

Opuscolo di patologia



# Leucemia mieloide acuta

Una piccola guida per conoscere la malattia  
e affrontarla con consapevolezza



ASSOCIAZIONE ITALIANA  
CONTRO LEUCEMIE  
LINFOMI E MIELOMA



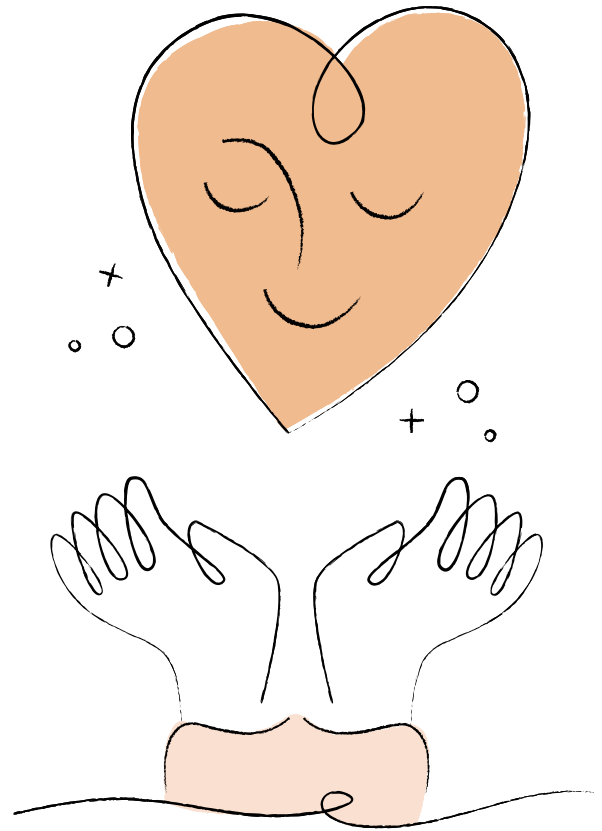
Autori:

Prof. Adriano Venditti – Università Tor Vergata, Azienda Universitaria Tor Vergata.

Dott. Giovangiacinto Paterno – Azienda Universitaria Tor Vergata.

"Affrontare la malattia" a cura delle Dottoresse Elvira Tulimieri e Tiziana Oliveto, psicologhe della sezione AIL di Salerno. Curatela editoriale e scientifico-divulgativa: Lorenzo Cusimano – Specialista ricerca, salute e accesso alle cure, Area Pazienti AIL Nazionale. Progetto grafico e illustrazioni realizzati da Studio Super Santos. Le informazioni contenute nel seguente opuscolo sono aggiornate a febbraio 2026.

Insieme  
a voi



Care e cari pazienti, care e cari caregivers,

nel nostro lungo cammino insieme, noi di AIL abbiamo imparato che l'esperienza della malattia non tocca soltanto la salute, ma può influenzare ogni aspetto della vita: dal lavoro alla famiglia, fino alle piccole cose della vita quotidiana. Per questo, da oltre 55 anni, accanto al sostegno alla ricerca scientifica, ci impegniamo con costanza per offrire servizi pensati per rispondere alle vostre esigenze reali, sensibilizzare l'opinione pubblica e migliorare la qualità di vita di ogni paziente e di chi lo accompagna. L'opuscolo che state per leggere, scritto in collaborazione con medici e professionisti, vuole essere uno strumento informativo per accompagnarvi in ogni fase del delicato percorso di cura: dalla diagnosi ai trattamenti, dalla gestione delle complicanze fino alle terapie di ultima generazione. Attenzione però: la ricerca scientifica, anche grazie al sostegno della nostra Associazione, compie progressi continui.

Vi invitiamo quindi a rivolgervi sempre al vostro ematologo e a consultare la sezione **"News ematologiche"** del sito **www.ail.it** per restare aggiornati sulle novità terapeutiche e sui servizi AIL dedicati a pazienti, familiari e caregivers. Per un supporto ancora più diretto, ricordiamo che AIL è sempre al vostro fianco attraverso:

- ✓ **Il Numero Verde AIL (800 22 65 24)**, per consulenze gratuite di carattere medico, legale e sociale, e per ricevere supporto psicologico.
- ✓ **lo Sportello Sociale online**, sempre disponibile sul sito [www.ail.it](http://www.ail.it), per ricevere supporto sui temi legati ai diritti civili e sociali.

Ci auguriamo che le informazioni contenute in questo opuscolo vi siano di aiuto e possano contribuire a realizzare la nostra missione: costruire un futuro in cui nessun paziente ematologico sia lasciato solo, e ogni persona possa vivere con dignità l'esperienza di malattia.

