizionate dalla pandemia.

La quota di costo del personale non imputata su progetto / attività accessoria passa dal 20,4% nel 2019, a 20,7% nel 2020, al 27,8% nel 2021, e al 21,2% nel 2022.

Le risorse LP dedicate a progetti specifici e attività di *service*, per la ricerca di terzi, passano da 10,37 nel 2021, per un importo complessivo pari a 258.914 euro, a 12,55 nel 2022, per un importo complessivo pari a 313.837 euro.

Al 31/12/2022 risultano in forza 2,55 risorse dedicate alla amministrazione e gestione dell'ente e 0,4 FTE co.co.co, per assolvere le prerogative di Tesoreria e supporto al bilancio.

Le risorse amministrative strutturate sono supportate da professionisti LP, per le attività di: trattamento giuridico ed economico del personale; affari legali e istituzionali; programmazione e controllo direzionali; controllo di gestione; ufficio legale, comprensivo delle prerogative e responsabilità *privacy* e trattamento dei

dati (costo 2022 pari a 169.323 vs costo 2021 pari a 167.782 euro). La gestione fiscale dell'ente e la consulenza di specie è affidata, da febbraio 2020, alla Società *Price Waterhouse* (costo 2022 pari a 30.500 euro vs costo 2021 pari a 34.844 euro). Un dipendente GIMEMA è, in via prevalente, preposto all'Area IT ed è supportato da 3 professionisti LP (costo 2022 pari a 82.950 euro vs costo 2021 pari a 80.410 euro); lo stesso dipendente si occupa altresì della Qualità, con supporto specifico "esterno" (costo 2022 pari a 9.266 euro vs costo 2021 pari a 10.950 euro).

Un dipendente si occupa esclusivamente delle attività Sito, Comunicazione, Informazione, coadiuvato da 2 professionisti LP e da giornalisti a prestazione (costo 2022 pari a 43.349 euro vs costo 2021 pari a 30.693).

3.2 GESTIONE FINANZIARIA E STRAORDINARIA

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

La gestione finanziaria GIMEMA, nella sua rappresentazione a Bilancio, dal 2022 contribuisce positivamente sul risultato della gestione, e detto contributo è crescente: nel 2020 si registrò un incasso per cedole su BPT Italia pari a 2.450 euro, a fronte di oneri finanziari "spese bancarie" per 1.238 euro, nel 2021 l'incasso per 2 cedole su BPT Italia risultò pari a complessivi 12.002 euro, a fronte di oneri finanziari "spese bancarie", per euro 2.007, e "bollo su strumenti finanziari", per euro 217, nel 2022 l'incasso per 2 cedole su BPT Italia risulta pari a complessivi 34.368 euro, a fronte di oneri finanziari "spese bancarie", per euro 1.931, e "bollo su strumenti finanziari", per euro 221.

La gestione straordinaria presenta nel 2022:

- sul versante proventi,
 - una sopravvenienza attiva pari a 9.000, riguardante quote volontarie anno 2021, secondo principio di prudenza non iscritte tra i crediti dello stesso esercizio, ed erogate da Centri GIMEMA nel 2022;
 - una sopravvenienza attiva pari a complessivi 20.732 euro, riguardante la mancata registrazione di proventi 2021, essenzialmente riferibili a due contributi da Sezioni AIL;
 - un utilizzo del Fondo rischi per 53.069 euro, a fronte di svalutazione quote Centri 2019, 2020 e 2021, per 13.000 euro, e a coperture di insussistenze dell'attivo di cui a seguire;
- sul versante oneri,
 - svalutazione di contributi volontari anno dei Centri GIMEMA 2019, 2020 e 2021, in quanto crediti inesigibili, per 13.000 euro;
 - insussistenza dell'attivo per 34.500 euro, riguardate una *tranche* di Progetto "fatturata" nel 2020 e risultata non riscuotibile, e per 5.486 euro, riguardante la rettifica di valore di un credito inesigibile di *Phidea life*.

3.3 CONTRIBUTO VOLONTARIO ANNUALE

Al termine della presente relazione di gestione, si rileva l'importante adesione dei Centri GIMEMA alla richiesta del contributo volontario anno: dal 2014 (anno di avvio di detta iniziativa istituzionale) ad oggi, è stato erogato un importo totale pari a € 1.275.000.

Tabella 16. Andamento Contributi anno dei Centri GIMEMA 2014-2022

Centri	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022
	erogato	erogato	erogato	erogato	erogato	erogato	erogato	erogato	erogato
Aderenti	39	38	39	37	31	30	31	30	30
valore	€ 39.000	€ 38.000	€ 39.000	€ 37.000	€ 31.000	€ 30.000	€ 31.000	€ 30.000	€ 30.000
Effettivi	48	46	43	51	64	59	61	57	56
valore	€ 96.000	€ 92.000	€ 86.000	€ 102.000	€ 128.000	€ 118.000	€ 122.000	€ 114.000	€ 112.000
totale	€ 135.000	€ 130.000	€ 125.000	€ 139.000	€ 159.000	€ 148.000	€ 153.000	€ 144.000	€ 142.000

Ciò ha agevolato GIMEMA nel poter deliberare e destinare - dal 2018 – € 3.570.000 di proprie risorse (quote anno 5x1.000 AIL / MIUR) a 7 edizioni di Bando per le idee e a progetti senza finanziamento dedicato, ovvero con finanziamento insufficiente.

4 PROGRAMMAZIONE 2023

In data 23 febbraio 2023, il Consiglio Direttivo ha approvato il Budget GIMEMA 2023, ponendo per l'esercizio l'obiettivo del risultato in pareggio.

Di seguito, si propone il riclassificato sintetico del Conto Economico Previsionale 2023, risultanza del Budget approvato e di alcuni aggiornamenti positivi riguardanti eventi con alta probabilità di realizzarsi nell'esercizio.

CONTO ECONOMICO BILANCIO PREVISIONALE 2023											
ONERI	P2023	2022	2021	2020	2019	PROVENTI	P2023	2022	2021	2020	2019
1) ONERI DA ATTIVITÀ TIPICA						1) PROVENTI DA ATTIVITÀ TIPICA					
1.1 Oneri per finanziamento Progetti						1.1 Proventi per finanziamento Progetti					
TOTALE 1.1	3.396.393	3.584.108	5.063.732	3.326.919	3.590.647	TOTALE 1.1	3.686.544	3.936.374	5.310.895	3.442.873	3.671.883
Trend	-5,2%	-29,2%	52,2%	-7,3%		Trend	-6,3%	-25,9%	54,3%	-6,2%	
1.2 Oneri Progetti Ricerca senza finanziamento						1.2 Contributi Istituzionali					
TOTALE 1.2	17.325	187.739	16.294	63.518	22.272	TOTALE 1.2	263.500	485.528	298.067	348.853	259.094
Trend	-90,8%	1052,2%	-74,3%	185,2%		Trend	-45,7%	62,9%	-14,6%	34,6%	
	P2023	2022	2021	2020	2019		P2023	2022	2021	2020	2019
TOT ONERI DA ATTIVITÀ TIPICA	3.413.718	3.771.847	5.080.025	3.390.437	3.612.919	TOT PROVENTI DA ATTIVITÀ TIPICA	3.950.044	4.421.902	5.608.962	3.791.726	3.930.977
Trend	-9,5%	-25,8%	49,8%	-6,2%		Trend	-10,7%	-21,2%	47,9%	-3,5%	
2) ONERI DA ATTIVITÀ CONNESSA						2) PROVENTI DA ATTIVITÀ CONNESSA					
TOT ONERI DA ATTIVITÀ CONNESSA	807.026	686.594	511.650	510.815	796.077	TOT PROVENTI DA ATTIVITÀ CONNESSA	1.170.013	1.064.329	874.643	1.314.697	1.662.655
Trend	17,5%	34,2%	0,2%	-35,8%		Trend	9,9%	21,7%	-33,5%	-20,9%	
	P2023	2022	2021	2020	2019		P2023	2022	2021	2020	2019
TOT ONERI TIPICI E DA ATTIVITÀ CONNESSA	4.220.744	4.458.441	5.591.675	3.901.252	4.408.996	TOT PROVENTI ATTIVITÀ TIPICA E CONNESSA	5.120.057	5.486.231	6.483.604	5.106.423	5.593.632
Trend	-5,3%	-20,3%	43,3%	-11,5%		Trend	-6,7%	-15,4%	27,0%	-8,7%	
3) ONERI FINANZIARI E STRAORDINARI						3) PROVENTI FINANZIARI E STRAORDINARI					
TOT ONERI FINANZIARI E STRAORDINARI	12.200	55.229	143.987	195.106	222.742	TOT PROVENTI FINANZIARI E STRAORDINARI	90.000	117.781	267.499	60.062	66.768
Trend	-77,9%	-61,6%	-26,2%	-12,4%		Trend	-23,6%	-56,0%	345,4%	-10,0%	
	P2023	2022	2021	2020	2019		P2023	2022	2021	2020	2019
4) ONERI DELLA GESTIONE ORDINARIA											
TOT ONERI DELLA GESTIONE ORDINARIA	945.178	1.025.913	1.118.787	985.078	951.124						
Trend	-7,9%	-8,3%	13,6%	3,6%							
	P2023	2022	2021	2020	2019		P2023	2022	2021	2020	2019
TOTALE ONERI	5.178.122	5.539.582	6.854.449	5.081.436	5.582.862	TOTALE PROVENTI	5.210.057	5.604.012	6.751.103	5.166.484	5.660.400
Trend	-6,5%	-19,2%	34,9%	-9,0%		Trend	-7,0%	-17,0%	30,7%	-8,7%	
RISULTATO DELLA GESTIONE	31.935	64.429	-103.346	85.048	77.538						
RISULTATO DELLA GESTIONE CARATTERISTICA	-45.865	1.877	-226.858	220.092	233.512						

Di seguito si riportano le Previsioni delle linee di Ricerca con fondi / finanziamenti dedicati.

MDS con finanziamento			CML con finanziamento		
Fondi al 1/01/2023	€	258.722	Fondi al 1/01/2023	€	1.015.966
Previsione Proventi 2023			Previsione Proventi 2023		
Previsione Utilizzi 2023	€	55.575	Previsione Utilizzi 2023	€	144.910
Previsione Costi 2023			Previsione Costi 2023		
Assicurazione	€	8.125	Assicurazione	€	6.795
Farmaco*	€	170.500	Collaborazioni	€	75.000
* da scontare in assenza di nuova tranche AIFA			Inve. M.ing/wp	€	4.000
Gestione farmaco	€	10.000	Study Management	€	61.865
Study Management	€	37.450	Previsione ore lavoro 2023		2.242
Previsione ore lavoro 2023		1.130			
Ipotesi risultato 2023 MDS	€	-	Ipotesi risultato 2023 CML	-€	2.750



AML con finanziamento		CLL con finanziamento	
Fondi al 1/01/2023	€ 1.592.982	Fondi al 1/01/2023	€ 809.770
Previsione Proventi 2023	€ 574.975	Previsione Proventi 2023	€ 757.144
Previsione Utilizzi 2023	€ 252.746	Previsione Utilizzi 2023	€ 28.503
Previsione Costi 2023		Previsione Costi 2023	
Assicurazione	€ 24.591	Assicurazione	€ 17.549
CRF/CRO Elettronica/monitoraggio	€ 22.000	Erogazioni	€ 51.311
Erogazioni	€ 45.000	Collaborazioni	€ 137.968
Collaborazioni	€ 38.460	Reagenti	€ 83.430
Reagenti	€ 183.507	Gestione farmaco	€ 50.952
Gestione farmaco	€ 73.400	Sottomissione / emendamenti	€ 21.000
Sottomissione / emendamenti	€ 3.000	Accantonamento a Fondo	€ 138.467
Pubblicazioni	€ 10.800	Study Management	€ 220.175
Accantonamento a Fondo	€ 171.910	<i>Previsione ore lavoro 2023</i>	<i>7.570</i>
Study Management	€ 194.908		
<i>Previsione ore lavoro 2023</i>	<i>6.563</i>		
Ipotesi risultato 2023 AML	€ 60.145	Ipotesi risultato 2023 CLL	€ 64.795

ALL con finanziamento		ITP con finanziamento	
Fondi al 1/01/2023	€ 2.262.655	Fondi al 1/01/2023	€ 364.010
Previsione Proventi 2023	€ 531.825	Previsione Proventi 2023	€ 77.374
Previsione Utilizzi 2023	€ 160.764	Previsione Utilizzi 2023	€ 65.283
Previsione Costi 2023		Previsione Costi 2023	
Assicurazione	€ 25.553	Assicurazione	€ 2.333
Materiale sanitario	€ 22.150	Erogazioni	€ 79.500
Collaborazioni	€ 49.920	Sottomissione / emendamenti	€ 4.700
Reagenti	€ 181.489	Accantonamento a Fondo	€ 737
Gestione farmaco	€ 16.200	Study Management	€ 51.150
Sottomissione / emendamenti	€ 6.300	<i>Previsione ore lavoro 2023</i>	<i>1.920</i>
Accantonamento a Fondo	€ 56.684		
Study Management	€ 256.350		
<i>Previsione ore lavoro 2023</i>	<i>7.690</i>		
Ipotesi risultato 2023 ALL	€ 77.943	Ipotesi risultato 2023 ITP	€ 4.237

Altre Patologie / Progetti con finanziamento		QOL con finanziamento	
Fondi al 1/01/2023	€ 92.259	Fondi al 1/01/2023	€ 80.735
Previsione Proventi 2023	€ 315.000	Previsione Proventi 2023	€ 272.121
Previsione Utilizzi 2023	€ 45.094	Previsione Utilizzi 2023	€ 49.405
Previsione Costi 2023		Previsione Costi 2023	
Collaborazioni	€ 9.000	Erogazioni	€ 25.000
Reagenti	€ 10.000	Collaborazioni	€ 24.960
Sottomissione / emendamenti	€ 12.500	Inve. M.ing/wp e convegni	€ 45.000
Accantonamento a Fondo	€ 158.681	Partecipazione Convegni	€ 29.000
Inve. M.ing/wp	€ 6.000	Accantonamento a Fondo	€ 59.975
Study Management	€ 128.725	Study Management	€ 92.825
<i>Previsione ore lavoro 2023</i>	<i>4.340</i>	<i>Previsione ore lavoro 2023</i>	<i>2.695</i>
Ipotesi risultato 2023 Altre Patologie	€ 35.188	Ipotesi risultato 2023 QOL	€ 44.766



Di seguito si riporta la Previsione 2023 della Attività strumentale.

Attività strumentale		
Fondi al 1/01/2023		€ 198.281
Previsione Proventi 2023		€ 1.128.478
Previsione Utilizzi 2023		€ 41.535
Previsione Costi 2023		
Assicurazione		€ 4.444
CRF/CRO Elettronica/monitoraggio		€ 58.000
Erogazioni		€ 72.500
Collaborazioni		€ 152.880
Reagenti		€ 42.151
Sottomissione / emendamenti		€ 500
Altri costi		€ 78.800
Accantonamento a Fondo		€ 179.701
Study Management		€ 218.050
<i>Previsione ore lavoro 2023</i>		<i>7.050</i>
Ipotesi risultato 2023 Attività strun	€	362.987

Le dinamiche gestionali da realizzare per raggiungere l'obiettivo del risultato positivo 2023 sono sostanzialmente:

- Riportare i costi di funzionamento 2023 sui valori del biennio 2020-2019 (950 mila euro ca) **-8% su 2022**;
- Mantenere il costo del personale dipendente stabile sul valore 2022:
 - non sostituzione di una unità in uscita al 31 dicembre 2022 - con significativa anzianità di assunzione e livello medio alto - negli ultimi anni non impegnata su protocolli;
 - 2 sostituzioni di maternità con 2 attuali contratti LP, da non sostituire;
 - confermare 8 risorse LP operative su progetti e presenti nella sede di Roma del Centro Dati (vs 10 risorse risultanti a fine 2022);
 - incremento di ca 150 euro lordi mese, per tre Responsabili, e passaggio da D4 a E per una Responsabile;
 - ripristino della indennità di risultato, se confermato il risultato positivo del BdE 2022;
- Aderire al budget di impegno lavoro su progetti / attività 2023 (42.935 ore).

Di seguito si riporta la Previsione 2023 per conseguire il risultato positivo della gestione, secondo quanto fin a ora rappresentato in termini di Budget e azioni gestionali.

4) ONERI DELLA GESTIONE ORDINARIA	Previsione 2023
Servizi	570.000
Beni	18.000
Godimento di beni di terzi	11.000
Personale	271.178
Accantonam.to costo per ferie non godute	10.000
Ammortamento delle immobilizzazioni	13.000
IRAP e altri tributari	12.000
Oneri diversi di gestione	40.000
TOT ONERI DELLA GESTIONE ORDINARIA	945.178
Ricavi non finalizzati	Previsione 2023
Margine da Contributi Istituzionali	246.175
Margine da Proventi finanziari	77.800
Margine da Proventi per Progetti	290.150
Margine da da Attività strumentale	362.987
TOT PROVENTI PER LA GESTIONE ORDINARIA	977.112
<i>Risultato previsione 2023</i>	<i>31.935</i>

Il Consiglio Direttivo, con l'approvazione del Bilancio di Previsione GIMEMA 2022, ha deliberato di destinare la quota del 5 per mille AIL / MIUR, edizione 2021, a bilancio GIMEMA 2023 (pari a 545.826) come di seguito:

- 50.000 euro Studio AML1718 Venetoclax;
- 50.000 euro Studio NP22-380;
- 80.000 euro Studio CAR-T della dott.ssa Zamagni;
- 15.826 euro per i costi di funzionamento e costi indiretti di progetto;
- 350.000 euro per la VII edizione Bando delle Idee, anno 2024.

Per il 2023, il contributo volontario da richiedere è confermato in 1.000 euro per i Centri Aderenti e 2.000 euro per i Centri Effettivi (Delibera del Consiglio Direttivo del 23 febbraio 2023).

