

Coordinamento Scientifico: Prof Adriano Venditti (Segretario Generale SIE)  
 Segreteria Scientifica: Dott.ssa Claudia Carissimo (Ematologia Policlinico Tor Vergata, Roma)  
 Editore Intermedia - Direttore Responsabile Mauro Boldrini  
 Anno I – numero 18 – 20 dicembre 2007

Caro collega,  
 in questo numero speciale di SIENews ti proponiamo una serie di studi presentati al recente congresso annuale dell'American Society of Hematology (ASH), svoltosi ad Atlanta in Georgia dall'8 all'11 dicembre scorsi.

## SPECIALE ASH 2007

Le complicanze causate da **disturbi coagulativi** colpiscono milioni di americani. Motivi di ottimismo per il futuro derivano dalle novità emerse nell'approccio terapeutico alla trombosi ed alle coagulopatie. Risultati promettenti anche rispetto al **trattamento dell'anemia falciforme**, una volta fatale nel bambino ora considerata malattia cronica dell'adulto, e **della talassemia**, specialmente nella gestione del sovraccarico marziale. Significativo impatto anche sul **trattamento dei linfomi, mielomi e sindromi mielodisplastiche, grazie ai recenti progressi terapeutici**. Novità anche per la terapia di varie forme di leucemia grazie all'impiego di nuovi agenti e/o di combinazioni terapeutiche con **promettenti** risultati ai fini del prolungamento della sopravvivenza.

### DISTURBI DELLA COAGULAZIONE

AMG 531 sostiene produzione di piastrine in pazienti con porpora trombocitopenica immune cronica già sottoposti a splenectomia ... <leggi>

Studio Dacus: efficacia di una anticoagulazione a breve termine in pazienti con trombosi venosa profonda idiopatica ... <leggi>

### ANEMIA FALCIFORME NELL'ADULTO E TALASSEMIA

Idrossiurea nell'anemia falciforme in Florida e Nigeria ... <leggi>

Terapia del sovraccarico marziale nella talassemia ... <leggi>

### NEOPLASIE EMATOLOGICHE MALI-GNE E RICERCA INNOVATIVA

Azaticidina in pazienti con sindromi mielodisplastiche ad alto rischio ... <leggi>

Dasatinib come monoterapia di prima linea nel trattamento di induzione della leucemia linfatica acuta BCR/ABL+ dell'anziano ... <leggi>

Oblimersen associato a fludarabina/ciclofosfamide nel trattamento di LLC recidiva o refrattaria ... <leggi>

### CORSI E CONGRESSI

**Appuntamenti nazionali ed internazionali in area ematologica** ( vedi elenco )

Tutti i soci SIE sono invitati a collaborare al riempimento di questo spazio inviando tutte le informazioni relative a bandi o concorsi di cui vengano a conoscenza all'attenzione di Antonella Boraso ([newsletters@intermedianews.it](mailto:newsletters@intermedianews.it)). Vi ringraziamo fin d'ora per la collaborazione.

I numeri arretrati di SIENews si possono scaricare dai soci SIE dal sito: [www.siematologia.it](http://www.siematologia.it)

## SPECIALE ASH 2007

### DISTURBI DELLA COAGULAZIONE

#### ***AMG 531 sostiene produzione di piastrine in pazienti con porpora trombocitopenica immune cronica già sottoposti a splenectomia***

AMG 531, nuovo “peptibody” agonista del recettore della trombopoietina, è stato somministrato a pazienti affetti da porpora trombocitopenica immune (PTI) cronica e già splenectomizzati. I risultati di uno studio di fase III sono stati presentati dal dott. Terry Gernsheimer del Puget Sound Blood Center di Seattle (WA, USA). I pazienti arruolati allo studio hanno ricevuto AMG 531 (dose iniziale 1 µg/Kg per 24 settimane per via sottocutanea con successivi aggiustamenti di dosaggio sulla base della conta piastrinica). I pazienti trattati con AMG 531 hanno richiesto un numero minore di trasfusioni piastriniche ed hanno presentato una frequenza di complicanze emorragiche significativamente inferiori rispetto al gruppo placebo.

**TOP**

## **SPECIALE ASH 2007**

### **DISTURBI DELLA COAGULAZIONE**

#### ***Studio Dacus: efficacia di una anticoagulazione a breve termine in pazienti con trombosi venosa profonda idiopatica***

La terapia della trombosi venosa profonda (TVP) idiopatica prevede l'uso di warfarina o acenocumarolo ed alla luce del fatto che tale trattamento va prolungato per almeno 6 mesi i timori relativi a possibili complicanze emorragiche sono giustificati. Per tale motivo, una possibile strategia alternativa potrebbe consistere nella somministrazione di una terapia anticoagulante a breve termine. Nel periodo 1999-2006, sono stati studiati 518 pazienti, di questi 206 (39.7%) avevano interrotto la terapia anticoagulante dopo 3 mesi, gli altri 312 hanno invece continuato la terapia per ulteriori 3 mesi. Mediante il monitoraggio di specifici di marcatori di trombosi venosa profonda, lo studio, presentato dal dott. Sergio Siracusa dell'Istituto di Ematologia del Policlinico Universitario di Palermo, ha mostrato l'efficacia della terapia orale anticoagulante a breve termine (3 mesi) dopo un episodio di TVP idiopatica.