Buona lettura



**Giuseppe Toro**  
Presidente Nazionale AIL

# Indice

## Conosci la malattia

---

Cosa è la leucemia  
mieloide acuta 8

---

Epidemiologia 10  
Quanto è diffusa e chi interessa

---

Le cause e i fattori di rischio 11

---

I sintomi 12

---

I diversi tipi di LMA 12

## Il percorso diagnostico e terapeutico

---

Il percorso diagnostico 14

---

La prognosi della LMA 14

---

La terapia 16

---

Follow-up a lungo termine  
e qualità della vita 24

## Stili di vita e benessere psicologico

---

Stili di vita 25

---

Affrontare la malattia 26

---

Q&A 28

La malattia nella vita di tutti i giorni

## Conosci AIL

---

Sempre al vostro fianco 32

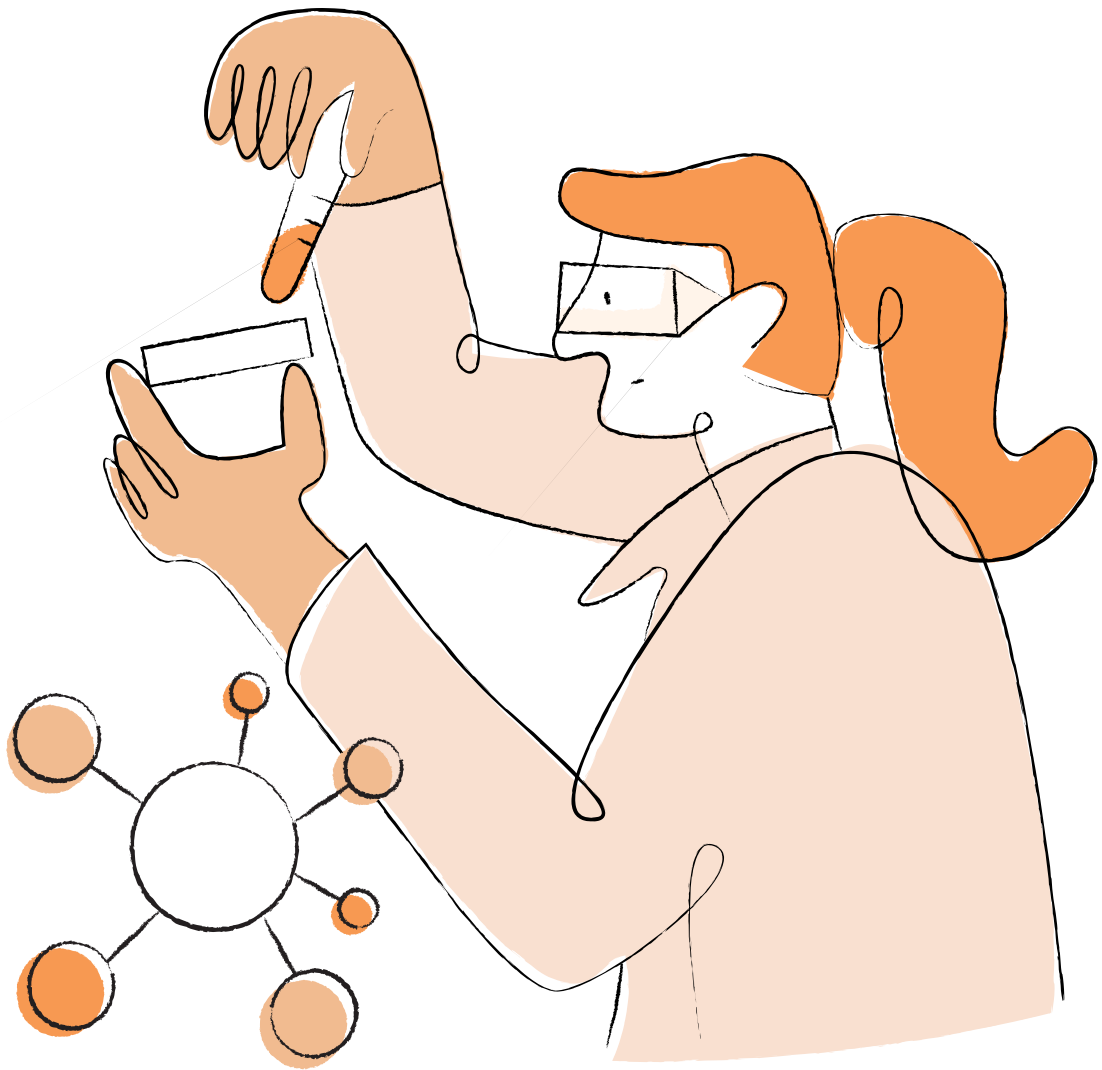
I contatti AIL

---

La nostra mission 34

I numeri AIL

# Leucemia mieloide acuta



# Cosa è la leucemia mieloide acuta

La **leucemia mieloide acuta** (di seguito indicata con la sigla **LMA**) è un **tumore del sangue** che origina nel **midollo osseo**, la principale sede di produzione delle cellule ematiche, colpendo le **cellule progenitrici della linea mieloide**. Si tratta delle **cellule staminali** – cellule ancora immature – da cui derivano molte delle cellule del sangue: **i globuli rossi, alcuni globuli bianchi e le piastrine**.

Nella LMA, queste cellule possono accumulare **mutazioni genetiche o anomalie cromosomiche** che ne alterano il normale **processo di maturazione** in cellule del sangue funzionali, cominciando a **proliferare in modo incontrollato**.

Queste cellule “malate”, **chiamate blasti leucemici**, invadono il midollo, ostacolando la **produzione delle cellule sane**, indispensabili per l’organismo per il trasporto dell’ossigeno, la difesa dalle infezioni e la riparazione delle lesioni.

Parlare di LMA come **un’unica patologia** può però essere riduttivo. Oggi sappiamo che ne esistono **diverse forme**, classificate in base alle specifiche alterazioni genetiche e cromosomiche presenti nelle cellule leucemiche, che possono richiedere uno specifico **approccio terapeutico**. Nonostante questa eterogeneità, tutte le forme di LMA condividono una caratteristica comune: una **progressione rapida e spesso aggressiva**, definita “acuta”, che può svilupparsi nell’arco di giorni o settimane. Per questo motivo, una volta posta la diagnosi,

è fondamentale **avviare tempestivamente il trattamento**, che viene definito sulla base delle caratteristiche biologiche della malattia, dell’età e delle condizioni generali della persona.

Orientarsi tra le informazioni, comprendere il percorso di cura (dalla diagnosi alle terapie), riconoscere i sintomi e conoscere il ruolo degli stili di vita può aiutare ad affrontare la malattia con maggiore consapevolezza.

Ci auguriamo pertanto che questo opuscolo possa accompagnarvi e aiutarvi a trovare risposte alle domande che è del tutto naturale porsi in un momento così delicato della vita.