5 ATTIVITÀ DI RILIEVO

Anche il 2022 si è rivelato un anno molto complicato, per tantissime ragioni, in particolare: i) i tanti cambi rilevati ai vertici delle Aziende farmaceutiche, che collaborano e co-finanziano GIMEMA, e tale *turnover* ha fatto perdere “punti di riferimento storici”; ii) 5 professionisti (2 a tempo indeterminato e 3 con contratto Libero Professionale) hanno rassegnato le dimissioni, creando non pochi problemi nelle sostituzioni.

Le proposte che le risorse GIMEMA ricevono - essendo molto skillate - sono numerose e rappresentano possibilità di avanzamento professionale; la Fondazione, pur introducendo una serie di benefit (non timbratura di cartellino, ovvero flessibilità oraria, bonus a fine anno, anziché riconoscimento della indennità di risultato negli esercizi in cui si raggiunge un risultato positivo della gestione, *smart working* confermato anche post pandemia) non riesce a competere con le offerte che fanno Aziende Farmaceutiche e CRO.

Tutte le misure precauzionali anti COVID-19 descritte l'anno precedente sono state mantenute, compreso – come detto - lo *smart working* e le presenze in ufficio calmierate. A gennaio 2023 si è sottoscritto l'accordo sindacale per una sperimentazione di modalità (scadenza ottobre 2023) al fine di mantenere lo SW in via ordinaria.

5.1 STUDI DEL GIMEMA

I Centri GIMEMA ad oggi sono 139.

Nelle tabelle di seguito, vengono riportati sia i pazienti di nuova diagnosi, registrati nel 2022, distinti nei vari studi, sia i pazienti gestiti in totale (appartenenti cioè a studi chiusi, di cui si segue il *follow-up*).

Pazienti gestiti negli Studi GIMEMA

Studio GIMEMA	tipologia studio	pazienti gestiti nel 2022	pazienti arruolati nel 2022
ALL2418	Intervational	49	14
ALL2620	Intervational	14	6
ALL2720	Biological	16	9
ALL2820	Intervational	71	53
ALL2922	Intervational	2	2
LAL2217	Observational	45	1
LAL1509	Intervational	60	
LAL1811	Intervational	44	
LAL2013	Intervational	7	
LAL2317	Intervational	149	
totale ALL		457	85

AML1718	Intervational	128	60
AML1819	Intervational	170	96
AML1919	Intervational	72	24
AML2020	Intervational	24	11
AML2120	Observational	54	25
AML2220	Biological	27	18
AML2320	Observational	188	63
AML2420	Intervational	25	23
AML2521	Intervational	5	5
totale AML		693	325

APL0618	Observational	87	24
APOLLO	Intervational	35	6
totale APL		122	30

CLL1818	Intervational	5	1
CLL1920	Observational	250	84
CLL2020	Biological	1	1
CLL2121	Observational	2358	1577
LLC1114	Intervational	157	
LLC1215	Intervational	20	
LLC1518	Intervational	77	
totale CLL		2868	1663

CML OIT1	Observational	120	
CML0912	Observational	1	
CML1012	Observational	155	3
CML1113	Observational	1	
CML1315	Intervational	14	
CML1415	Intervational	456	
CML1516	Intervational	64	
totale CML		811	3

ITP0918	Observational	812	74
ITP0714	Observational	148	
ITP1021	Observational	1	
totale ITP		961	74

MDS0519	Intervational	66	35
MDS0620	Biological	16	7
totale MDS		82	42



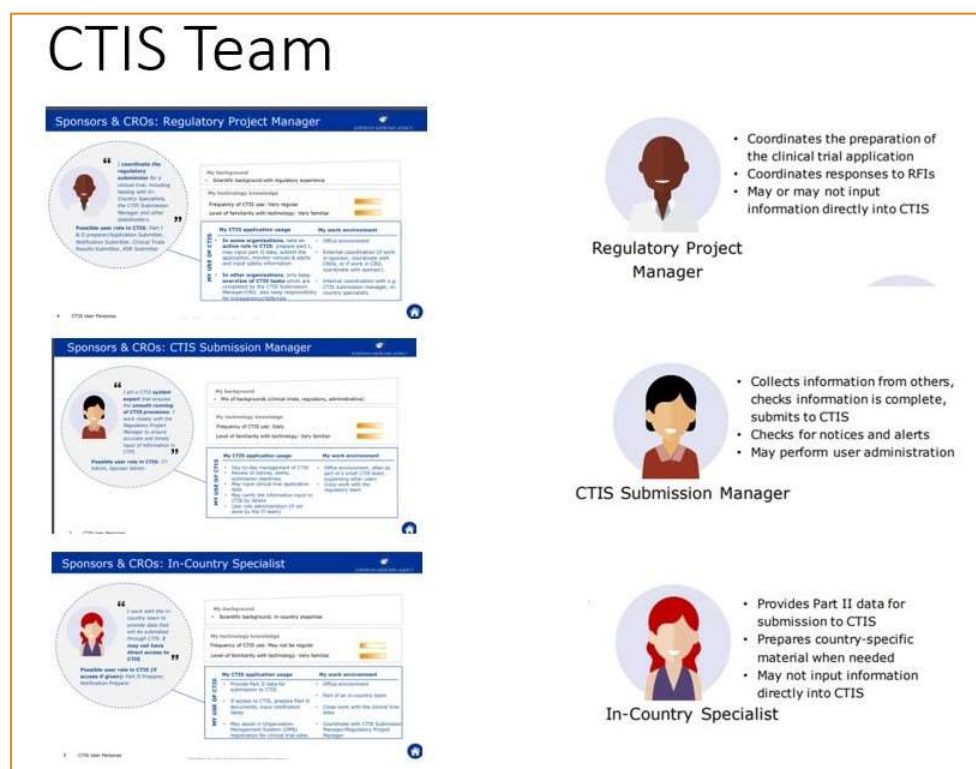
QOL-ALLIANCE	Observational	570	151
QOL-APL0816	Observational	232	
QOL-CAR-T	Observational	20	17
QOL-MDS0108	Observational	668	32
QOL-MM1016	Observational	520	174
QOL-MPN0118	Observational	457	
QOL-SPARTA	Observational	225	17
totale QoL		2692	391
RD0120	Observational	57	45
Totale complessivo		8956	2658

5.2 IMPLEMENTAZIONE DEL REGOLAMENTO 536/2014

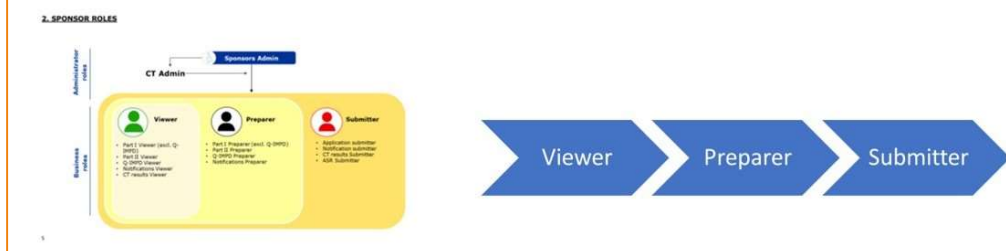
Attività di assoluta rilevanza nel 2022 è stata l'implementazione del Regolamento 536/2014, per la quale:

1. si è partecipato alle iniziative EMA, compresa la formazione come *Master Trainer*;
2. è stato eseguito l'accreditamento nel DB EMA. È stato scelto l'approccio più funzionale alla tipologia di organizzazione del GIMEMA (*organization-centric approach*) e, di conseguenza, si è provveduto alla creazione dell'account istituzionale.

La Fondazione è pertanto in grado di operare attraverso il nuovo sistema europeo per la sottomissione degli studi clinici interventistici sui farmaci - *Clinical Trial Information System* (CTIS) - attraverso l'organizzazione di un CTIS TEAM, impegnato nelle attività necessarie, per l'utilizzo dei sistemi informativi e la conformità al Regolamento.



Training on the job



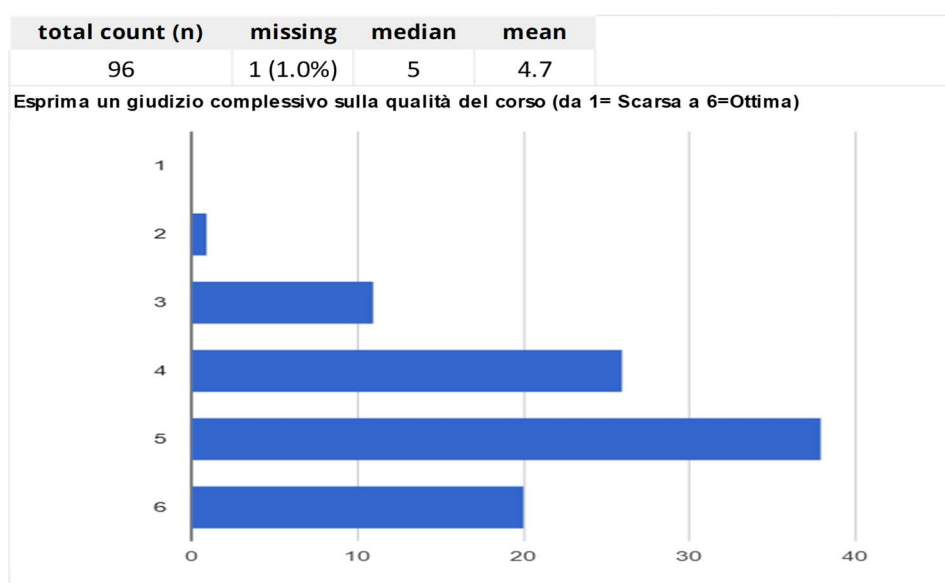
Il CTIS supporta il flusso di informazioni tra gli sponsor della sperimentazione clinica, gli Stati membri dell'Unione europea (UE), i Paesi dello Spazio economico europeo (SEE) e la Commissione Europea. È un sistema obbligatorio dal 31 gennaio 2023 e sul quale vanno registrate le sperimentazioni in corso (GIMEMA ne dovrà inserire almeno 13), con la sola eccezione di quelle che termineranno entro il 2025.

Ottenere l'autorizzazione da parte dell'EMA all'utilizzo di questo nuovo sistema è stata cosa molto impegnativa, per i tanti corsi di formazione che EMA ha organizzato.

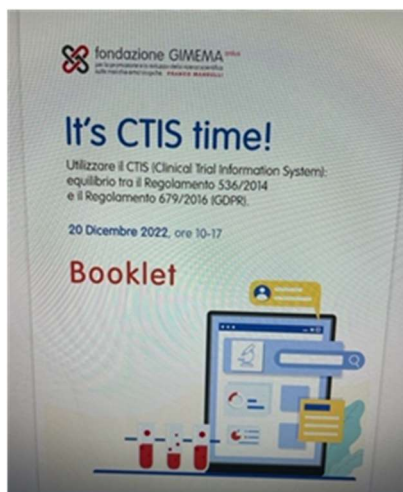
Tre risorse del Centro Dati sono state, nel corso del 2022, dedicate quasi interamente a seguire i corsi di formazione, per apprendere il nuovo sistema, raggiungendo una competenza specifica di altissimo livello, certificata dalla stessa EMA, attraverso il rilascio di attestati.

Fondamentale è risultato essere il coordinamento da parte della dott.ssa Mancino, che è diventata un punto di riferimento per tutta l'Italia ed è stata invitata da più parti a parlare di questo argomento. Tale autorevolezza acquisita ha consentito al GIMEMA di organizzare e condurre il Corso di formazione *"It's CTIS time"*, per gli sperimentatori del GIMEMA. Il Corso si è svolto su due giornate, la prima il 20 dicembre 2022 e la seconda il 7 febbraio 2023.

Il Corso - che ha previsto una modica quota individuale di partecipazione e la possibilità di partecipare sia in presenza sia on-line - ha riscosso un notevole successo. Di seguito si riporta qualche dato di gradimento rilevato con i questionari distribuiti ai discenti.



Al termine del Corso, è stato distribuito un Booklet (217 pagine) con i contenuti formativi.



Il modo di lavorare cambierà radicalmente, così come cambieranno le modalità di sottomissione della documentazione e la gestione della farmacovigilanza. Nelle slide che si riportano si è cercato di riassumere la complessità del processo.

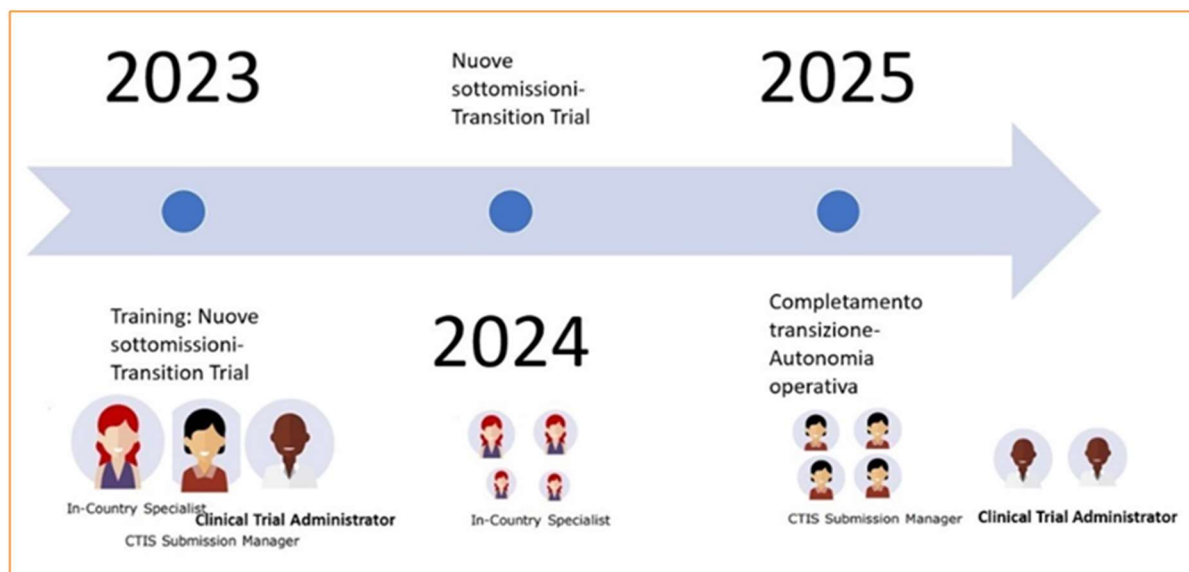


Urgente: Finalizzazione revisione modulistica da utilizzare per eventuali sottomissioni

1° semestre revisione stime e predisposizione studi in OsSC per transizione

2° semestre inizio inserimento in CTIS

È in fase di stesura la Procedura Operativa Standard (SOP) degli accessi; per la procedura di utilizzo bisogna attendere ancora, perché il sistema è in fase di assestamento e le funzionalità sono in evoluzione.



5.3 RIUNIONE GENERALE GIMEMA

Nel 2022 è stata organizzata la prima edizione della Riunione Generale GIMEMA, a cui - nelle giornate del 28 e del 29 aprile - hanno partecipato tutti i componenti dei WP e, in particolare, nel primo giorno si sono riuniti i board dei WP in contemporanea.

SEDE
A.Roma Lifestyle Hotel
Via Giorgio Zozzi, 59 - 00164 Roma
www.hotel-aroma.com

ISCRIZIONE
L'iscrizione è gratuita e si effettua online collegandosi al sito www.ancongressi.it entro il 26 Aprile 2022. Posti disponibili fino ad esaurimento.

ECM
Il Congresso è stato accreditato presso il Ministero della Salute come segue:
• Provider Studio ER Congress Srl ID 828-346479
• N. 21 crediti formativi per la figura di Medico Chirurgo (discipline: Oncologia, Radioterapia, Ematologia, Anatomia patologica, Patologia clinica, Medicina nucleare), Biologo, Farmacia (discipline: Farmacia Ospedaliera, Farmacia Territoriale).
• Obiettivo Formativo: linee guida-protocolli-procedure

SEGRETERIA SCIENTIFICA
Paolo Fosti, Valeria Sargentini, Rosalba Cucci, Marco Vignetti
Centro Dati - Fondazione GIMEMA
Franco Mandelli ONLUS

SEGRETERIA ORGANIZZATIVA
Studio ER Congress
Via De' Poesi, 1/7 - 40124 Bologna
Tel. 051 4210559 - Fax 051 4210174
E-mail: ercongressi@ercongressi.it
www.ancongressi.it

40° ANNIVERSARIO
RICERCA
40 ANNI DI RICERCA
FONDAZIONE GIMEMA

RIUNIONE NAZIONALE GIMEMA
Roma | 28-29 Aprile 2022 | A.Roma Lifestyle Hotel

28 Aprile	29 Aprile
15.00 - 19.00 Board Working Party Leucemie Acute e Sindromi Melodiploistiche Board Working Party Neoplasie Mieloproliferative Croniche Board Working Party Sindromi Linfoproliferative Croniche Board Working Party Piastrinopenie ed Anemie Board Working Party Immunoterapie Board Working Party Qualità di Vita Board Working Party Emotasi e Trombosi Board Working Party Malattie Rare 19.30 Dinner party - 40 anni di GIMEMA	8.00 Registrazione 8.15 Apertura dei lavori: "40 anni da raccontare" M. Vignetti (Roma), S. Amadori (Roma) "GIMEMA 3.0: Institutional Empowerment" D. Lemme (Roma) 9.15 Leucemia Mielode Cronica: "Un ricordo del Prof. S. Tura e M. Baccarani" R. Hehlmann (Heidelberg - DE) 9.45 - 10.15 Saluto da SIE, SIES, GITMO, FIL 10.15 - 10.45 Sperimentazione clinica: il Regolamento europeo 536/2014 A. Mancino (Roma) Aggiornamento lavori del Working Party: 10.45 - 11.30 Working Party Leucemie Acute e Sindromi Melodiploistiche A. Venditti (Roma), R. Bassan (Mestre-VE) 11.30 - 12.15 Working Party Neoplasie Mieloproliferative Croniche F. Pane (Napoli), A.M. Vannucchi (Firenze)

12.15 - 13.00 Working Party Sindromi Linfoproliferative Croniche
A. Cuneo (Ferrara), P. Ghia (Milano)
13.00 - 13.45 Light lunch
13.45 - 14.30 Working Party Piastrinopenie ed Anemie
F. Zaja (Trieste), M. Ruggeri (Vicenza)
14.30 - 15.00 Working Party Immunoterapie
P. Corradini (Milano), F. Locatelli (Roma)
15.00 - 15.45 Working Party Qualità di Vita
F. Efficace (Roma), M. Breccia (Roma)
15.45 - 16.15 Working Party Emotasi e Trombosi
V. De Stefano (Roma), A. Falanga (Bergamo)
16.15 - 16.45 Working Party Malattie Rare
F. Giona (Roma), A. Iolascon (Napoli)
16.45 - 17.00 Conclusioni

La seconda giornata è stata dedicata alla presentazione dei lavori dei singoli WP, in seduta plenaria. Hanno partecipato oltre 300 ricercatori ematologi, decretando il successo dell'iniziativa. Proprio sulla base del favore dei partecipanti riscontrato, il Consiglio Direttivo del GIMEMA ha deciso di ripetere l'evento ogni due anni (la prossima edizione è prevista nel 2024).