**TOP**

## **SPECIALE ASH 2007**

### **ANEMIA FALCIFORME NELL'ADULTO E TALASSEMIA**

#### ***Idrossiurea nell'anemia falciforme in Florida e Nigeria***

L'attitudine dei medici all'impiego di idrossiurea nel trattamento dell'anemia falciforme è tuttora poco sviluppata. Questo indica uno studio retrospettivo condotto in Florida su una popolazione di 2.301 pazienti di età superiore a 16 anni, eleggibili a terapia con idrossiurea, presentato dal dott. Richard Lottenberg, Division of Hematology/Oncology, University of Florida College of Medicine di Gainesville. I pazienti che non utilizzano idrossiurea sono più probabilmente maschi, di età superiore a 25 anni, con precedenti frequenti somministrazioni di oppioidi a lento rilascio e/o trasfusione di globuli rossi. Inoltre, per quei casi nei quali è stata impiegata idrossiurea, lo studio rileva un elevato tasso di "drop-out" non giustificato da complicanze, indice di una scarsa aderenza alle indicazioni terapeutiche. Emerge quindi la necessità di programmi di educazione che coinvolgano tanto medici curanti che pazienti.

Analoga esperienza riportata da colleghi nigeriani è quella che dimostra uno studio prospettico che ha incluso 206 pazienti adulti e pediatrici con anemia falciforme e la revisione retrospettiva di dati relativi a più di 1.000 pazienti nigeriani. Il dott. Zakari Aliyu, Center for Sickle Cell Disease dell'Howard University di Washington ha infatti individuato gli impedimenti principali alla prescrizione di idrossiurea da parte dei medici: profilo di sicurezza e tossicità (100%), "compliance" del paziente (100%), difficoltà di "follow-up" (100%), disponibilità del farmaco (100%), disponibilità economiche (100%), preoccupazione per la riacutizzazione di tubercolosi latente (50%), carcinogenesi (100%) e teratogenesi (100%). La scarsa aderenza da parte dei pazienti alla prescrizione medica derivava invece da: mancanza di conoscenza del farmaco (95%), costo (100%) e disponibilità del farmaco (100%), necessità di "follow-up" frequenti (90%), rischio di infezioni (98%) e necessità dell'uso di metodi contraccettivi (98%). La Nigeria presenta la più elevata incidenza mondiale di anemia falciforme, con 150.000 nati con questa malattia ogni anno, da qui l'esigenza di educare tanto operatori sanitari che pazienti per diffondere la cultura ad un appropriato impiego di idrossiurea.

**TOP**

## **SPECIALE ASH 2007**

### **ANEMIA FALCIFORME NELL'ADULTO E TALASSEMIA**

#### ***Terapia del sovraccarico marziale nella talassemia***

Uno studio multicentrico, randomizzato, i cui risultati sono stati presentati dal dott. Aurelio Maggio, Ospedale 'V. Cervello' di Palermo, ha valutato due diversi regimi di ferro-chelazione in 140 pazienti con talassemia maggiore. La sequenza deferiprone orale per 4 giorni, seguita da deferoxamina s.c. per 3 giorni, è risultata più efficace rispetto alla monoterapia con deferiprone orale, come confermato dall'impatto sui livelli sierici di ferritina.

I risultati di un ulteriore studio, che ha arruolato 185 pazienti con anemia falciforme, sono stati illustrati dal dott. Elliott Vichinsky del Children's Hospital and Research Center di Oakland in California. Le conclusioni dello studio indicano che, a parità di efficacia, deferasirox orale è meglio tollerato rispetto alla somministrazione sottocutanea di desferoxamina.

**TOP**

## **SPECIALE ASH 2007**

### **NEOPLASIE EMATOLOGICHE MALIGNI E RICERCA INNOVATIVA**

#### ***Azaticidina in pazienti con sindromi mielodisplastiche ad alto rischio***

Azaticidina prolunga significativamente la sopravvivenza globale (24.4 verso 15 mesi) di pazienti affetti da sindrome mielodisplastica ad alto rischio rispetto a coloro che ricevono terapia di supporto o chemioterapia convenzionale. Questi i risultati dello studio internazionale, multicentrico, randomizzato, prospettico di fase III, presentato dal dott. Pierre Fenoux, Hopital Avicenne dell'Università di Parigi. Lo studio ha arruolato 358 pazienti trattati con terapia convenzionale (n=179) (terapia di supporto, chemioterapia intensiva o chemioterapia basse dosi), o azaticidina (n=179). Si tratta di un importante "confirmatory trial" i cui risultati si allineano con quelli già pubblicati dal CALGB e che hanno portato all'approvazione da parte di FDA della azaticidina come trattamento di prima linea delle sindromi mielodisplastiche (tutti i sottotipi FAB).