## Epidemiologia: quanto è diffusa e chi interessa

Pur essendo considerata nel complesso una **patologia rara**, rappresentando circa l’1% di tutti i tumori, la LMA è la forma di leucemia acuta **più frequente negli adulti** e il secondo tipo di leucemia **più diffuso in Italia**, con circa 3.500-4.000 nuove diagnosi stimate ogni anno. La malattia **mostra una lieve prevalenza nel sesso maschile** e può manifestarsi a **qualsiasi età**.

Sebbene, infatti, la maggioranza dei casi si concentra **dopo i 60 anni**, con un’età mediana alla diagnosi di circa 69 anni, la LMA può **colpire anche in età pediatrica**, rappresentando il 13% delle leucemie nei bambini tra 0 e 14 anni. La **sopravvivenza globale dopo 5 anni dalla diagnosi** in Italia si attesta intorno al 30-40%, con una forte variabilità legata all’età e alle caratteristiche biologiche della malattia.

## AIL sul territorio: le sezioni

AIL opera sul territorio nazionale grazie all'impegno di **83 sezioni locali** presenti in tutta Italia. Una struttura capillare che permette di **operare a stretto contatto con il paziente** e di rispondere nella maniera migliore alle esigenze del territorio. Sono le sezioni ad erogare sul territorio i **servizi di assistenza, a supportare la ricerca e a sostenere i centri ematologici.**

Per conoscere la sezione più vicina a te e i servizi gratuiti offerti per i pazienti e i caregiver visita il sito oppure inquadra il QR code:

<https://www.ail.it/conosci-ail/ail-sul-territorio>



## Le cause e i fattori di rischio

Nella maggior parte dei casi, la LMA si manifesta **senza una causa identificabile.**

Tuttavia, alcuni fattori sono noti per aumentare il rischio di sviluppare la malattia, tra cui:

- ✓ **fattori legati allo stile di vita e all'ambiente**, come il fumo di sigaretta, l'abuso di alcol e l'esposizione prolungata a sostanze chimiche (come il benzene, usato nelle raffinerie e nell'industria chimica) o a radiazioni ionizzanti;
- ✓ **fattori iatrogeni**, cioè a causa di precedenti interventi medici. Ad esempio, pazienti già trattati con chemioterapia o radioterapia per altri tumori presentano un rischio più elevato di sviluppare una forma di LMA definita secondaria.

- ✓ **condizioni genetiche predisponenti**, alcune delle quali legate a sindromi ereditarie (come la sindrome di Down, l'anemia di Fanconi, la sindrome di Bloom, l'atassia-teleangectasia e la sindrome di Li-Fraumeni) e a precedenti patologie del sangue (sindromi mielodisplastiche, leucemia mieloide cronica, policitemia vera, trombocitemia essenziale).

**Conoscere potenziali fattori di rischio** è importante perché, pur **non esistendo raccomandazioni** per una prevenzione assoluta, è possibile **ridurre il rischio** di sviluppare LMA evitando l'esposizione ai **fattori di rischio modificabili**, come il fumo di sigaretta, e seguendo il **programma di sorveglianza oncologica** indicato dal proprio medico in caso di precedenti trattamenti chemio/radioterapici. È doveroso precisare che la LMA **non è una malattia ereditaria** in senso stretto. Infatti, pur essendo state individuate alcune alterazioni genetiche predisponenti ereditarie, la malattia **non si trasmette direttamente dai genitori ai figli.**

## I sintomi

All'esordio della LMA, alcuni pazienti possono essere **completamente asintomatici**. Più frequentemente, i sintomi compaiono **in modo rapido** e riflettono la **produzione insufficiente** di cellule del sangue sane.

Nello specifico, i sintomi possono essere classificati in:

- ✓ **sintomi legati all'anemia** (cioè la carenza di globuli rossi nel sangue) quali pallore, stanchezza intensa e prolungata, affanno anche per sforzi lievi;
- ✓ **sintomi legati alla piastrinopenia** (cioè la carenza di piastrine) come comparsa improvvisa di lividi, piccoli punti rossi sulla cute (petecchie), sanguinamenti gengivali o nasali e mestruazioni abbondanti;
- ✓ **sintomi legati alla neutropenia** (cioè la carenza di globuli bianchi funzionali) come febbre persistente, infezioni ricorrenti difficili da trattare (come polmoniti) e ferite che faticano a guarire;
- ✓ **sintomi generali**, quali sudorazioni notturne, perdita di appetito e di peso, dolori ossei e muscolari, senso di malessere generale;
- ✓ **ingrossamento della milza, del fegato, dei linfonodi o delle gengive;**
- ✓ **cefalee e disturbi neurologici** quando la malattia coinvolge il sistema nervoso centrale, sebbene si tratti di casi più rari.

## I diversi tipi di LMA

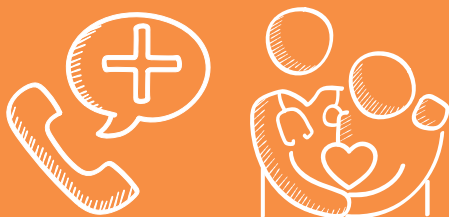
La LMA può presentarsi in **diversi sottotipi** biologicamente diversi. Questa **eterogeneità** ha portato nel tempo allo sviluppo di **diversi sistemi di classificazione**. La classificazione storica, nota come **sistema Franco-Americano-Britannico (FAB)**, suddivide la LMA in otto sottotipi (da M0 a M7) sulla base delle caratteristiche morfologiche delle cellule leucemiche, così come osservate al microscopio ottico, e delle proteine che esprimono in superficie. Pur non rappresentando più il principale sistema di riferimento, la classificazione FAB è ancora utilizzata nella pratica clinica come utile strumento descrittivo sul piano morfologico.