Tutta l'organizzazione della riunione è stata demandata a un'Agenzia esterna.

5.4 PRESENTAZIONI ORALI ALL'ASH

GIMEMA ha partecipato - come ogni anno - al 64° Congresso dell'*American Society of Hematology* svoltosi dal 10 al 13 dicembre 2022 a New Orleans. I Ricercatori GIMEMA hanno fatto tre presentazioni orali, di cui una particolarmente interessante (dott. Piciocchi) in quanto basata su una tecnica di analisi statistica mai utilizzata in precedenza.



ASH 2022: oral and poster presentation

Giovanni Marconi
•GIMEMA AML1718 Part 1: Planned Interim Analysis of a Safety Run-in and Phase 2 Open-Label Study of Venetoclax, Fludarabine, Idarubicin and Cytarabine (V-FLAI) in the Induction Therapy of non Low-Risk Acute Myeloid Leukemia
Alfonso Piciocchi
•The Addition of Venetoclax to Induction Chemotherapy in No Low-Risk AML Patients: A Propensity Score-Matched Analysis of the GIMEMA AML1718 and AML1310 Trials
Fabio Efficace
•10-Day Decitabine Versus Intensive Chemotherapy Followed By Transplantation in Fit AML Patients Aged ≥60 Years: Health-Related Quality of Life Outcomes of the Randomized Phase III Trial AML21 of the EORTC Leukemia Group, GIMEMA, CELG, and GMDS-SG
Giovanni Marconi
•GIMEMA ALL2418: Interim Analysis of a Phase IIA Study of Feasibility and Effectiveness of Inotuzumab Ozogamicin in Adult Patients with B-Cell Acute Lymphoblastic Leukemia with Positive Minimal Residual Disease before any Hematopoietic Stem Cell Transplantation
Alfonso Piciocchi
•The Added Value of Multi-State Modelling in Acute Myeloid Leukemia: The GIMEMA AML1310 Study Post-Hoc Analysis
Fabio Efficace
•Health-Related Quality of Life and Financial Burden of Ethiopian Patients with Chronic Myeloid Leukemia Receiving Tyrosine Kinase Inhibitors
Giovanni Caocci
•Health-Related Quality of Life of Patients with Philadelphia-Negative Myeloproliferative Neoplasms Compared with the General Population: A Preliminary Report from the GIMEMA Prophecy Study

L'evento conferma e rafforza l'autorevolezza del GIMEMA in ambito scientifico anche negli USA.

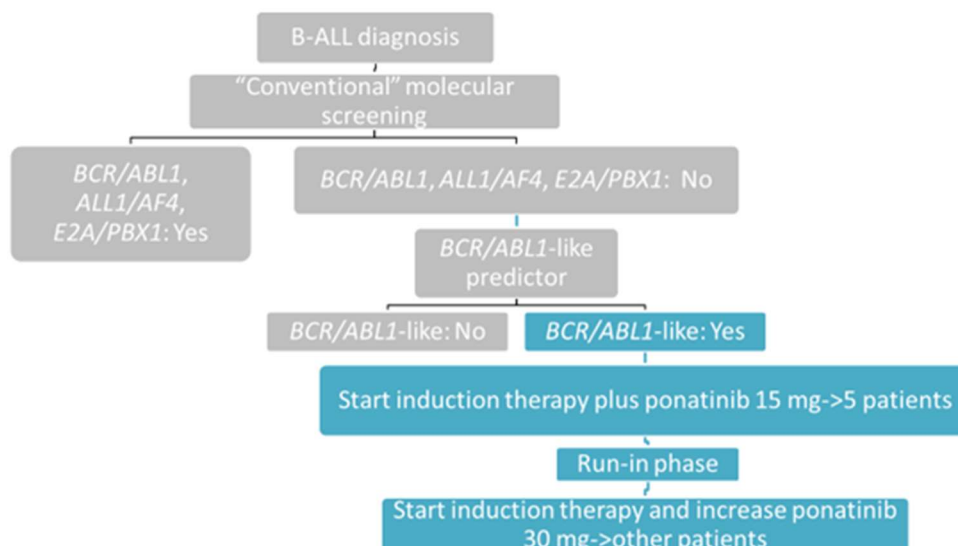
5.5 ATTIVITÀ DI REGOLATORIO

Nel 2022 sono stati aperti 4 studi: ALL2922; AML2521; ITP 1021; QoL Car-T. Il Centro Dati ha gestito: 25 studi aperti, di cui 14 sperimentali e 11 osservazionali; 13 studi chiusi all'arruolamento, di cui 10 sperimentali e 3 osservazionali.

Di seguito viene illustrato il disegno di 3 degli studi aperti nell'esercizio in esame (per lo studio QoL si veda di seguito nel paragrafo dedicato).



PROTOCOLLO ALL2922



General objectives

The aim of this clinical study in adult ALL is to improve the rate of hematological remission and MRD-negativity achievement in patients with Ph-like ALL following induction/consolidation with Ponatinib plus chemotherapy. A record of severe adverse events occurring along the entire treatment and stem cell transplant program and until 2 years from the achievement of CR will be performed with the aim of increasing the knowledge of these complications and to evaluate their impact on the antileukemic program and on the long-term outcome of the underlying malignancy.

Primary objective

The primary objective is to evaluate the clinical response - in terms of MRD negativity - in patients with a BCR/ABL1-like profile, according to the BCR/ABL1-like predictor tool, treated with Ponatinib in combination with chemotherapy.

Secondary objectives

To evaluate:

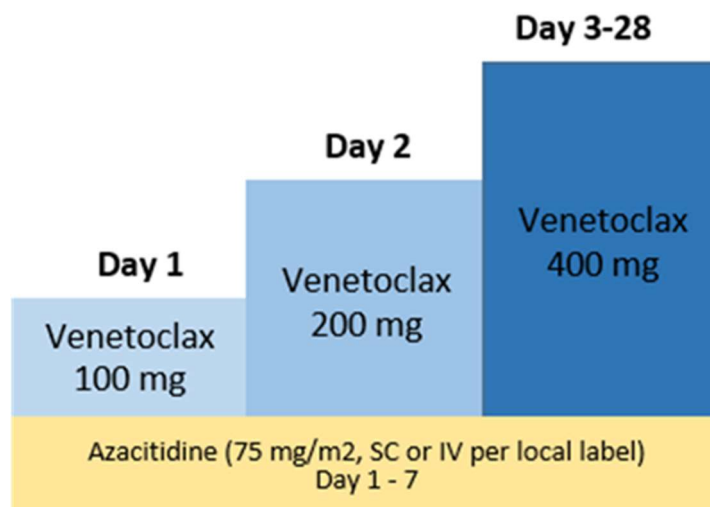
1. MRD monitoring during the different time points of the study treatment.
2. Disease Free Survival
3. Event Free Survival
4. Cumulative Incidence of Relapse
5. Overall Survival
6. Treatment-related mortality (TRM)
7. Clinical response
8. Feasibility of a combination approach with Ponatinib and chemotherapy
9. Safety.

Translational research objectives

- 1) To investigate the underlying molecular lesion in each BCR/ABL1-like case by performing NGS and copy number aberration analysis.
- 2) To evaluate, on the basis of the underlying molecular lesion, the efficacy of Ponatinib.

Sample Size: 32 **Study duration:** 68 months: **Enrolment:** 24 months. **Treatment:** 32 months (8 months for induction and consolidation + 24 months of maintenance). **Follow-up:** 12 months from treatment interruption for any reason, including transplant.

PROTOCOLLO AML2521 - Studio multicentrico di fase II su Venetoclax e Azacitidina nella gestione della ricaduta/progressione molecolare in pazienti adulti affetti da leucemia mieloide acuta con mutazione di NPM1.



Obiettivi

L'obiettivo primario dello studio è determinare l'efficacia di venetoclax e azacitidina (VEN-AZA) nel prevenire la ricaduta morfologica in pazienti adulti affetti da leucemia mieloide acuta con mutazione di NPM1 in ricaduta/progressione molecolare durante il trattamento con chemioterapia o successivo follow-up.

Gli obiettivi secondari sono:

- Valutare il tasso di MRD negatività raggiunto con VEN-AZA;
- Valutare il numero di pazienti che procedono al trapianto allogenico di cellule staminali (alloSCT);
- Valutare il numero di pazienti che procede all'alloSCT in condizioni di MRD negatività;
- Valutare l'Overall Survival (OS);
- Valutare la Progression-Free Survival (PFS);
- Valutare la Molecular Disease-Free Survival (MDFS);
- Valutare la Molecular Progression-free survival (MPFS);
- Valutare la sicurezza e la tossicità di VEN-AZA in condizioni sperimentali.

Dimensione del campione: i pazienti attesi per l'arruolamento sono 35.

Durata totale dello studio: 2 anni per l'arruolamento, con 12 mesi di follow up.

Arruolamento: l'arruolamento nello studio terminerà approssimativamente dopo 24 mesi dal primo paziente arruolato.

PROTOCOLLO ITP1021 - IMMUNE THROMBOCYTOPENIA (ITP) AND COVID-19: national retrospective and prospective observational investigation on the incidence and course of COVID-19 in patients with prior, ongoing or de novo ITP. Evaluation of the impact of COVID-19 pandemic on the management of ITP.

PRIMARY OBJECTIVES:

- Evaluate the cumulative incidence of patients with known/ongoing ITP becoming infected by SARS-CoV-2 (COVID-19 in ITP) from 1st January 2020 to 1st January 2022;

- Evaluate the cumulative incidence of COVID-19 patients developing de novo ITP (ITP in COVID-19) from 1st January 2020 to 1st January 2022.

SECONDARY OBJECTIVES:

- Describe the clinical outcome of ITP patients becoming infected by SARS-CoV-2;
- Describe the clinical outcome of COVID-19 patients developing ITP;
- Describe the impact (through a questionnaire-based survey) of COVID-19 pandemic on the current management of ITP, using data collected through a multi-domain survey on changes adopted (if any) because of the pandemic situation.

The enrolment period will last 24 months or terminate at the last day of 1-month-COVID-19 free in Italy, whichever comes first. Each patient will be followed up to the first visit scheduled as per common center practice, including at least six months after hospital discharge or end of quarantine home confinement.

Total study duration: 24 months of enrolment (or less, if the study terminates at the last day of 1-month-COVID-19 free) + 6 months as minimum follow up.

Nelle tabelle a seguire sono indicate le ulteriori principali attività del CdR Affari Regolatori, svolte nel 2022.

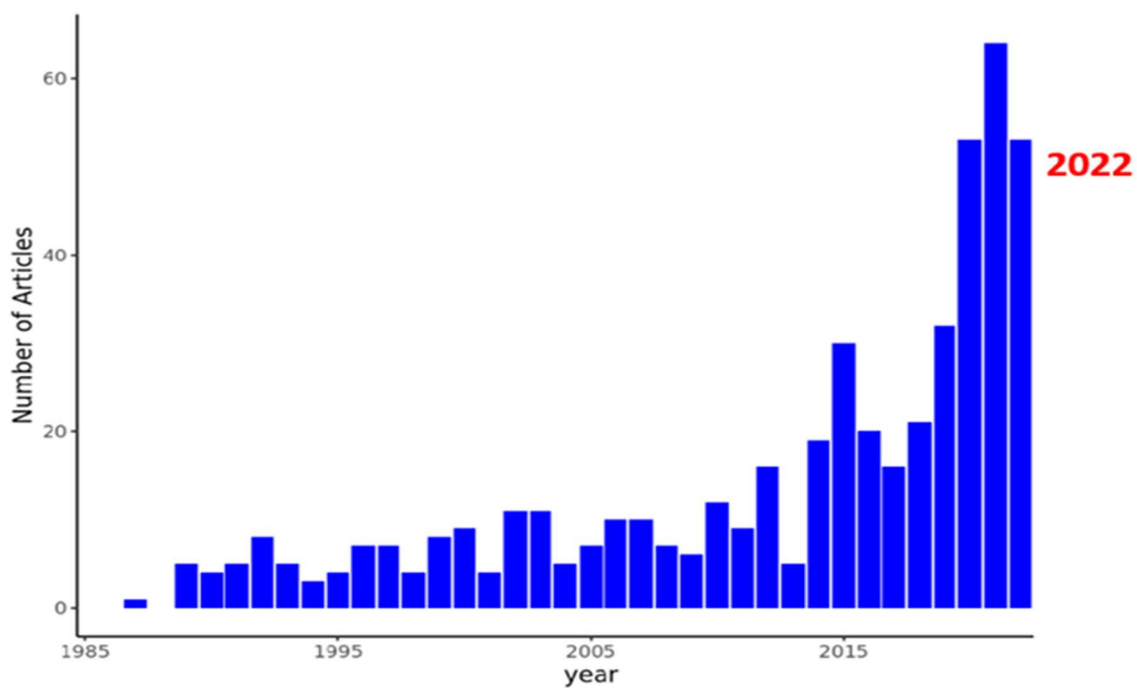
Nuove proposte: Protocolli in lavorazione		
Nome breve	tipo sperimentazione	Sponsor
NP22-396 CLL Epcoritamab Visentin	Sperimentale	GIMEMA
NP22-394 ALL Daratumomab Chiaretti	Sperimentale	GIMEMA
NP22-389 CLL Zoster Vaccine Coscia	sperimentale biologico	Torino Molinette
NP22-388 CLL Ibrutinib post LLC1114 Mauro	Osservazionale	GIMEMA
NP22-386 Linfoma non Hodgkin Glofitamab	Osservazionale	GIMEMA
NP22-385 CLL Tixagevimab/Cilgavimab Cuneo	Osservazionale	GIMEMA
NP22-383 MM Oral Microbiome Immun. Dysreg. Di Raimondo	Sperimentale	GIMEMA
NP22-382 ITP Biological Characterization Lucchini	sperimentale biologico	GIMEMA
NP22-381 AML MRD Venetoclax Lab Curti	sperimentale biologico	GIMEMA
NP22-380 Polycythemia vera Ruxolitinib Guglielmelli		GIMEMA
NP22-379 Myelofibrosis Fedratinib real world Passamonti	Osservazionale	GIMEMA
NP22-376 CML Asciminib Castagnetti	Sperimentale	GIMEMA
NP22-375 BPDCN Tagraxofusp Eu Registry	Osservazionale	Menarini StemLine
NP21-373 AML EVI1 Roti	sperimentale biologico	GIMEMA
NP21-371 LAL Ph- Blina Accademia Bassan	Sperimentale	GIMEMA
NP21-369 AIHA CLL Ibrutinib Coscia	Sperimentale	GIMEMA
NP21-365 ForAnemia Luspatercept	Sperimentale	ForAnemia

Contratti negoziati o in negoziazione			
Nome breve	tipo_sperimentazione	Sponsor	Azienda
NP22-385 CLL Tixagevimab/Cilgavimab Cuneo	Osservazionale	GIMEMA	Astrazeneca
NP22-382 ITP Biological Characterization Lucchini	sperimentale biologico	GIMEMA	Argenx
NP22-375 BPDCN Tagraxofusp Eu Registry	Osservazionale	Menarini StemLine	Cmed
ITP1122 Fostamatinib Zaja	Osservazionale	GIMEMA	Grifols
NP21-369 AIHA CLL Ibrutinib Coscia	Sperimentale	GIMEMA	Janssen
NP21-365 ForAnemia Luspatercept Forni	Sperimentale	ForAnemia	ForAnemia
CLL2222 VIS	Sperimentale	GIMEMA	Beigene e Roche
HEMANEXT	Sperimentale	HemaNext	HemaNext
ALL2922 LAL Ph-like	Sperimentale	GIMEMA	Incyte

5.6 ATTIVITÀ DI BIOSTATISTICA

Nel 2022, sono stati pubblicati numerosi lavori su riviste scientifiche internazionali (si veda elenco in fondo alla presente Relazione).