**TOP**

## SPECIALE ASH 2007

### NEOPLASIE EMATOLOGICHE MALIGNI E RICERCA INNOVATIVA

#### *Dasatinib come monoterapia di prima linea nel trattamento di induzione della leucemia linfatica acuta BCR/ABL+ dell'anziano*

L'interim analisi dello studio prospettico multicentrico, GIMEMA LAL 1205, presentata dal prof. Robin Foà della Divisione di Ematologia, Dipartimento di Biotecnologie Cellulari ed Ematologia dell'Università 'La Sapienza' di Roma, indica che la monoterapia di induzione con dasatinib e prednisone nella leucemia linfoide acuta (LLA) BCR/ABL+ dell'anziano è in grado di indurre una rapida remissione ematologica in tutti i pazienti trattati, in assenza di tossicità grave o mortalità. A questo si associa un altrettanto marcato e rapido effetto sui livelli di malattia minima residua, come documentato dal monitoraggio fenotipico e molecolare. Il protocollo GIMEMA LAL 1205 prevede l'uso di dasatinib alla dose di 70 mg b.i.d. per 84 giorni, preceduto da prednisone (a dosi crescenti fino a 60 mg/m<sup>2</sup> al giorno p.o. per 7 giorni e continuato fino al giorno 31). Lo studio ha fino ad oggi arruolato 23 pazienti con LLA BCR/ABL+ (età media 57 anni, 17 donne). Tutti i pazienti arruolati hanno mostrato risposta ematologica completa entro il giorno +22, solo uno è ricaduto dopo aver completato il trattamento con dasatinib ed è deceduto per progressione della malattia, i rimanenti pazienti sono vivi con un "follow-up" mediano dalla diagnosi di 4.5 mesi (1.7-8.0).

TOP

## SPECIALE ASH 2007

### NEOPLASIE EMATOLOGICHE MALIGNHE E RICERCA INNOVATIVA

#### ***Oblimersen associato a fludarabina/ciclofosfamide nel trattamento di LLC in recidiva o refrattaria***

L'associazione di oblimersen a fludarabina/ciclofosfamide (CF) prolunga la sopravvivenza di pazienti con leucemia linfatica cronica (LLC) in recidiva o refrattaria. Questi i risultati dello studio controllato, di fase III, presentato dalla dott.ssa Susan O'Brien della University of Texas, M.D. Anderson Cancer Center di Houston (Texas), che ha incluso 251 pazienti trattati con 6 cicli di CF in associazione o meno a oblimersen. L'associazione ha mostrato una frequenza significativamente superiore di risposte complete (17%) rispetto ai pazienti trattati con solo CF. Ad un "follow-up" di 36 mesi non era ancora stata raggiunta la durata mediana di risposta completa nei pazienti trattati con oblimersen rispetto a coloro trattati con solo FC.

**TOP**



## **CORSI E CONGRESSI**

### **WORKSHOP SIES IN EMATOLOGIA TRASLAZIONALE**

Ferrara 17-18 gennaio 2008 - Aula Magna Università degli Studi di Ferrara

*Segreteria Organizzativa:*

Studio ER. Congressi

e-mail: [ercongressi@gruppotriumph.it](mailto:ercongressi@gruppotriumph.it)

### **UNA TAPPA NELLA MARCIA DI AVVICINAMENTO TRA EMATOLOGI E NEUROLOGI**

26 gennaio 2008 - Ravenna, Albergo Cappello

*Segreteria Organizzativa:*

Studio ER. Congressi

e-mail: [ercongressi@gruppotriumph.it](mailto:ercongressi@gruppotriumph.it)

### **10<sup>TH</sup> INTERNATIONAL SYMPOSIUM ON FEBRILE NEUTROPENIA**

February 8-9, 2008 - Brussels, Belgium

Chair: Jean A. Klastersky, MD, PhD

Local Chair: Johan Maertens, MD

Info: <http://www.imedex.com/calendars/oncology.asp>

### **4<sup>TH</sup> EUROPEAN CONGRESS ON HEMATOLOGIC MALIGNANCIES: FROM CLINICAL SCIENCE TO CLINICAL PRACTICE**

February 22 - 24, 2008 - Paris, France

*Organizer: Imedex*, 4325 Alexander Drive, Alpharetta, GA 30022-3740 USA

Tel.: +1 (770) 751 7332; Fax: +1 (770) 751 7334

E-mail: [meetings@imedex.com](mailto:meetings@imedex.com)

Web: [www.imedex.com](http://www.imedex.com)

### **EBMT 2008**

34<sup>th</sup> Annual Meeting of the European Group for Blood and Marrow Transplantation

March 30<sup>th</sup> - April 2<sup>nd</sup> 2008 Florence, Italy

Website: <http://www.akm.ch/ebmt2008>

### **13<sup>TH</sup> CONGRESS OF THE EUROPEAN HEMATOLOGY ASSOCIATION**

Copenhagen Denmark, June 12 - 15, 2008

*Organizer: Eurocongress International*, Jan van Goyenkade 11, 1075 HP Amsterdam, The Netherlands

Tel.: +31 (0)20 679 3411; Fax: +31 (0)20 673 7306

E-mail: [eha@eurocongress.com](mailto:eha@eurocongress.com)

**TOP**