Attualmente, il sistema di riferimento è quello dell'**Organizzazione Mondiale della Sanità (OMS)**, aggiornato nel 2022, che integra in modo più completo diversi livelli di analisi: morfologica, immunofenotipica (le proteine espresse dalle cellule) e, soprattutto, citogenetica (l'analisi dei cromosomi) e molecolare (l'analisi delle mutazioni del DNA) delle cellule leucemiche.

Questa analisi più approfondita consente di suddividere la LMA in diversi gruppi, ognuno con un suo decorso e un preciso percorso terapeutico. Le principali categorie sono:

- ✓ **LMA con anomalie genetiche ricorrenti**, che include forme caratterizzate da specifiche alterazioni cromosomiche o molecolari. Tra queste rientrano la traslocazione tra i cromosomi 15 e 17 (indicata come t(15;17)), tipica della leucemia promielocitica acuta (LAP); le alterazioni del core binding factor, come la traslocazione t(8;21) e l'inversione del cromosoma 16 (inv(16)); e le mutazioni dei geni NPM1 e CEBPA.

## Il Numero Verde e lo Sportello Sociale AIL



Ricevere una **diagnosi di malattia oncoematologica** rappresenta spesso un momento estremamente delicato, in cui molti aspetti della vita (dal lavoro alla gestione degli affetti, fino alla percezione del sé) possono cambiare profondamente. Proprio per questo, l'AIL mette a disposizione di pazienti e caregiver due servizi di supporto gratuiti dedicati: il **Numero Verde e lo Sportello Sociale**.

Il Numero Verde AIL è uno **spazio informativo, sicuro e aggiornato** in cui pazienti e caregiver possono porre domande e chiarire dubbi non solo sulle patologie e sui centri di cura, ma anche su lavoro, su diritti e agevolazioni e richiedere un supporto psicologico.

Il **Numero Verde AIL (800 22 65 24)** è attivo **dal lunedì al venerdì** e in linea si alternano **ematologi, psiconcologhe e esperti di diritto del lavoro e agevolazioni sociali**, secondo il seguente calendario settimanale:

- **Ematologi:** in linea ogni lunedì, giovedì e venerdì dalle ore 15:00 alle 17:00;
- **Esperta di diritto del lavoro e agevolazioni sociali:** in linea ogni martedì dalle ore 15:00 alle 19:00;
- **Esperte psico-oncologhe:** in linea ogni mercoledì dalle ore 10:00 alle 12:00 e dalle 15:00 alle 17:00.

Lo **Sportello Sociale** è invece un **servizio di informazione e consulenza** istituito da AIL allo scopo di offrire **supporto sui temi dei diritti civili e sociali ai pazienti con malattie ematologiche e ai loro familiari**.

Per inviare una richiesta allo sportello sociale visita il sito o inquadra il QR code:

<https://www.ail.it/come-possiamo-aiutarti/servizi-ail-pazienti-e-caregiver/sportello-sociale>



✓ **LMA correlata a mielodisplasia (AML-MRC)**, che comprende i casi derivanti da una pregressa sindrome mielodisplastica o caratterizzati da alterazioni genetiche tipiche di queste condizioni. È generalmente associata a un profilo di rischio più sfavorevole.

✓ **LMA correlata a terapia**, che insorge in pazienti precedentemente trattati con chemioterapia o radioterapia per altri tumori. In questi casi il profilo genetico è spesso complesso e la prognosi tende a essere peggiore.

✓ **LMA non altrimenti specificata (NOS)**, che include le forme che non rientrano nelle categorie precedenti e vengono classificate principalmente sulla base delle caratteristiche morfologiche (ad esempio mieloblastica, mielomonocitica, eritroide e megacarioblastica).

## Il percorso diagnostico

Per giungere a una **diagnosi completa di LMA**, e poter pianificare adeguatamente il percorso terapeutico, è necessario seguire un **iter diagnostico rigoroso** che non si limiti alla semplice identificazione della malattia, ma che ne **approfondisca le caratteristiche biologiche**.

Il primo passo consiste in un'**accurata visita medica** volta a valutare **segni e sintomi clinici**, seguita da un **esame dell'emocromo con analisi morfologica del sangue periferico**. Queste indagini consentono di osservare il numero e l'aspetto delle cellule del sangue, rilevando l'eventuale presenza di blasti leucemici in circolo. In alcuni casi, la malattia è **scoperta casualmente** in soggetti asintomatici proprio durante esami del sangue di routine. Per ottenere la **conferma diagnostica**, il passaggio cruciale è l'**esame morfologico del midollo osseo**, che consiste nel prelievo di un campione di midollo tramite agoaspirato dalle creste iliache (ossa del bacino). L'esame è eseguito generalmente in anestesia locale e consente di visualizzare direttamente le cellule patologiche al microscopio ottico. Per confermare il tipo specifico di leucemia è inoltre essenziale eseguire un **esame citofluorimetrico**

(**analisi immunofenotipica**) del sangue midollare. Questo test permette non solo di identificare la **natura mieloide della patologia** (distinguendola da altre forme di leucemia, chiamate linfoidi), ma anche di definirne il **grado di maturazione**.

Inoltre, consente di **individuare marcatori specifici**, cioè molecole espresse dalle cellule leucemiche utili per il monitorare la risposta al trattamento e rilevare eventuali tracce di malattia dopo le terapie (**malattia residua misurabile, MRD**).

Parallelamente, le analisi dei cromosomi e del DNA, effettuate tramite **esami citogenetici e molecolari**, consentono di individuare **alterazioni cromosomiche e mutazioni genetiche**, importanti per avere indicazioni sulla prognosi della malattia e guidare la **scelta della terapia farmacologia più adeguata**. Conoscere le alterazioni genetiche è anche fondamentale per **monitorare la risposta alle terapie** attraverso la valutazione della MRD.