Articles by year



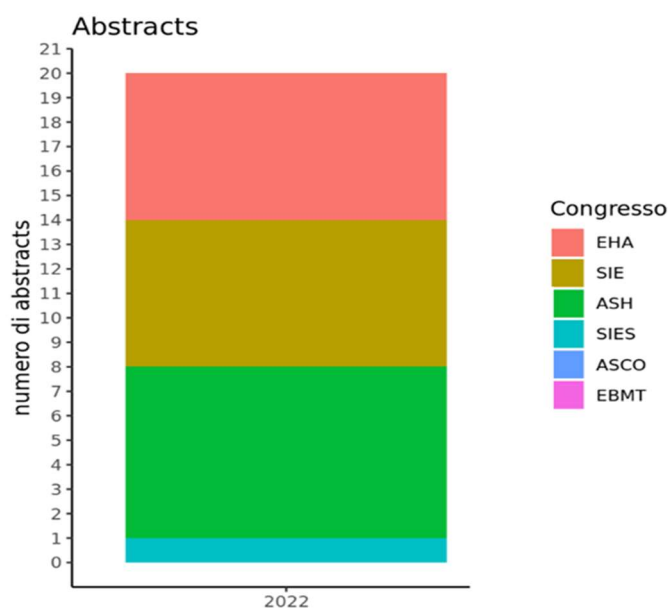
Top journals *negli anni*

Journal, n

<i>Haematologica</i>	49
<i>Br J Haematol</i>	44
<i>Blood</i>	39
<i>Leukemia</i>	36
<i>Leuk Lymphoma</i>	25
<i>Ann Hematol</i>	21
<i>J Clin Oncol</i>	15
<i>Bone Marrow Transplant</i>	13
<i>Eur J Haematol</i>	13
<i>Am J Hematol</i>	12
<i>Leuk Res</i>	11

Sempre nell'esercizio in esame, sono stati presentati 20 *abstract* a Congressi

Characteristic	N	abstract, 20
Patologia,		
ALL		4
AML		8
CLL		1
CML		3
MPN		1
MDS		0
ITP		0
MM		0
LL		0
Altro		3



Attività per disegno statistico di Nuove Proposte/Protocolli



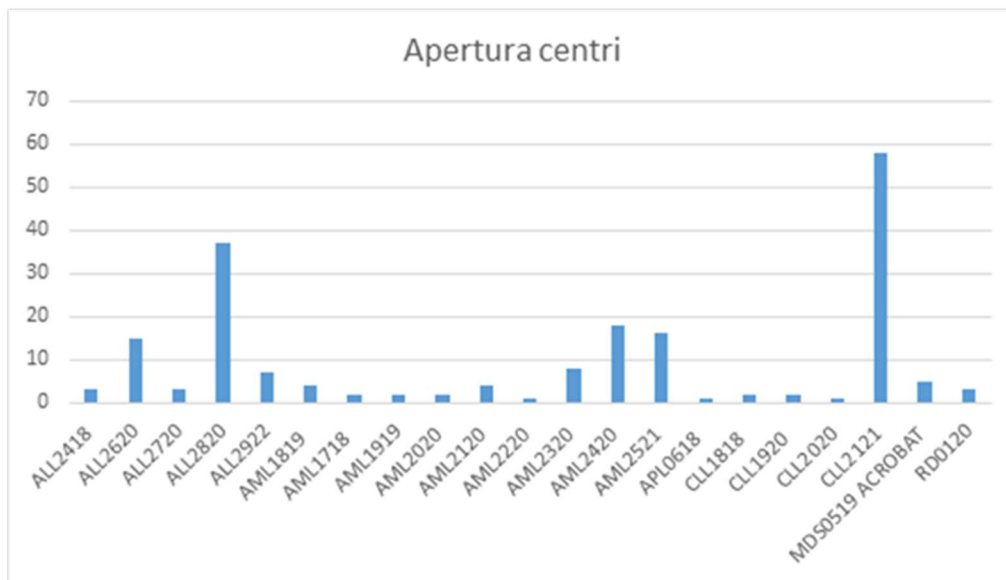
NP 2022

Nome breve	Nuova Proposta
QoL Survey Cure Palliative	NP22-393
QoL Analisi della tossicità finanziaria nei pazienti ematologici	NP22-392
HARMONY CML	NP22-391
NP22-390 QoL Validazione PROMIS Fatigue	NP22-390
NP22-389 CLL Zoster Vaccine Coscia	NP22-389
NP22-388 CLL Ibrutinib post LLC1114 Mauro	NP22-388
NP22-387 NTRK in NPM1 AML	NP22-387
NP22-386 Linfoma non Hodgkin Glofitamab	NP22-386
Health Talk su Ematologia	
NP22-385 CLL Tixagevimab/Cilgavimab Cuneo	NP22-385
Allineamento Lab Centralizzazione	
NP22-384 MRD in AML ELN2017 Int	NP22-384
NP22-383 MM Oral Microbiome Immun. Dysreg. Di Raimondo	NP22-383
NP22-382 ITP Biological Characterization Lucchini	NP22-382
NP22-381 AML MRD Venetoclax Lab Curti	NP22-381
NP22-380 Polycythemia vera Ruxolitinib Guglielmelli	NP22-380
NP22-379 Myelofibrosis Fedratinib real world Passamonti	NP22-379
NP22-378 BPDCN CNS Sperimentale Del Principe	NP22-378
NP22-377 BPDCN CNS Osservazionale Del Principe	NP22-377
NP22-376 CML Asciminib Castagnetti	NP22-376
NP22-375 BPDCN Tagraxofusp Eu Registry	NP22-375

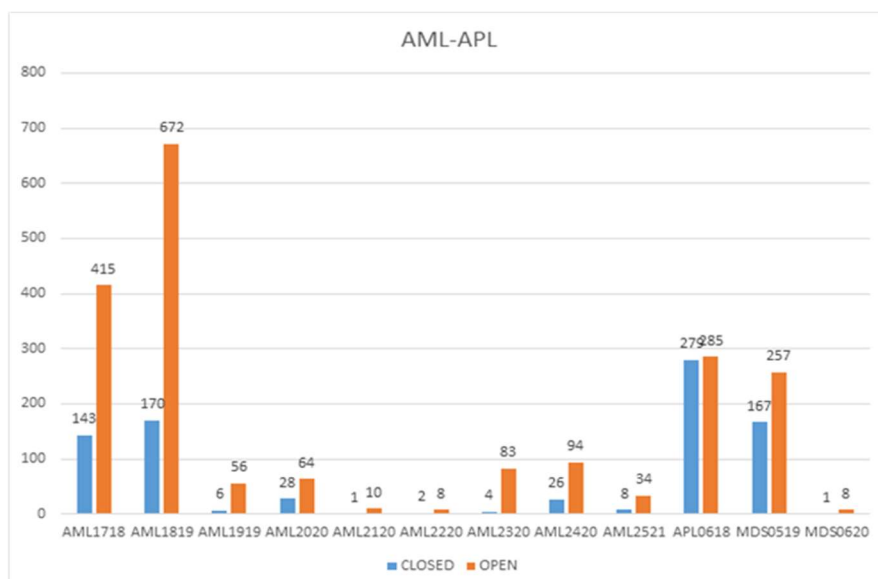
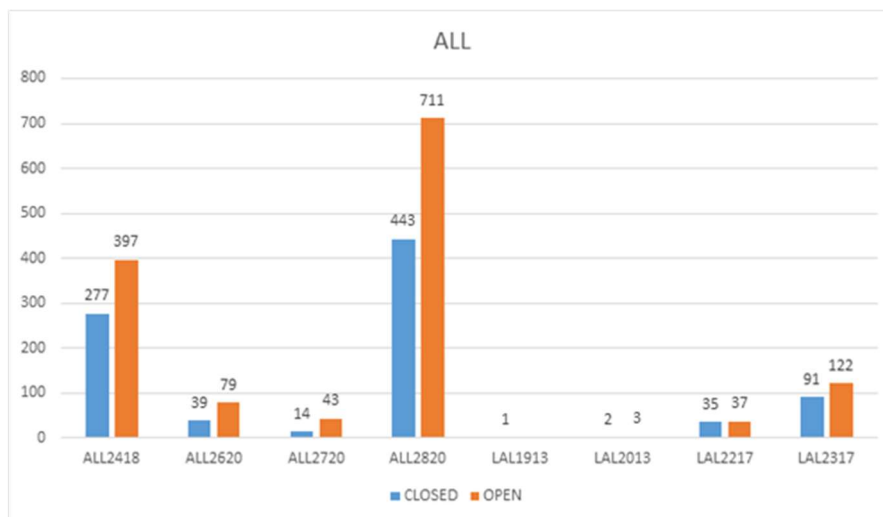
5.7 ATTIVITÀ DI DATA MANAGEMENT

Nel 2022 per gli studi avviati sono stati aperti 194 Centri.





Sono state gestite: i) 5.352 *open queries*; ii) 3.799 *closed queries*; iii) 79 *verified data*; iv) 20 *deverified*.
 Di seguito si riportano i *queries* per patologia e per studio.





Sono state svolte le seguenti attività su REDCap.

Apertura e gestione Database	Progettazione DB	Finalizzazione progettazione DB	Validazione DB	Apertura DB	Esportazione dati a Teva
AML2521		X	X	X	
APL0618					X
ALL2620				X	
CML0912	X	X	X	X	
ALL2922	X	X	X	X	
GIMEMA QoL CAR-T	X	X	X	X	
IMP Management	X	X			
ITP1122 Fostamatinib	X	X			
CLL2222	X	X			
ITP1222	X	X			
Hemanext	X	X			

Sono stati organizzati 10 *Investigator meetings*: APOLLO, APL0618 e MDS0519 febbraio 2022; MDS0519 e ALL2820 ottobre 2022; CLL2121, ALL2922, AML1919, ALL2418 e MDS0620 novembre 2022.

5.8 ATTIVITÀ DI FARMACOVIGILANZA

Nella Tabella a seguire sono elencati i numerosi Report di farmacovigilanza redatti nel 2022.

AML1516
Preparazione listato totale AE/SAE richiesto dall'azienda (2 semestre)
AML1718
Processamento SAE ricevuti
Preparazione e gestione delle query sugli AE e sui SAE
Preparazione e gestione del DSUR (2 semestre)
Preparazione delle tabelle AE/SAE confluite nel lavoro per ASH (2 semestre)
AML1819
Processamento SAE ricevuti (Initial e FUP)
Preparazione e gestione delle query sugli AE e sui SAE
Preparazione e gestione del DSUR (1 semestre)
Preparazione dei case reports per analisi sui casi con VOD (1 semestre)
AML1919
Processamento SAE ricevuti (Initial e FUP)
Preparazione e gestione del DSUR (1 semestre)
AML2020
Processamento dei SAE ricevuti (Initial e FUP)
Preparazione e gestione del DSUR (1 semestre)
Preparazione listati AE/SAE richiesti dal PI (1 semestre)
AML2320
Processamento dei SAE ricevuti (Initial e FUP)
AML2420
Processamento dei SAE ricevuti (Initial e FUP)
Preparazione della CRF AE in REDCap (1 semestre)
Preparazione e gestione del DSUR (2 semestre)

AML2521
Preparazione della CRF AE in REDCap (1 semestre)
Preparazione e gestione del DSUR (2 semestre)
APL0618
Preparazione delle query su REDCap (1 semestre)
Riconciliazione dei dati di safety nel Database (1 semestre)
Training ai monitor sulla revisione dei dati di safety al centro (1 semestre)
Controllo dei report di monitoraggio (1 semestre)
CML OITI
Preparazione di 52 report settimanali sugli AE inseriti in CRF
Preparazione di 12 report per la riconciliazione mensile AE/SAE
Codifica AE
Controllo dei dati di safety per preparazione delle visite di monitoraggio per chiusura studio (2 semestre)
Controllo degli AE inseriti in CRF
Preparazione e gestione delle query sugli AE e sui SAE
CML1315
Preparazione e gestione del DSUR (2 semestre)
CML1415
Processamento SAE ricevuti (Initial e FUP)
Preparazione e gestione delle query sugli AE e sui SAE
Preparazione e gestione del DSUR (2 semestre)
Preparazione di 2 listati semestrale dei SAE per HOVON (1 e 2 semestre)
CML1516
Processamento SAE ricevuti (Initial e FUP)
Preparazione e gestione del DSUR (2 semestre)
ITP0918
Preparazione di 12 report per la riconciliazione mensile degli AE per Novartis
Processamento dei SAE ricevuti
Preparazione e gestione delle query sugli AE e sui SAE
Riconciliazione annuale dei SAE per Novartis (2 semestre)
LAL1408
Preparazione e gestione del DSUR (1 semestre)
Riconciliazione AE/SAE per preparazione del report finale (2 semestre)
LAL1913
Preparazione dei dati di safety per il lavoro (1 semestre)
LAL2116
Preparazione e gestione del DSUR (2 semestre)
LAL2317
Processamento SAE ricevuti (Initial e FUP)
Preparazione e gestione delle query sugli AE e sui SAE
Preparazione e gestione del DSUR (1 semestre)
Preparazione dei line listing SAE per Amgen per riconciliazione (2 semestre)
ALL2418
Processamento SAE ricevuti (Initial e FUP)
Preparazione e gestione del DSUR (2 semestre)
ALL2518
Preparazione e gestione del DSUR (2 semestre)

ALL2620
Processamento SAE ricevuti (Initial)
Preparazione DSUR (1 semestre)
ALL2720
Processamento dei SAE ricevuti
Preparazione e gestione delle query sugli AE
ALL2820
Processamento dei SAE ricevuti
Preparazione e gestione delle query sugli AE
Preparazione DSUR (1 semestre)
ALL2922
Revisione della CRF AE e CRF COVID-19 e controllo delle CRF implementate (1 semestre)
Preparazione IM
LLC1114
Processamento SAE ricevuti
Processamento di query form su SAE ed AE
Preparazione report per la riconciliazione trimestrale SAE
Preparazione e gestione del DSUR (2 semestre)
Preparazione listato annuale AE (2 semestre)
LLC1215
Processamento SAE ricevuti
Preparazione di 4 report per la riconciliazione trimestrale SAE per Janssen
Preparazione report per riconciliazione annuale AE per Janssen
Preparazione report per la riconciliazione per Novartis
Preparazione e gestione del DSUR (2 semestre)
LLC1518
Processamento dei SAE ricevuti
Processamento delle query ricevute dall'azienda
Apertura query sui dati AE inseriti in REDCap
Preparazione e gestione del DSUR (2 semestre)
Riconciliazione AE/SAE (1 semestre)
Preparazione report AE per analisi (1 semestre)
LLC1818
Preparazione dei dati di sicurezza per la FIL per la preparazione del DSUR
Revisione del DSUR (2 semestre)
LLC1920
Processamento dei SAE ricevuti
Preparazione tabelle AE/SAE per SIE
LLC2121
Formazione dei data manager
MDS0519
Processamento dei SAE ricevuti
Codifica AE inseriti in CRF
Preparazione report AE per IM (1 semestre)
Preparazione e gestione del DSUR (1 semestre)
QOL-MM1016
Processamento SAE ricevuti
Riconciliazione annuale AE (1 semestre)
QOL-PROPHECY
Codifica degli AE inseriti
Preparazione query sugli AE
APOLLO
Gestione del DSUR per i centri italiani (1 semestre)



L'Unità si è dedicata anche alla redazione/controllo della parte della Farmacovigilanza dei nuovi protocolli.

<i>QOL CAR-T</i>
Revisione contratto con l'azienda per la parte di safety (1 semestre)
Preparazione, revisione e validazione delle CRF AE
Preparazione di 5 listati mensili AE
<i>NP 20-350/CLL2222</i>
Revisione del protocollo per la parte di farmacovigilanza
Revisione del contratto con l'azienda per gli aspetti di sicurezza
Revisione dei form SAE, Pregnancy e query form
<i>NP 21-365/Foranemia</i>
Revisione del contratto per la parte di farmacovigilanza (1 semestre)
<i>NP 17-285 Ph-like/ALL2922</i>
Revisione del protocollo per la parte di farmacovigilanza in accordo al rilascio della nuova IB (1 semestre)
Risposta alle obiezioni dei CE per le questioni riguardanti la parte di safety (1 semestre)
<i>NP 19-317 Hemanext</i>
Studio normativa segnalazione AE con il sangue e studio normativa segnalazione AE relati ad un dispositivo medico
Preparazione del Safety plan
Preparazione dei form: AE, SAE, Medical device deficiency form
<i>NP 21-372 Fostamatinib</i>
Revisione del protocollo per la parte di farmacovigilanza (1 semestre)
Revisione dello SDEA (1 semestre)
Preparazione della CRF AE (2 semestre)
<i>NP 22-380 Ruxolitinib</i>
Revisione del protocollo e preparazione del capitolo della farmacovigilanza (2 semestre)

5.9 ALTRE ATTIVITÀ DI PROGETTO

5.9.1 ATTIVITÀ di DRUG SUPPLY e ACCOUNTABILITY

Le attività di controllo della spedizione farmaco e *accountability* sono molto onerose. Sebbene la maggior parte degli studi abbia all'interno del DB un form di richiesta, che parte in automatico, il controllo e la verifica sono indispensabili, in ragione di: i) eventuali problemi con la Farmacia che riceve il farmaco; ii) mancato rispetto della temperature, a cui alcuni farmaci vanno mantenuti, anche durante la consegna; iii) verifica ed eventuale fornitura delle pompe di infusione e dei deflussori, per la somministrazione di farmaci, quali, ad esempio, il Blinatumomab.

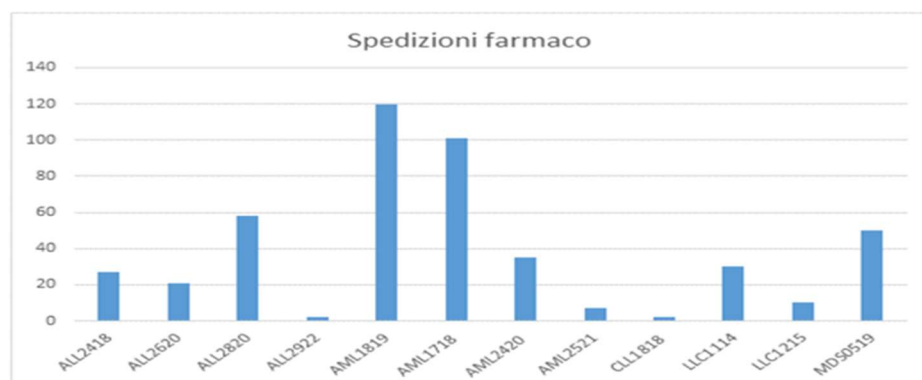
Nel 2022 risultano 12 farmaci gestiti, in 18 studi GIMEMA.