Infine, per completare il quadro della **stadiazione** (cioè l'estensione e la dimensione del tumore), possono essere richiesti **esami di imaging radiologico** (radiografia del torace, TAC, risonanza magnetica nucleare o ecografia) per escludere localizzazioni extra midollari o infezioni.

Nei casi (più rari) in cui la LMA si manifesti anche con sintomi neurologici, può essere richiesta un'**analisi del liquido cerebrospinale** (liquor) – un fluido che

protegge, nutre e rimuove le molecole di scarto dal sistema nervoso – effettuata tramite puntura del canale vertebrale a livello lombare.

La **diagnosi** dipende anche dal tipo di LMA. In generale, la diagnosi richiede la presenza di **almeno il 20% di blasti mieloidi** nel midollo osseo o nel sangue periferico. Tuttavia, in presenza di specifiche anomalie genetiche ricorrenti, la diagnosi può essere posta anche indipendentemente dalla percentuale di blasti, sulla base del solo **profilo molecolare**.

## La prognosi della LMA

La **prognosi di una malattia** è la **previsione** del suo decorso e del suo esito, che può essere favorevole o sfavorevole. Nel caso della leucemia mieloide acuta (LMA), la prognosi è influenzata da diversi fattori, in particolare di tipo **genetico e clinico**.

I **fattori di prognosi favorevoli**, cioè associati a maggiori probabilità di risposta alle terapie e guarigione, comprendono:

- ✓ **alterazioni cromosomiche del core binding factor**, come la traslocazione t(8;21), t(16;16) e l'inversione inv(16);
- ✓ **la mutazione del gene NPM1 in assenza di mutazioni del gene FLT3**;
- ✓ **la mutazione biallelica del gene CEBPA**.

I **fattori di prognosi sfavorevoli**, cioè associati a un decorso più aggressivo e resistente alle cure, comprendono:

- ✓ **elevato numero di globuli bianchi alla diagnosi**;
- ✓ **specifiche alterazioni citogenetiche**, come la delezione del cromosoma 7 o la presenza di tre o più anomalie cromosomiche nel cariotipo (insieme completo dei cromosomi di un individuo);
- ✓ **mutazioni nei geni TP53, ASXL1 e RUNX1**;
- ✓ **forme di LMA secondarie o correlate a mielodisplasia**;
- ✓ **un performance status scadente**, cioè condizioni generali compromesse del paziente.

Un altro importante fattore prognostico è rappresentato dall'**età**. Nei pazienti con età **inferiore a 65 anni**, la sopravvivenza a 5 anni dalla diagnosi si attesta intorno al 40%. Questa percentuale diminuisce drasticamente nei pazienti di **età compresa tra 65 e 74 anni**, dove la sopravvivenza a 5 anni dalla diagnosi scende a circa l'11%. Per i pazienti con **età pari o superiore a 75 anni**, la sopravvivenza a 5 anni dalla diagnosi è di circa l'1%. Questi dati riflettono sia la diversa biologia della malattia nelle diverse fasce di età sia la **ridotta capacità di tollerare trattamenti intensivi** nell'anziano.

La prognosi, infatti, indipendentemente dall'età, può dipendere da **molteplici fattori**, tra cui le condizioni di salute generale, eventuali comorbidità, specifiche alterazioni genetiche delle cellule leucemiche, l'efficacia della terapia antileucemica, la riuscita del trapianto di midollo e l'insorgenza di eventuali infezioni o altre condizioni patologiche.

# La terapia

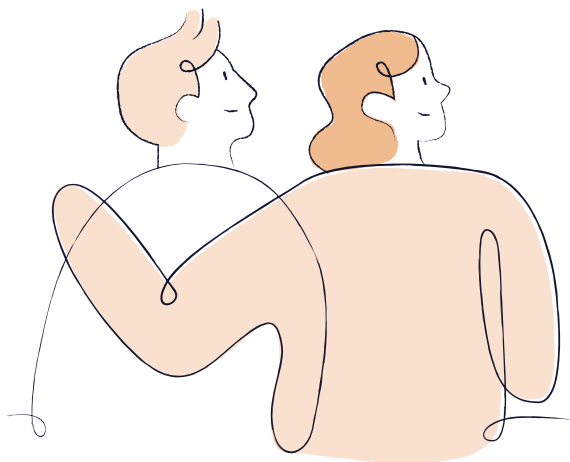
La **scelta della terapia** nella LMA dipende da diversi fattori, tra cui l'età, lo stato di salute generale, la presenza di comorbidità, le caratteristiche biologiche e genetiche della leucemia e le preferenze del paziente. Sulla base di questi elementi, i pazienti vengono generalmente distinti in due grandi categorie:

- ✓ **pazienti idonei alla chemioterapia intensiva;**
- ✓ **pazienti non idonei a terapie intensive**, per i quali sono più indicate terapie e a intensità ridotta.

Una volta accertata la diagnosi, il trattamento viene avviato **il prima possibile**, di norma entro pochi giorni o settimane, per ridurre il rischio di progressione della malattia.

## La chemioterapia

Nei pazienti ritenuti idonei alla chemioterapia intensiva, il trattamento si articola in due fasi principali:



### ✓ **chemioterapia di "induzione".**

Si tratta di un primo ciclo di chemioterapia ad alte dosi, il cui obiettivo è di eliminare le cellule leucemiche (blasti) dal sangue e dal midollo osseo ottenendo così una remissione completa (RC). La RC si raggiunge quando il midollo presenta meno del 5% di blasti e il paziente riporta un recupero dei valori ematici normali e nessun segno clinico di malattia.

Lo schema più utilizzato consiste nell'associazione di un chemioterapico antraciclinico (come daunorubicina o idarubicina) con citarabina. In base alle caratteristiche specifiche di alcuni sottogruppi di LMA, possono essere aggiunti alla chemioterapia convenzionale farmaci mirati, quali gemtuzumab e ozogamicin nelle forme che esprimono la proteina CD33, oppure inibitori di FLT3 come midostaurin o quizartinib nei pazienti con mutazioni di questo gene;

### ✓ **terapia di consolidamento.**

Una volta ottenuta la remissione completa, è necessario proseguire con una terapia di consolidamento, finalizzata a eliminare le cellule leucemiche residue e ridurre il rischio di recidiva (ricomparsa della malattia). L'opzione principale è rappresentata dalla chemioterapia ad alte dosi con citarabina ad alte dosi (HiDAC), somministrata in cicli ripetuti (generalmente da tre a quattro).

Nei pazienti con LMA a prognosi più sfavorevole, il consolidamento è spesso seguito da un **trapianto di cellule staminali emopoietiche di tipo allogenico**. Per i pazienti non candidabili al trapianto è possibile ricorrere a una **terapia di mantenimento** con un farmaco somministrato per via orale, noto come azacitidina.

## Un viaggio da fare insieme: i servizi di accompagnamento AIL verso i centri di cura



Per i pazienti e i loro caregiver che vivono **lontano dai centri di cura**, spostarsi per ricevere le terapie può essere un grosso impegno dal punto di vista economico, fisico ed emotivo. Proprio per questo, AIL e le sue sezioni mettono a disposizione due servizi pensati per alleggerire il carico logistico e facilitare l'accesso alle cure: la **Mobilità Solidale** e il **Servizio Navetta**.

Il servizio di **Mobilità Solidale AIL** è rivolto ai pazienti che, per ricevere cure presso centri ematologici specializzati, sono costretti a spostarsi **al di fuori della propria provincia di residenza** e si trovano in difficoltà economica. Attraverso questo servizio, AIL contribuisce a **coprire i costi di viaggio**, riducendo così le

distanze tra i pazienti e le cure. Il supporto può estendersi anche a un accompagnatore.

Il **Servizio Navetta**, invece, è pensato per i pazienti più fragili o **con difficoltà negli spostamenti quotidiani**. Grazie all'impegno delle sezioni AIL, i volontari offrono un servizio di accompagnamento **dalla propria abitazione al presidio ospedaliero di riferimento a livello provinciale**, per consentire l'accesso alle terapie in modo più semplice e sicuro.

**Attenzione:** non tutte le sezioni AIL oggi offrono questi servizi. Per verificarne la disponibilità, è consigliabile individuare la sezione AIL più vicina e contattarla direttamente per ricevere maggiori informazioni.



Puoi trovare la sezione più vicino a te visitando il sito o inquadrando il QR code:

<https://www.ail.it/conosci-ail/ail-sul-territorioail-pazienti-e-caregiver/sportello-sociale>



## Il trapianto delle cellule staminali

Il trapianto allogenico consiste **nell'infusione di cellule staminali emopoietiche** – cellule immature capaci di generare le diverse cellule del sangue – prelevate da un **donatore compatibile sano** (un familiare compatibile, un volontario identificato

tramite registri internazionali o, più raramente, una donazione di sangue prelevato da cordone ombelicale). Una volta infuse, queste cellule raggiungono il midollo osseo del paziente e lo ripopolano, **sostituendo le cellule malate** precedentemente eliminate con la chemioterapia. Questa procedura è indicata nei pazienti con **malattia**

**a prognosi più sfavorevole**, e quindi a più alto rischio di recidiva della malattia. Il trapianto permette di **somministrare dosi molto elevate di chemioterapia** (fase nota come "condizionamento") e sfrutta **l'attività immunitaria** delle cellule del donatore, che possono riconoscere e distruggere eventuali cellule leucemiche residue del paziente, contribuendo a ridurre il rischio di recidiva.

Non esiste **un limite d'età assoluto** per sottoporsi al trapianto: l'idoneità viene valutata caso per caso in base allo stato di salute complessivo del paziente.

Le principali complicanze includono infezioni, disfunzioni d'organo e la cosiddetta "malattia del trapianto contro l'ospite", una condizione in cui le cellule del donatore attaccano i tessuti del ricevente.

## Le Case AIL ospitano i pazienti vicino ai centri di cura

Le **Case AIL** sono strutture costruite in prossimità dei centri ematologici e gestite dalle Sezioni provinciali, con l'obiettivo di **ospitare pazienti onco-ematologici e loro familiari/caregivers** quando si spostano temporaneamente dal luogo di residenza per le terapie.

Le Case AIL sono luoghi pensati non solo per **aiutare economicamente e logisticamente** i pazienti durante le cure, ma anche per condividere questa esperienza con altri ospiti e trovare un supporto morale e pratico da parte di volontari nel calore di **una vera e propria casa**.