18 studi comportano distribuzione farmaco a carico di GIMEMA

Studio	Natura	Sponsor	Stato	Farmaci distribuiti da deposito "GIMEMA"	Farmaci distribuiti direttamente da Pharma
ALL2418	Sperimentale	GIMEMA	Aperto	X	
ALL2620	Sperimentale	GIMEMA	Aperto		X
ALL2820	Sperimentale	GIMEMA	Aperto		X
ALL2922	Sperimentale	GIMEMA	Aperto		X
AML1718	Sperimentale	GIMEMA	Chiuso all'arruolamento	X	
AML1819	Sperimentale	GIMEMA	Aperto	X	
AML2020	Sperimentale	GIMEMA	Aperto		X
AML2420	Sperimentale	GIMEMA	Aperto	X	
AML2521	Sperimentale	GIMEMA	Aperto	X	
CLL1818	Sperimentale	GIMEMA	Chiuso all'arruolamento	X	
MDS0519	Sperimentale	GIMEMA	Aperto	X	
CML1315	Sperimentale	GIMEMA	Chiuso all'arruolamento		X
CML1516	Sperimentale	GIMEMA	Chiuso all'arruolamento	X	
LAL1509	Sperimentale	GIMEMA	Chiuso all'arruolamento	X	
LAL2317	Sperimentale	GIMEMA	Chiuso all'arruolamento		X
LLC1114	Sperimentale	GIMEMA	Chiuso all'arruolamento	X	
LLC1215	Sperimentale	GIMEMA	Chiuso all'arruolamento	X	
LLC1518	Sperimentale	GIMEMA	Chiuso all'arruolamento	X	
				12	6

Farmaco	Conservazione
azacitidina	ambiente
blinatumomab	2-8° C
bosutinib	ambiente
dasatinib	ambiente
gemtuzumab	2-8° C
glasdegib	ambiente
ibrutinib	ambiente
inotuzumab	2-8° C
ponatinib	ambiente
tagraxofusp	-20° C
tenofovir	ambiente
venetoclax	ambiente

Sono state gestite **463** spedizioni di farmaco



5.9.2 ALLINEAMENTO LABORATORI di CENTRALIZZAZIONE

Nel Progetto Allineamento Laboratori di Centralizzazione sono coinvolti 8 Laboratori, e precisamente: Roma Sapienza; Roma PTV; Perugia; Genova; Bologna; Meldola; Palermo; Bergamo.

Nel 2022 si sono svolti gli *audit* pianificati presso dette strutture, secondo il criterio del “maggior numero di protocolli” in carico e, di conseguenza, secondo la mole di campioni centralizzati.

È in fase di finalizzazione il CAPA Plan (*Corrective Actions, Preventive Actions*) derivante dalle risultanze dei degli *audit* medesimi, che sarà condiviso in un evento dedicato al quale parteciperanno tutti i Laboratori di centralizzazione.

Il CAPA è un sistema di azioni di qualità necessarie per eliminare le cause di una deviazione, non conformità, difetto e altre situazioni indesiderabili, al fine di evitarne il ripetersi:

- l'azione correttiva agisce su non conformità, deviazioni o difetti esistenti;
- l'azione preventive viene intrapresa per eliminare le cause di una potenziale deviazione, non conformità o difetto, al fine di prevenirne il verificarsi.

Attraverso un processo CAPA l'Organizzazione non solo elabora un Piano di azioni, bensì determina, implementa e controlla anche l'efficacia di una soluzione individuata. In sostanza, attraverso questo processo, il sistema Qualità aziendale è in grado di “autocorreggersi” e perfezionarsi.

Si è provveduto alla pianificazione dell'evento suddetto per il 22 marzo 2023 e sono in corso tutte le attività tese alla sua realizzazione.

5.9.3 UNITÀ IT

Nel corso del 2022 sono state realizzate una serie di attività per progetto di seguito esposte in forma sinttica:

- REDCap: aggiornamento e validazione della versione per tutte le infrastrutture (GIMEMA, TRAINING, LABNET AML, LABNET CML, LABNET MDS); installazione nuova piattaforma REDCap Amministrazione; IMP Management; introduzione della autenticazione a più fattori (Sicurezza);
- CAR-T QOL: realizzazione di un accesso senza registrazione da parte dei pazienti, per la compilazione delle *survey*; soluzione a problema randomizzazione ML1819 pid 319 (la randomizzazione stratificata se collegata a CRF con eventi multipli generava un bug in REDCap);
- LABNET CML: iniziato lo sviluppo delle API piastre con BIOCLARMA (sistema di inserimento semi-automatico dei risultati della piastra di laboratorio in LABNET CML); sviluppo del QR code (le richieste da parte del laboratorio generano un QR code con il link alla richiesta);
- LABNET MDS: progetto vetrini; supporto *meeting* Patologi; e-learning (sono state organizzate 4 esercitazioni di diagnostica morfologica, con i vetrini corrispondenti, per circa 500 discenti);
- LABNET AML: sviluppo documentazione;
- GESTIONE DATI: migrazione delle cartelle Analisi e DBFreeze su server autonomo;
- SHAREPOINT: razionalizzazione dei server azure; migrazione dell'intero Sharepoint da on premises a cloud; razionalizzazione Timesheet; chiusura sistema protocollazione documentale ARXEIA e sviluppo di una soluzione in-house, con timbratura del documento; automatizzazione documento donazioni; aggiornamento richiesta congedi; aggiornamento report automatici sugli studi; introduzione dell'autenticazione a più fattori (SICUREZZA);
- SITO GIMEMA: adeguamento Cookie e Privacy Policy; riattivazione sito Promotion; aggiornamento del sito a Wordpress; manutenzione sito.

5.10 ATTIVITÀ UNITÀ QOL

Di seguito si riporta una sintesi della attività 2022 della Unità QOL, secondo la sua articolazione funzionale.

Project Management

- Presentazione e sviluppo nuovi progetti;
- Sviluppo nuovi studi CAR-T QoL;
- Sviluppo Studi con la QoL come endpoint secondario;
- Programmazione settimanale del lavoro di Unità.

Affari Regolatori e Data Management

- Gestione studi QoL con *end point* primario:
 - PROMYS (controllo dei dati inseriti su Redcap, report mensili, creazione controlli e comunicazione con i Centri, *newsletter*);
 - CLARITY (controllo dei dati inseriti su Redcap, report mensili, *newsletter*);
 - APL0816 (controllo dei dati inseriti su Redcap, report mensili, *newsletter*);
 - PROPHECY (apertura Centri, controllo dei dati inseriti su Redcap, report mensili, *newsletter*);
 - SPARTA (controllo dei dati inseriti su CHES, report mensili, *newsletter*, procedure chiusura studio e prime analisi);
 - EMPATHY (*training* procedure studio con i Centri partecipanti, apertura Centri, controllo dei dati inseriti su CHES, report mensili, *newsletter*, procedure chiusura studio e prime analisi);
 - ALLIANCE (*training* procedure studio con i Centri partecipanti, controllo dei dati inseriti su CHES, report mensili, *newsletter*);
 - CAR-T QoL (apertura Centri, controllo dei dati inseriti su Redcap, report mensili);
- Gestione studi QoL con *end point* secondario (CML1415, MDS 0519, AML1819, CLL1920, ALL2418, ALL2820): controllo periodico, *compliance* e *reminder* ai Centri per la compilazione schede.

Statistical QOL unit

- Pianificazione analisi statistiche per scrittura protocolli;
- Pianificazione e codifica variabili per scrittura CRF di nuovi progetti;
- Analisi statistiche per preparazione di *Newsletters*;
- Preparazione report statistici per studi in corso;
- Presentazione lavori scientifici a Convegni nazionali e internazionali;
- Scrittura lavori scientifici per pubblicazioni su riviste recensite su Pubmed;
- Pubblicati 20 lavori scientifici e presentati 4 *abstrac* a Congressi.

6 PROGETTO LABNET

Il Progetto LabNet è stato confermato da Novartis anche per l'anno 2022.

In breve, si tratta di una rete che coinvolge i medici di oltre 130 Ematologie italiane e 61 Laboratori specializzati, permettendo un'interpretazione diagnostica corretta e un monitoraggio della risposta al trattamento farmacologico, per pazienti con Leucemia Mieloide Cronica, Leucemia Mieloide Acuta, Neoplasie Mieloproliferative Philadelphia negative (MPN Ph-) e 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 può, così, avvalersi di un esame diagnostico effettuato in uno dei Laboratori in rete, che operano secondo elevati standard europei.

Il paziente esegue il prelievo di sangue presso il Centro Ematologico dove è in cura; lo stesso Centro spedisce il campione, con un corriere gratuito dedicato, al Laboratorio aderente al network LabNet; il campione è analizzato dal Laboratorio, tramite sofisticate indagini molecolari o istopatologiche, standardizzate e condivise dal network.

Nelle Tabelle successive sono riassunte tutte le attività LabNet svolte nel 2022.

Progetti specifici LabNet		Q1	Q2	Q3	Q4
LabNet MDS	Progetto Ferro				
	analisi dei dati e pubblicazione	X	X	X	
	Progettazione e sviluppo di una survey sui dati generali				X
	Costruzione di un archivio delle mutazioni familiari		X	X	X
	Progetto educativo (pilota) vetrini digitali:				
	Funzionalità IMAGE DATA VIEWER				X
	Funzionalità caricamento scansione			X	
	Gestione questionari				X
	Hosting			X	
	Progetto NGS (contributo per Laboratorio)			X	X
LabNet CML	Attività educativa		X	X	X
	Survey sulla base dei dati relativi a MMR e TFR		X	X	X
	Progetto NGS (contributo per Laboratorio)	X		X	X
LabNet AML	Pubblicazione dati aggregati LAP (rimodulata nel punto 2)	X		X	
	Reportistica aggiuntiva richiesta dal Board scientifico (rimodulata nel punto 1)		X		X
	Costruzione di un archivio delle mutazioni familiari		X	X	X
	Progetto NGS (contributo per Laboratorio)	X		X	X
JakNet	Survey sui dati generali			X	
	Progetto di comunicazione con videointerviste			X	X
	Progetto educativo per i patologi virtuale	X		X	
	Progetto NGS (contributo per Laboratorio)	X		X	X

Progetti comuni a tutti i LabNet		Q1	Q2	Q3	Q4
Nuovi Progetti IT	Implementazione e manutenzione architettura hardware con inserimento VPN	X	X	X	X
	Attivazione e configurazione di un sistema di monitoring attivo	X			
	Attivazione dell'autenticazione a due fattori		X		X
Attività generali	Aggiornamenti manuali connessi ai nuovi progetti IT	X	X	X	X
	Attività legali (Aggiornamento privacy, quesito Garante e Convenzioni con 130 Centri).	X	X	X	X
	Comunicazione e attività redazionale	X	X	X	X
Attività di coordinamento	Risorsa strutturate di medio alto profilo esclusivamente dedicata	X	X	X	X
	Supporto amministrativo	X	X	X	X
	Funzione direzionale e integrazione di competenze strutturate	X	X	X	X
	Gestione operativa dei progetti LabNet	X	X	X	X
	Consulenza legale	X	X	X	X
	Gestione e mantenimento del server LabNet	X	X	X	X
	Costi della sede e altri costi (es. rimborsi, trasporti straordinari, spedizioni, canoni, ammortamenti strumentazioni, ecc.	X	X	X	X

Una menzione particolare meritano tre progetti.

Il progetto “Vetrini digitali” (1) nasce con l’obiettivo di realizzare un sistema di visualizzazione delle immagini morfologiche e anatomopatologiche, in ambito ematologico, con specifiche funzionalità tecniche. Il sistema è denominato “GIMEMA Virtual Microscope” ed è stato integrato con una sezione di *e-learning*, a scopo educativo nell’analisi dei vetrini digitali stessi.

Sulla base delle indicazioni degli esperti dei Board “Morfologi” e “Patologi” LabNet MDS, GIMEMA ha implementato un progetto pilota con casi esemplificativi sulle patologie Neoplasie mieloproliferative e Sindromi Mielodisplastiche, nell’ottica di sviluppare in futuro un servizio di diagnostica digitale (2). Si riportano in tabella i dati aggregati relativi alla partecipazione degli utenti ai 4 esercizi di diagnostica morfologica implementati nel corso del 2022.

Utenti totali registrati	510			
	1° esercizio	2° esercizio	3° esercizio	4° esercizio (in corso)
Utenti che hanno effettuato il	91	114	92	41
Tentativi totali effettuati	214	147	128	48

Al termine della valutazione del 4° esercizio si farà una valutazione di *performance*.

Nell’ambito del progetto LabNet CML è emersa la necessità di sviluppare una integrazione/interfaccia della piattaforma, al fine di predisporre uno strumento elettronico, in grado di facilitare il caricamento e l’inserimento dei dati all’interno della piattaforma LabNet, con l’obiettivo di supportare i Laboratori della rete (3). La soluzione scelta prevede lo sviluppo di una sezione all’interno del portale LabNet CML, nella quale è possibile caricare i dati esportati direttamente dagli strumenti di analisi. Si descrivono di seguito i vantaggi della soluzione:

- non prevede l’installazione di nessun programma all’interno del Laboratorio;
- non prevede l’inserimento di nessun dato, bensì la sola precompilazione delle schede dei risultati;

- l'operatore aprirà la scheda del risultato con i dati già inseriti e dovrà solo verificarne la correttezza;
- l'uso sarà opzionale e personalizzato per ogni Laboratorio.

Report di performance LabNet AML: il Team di Biostatistica GIMEMA ha eseguito un'analisi approfondita dei risultati del controllo di qualità annuale e ha elaborato un metodo per analizzare la *performance* dei singoli Laboratori. Si è scelto di utilizzare il metodo non parametrico *Box-and Whiskers plot di Tukey*. I dati sono stati pertanto confrontati con due misure di riferimento: mediana e distanza interquartile. Per ogni *target* del pannello LabNet AML sono stati identificati i Laboratori fuori *range* e sono stati concordati a priori i criteri di conformità:

- **CONFORME:** Laboratorio che non ha valori *outlier*. Il Laboratorio è autorizzato a eseguire i test per tutti i *target* del pannello;
- **OPERATIVO NON CONFORME:** Laboratorio con un valore outlier. Il Laboratorio è autorizzato a eseguire i test per tutti i *target* del pannello, ma è invitato a consultare i Laboratori di coordinamento, per migliorare la *performance* dei *target* con valori outlier;
- **NON CONFORME:** Laboratorio con un *faroutlier* oppure 2 *outlier*. Il Laboratorio è autorizzato a eseguire i test per tutti i *target* del pannello, ma è invitato a consultare i Laboratori di coordinamento, per migliorare la *performance* dei *target* con valori outlier e *faroutlier*.

Tutti i Laboratori LabNet AML hanno ricevuto un report di *performance* personalizzato, con il risultato ottenuto in base ai criteri di conformità sopramenzionati, dettagliati tramite grafici rappresentativi e note esplicative (vedi esempio sotto riportato).

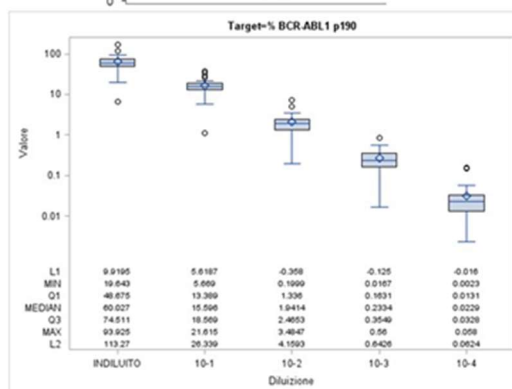
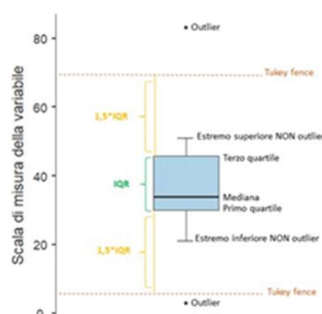


REPORT DI PERFORMANCE LABNET AML

Laboratorio	Brescia
Referente	Silvana Archetti, Dario Finazzi
Status laboratorio	Attivo
Target analizzati	BCR/ABL1 p190, BCR/ABL1 p210, CBF3/MyH11, PML/RAR
Anno	2022

RISULTATO

- ☒ CONFORME
☐ OPERATIVO NON CONFORME
☐ NON CONFORME



6.1 MRD ITALLAB

Il Progetto ITALLAB è nato per consentire ai Centri di Ematologia di usufruire dell'esame di laboratorio per la valutazione della *Minimal Residual Disease* (MRD) - oggi indispensabile per una corretta gestione clinica di un paziente affetto da LAL - anche quando questo non fosse disponibile localmente.

Il progetto è a disposizione di tutti quei pazienti che non sono arruolati in protocolli clinici GIMEMA, all'interno dei quali questo servizio è già offerto.

MRD ITALLAB è gestito attraverso una piattaforma web, che è stata attivata a partire dal 1° gennaio 2019.

I Centri si possono registrare e possono richiedere la valutazione della MRD, per i loro pazienti, nei punti decisionali previsti in schemi *MRD-oriented*.

Data la complessità tecnologica della valutazione della MRD, sono stati identificati, per il momento, tre Laboratori Hub (Roma Sapienza, Bergamo, Palermo) che fungono da riferimento per i Centri aderenti italiani e che costituiscono gli unici Laboratori italiani esperti di LAL dell'adulto, riconosciuti a livello internazionale dal Consorzio EuroMRD, la cui finalità è standardizzare e mantenere la qualità delle valutazioni MRD a un livello ottimale.

Al di là del servizio reso, il progetto ha anche altri obiettivi:

- implementare una rete di Laboratori italiani, che possano fornire un'appropriata valutazione della MRD, tramite metodiche molecolari, estendendo le competenze dei primi 3 Laboratori, a altri che desiderino partecipare alla rete;
- garantire a pazienti affetti da LAL dell'adulto l'accesso a un esame altamente specifico, eseguito presso Laboratori prescelti sulla base di caratteristiche oggettive di qualità, il cui mantenimento è garantito da controlli periodici;
- consentire agli ematologi italiani di partecipare ad attività di formative, sulla valutazione della MRD, al fine di condividere la *best practice* metodologica, ottimizzare l'efficacia del servizio e incrementare il grado di *expertise* dei Centri Spoke.

Si riportano alcuni dati 2022 significativi di Progetto, a maggior ragione se si considera che questo servizio è a disposizione per la pratica clinica e non per i pazienti inseriti nei trials clinici: 277 sono i pazienti registrati; 277 sono state le richieste di valutazione MRD.

Purtroppo, l'Azienda finanziatrice ha comunicato di non voler più proseguire con il contributo; si sta cercando, proprio per l'alto valore clinico, scientifico e soprattutto "sociale" del progetto di trovare altre fonti di finanziamento.