**Attenzione:** le Case AIL non sono ancora presenti in tutta Italia.



Puoi verificare la disponibilità del servizio sul territorio visitando il sito o inquadrando il QR code:

<https://www.ail.it/come-possiamo-aiutarti/servizi-ail-pazienti-e-caregiver/case-ail>



## Le terapie di bassa intensità

La chemioterapia intensiva **non è adatta per tutti i pazienti**, in particolare per quelli anziani o in condizioni fisiche compromesse, che potrebbero non tollerarne le tossicità. In tutti questi casi, sono disponibili diverse opzioni terapeutiche alternative, che consistono nella somministrazione di diversi farmaci:

- ✓ **agenti ipometilanti (HMA)**, come azacitidina e decitabina, somministrati singolarmente. L'azacitidina agisce "riattivando" i meccanismi naturali di maturazione e morte cellulare fisiologica (chiamata apoptosi) nei blasti leucemici;
- ✓ **venetoclax in associazione con HMA**, che rappresenta oggi lo standard di cura per i pazienti non idonei alla chemioterapia intensiva. Il venetoclax inibisce la proteina BCL2, che protegge le cellule leucemiche dall'apoptosi; in combinazione con un HMA, l'effetto dei due farmaci si potenzia, aumentando i tassi di remissione e migliorando la sopravvivenza rispetto alla sola terapia con HMA, con un profilo di tossicità generalmente più gestibile rispetto alla chemioterapia;
- ✓ **citarabina a basso dosaggio da sola o in associazione con glasdegib**. Quest'ultimo è un inibitore della via di segnalazione "Hedgehog", che quando è attiva promuove la proliferazione delle cellule leucemiche;
- ✓ **inibitori di IDH1 e IDH2 (come ivosidenib ed enasidenib), in associazione con azacitidina**, indicati per i pazienti che presentano specifiche mutazioni di questi geni.

## Il trattamento della leucemia acuta promielocitica (LAP)

La LAP rappresenta una variante distinta della LMA e richiede un **approccio terapeutico specifico**. La terapia consiste infatti nell'impiego di **acido all-trans retinoico (ATRA)** e **triossido di arsenico (ATO)**, non impiegati nelle altre forme di LMA. Grazie a questa combinazione di farmaci, molti pazienti possono guarire senza dover ricorrere alla chemioterapia convenzionale.

## Radioterapia

La **radioterapia** è un trattamento impiegato contro i tumori che sfrutta la capacità di particolari radiazioni, chiamate ionizzanti, di distruggere le cellule tumorali. Questa terapia ha un **impiego limitato nella LMA**, ma può essere utilizzata come parte del condizionamento pre-trapianto o, occasionalmente, per ridurre masse tumorali extramidollari quando la chemioterapia risulta inefficace.

## Malattia Residua Misurabile (MRD) e controlli nel lungo termine (follow-up)

**Dopo il trattamento**, anche quando l'esame morfologico del midollo osseo non evidenzia più blasti leucemici (condizione definita **remissione completa**), tecniche più sensibili - come la citofluorimetria multiparametrica e le analisi di biologia molecolare - possono ancora rilevare **minime quantità di cellule leucemiche**. In questi casi si parla di **malattia residua**

**misurabile (MRD)**, cioè la presenza di tracce di malattia a livelli non più visibili con i metodi diagnostici tradizionali. La persistenza o la ricomparsa della MRD rappresenta oggi uno dei principali **indicatori di rischio di recidiva**, ovvero la probabilità che la malattia possa ripresentarsi, anche in pazienti inizialmente considerati a prognosi favorevole. Per questo motivo, il **monitoraggio della MRD è fondamentale**. I **controlli di follow-up** vengono generalmente effettuati in regime ambulatoriale, con una frequenza che varia nel tempo (inizialmente ogni 1-3 mesi, poi progressivamente più dilazionati) e includono: visita medica, emocromo completo e periodicamente agoaspirato midollare con valutazione della MRD. Questi controlli consentono di **intercettare precocemente una possibile ripresa della malattia** e di intervenire prima che si manifesti clinicamente.

## Le recidive e come vengono gestite

Il termine **recidiva** indica la **ricomparsa della malattia** in forma clinicamente rilevabile dopo un periodo di remissione. Nel caso della LMA, le recidive possono manifestarsi **a distanza di mesi o anni** dalla remissione. La gestione delle recidive è complessa e **dipende da diversi fattori**, tra cui il tempo trascorso dalla prima remissione, le caratteristiche genetiche della malattia e le condizioni cliniche del paziente. Le **opzioni terapeutiche** comprendono schemi di salvataggio con **chemioterapia convenzionale**, l'impiego di **farmaci innovativi a bersaglio molecolare**, la **partecipazione a studi clinici** e, nei pazienti che non vi siano già stati sottoposti, il **trapianto allogenico di cellule staminali**. Nei pazienti già sottoposti a trapianto può anche essere presa in considerazione l'**infusione di linfociti del donatore**.

## Effetti collaterali del trattamento

Come detto precedentemente, Il trattamento principale per la LMA consiste nella **chemioterapia intensiva**. Questa terapia è spesso associata a **effetti collaterali significativi**, in gran parte legati alla **soppressione dell'emopoiesi** (il processo di formazione delle cellule del sangue). La riduzione del numero di cellule del sangue può comportare:

- ✓ **stanchezza e dispnea** (difficoltà nella respirazione), a causa della riduzione del numero di globuli rossi (anemia);
- ✓ **aumento del rischio di infezioni**, causato dalla riduzione del numero dei globuli bianchi (neutropenia). Il **nadir dei globuli bianchi** – il minor numero di cellule osservato dopo la terapia – si raggiunge generalmente **10–14 giorni dopo il trattamento**: in questa fase il **rischio infettivo** è particolarmente elevato e richiede un monitoraggio clinico attento e l'avvio tempestivo di **terapia antibiotica** in caso di necessità;
- ✓ **rischio di emorragie**, legato alla riduzione delle piastrine (trombocitopenia).

Per limitare complicanze, **trasfusioni di globuli rossi e piastrine** possono essere utilizzate come supporto fino al recupero ematologico.

A **livello gastrointestinale**, nausea e vomito sono effetti collaterali frequenti, ma oggi ben controllabili dai moderni antiemetici. Una settimana dopo il trattamento circa, è comune la comparsa di **mucosite**, un'infiammazione delle mucose del cavo orale e del

## Curarsi a casa, senza rinunciare agli affetti: le Cure Domiciliari AIL

Durante un percorso di cura, il benessere e la qualità della vita possono esser messi a dura prova. Per questo AIL supporta, in sinergia con il Servizio Sanitario Nazionale, **un servizio di Cure Domiciliari**, pensato per facilitare la continuità terapeutica tra centro ematologico e casa per i pazienti fragili o in difficoltà.