7 STUDI CLINICI E PROGETTI IN COLLABORAZIONE CON TERZI

7.1 PROGETTI IN COLLABORAZIONE CON ALTRI ENTI

Progetto Harmony. Il progetto ha come obiettivo la condivisione di dati clinici ematologici, tra Gruppi Cooperatori, Aziende Farmaceutiche e Istituti di Ricerca. La Fondazione GIMEMA è stata coinvolta nella Ricerca Euro bank ALL, promossa dall'Università di Newcastle.

Nel corso dell'anno 2022 sono stati condivisi i dati degli studi LAL1509 (60 record) e LAL2116 (63 record) per il progetto HARMONY IKAROS, "*Prognostic significance of IKZF1 (Ikaros) alterations in adult B-cell precursor acute lymphoblastic leukemia*" proposto da Jordi Ribera. Sono state inoltre proposte da GIMEMA 3 nuove linee di ricerca su dati QOL CML:

1. *Correlation of demographic, disease and therapy factors with toxicity and tolerability of the different TKIs;*
2. *A comparison study of toxicity over time and QoL among all available TKI options;*
3. *Prevalence of clinically relevant problems and symptoms in patients with CML.*

HARMONY ha accettato i tre progetti e i dati che saranno condivisi, dopo una revisione della qualità dei dati medesimi e la scadenza del tempo di embargo (essenzialmente dopo la pubblicazione del paper relativo). Si tratta degli studi: QOL-CML0713 Leonidas; QOL-CML0916; QOL-CML0310; QOL-CML0208; CML0811; CML1516 BEST; CML1415 Sustrenim.

Prossimo alla condivisione è il set di dati di QOL-CML0713 Leonidas e immediatamente dopo sarà condiviso il dataset di QOL-CML0916.

APOLLO *A randomized Phase III study to compare arsenic trioxide (ATO) combined to ATRA and idarubicin versus standard ATRA and anthracycline-based chemotherapy (AIDA regimen) for patient with newly diagnosed, high-risk acute promyelocytic leukemia.* Lo studio è chiuso all'arruolamento da luglio 2022, per scadenza farmaco e mancata disponibilità dell'Azienda a fornirne altro. Sono in corso le attività per la chiusura del DB da parte del partner tedesco. Risultano 35 i pazienti inseriti dai Centri italiani, di cui 6 nel 2022.

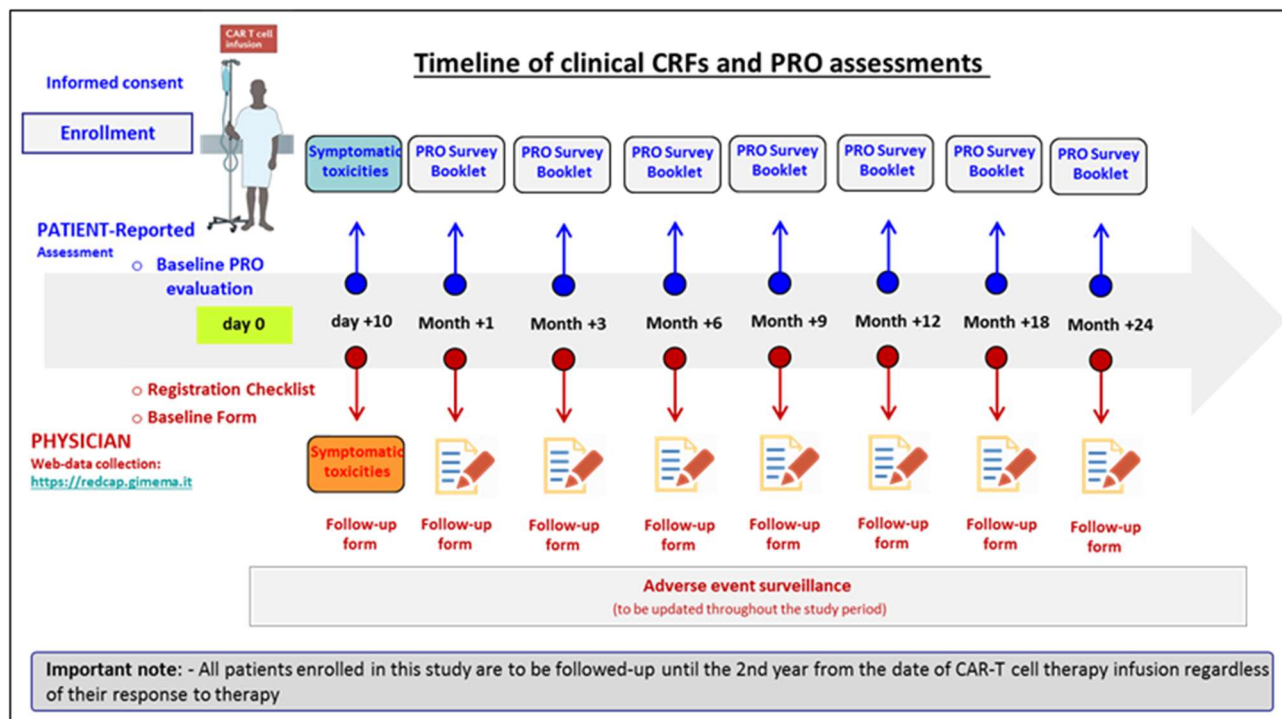
AML1301 *Intergroup Study (EORTC-1301-LG) 10-day decitabine versus conventional chemotherapy ("3+7") followed by allografting in AML patients ≥ 60 years: a randomized phase III study of the EORTC Leukemia Group, CELG, GIMEMA and German MDS Study Group.* È in corso la stesura due lavori scientifici: uno clinico e una di Qualità di Vita.

7.2 PROGETTI IN COLLABORAZIONE CON ALTRE FONDAZIONI

GIMEMA CLL1818. Si tratta di un protocollo sperimentale in cui è prevista la collaborazione con la Fondazione Italia Linfomi (FIL) alla quale sono delegate alcune attività dello studio, come ad esempio la farmacovigilanza. Lo studio è stato aperto nel corso del 2020. Purtroppo, per scasso arruolamento, lo studio è stato chiuso.

PROTOCOLLO QoL Car-T *Health-Related Quality of Life Outcomes in Patients with Aggressive B-Cell Lymphomas Treated with CAR-T Cell Therapy in Real Life: A Multicenter Prospective Observational Study*

Schedule of data collection



Primary objective

To investigate changes over time in patient-reported fatigue of adult patients with aggressive B cell lymphoma treated with CAR-T cell therapy.

Secondary objectives

- to investigate changes in HRQoL (functional and symptoms) outcomes over time;
- to assess the time to improvement in HRQoL and fatigue;
- to describe HRQoL and fatigue trajectories over time;
- to assess short-term patient-reported symptomatic toxicities and comparing them with those reported by their treating physicians;
- to investigate the impact of CAR-T cell therapy on cognitive impairment;
- to compare the long-term HRQoL and fatigue profile of patients with that of their peers from the general population;
- -to investigate factors predicting patient outcomes.

Sample Size

The overall sample is 150 patients.

Study duration: (enrolment + observation period)

The recruitment period is estimated in two years and the follow-up period is planned over two years from date of CAR-T cell therapy infusion.

GIMEMA EMATO0321 *Uso di Anticorpi Monoclonali Neutralizzanti per il trattamento del COVID-19 nei pazienti con Neoplasie Ematologiche.* Si tratta di uno Studio - per il quale il promotore è la Fondazione GIMEMA - che vede la collaborazione con la SIE. Lo studio si è chiuso a metà del 2022. Sono stati inseriti 91 pazienti. È in corso la stesura del lavoro scientifico.

GIMEMA ITP1021 IMMUNE THROMBOCYTOPENIA (ITP) AND COVID-19: *National retrospective and prospective observational investigation on the incidence and course of COVID-19 in patients with prior, ongoing or de novo ITP. Evaluation of the impact of COVID-19 pandemic on the management of ITP.* Si tratta di uno Studio - per il quale il promotore è la Fondazione GIMEMA - che vede la collaborazione con la Fondazione Progetto Ematologia del Prof. Rodeghiero.

GIMEMA ITP0918 ITALIAN ADULT IMMUNE THROMBOCYTOPENIA (ITP) REGISTRY: *investigation on a dynamic cohort of Italian patients with active ITP.* Si tratta di uno Studio - per il quale il promotore è la Fondazione GIMEMA - che vede la collaborazione con la Fondazione Progetto Ematologia del Prof. Rodeghiero. Mancano un centinaio di pazienti alla chiusura dell'arruolamento. Lo studio, terminata la fase di cui al contratto con Novartis per il contributo, proseguirà perché è strettamente collegato allo studio biologico coordinato dalla Prof. Lucchini (vincitore del Bando delle idee, edizione 2021).

7.3 PROGETTI PER CONTO DI TERZI

CML OITI. Si tratta di un Protocollo Osservazionale sull'uso del Ponatinib, nella Leucemia Mieloide Cronica, di cui è promotore l'Azienda Farmaceutica Incyte e per il quale il Centro Dati GIMEMA ha l'incarico di CRO, *data management* centrale, per verifica dei dati inseriti in DB, corrispondenza con Centri e MSL Sponsor, programmazione e coordinamento attività di monitoraggio - MOV eseguite materialmente da CRO esterna - e verifica *on site data entry*. Nel corso del 2022 si è proceduto all'organizzazione delle visite di monitoraggio, al data cleaning ed alla stesura di un *abstract* per l'EHA previsto a giugno 2023.

GIMEMA LAL1811. Nel 2017 fu avviato il progetto relativo alla procedura per l'acquisto dei dati del Protocollo GIMEMA LAL1811 (Ponatinib nelle LAL Ph+) da parte di Incyte. A tal fine, si sono susseguiti due emendamenti, il primo dei quali volto a convertire la natura della Sperimentazione da *no profit*, a *profit* (l'AIFA ha dato la sua approvazione in data 06/04/2018) e sono state ottenute tutte le approvazioni, da parte dei Comitati Etici. Sono state condotte tutte le negoziazioni dei contratti con le Aziende Ospedaliere, le visite di monitoraggio presso i Centri, e la messa a punto di tutte le procedure, per assicurare la qualità dei dati.

È stato pubblicato il lavoro, come ultimo passo, prima di espletare le procedure per l'autorizzazione EMA: INCB84344-201: *Ponatinib and steroids in frontline therapy for unfit patients with Ph+ acute lymphoblastic leukemia*. Martinelli G, Papayannidis C, Piciocchi A, Robustelli V, Soverini S, Terragna C, Marconi G, Lemoli RM, Guolo F, Fornaro A, Lunghi M, de Fabritiis P, Candoni A, Selleri C, Simonetti F, Bocchia M, Vitale A, Frison L, Tedeschi A, Cuneo A, Bonifacio M, Martelli MP, D'Ardia S, Trappolini S, Tosi P, Galieni P, Fabbiano F, Abbenante MC, Granier M, Zhu Z, Wang M, Sartor C, Paolini S, Cavo M, Foà R, Fazi P, Vignetti M, Baccarani M. Blood Adv.

Nel 2021 si è proceduto all'avanzamento della richiesta a AIFA, per l'inserimento di Ponatinib nella Legge 648. Questo dovrebbe essere il passo immediatamente precedente alla richiesta presso EMA. Nel 2022 l'Azienda ha presentato richiesta ad EMA. Si è in attesa della valutazione.

GIMEMA APL0618 (PASS Study). Si tratta di un protocollo osservazionale *profit*, sponsorizzato dalla Fondazione GIMEMA, condotto nei Centri italiani, e si inserisce nel contesto più ampio, a livello europeo, di uno studio PASS (*Post Authorization Safety Study*), richiesto da EMA, a Teva Pharmaceuticals, l'Azienda titolare dell'Autorizzazione all'immissione in commercio del Trisenox (Triossido di Arsenico).



Lo studio è aperto all'arruolamento dei pazienti e, proprio perchè commissionato da EMA, richiede attenzioni particolari. Sono proseguite anche nel 2022 le attività regolatorie e di negoziazione dei contratti funzionali all'attivazione dei Centri; il trasferimento dati a TEVA; *WEB meeting* di aggiornamento per i Centri partecipanti, trasmissione ai Centri di 2 *Newsletter* per aggiornamento sull'andamento studio, attività centrale di *data management* per verifica dati inseriti (*queries* e corrispondenza con Centri).

Alla fine del 2022 risultano inseriti 84 pazienti eleggibili dei 100 previsti.

CLIN-0014 *A Single Center, Pilot Clinical Investigation of Safety and Efficacy of Hypoxic Red Blood Cells Manufactured with Hemanext ONE® System in Patients with β -Thalassemia Requiring Chronic Transfusion.*

Si tratta di un protocollo per il quale la Fondazione GIMEMA agisce da CRO. Il promotore è l'Azienda americana Hemanext Inc. Il Centro coinvolto è il Centro della Microcitemia, Anemie Congenite e Dismetabolismo del Ferro - Ospedale Galliera di Genova; il Principal Investigator è il prof. Gian Luca Forni.

È un protocollo che prevede l'utilizzo di un *device* (Hemanext ONE® – *A blood container set used to process and store CPD/PAGGSM Red Blood Cells, Leukocytes Reduced, and O₂/CO₂ Reduced*). Per tale motivo - non avendo GIMEMA esperienza con questo tipo di dispositivi - si è dovuto chiedere una consulenza esterna per l'implementazione dei documenti da sottoporre alle autorità regolatorie.

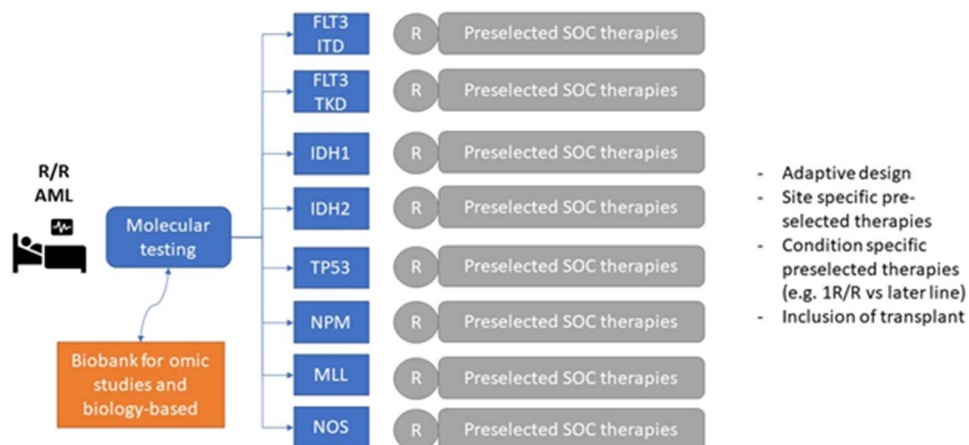
Lo studio è stato sottoposto a dicembre 2022. Si è in attesa del parere.

CDAIL-LUSPA_FA02-2020: *A phase II, multicenter, open label study to evaluate the efficacy and safety of Luspatercept (ACE-536) in adult patients with Congenital Dyserythropoietic Anemia type II (CDA II).* Si tratta di un protocollo per il quale la Fondazione GIMEMA agisce da CRO. Il promotore è la Fondazione per la Ricerca sulle Anemie ed Emoglobinopatie in Italia (FOR ANEMIA). Si è in attesa di ricevere tutta la documentazione da sottoporre a AIFA dal parte del promotore.

REGISTRY PROTOCOL SYNOPSIS - EMEA/H/C/005031 – *Post-Authorisation Registry of ELZONRIS (tagraxofusp) in Patients with Blastic Plasmacytoid Dendritic Cell Neoplasm (BPDCN).* Si tratta di un protocollo per il quale la Fondazione GIMEMA agisce da CRO. Il promotore è l'Azienda Stemline Therapeutics B.V. Per questo studio è stata richiesta, inizialmente, soltanto una consulenza statistica, poi GIMEMA ha ricevuto la proposta di occuparsi anche della gestione dello studio. È in corso la stesura di un *addendum* al contratto.

IMPACT CALL HORIZON-MISS-2023-CANCER-01-03 *Pragmatic clinical trials on minimally invasive diagnostics. “Master Framework and Pragmatic Clinical Trial for Relapse or Refractory Acute Myeloid Leukemia”.* Il promotore dello studio è l'IRST di Meldola. Il GIMEMA farà da CRO. Il progetto ha vinto 6.000.000 di euro (Bando Europeo); al GIMEMA andranno 300.000 euro per coordinare lo studio a livello italiano.

A pragmatic clinical trial to evaluate therapy approaches in patients with hard-to-treat relapse or refractory acute myeloid leukemia



8 AREA COMUNICAZIONE E FORMAZIONE

8.1 ATTIVITÀ DI COMUNICAZIONE

Sito WEB

Il sito web www.gimema.it ha avuto nel corso dell'anno in esame 666.543 visualizzazioni di pagina, con 205.345 utenti, di cui 203.536 nuovi utenti. La maggior parte del pubblico arriva dalla ricerca organica sui motori di ricerca (79%).

Redazione

Nel 2022 è proseguita la collaborazione con una giornalista scientifica *freelance*, che coordina e gestisce l'attività redazionale e i cinque collaboratori esterni.

Sono stati pubblicati nella sezione News del sito in totale 64 articoli, di cui 44 assegnati esternamente, su temi legati alla ricerca ematologica e ai risultati degli studi GIMEMA, in particolare:

- *news* e approfondimenti a tema ematologico;
- articoli per la rubrica “Storia dell’Ematologia”;
- *Data Journalism*.

Tutti gli articoli inseriti sono ottimizzati SEO.

L'Unità di Comunicazione si è occupata anche di creare materiali (logo, editoriali, pagina web) e divulgare informazioni su alcune attività e progetti tenuti dalla Fondazione GIMEMA nel corso dell'anno, quali:

- anniversario dei 40 anni del GIMEMA;
- GIMEMA Virtual Microscope;
- Research Award Michele Bacarani.



Social network

L'attività sui social network è principalmente di diffusione dei contenuti del sito e, in alcuni casi, di promozione di campagne mirate, al fine di diffondere informazioni di carattere scientifico (glossario ematologico) e sulla Fondazione. Di seguito si riportano alcuni dati della attività di specie 2022:

- Facebook: post pubblicati 165; follower + 217 (follower totali 5.262).
- Twitter: post pubblicati 197; follower + 58 (follower totali: 505)
- LinkedIn: post pubblicati 185; follower + 931 follower (follower totali 2.378)

Tra le attività social c'è stata l'ideazione della campagna dedicata ai Working Parties, in relazione al progetto 40 anni GIMEMA. La campagna è costituita in 31 schede ed è stata finalizzata a raccontare le attività di ricerca, il ruolo, i risultati e i numeri dei gruppi di lavoro GIMEMA.

8.2 FORMAZIONE

Nel 2022 sono stati creati e diffusi i materiali formative del corso *It's CTIS time! Corso sull'utilizzo del Clinical Trial Information System*.

Sono state inviate alla lista contatti dei ricercatori GIMEMA 37 *newsletter* settimanali (primo semestre 19; secondo semestre 18).

È proseguito il progetto video JakNet, *Viaggia il sangue non il paziente*, con la realizzazione e la pubblicazione di altri 4 video-interviste, per divulgare e far conoscere il progetto.

8.2.1 MASTER “GESTIONE della SPERIMENTAZIONE CLINICA in EMATOLOGIA e ONCOLOGIA”

Anche nel 2022 la Fondazione GIMEMA ha rinnovato la convenzione con l'Università degli Studi di Roma Tor Vergata per la collaborazione finalizzata all'erogazione del master in “Gestione della sperimentazione clinica in ematologia e oncologia”. Come per l'anno precedente, il master si è svolto in modalità di formazione a distanza. Questa formula si è dimostrata molto apprezzata, tanto è vero che gli iscritti per l'edizione 2021-22 sono stati 25.

9 ELENCO DELLE PUBBLICAZIONI E ABS 2022

9.1 UNITÀ DI QOL

[Early Palliative Care in Acute Myeloid Leukemia.](#)

Potenza L, Borelli E, Bigi S, Giusti D, Longo G, Odejide O, Porro CA, Zimmermann C, Efficace F, Bruera E, Luppi M, Bandieri E. *Cancers (Basel)*. 2022 Jan 18;14(3):478.

[Chimeric Antigen Receptor T-cell Therapy in Hematologic Malignancies and Patient-reported Outcomes: A Scoping Review.](#)

Efficace F, Cannella L, Sparano F, Giesinger JM, Vignetti M, Baron F, Bruera E, Luppi M, Platzbecker U. *Hemasphere*. 2022 Dec 1;6(12):e802. eCollection 2022 Dec.

[Quality of Life Improvements in Patients With Chronic Myeloid Leukemia After Stopping Long-Term Therapy: Who Can Benefit the Most?](#)

Efficace F, Baccarani M. *J Natl Cancer Inst*. 2022 Jan 11;114(1):9-11.

[Patient-Reported Outcomes in Randomized Controlled Trials of Patients with Multiple Myeloma: A Systematic Literature Review of Studies Published Between 2014 and 2021.](#)

Efficace F, Cottone F, Sparano F, Caocci G, Vignetti M, Chakraborty R. *Clin Lymphoma Myeloma Leuk*. 2022 Jul;22(7):442-459. Epub 2022 Jan.

[Edmonton symptom assessment system Global Distress Score and overall survival in acute leukaemia.](#)

Morselli M, Banchelli F, Borelli E, Cordella S, Forghieri F, Bettelli F, Bigi S, Longo G, D'Amico R, Porro CA, Efficace F, Bruera E, Luppi M, Bandieri E, Potenza L. *BMJ Support Palliat Care*. 2022 Jul 18: spcare-2022-003838. Online ahead of print.

[Long-term health-related quality of life in patients with \$\beta\$ -thalassemia after unrelated hematopoietic stem cell transplantation.](#)

Mulas O, Caocci G, Efficace F, Piras E, Targhetta C, Frau V, Barella S, Piroddi A, Orofino MG, Vacca A, La Nasa G. *Bone Marrow Transplant*. 2022 Dec;57(12):1833-1836. doi: 10.1038/s41409-022-01823-2. Epub 2022 Sep 16.

[Patient-reported outcomes predict overall survival in older patients with acute myeloid leukemia.](#)

Peipert JD, Efficace F, Pierson R, Loeffgren C, Cella D, He JJ. *J Geriatr Oncol*. 2022 Sep;13(7):935-939. doi: 10.1016/j.jgo.2021.09.007. Epub 2021 Sep 11.

[Acute promyelocytic leukaemia long-term survivors: higher fatigue and greater overall symptom burden.](#)

Sommer K, Vignetti M, Cottone F, Breccia M, Annibaldi O, Luppi M, Intermesoli T, Borlenghi E, Carluccio P, Rodeghiero F, Fabbiano F, Romani C, Sborgia M, Martino B, Crugnola M, Efficace F. *BMJ Support Palliat Care*. 2022 Jun;12(2):182-186. Epub 2020 Jul 17.

[Finding consistency in classifications of myeloid neoplasms: a perspective on behalf of the International Workshop for Myelodysplastic Syndromes.](#)

Zeidan AM, Bewersdorf JP, Buckstein R, Sekeres MA, Steensma DP, Platzbecker U, Loghavi S, Boultonwood J, Bejar R, Bennett JM, Borate U, Brunner AM, Carraway H, Churpek JE, Daver NG, Della Porta M, DeZern AE, Efficace F, Fenaux P, Figueroa ME, Greenberg P, Griffiths EA, Halene S, Hasserjian RP, Hourigan CS, Kim N, Kim TK, Komrokji RS, Kutchroo V, List AF, Little RF, Majeti R, Nazha A, Nimer SD, Odenike O, Padron E, Patnaik MM, Roboz GJ, Sallman DA, Sanz G, Stahl M, Starczynowski DT, Taylor J, Xie Z, Xu M, Savona MR, Wei AH, Abdel-Wahab O, Santini V. *Leukemia*. 2022 Dec;36(12):2939-2946. doi: 10.1038/s41375-022-01724-9. Epub 2022 Oct 20.

[Impact of Blinding on Patient-Reported Outcome Differences Between Treatment Arms in Cancer Randomized Controlled Trials.](#)

Efficace F, Cella D, Aaronson NK, Calvert M, Cottone F, Di Maio M, Perrone F, Sparano F, Gamper EM, Vignetti M, Giesinger JM. *J Natl Cancer Inst*. 2022 Mar 8;114(3):471-474.

[Gratitude among advanced cancer patients and their caregivers: The role of early palliative care.](#)

Borelli E, Bigi S, Potenza L, Gilioli F, Artioli F, Porzio G, Porro CA, Efficace F, Bruera E, Luppi M, Bandieri E. *Front Oncol*. 2022 Oct 24; 12:991250. eCollection 2022.

[Edmonton symptom assessment system global distress score and overall survival among patients with advanced cancer receiving early palliative care.](#)

Bandieri E, Banchelli F, Borelli E, D'Amico R, Efficace F, Bruera E, Luppi M, Potenza L. *BMJ Support Palliat Care*. 2022 May 26: bmj-spcare-2022-003572. Online ahead of print.

[An agenda to advance research in MDS: A TOP 10 Priority List from the first international workshop in MDS \(iwMDS\).](#)

Stahl M, Abdel-Wahab O, Wei AH, Savona MR, Xu ML, Xie Z, Taylor J, Starczynowski DT, Sanz GF, Sallman DA, Santini V, Roboz GJ, Patnaik MM, Padron E, Odenike O, Nazha A, Nimer SD, Majeti R, Little RF, Gore SD, List AF, Kuchroo V, Komrokji RS, Kim TK, Kim N, Hourigan CS, Hasserjian RP, Halene S, Griffiths EA, Greenberg PL, Figueroa ME, Fenaux P, Efficace F, DeZern AE, Della Porta MG, Daver NG, Churpek JE, Carraway HE, Brunner AM, Borate U, Bennett JM, Bejar R, Boultonwood J, Loghavi S, Bewersdorf JP, Platzbecker U, Steensma DP, Sekeres MA, Buckstein RJ, Zeidan AM. *Blood Adv*. 2022 Oct 19: bloodadvances.2022008747.



[Core set of patient-reported outcomes for myelodysplastic syndromes: an EUMDS Delphi study involving patients and hematologists.](#)

Stojkov I, Conrads-Frank A, Rochau U, Koinig KA, Arvandi M, Puntischer S, van Marrewijk C, Fenaux P, Symeonidis A, Chermat F, Garelus H, Bowen D, Mittelman M, Mora E, de Witte T, Efficace F, Siebert U, Stauder R. *Blood Adv.* 2022 Jan 11;6(1):1-12.

[Health-related quality of life profile of patients with immune thrombocytopenia in the real life is impaired by splenectomy.](#)

Caocci G, Efficace F, Mulas O, Cottone F, Maxia A, Costa A, Simula MP, Usala E, La Nasa G. *Ann Hematol.* 2022 Apr;101(4):749-754.

[Perceptions of Hope Among Bereaved Caregivers of Cancer Patients Who Received Early Palliative Care: A Content and Lexicographic Analysis.](#)

Bigi S, Ganfi V, Borelli E, Potenza L, Artioli F, Eliardo S, Mucciarini C, Cottafavi L, Cruciani M, Cacciari C, Odejide O, Porro CA, Zimmermann C, Efficace F, Bruera E, Luppi M, Bandieri E. *Oncologist.* 2022 Mar 4;27(2): e168-e175.

[EORTC QLQ-C30 general population normative data for Italy by sex, age and health condition: an analysis of 1,036 individuals.](#)

Pilz MJ, Gamper EM, Efficace F, Arraras JJ, Nolte S, Liegl G, Rose M, Giesinger JM; EORTC Quality of Life Group. *BMC Public Health.* 2022 May 24;22(1):1040.

[International validation of the EORTC QLQ-CLL17 questionnaire for assessment of health-related quality of life for patients with chronic lymphocytic leukaemia.](#)

Oerlemans S, Efficace F, Kieffer JM, Kyriakou C, Xochelli A, Levedahl K, Petranovic D, Borges FC, Bredart A, Shamieh O, Gziskevicius L, Lehmann J, Scholz CW, Caocci G, Molica S, Stamatopoulos K, Panteliadou AK, Papaioannou M, Alrjoob W, Baliakas P, Rosenquist R, Malak S, Miranda A, Cocks K, van de Poll-Franse L; EORTC Quality of Life Group. *Br J Haematol.* 2022 May;197(4):431-441.

[Patient-reported outcomes provide prognostic information for survival in patients with diffuse large B-cell lymphoma: Analysis of 1239 patients from the GOYA study.](#)

Huang H, Datye A, Fan M, Knapp A, Nielsen T, Bottos A, Paulson JN, Trask PC, Efficace F. *Cancer Med.* 2022 Sep;11(17):3312-3322.

[Physicians Perceptions of Clinical Utility of a Digital Health Tool for Electronic Patient-Reported Outcome Monitoring in Real-Life Hematology Practice. Evidence From the GIMEMA-ALLIANCE Platform.](#)

Efficace F, Patriarca A, Luppi M, Potenza L, Caocci G, Tafuri A, Fazio F, Cartoni C, Petrucci MT, Carmosino I, Moia R, Margiotta Casaluci G, Boggione P, Colaci E, Giusti D, Pioli V, Sparano F, Cottone F, De Fabritiis P, Ardu NR, Niscola P, Capodanno I, Leporace AP, Pelliccia S, Lugli E, La Sala E, Rigacci L, Santopietro M, Fozza C, Siragusa S, Breccia M, Fazi P, Vignetti M. *Front Oncol.* 2022 Mar 17; 12:826040.

ABSTRACTS 2022

64th American Society Of Hematology (ASH) Annual Meeting, New Orleans, Louisiana, 2022

F. Tadesse, A. Gebremedhin, A. Abubeker, A. Piciocchi, M. Cipriani, L. Gemechu, A. Mulu, G. Asres, F. Efficace. **Clinical Utility and Health-Related Quality of Life and Financial Burden of Ethiopian Patients with Chronic Myeloid Leukemia Receiving Tyrosine Kinase Inhibitors.** *Blood (2022) 140 (Supplement 1): 5264-5265.*

G. Caocci, F. Palandri, G. G. Loscocco, A. Piciocchi, A. Iurlo, A. Tieghi, A. Patriarca, E. Abruzzese, S. Tomassetti, M. Marchetti, D. Vanni, M. Luppi, F. Pane, M. Breccia, S. Siragusa, E. M. Elli, A. Ricco, C. Fozza, M. T. Corsetti, C. Fava, C. Mazzoni, P. Fazi, G. La Nasa, M. Vignetti, A. M. Vannucchi, F. Efficace. **Health-Related Quality of Life of Patients with Philadelphia-Negative Myeloproliferative Neoplasms Compared with the General Population: A Preliminary Report from the Gimema Prophecy Study.** *Blood (2022) 140 (Supplement 1): 8119-8121.*

F. Efficace, G. A. Huls, M. Kicinski, W. JFM Van Der Velden, R. Noppeney, S. Chantepie, L. Griskevicius, A. Neubauer, E. Audisio, M. Luppi, S. Fuhrmann, R. Foà, M. Crysandt, G. Gaidano, R. Vrhovac, A. Venditti, E. F.M. Posthuma, A. Candoni, F. Baron, O. Legrand, A. Mengarelli, M. Vignetti, A. Giraut, C. Coens, S. Suciu, P.W. Wijermans, M. Luebbert. **10-Day Decitabine Versus Intensive Chemotherapy Followed By Transplantation in Fit AML Patients Aged ≥60 Years: Health-Related Quality of Life Outcomes of the Randomized Phase III Trial AML21 of the EORTC Leukemia Group, Gimema, Celg, and Gmds-SG.** *Blood (2022) 140 (Supplement 1): 1281-1283*

2022 Congress of the European Hematology Association

F. Efficace, F. Cottone, B. Yanez, F. Castagnetti, G. Caocci, M. Bonifacio, A. Patriarca, I. Capodanno, M. C. Miggiano, M. Tiribelli, M. Breccia, L. Luciano, V. Giai, A. Iurlo, E. Abruzzese, C. Fava, G. Rosti, J. Cortes, V. Kota, M. Vignetti, D. Cella. **P1706: CLINICAL UTILITY OF ONLINE MONITORING OF PATIENT-REPORTED SYMPTOMS IN NEWLY DIAGNOSED PATIENTS WITH CHRONIC MYELOID LEUKEMIA IN REAL-LIFE PRACTICE.** *HemaSphere.* 2022; 6(Suppl): 1587-1588.



9.2 UNITÀ DI BIOSTATISTICA

Pmid	Title	Year	Journal	Authors
36260702	An agenda to advance research in MDS: A TOP 10 Priority List from the first international workshop in MDS (iwMDS).	2022	Blood Adv	Stahl, Abdel-Wahab, Wei, Savona, Xu, Xie, Taylor, Starczynowski, Sanz, Sallman, Santini, Roboz, Patnaik, Padron, Odenike, Nazha, Nimer, Majeti, Little, Gore, List, Kuchroo, Komrokji, Kim, Kim, Hourigan, Hasserjian, Halene, Griffiths, Greenberg, Figueroa, Fenaux, Efficace, DeZern, Della Porta, Daver, Churpek, Carraway, Brunner, Borate, Bennett, Bejar, Boultonwood, Loghavi, Bewersdorf, Platzbecker, Steensma, Sekeres, Buckstein, Zeidan
36071048	Myelodysplastic syndromes with del(5q): A real-life study of determinants of long-term outcomes and response to lenalidomide.	2022	Blood Cancer J	Gurnari, Piciocchi, Soddu, Bonanni, Scalzulli, Niscola, Di Veroli, Piccioni, Piedimonte, Maiorana, Salutati, Cicconi, Santopietro, Gumenyuk, Sarlo, Fenu, Tafuri, Latagliata, Fianchi, Criscuolo, Maciejewski, Maurillo, Buccisano, Breccia, Voso
35963940	Covid-19 in Philadelphia-negative myeloproliferative neoplasms: a GIMEMA survey on incidence, clinical management and vaccine.	2022	Leukemia	Breccia, Piciocchi, Messina, Soddu, De Stefano, Bellini, Iurlo, Martino, Siragusa, Albano, Mora, Fazi, Vignetti, Guglielmelli, Palandri
35913396	Childhood acute promyelocytic leukemia in a pediatric cancer referral center in Baghdad, Iraq. Improved results with ATRA extended consolidation.	2022	Leuk Lymphoma	Testi, Al-Jadiry, Ghali, Fadhil, Al-Darraj, Al-Saeed, Sabhan, Al-Badri, Abed, Ameen, Al-Tameemi, Al-Assaf, Moleti, Arena, Piciocchi, Foà, Al-Hadad
35906881	Neutralizing monoclonal antibodies in haematological patients paucisymptomatic for COVID-19: The GIMEMA EMATO-0321 study.	2022	Br J Haematol	Marasco, Piciocchi, Candoni, Pagano, Guidetti, Musto, Bruna, Bocchia, Visentin, Turrini, Tucci, Pileri, Fianchi, Salvini, Galimberti, Coviello, Selleri, Luppi, Crea, Fazi, Passamonti, Corradini
35853850	Long-term follow-up of cladribine treatment in hairy cell leukemia: 30-year experience in a multicentric Italian study.	2022	Blood Cancer J	Pagano, Criscuolo, Broccoli, Piciocchi, Varettoni, Galli, Anastasia, Cantonetti, Trentin, Kovalchuk, Orsucci, Frustaci, Spolzino, Volpetti, Annibaldi, Storti, Stelitano, Marchesi, Offidani, Casadei, Nizzoli, De Luca, Fianchi, Motta, Guarnera, Simonetti, Visentin, Vassallo, Deodato, Sarlo, Olivieri, Falini, Pulsoni, Tiacci, Zinzani
35846211	Daratumumab combined with dexamethasone and lenalidomide or bortezomib in relapsed/refractory multiple myeloma (RRMM) patients: Report from the multiple myeloma GIMEMA Lazio group.	2022	EJHaem	Fazio, Franceschini, Tomarchio, Rago, Garzia, Cupelli, Bongarzone, Andriani, Gumenyuk, Tafuri, Siniscalchi, Piciocchi, De Fabritiis, De Rosa, Caravita di Toritto, Annibaldi, Cantonetti, Petrucci
35789375	Relative dose intensity of obinutuzumab-chlorambucil in chronic lymphocytic leukemia: a multicenter Italian study.	2022	Blood Adv	Fresa, Autore, Piciocchi, Catania, Visentin, Tomasso, Moretti, Vitale, Chiarenza, Morelli, Sportoletti, Marasca, Sapienza, Cuccaro, Murru, Sanna, Patti, Angeletti, Coscia, Trentin, Pietrasanta, Innocenti, Laurenti
35710027	Digital Droplet PCR Is a Reliable Tool to Improve Minimal Residual Disease Stratification in Adult Philadelphia-Negative Acute Lymphoblastic Leukemia.	2022	J Mol Diagn	Della Starza, De Novi, Santoro, Salemi, Spinelli, Tosi, Soscia, Paoloni, Cappelli, Cavalli, Apicella, Bellomarino, Di Lello, Vitale, Vignetti, Fabbiano, Rambaldi, Bassan, Guarini, Chiaretti, Foà



35641207	Perceptions of Hope Among Bereaved Caregivers of Cancer Patients Who Received Early Palliative Care: A Content and Lexicographic Analysis.	2022	Oncologist	Bigi, Ganfi, Borelli, Potenza, Artioli, Eliardo, Mucciarini, Cottafavi, Cruciani, Cacciari, Odejide, Porro, Zimmermann, Efficace, Bruera, Luppi, Bandieri
35622321	Minimal Residual Disease Analysis by Monitoring Immunoglobulin and T-Cell Receptor Gene Rearrangements by Quantitative PCR and Droplet Digital PCR.	2022	Methods Mol Biol	Starza, Eckert, Drandi, Cazzaniga
35618412	Edmonton symptom assessment system global distress score and overall survival among patients with advanced cancer receiving early palliative care.	2022	BMJ Support Palliat Care	Bandieri, Banchelli, Borelli, D'Amico, Efficace, Bruera, Luppi, Potenza
35617025	Autologous stem cell transplantation in multiple myeloma patients over 70 years: A GIMEMA Lazio Working Group experience in a retrospective case-control study.	2022	Eur J Haematol	Rago, Annibali, Tomarchio, Coppetelli, Fazio, Cupelli, Fiorini, Piciocchi, Tafuri, Caravita di Toritto
35610611	EORTC QLQ-C30 general population normative data for Italy by sex, age and health condition: an analysis of 1,036 individuals.	2022	BMC Public Health	Pilz, Gamper, Efficace, Arraras, Nolte, Liegl, Rose, Giesinger
35444708	Health-Related Quality of Life Assessment in Patients with Myelodysplastic Syndromes: Evidence from Randomized Clinical Trials.	2022	Clin Pract Epidemiol Ment Health	Giesinger, La Nasa, Sparano, Angermeyer, Morelli, Mulas, Efficace, Caocci
35385922	Treatment-free remission in chronic myeloid leukemia patients treated front-line with nilotinib: 10-year followup of the GIMEMA CML 0307 study.	2022	Haematologica	Gugliotta, Castagnetti, Breccia, Levato, Interimesoli, D'Adda, Salvucci, Stagno, Rege-Cambrin, Tiribelli, Martino, Bocchia, Cedrone, Trabacchi, Cavazzini, Porretto, Sorà, Simula, Albano, Soverini, Foà, Pane, Cavo, Saglio, Baccarani, Rosti
35372079	Physicians' Perceptions of Clinical Utility of a Digital Health Tool for Electronic Patient-Reported Outcome Monitoring in Real-Life Hematology Practice. Evidence From the GIMEMA-ALLIANCE Platform.	2022	Front Oncol	Efficace, Patriarca, Luppi, Potenza, Caocci, Tafuri, Fazio, Cartoni, Petrucci, Carmosino, Moia, Margiotta Casaluci, Boggione, Colaci, Giusti, Pioli, Sparano, Cottone, De Fabritiis, Ardu, Niscola, Capodanno, Leporace, Pelliccia, Lugli, La Sala, Rigacci, Santopietro, Fozza, Siragusa, Breccia, Fazi, Vignetti
35322932	Patient-reported outcomes provide prognostic information for survival in patients with diffuse large B-cell lymphoma: Analysis of 1239 patients from the GOYA study.	2022	Cancer Med	Huang, Datye, Fan, Knapp, Nielsen, Bottos, Paulson, Trask, Efficace



35315128	Repeated infusions of escalating doses of expanded and activated autologous natural killer cells in minimal residual disease-positive Ph+ acute lymphoblastic leukemia patients. A GIMEMA phase 1 trial.	2022	Am J Hematol	Torelli, Chiaretti, Peragine, Barberi, Santodonato, D'Agostino, Abruzzese, Del Principe, Mancino, Matarazzo, Bafti, Mancini, Messina, Castiello, Guarini, Foà
35295076	Clinical relevance of an objective flow cytometry approach based on limit of detection and limit of quantification for measurable residual disease assessment in acute myeloid leukemia. A post-hoc analysis of the GIMEMA AML1310 trial.	2022	Haematologica	Buccisano, Palmieri, Piciocchi, Arena, Maurillo, Del Principe, Paterno, Irno-Consalvo, Ottone, Divona, Conti, Fraboni, Lavorgna, Arcese, Voso, Venditti
35255152	International validation of the EORTC QLQ-CLL17 questionnaire for assessment of health-related quality of life for patients with chronic lymphocytic leukaemia.	2022	Br J Haematol	Oerlemans, Efficace, Kieffer, Kyriakou, Xochelli, Levedahl, Petranovic, Borges, Bredart, Shamieh, Gziskevicius, Lehmann, Scholz, Caocci, Molica, Stamatopoulos, Panteliadou, Papaioannou, Alrjoob, Baliakas, Rosenquist, Malak, Miranda, Cocks, van de Poll-Franse
35199505	Risk of hepatitis B virus reactivation in chronic lymphocytic leukemia patients receiving ibrutinib with or without antiviral prophylaxis. A retrospective multicentric GIMEMA study.	2022	Haematologica	Innocenti, Reda, Visentin, Coscia, Motta, Murru, Moia, Gentile, Pennese, Quaglia, Albano, Cassin, Deodato, Ielo, Frustaci, Piciocchi, Rughini, Arena, Di Sevo, Tomasso, Autore, Del Poeta, Scarf<U+00F2>, Mauro, Tedeschi, Trentin, Pompili, Foà, Ghia, Cuneo, Laurenti
35183476	Patient-Reported Outcomes in Randomized Controlled Trials of Patients with Multiple Myeloma: A Systematic Literature Review of Studies Published Between 2014 and 2021.	2022	Clin Lymphoma Myeloma Leuk	Efficace, Cottone, Sparano, Caocci, Vignetti, Chakraborty
35158746	Early Palliative Care in Acute Myeloid Leukemia.	2022	Cancers (Basel)	Potenza, Borelli, Bigi, Giusti, Longo, Odejide, Porro, Zimmermann, Efficace, Bruera, Luppi, Bandieri
35133227	Blast morphology in the diagnostic work-up of Ph-like acute lymphoblastic leukemia.	2022	Leuk Lymphoma	Fazio, Cunsolo, Mancini, De Propriis, Piciocchi, Arena, Messina, Ansuinelli, Taherinasab, Apicella, Vitale, Chiaretti, Guarini, Del Giudice, Foà
35098366	Health-related quality of life profile of patients with immune thrombocytopenia in the real life is impaired by splenectomy.	2022	Ann Hematol	Caocci, Efficace, Mulas, Cottone, Maxia, Costa, Simula, Usala, La Nasa
35008372	Efficacy of Front-Line Ibrutinib and Rituximab Combination and the Impact of Treatment Discontinuation in Unfit Patients with Chronic Lymphocytic Leukemia: Results of the Gimema LLC1114 Study.	2022	Cancers (Basel)	Mauro, Paoloni, Molica, Reda, Trentin, Sportoletti, Marchetti, Pietrasanta, Marasca, Gaidano, Coscia, Stelitano, Mannina, Di Renzo, Ilariucci, Liberati, Orsucci, Re, Tani, Musuraca, Gottardi, Zinzani, Gozzetti, Molinari, Gentile, Chiarenza, Laurenti, Varettoni, Ibatici, Murru, Ruocco, Del Giudice, De Propriis, Della Starza, Raponi, Nanni, Fazi, Neri, Guarini, Rigolin, Piciocchi, Cuneo, Foà



34838268	Investigating Trends in the Quality of Reporting of Patient-Reported Outcomes in Oncology Over Time: Analysis of 631 Randomized Controlled Trials Published Between 2004 and 2019.	2022	Value Health	Efficace, Giesinger, Cella, Cottone, Sparano, Vignetti, Aaronson
34806525	CD34 + CD38-CLL1+ leukemic stem cells persistence measured by multiparametric flow cytometry is a biomarker of poor prognosis in adult patients with acute myeloid leukemia.	2022	Leuk Lymphoma	Palmieri, Buccisano, Arena, Irno Consalvo, Piciocchi, Maurillo, DelPrincipe, Di Veroli, Paterno, Conti, Fraboni, Voso, Arcese, Venditti
34731884	ELN2017 risk stratification improves outcome prediction when applied to the prospective GIMEMA AML1310 protocol.	2022	Blood Adv	Buccisano, Palmieri, Piciocchi, Arena, Candoni, Melillo, Calafiore, Cairoli, de Fabritiis, Storti, Salutari, Lanza, Martinelli, Luppi, Capria, Maurillo, Del Principe, Paterno, Irno Consalvo, Ottone, Lavorgna, Voso, Fazi, Vignetti, Arcese, Venditti
34661826	Making Treatment-Free Remission (TFR) Easier in Chronic Myeloid Leukemia: Fact-Checking and Practical Management Tools.	2022	Target Oncol	Castagnetti, Binotto, Capodanno, Billio, Calistri, Cavazzini, Crugnola, Gozzini, Gugliotta, Krampera, Lucchesi, Merli, Miggiano, Minotto, Poggiaspalla, Salvucci, Scappini, Tiribelli, Trabacchi, Rosti, Galimberti, Bonifacio
34649276	INCB84344-201: Ponatinib and steroids in frontline therapy for unfit patients with Ph+ acute lymphoblastic leukemia.	2022	Blood Adv	Martinelli, Papayannidis, Piciocchi, Robustelli, Soverini, Terragna, Marconi, Lemoli, Guolo, Fornaro, Lunghi, de Fabritiis, Candoni, Selleri, Simonetti, Bocchia, Vitale, Frison, Tedeschi, Cuneo, Bonifacio, Martelli, D'Ardia, Trappolini, Tosi, Galieni, Fabbiano, Abbenante, Granier, Zhu, Wang, Sartor, Paolini, Cavo, Foà, Fazi, Vignetti, Baccarani
34647439	Treatment with ibrutinib does not induce a <i>TP53</i> clonal evolution in chronic lymphocytic leukemia.	2022	Haematologica	Cafforio, Raponi, Cappelli, Ilari, Soscia, De Propriis, Mariglia, Rigolin, Bardi, Peragine, Piciocchi, Arena, Mauro, Cuneo, Guarini, Foa, Del Giudice
34644376	Blastic plasmocitoid dendritic cell neoplasm with leukemic spread: a GIMEMA survey.	2022	Blood Adv	Valentini, Piciocchi, Facchetti, Guolo, Pulsoni, Vignetti, Pagano
34587233	Complex karyotype in unfit patients with CLL treated with ibrutinib and rituximab: the GIMEMA LLC1114 phase 2 study.	2022	Blood	Rigolin, Del Giudice, Bardi, Melandri, Garc<U+00ED>a-Jacobo, Cura, Raponi, Ilari, Cafforio, Piciocchi, Arena, Reda, Albano, Molica, Sportoletti, Trentin, Marchetti, Nanni, Peragine, Mariglia, Vignetti, Guarini, Mauro, Foà, Cuneo
34521609	Patient-reported outcomes predict overall survival in older patients with acute myeloid leukemia.	2022	J Geriatr Oncol	Peipert, Efficace, Pierson, Loeffgren, Cella, He
34508610	Impact of Blinding on Patient-Reported Outcome Differences Between Treatment Arms in Cancer Randomized Controlled Trials.	2022	J Natl Cancer Inst	Efficace, Cella, Aaronson, Calvert, Cottone, Di Maio, Perrone, Sparano, Gamper, Vignetti, Giesinger
34492684	Core set of patient-reported outcomes for myelodysplastic syndromes: an EUMDS Delphi study involving patients and hematologists.	2022	Blood Adv	Stojkov, Conrads-Frank, Rochau, Koinig, Arvandi, Puntscher, van Marrewijk, Fenaux, Symeonidis, Chermat, Garelius, Bowen, Mittelman, Mora, de Witte, Efficace, Siebert, Stauder



34491364	Quality of Life Improvements in Patients with Chronic Myeloid Leukemia After Stopping Long-Term Therapy: Who Can Benefit the Most?	2022	J Natl Cancer Inst	Efficace, Baccarani
34355644	Treatment of childhood acute lymphoblastic leukemia in Iraq: a 17-year experience from a single center.	2022	Leuk Lymphoma	Al-Hadad, Al-Jadiry, Ghali, Al-Badri, Al-Saeed, Al-Darraj, Sabhan, Fadhil, Hussein, Abed, Ameen, Sahan, Jaafar, Abed, Mohamed, Moleti, Piciocchi, Foà, Testi
34297829	Host immune system modulation in Ph+ acute lymphoblastic leukemia patients treated with dasatinib and blinatumomab.	2022	Blood	Puzzolo, Radice, Peragine, de Propriis, Mariglia, Vignetti, Vitale, Bassan, Annunziata, Gaidano, Rambaldi, Chiaretti, Guarini, Foà

ABSTRACTS 2022

Studio	Titolo	Primo autore	Tipologia	Patologia	Congresso	Esito
AML1718 vs AML1310	The addition of Venetoclax to induction chemotherapy in no low-risk AML patients: a propensity score-matched analysis of the GIMEMA AML1718 and AML1310 trials	Piciocchi A.	Clinico-biologico	AML	ASH	Orale
AML1718	GIMEMA AML1718 Part 1: Planned Interim Analysis of a Safety Run-in and Phase 2 Open-Label Study of Venetoclax, Fludarabine, Idarubicin and Cytarabine (V-FLAI) in the Induction Therapy of non-Low-Risk Acute Myeloid Leukemia	Marconi G.	Clinico-biologico	AML	ASH	Orale
AML1310	The Added Value of Multi-State Modelling in Acute Myeloid Leukemia: The GIMEMA AML1310 Study Post-hoc Analysis	Piciocchi A.	Clinico-biologico	AML	ASH	Poster
ALL2418	GIMEMA ALL2418: Interim Analysis of a Phase IIA Study of Feasibility and Effectiveness of Inotuzumab Ozogamicin in Adult Patients with B-Cell Acute Lymphoblastic Leukemia with Positive Minimal Residual Disease before any Hematopoietic Stem Cell Transplantation	Marconi G.	Clinico-biologico	ALL	ASH	Poster
LAL1913	National pegaspargase-modified risk-oriented program for philadelphia-negative adult acute lymphoblastic leukemia/lymphoblastic lymphoma (ph+ all/ll): GIMEMA LAL 1913 results.	Bassan R.	Clinico-biologico	ALL	EHA	Orale



EMATO0321	Effect of anti-spike neutralizing monoclonal antibodies on covid-19 progression and time to viral clearance in patients with hematological malignancies and sars-cov-2 infection	Marasco V.	Clinico-biologico	Altro	EHA	Orale
CML1415	International, prospective study comparing nilotinib versus imatinib with early switch to nilotinib to obtain sustained treatment-free remission in patients with chronic myeloid leukemia	Pane F.	Clinico-biologico	CML	EHA	Orale
CML BEST	International, prospective study comparing nilotinib versus imatinib with early switch to nilotinib to obtain sustained treatment-free remission in patients with chronic myeloid leukemia	Castagnetti F.	Clinico-biologico	CML	EHA	Orale
AML1301	10-day decitabine vs. conventional chemotherapy ("3+7") followed by allografting (hsct) in AML patients <u+2265>60 years: a randomized phase iii study of the eortc leukemia group, GIMEMA, celg, and gmds-sg	Lubbert M.	Clinico-biologico	AML	EHA	Orale
LAL2116	Forty months update of the GIMEMA LAL 2116 (d-alba) protocol and ancillary LAL 2217 study for newly diagnosed adult PH+ ALL	Chiaretti S.	Clinico-biologico	ALL	EHA	Poster
EMATO0321	Effect of anti-spike neutralizing monoclonal antibodies on covid-19 progression and time to viral clearance in patients with hematological malignancies and sars-cov-2 infection	Marasco V.	Clinico-biologico	Altro	SIE	Orale
AML1310 MAIC	GIMEMA AML1310 study vs hovan-sakk-132 trial for young adults with newly diagnosed acute myeloid leukemia: an unanchored matching-adjusted indirect comparison of survival outcomes	Piciocchi A.	Clinico-biologico	AML	SIE	Orale
LAL2116 MAIC	Dasatinib plus blinatumomab vs hyper-cvad plus dasatinib for the frontline treatment of philadelphia chromosome-positive acute lymphoblastic leukemia patients. a matching-adjusted indirect comparison of clinical outcomes	Piciocchi A.	Clinico-biologico	ALL	SIE	Orale



AML1301	10-day decitabine vs. conventional chemotherapy ("3+7") followed by allografting (hsct) in AML patients <u+2265>60 years: a randomized phase iii study of the EORTC leukemia group, GIMEMA, celg, and gmds-sg	Venditti A.	Clinico-biologico	AML	SIE	Orale
AML1310	Risultati a 6 anni del protocollo GIMEMA AML 1310: una strategia basata sul rischio di malattia e sulla valutazione della MRD in soggetti adulti con leucemia acuta mieloide di nuova diagnosi	Buccisan o F.	Clinico-biologico	AML	SIE	Orale
GIMEMA Lecture	Lettura GIMEMA: la ricerca clinica indipendente come piattaforma indispensabile per fornire un'offerta assistenziale di qualità ai pazienti ematologici nel SSN	Piciocchi A.	Clinico-biologico	Altro	SIES	Orale
CLL1920	NA	Scarfo L.	Clinico-biologico	CLL	SIE	Orale