Grazie ai professionisti sanitari attivati da AIL è possibile **trasferire a domicilio**, accanto ai propri affetti, molte **prestazioni dei Day Hospital ematologici** e degli ambulatori, riducendo così gli accessi agli ospedali, i rischi connessi agli spostamenti e le lunghe attese ambulatoriali.

Tramite le Cure Domiciliari, vengono erogate a casa dei pazienti prestazioni come **visite mediche, trasfusioni, somministrazione di farmaci antibiotici, antiemorragici, antidolorifici** e, in alcune realtà, anche

**farmaci antitumorali**. Fondamentali sono poi le **prestazioni infermieristiche** come i **prelievi di sangue** e il **supporto psicologico e sociale**.



**Attenzione:** le Cure Domiciliari AIL non sono ancora erogate in tutta Italia. Per verificare la disponibilità del servizio sul territorio, contatta la sezione AIL più vicina a te per ricevere maggiori informazioni.



Puoi trovare la sezione più vicino a te visitando il sito o inquadrando il QR code:

<https://www.ail.it/conosci-ail/ail-sul-territorio>



tratto digestivo. In questi casi è necessario mantenere **un'accurata igiene orale** e, nei casi più gravi, seguire una terapia analgesica, digiuno e nutrizione parenterale. Questi sintomi si risolvono con il recupero ematologico.

Possono inoltre verificarsi alterazioni dell'alvo, cioè **irregolarità della funzione intestinale**, come stipsi diarrea, crampi e gonfiore addominale. Altri effetti comuni includono la **caduta dei capelli** –

generalmente reversibile entro 3-6 mesi – **alterazioni del gusto e dell'olfatto e una marcata astenia** (sensazione di debolezza generale e stanchezza cronica). Infine, alcuni trattamenti possono avere un **impatto sulla fertilità**, in modo temporaneo o permanente, e nelle donne **anticipare la menopausa**. Per questo motivo è importante affrontare questi aspetti con l'équipe medica prima di iniziare la terapia, valutando le possibili strategie di **preservazione della fertilità**.

# I momenti di informazione AIL per i pazienti

Per i pazienti e i caregiver, **ricevere informazioni chiare e aggiornate** su tutti gli aspetti legati alla malattia è fondamentale per affrontare il percorso di cura con **maggiore consapevolezza** e restare al passo con le novità cliniche e della ricerca scientifica. Per questo, AIL Nazionale promuove numerose iniziative informative dedicate ai pazienti e ai loro caregiver.

## Incontri pazienti-medici

Appuntamenti gratuiti, in presenza e online, che mettono in dialogo pazienti, caregiver e specialisti ematologi per approfondire la conoscenza delle patologie, conoscere le nuove terapie e condividere esperienze.

Per conoscere i prossimi appuntamenti, partecipare a un incontro o guardare le registrazioni degli eventi precedenti, visita il sito o inquadra il QR code:

<https://pazienti.ail.it/incontri-informativi/>



## Opuscoli informativi

Materiali dedicati alle specifiche patologie, ma anche ai diritti, alle agevolazioni e agli stili di vita delle persone con malattie oncoematologiche. Puoi scaricare gli opuscoli AIL in formato digitale visitando il sito o inquadrando il QR code:

<https://pazienti.ail.it/informazioni-utili/opuscoli-informativi/>



## News ematologiche

Aggiornamenti costanti sulle principali novità della ricerca e delle terapie in ambito oncoematologico. Per leggere tutte le news ematologiche, visita il sito o inquadra il QR code:

<https://www.ail.it/ail-eventi-e-news/ail-blog/ail-news-ematologiche>



## Terapia di Supporto

Durante l'intero percorso terapeutico è essenziale sottoporsi alla **terapia di supporto**, ovvero interventi che consentono di prevenire e gestire le **complicanze infettive, emorragiche e anemiche** causate sia dalla malattia sia dai trattamenti.

Questa terapia consiste principalmente in trasfusioni di globuli rossi e concentrati piastrinici, antibiotici, antifungini e, quando indicato, fattori di crescita per accelerare la ricostituzione leucocitaria.

In **pazienti anziani molto fragili** può costituire l'unica forma di trattamento.

## La ricerca scientifica

La ricerca sulla LMA è oggi **estremamente attiva**, con particolare attenzione allo sviluppo di **terapie innovative**. Tra queste vi sono nuovi inibitori molecolari (anti-menin, anti-SYK, nuovi anti-FLT3 di seconda generazione), terapie cellulari avanzate come CAR-T e cellule Natural Killer ingegnerizzate, anticorpi bispecifici e nuove strategie di condizionamento pre-trapianto. In Italia, la **Fondazione GIMEMA Onlus** (Gruppo Italiano Malattie EMatologiche dell'Adulto) coordina numerosi **studi clinici sulla LMA**.

La partecipazione a un trial clinico può offrire ai pazienti l'opportunità di accedere a terapie innovative prima della loro approvazione ufficiale.



# Follow-up a lungo termine e qualità della vita

Terminato l'iter terapeutico previsto per la LMA, i **controlli successivi** vengono generalmente eseguiti in regime ambulatoriale, con intervalli variabili in base alle condizioni cliniche del paziente, al rischio biologico della malattia e alle eventuali complicanze insorte durante il trattamento.

I **controlli di follow-up** prevedono la visita generale del paziente e prelievi del sangue di routine, a cui si aggiunge periodicamente l'agoaspirato midollare per il controllo della morfologia del midollo osseo e per la valutazione della MRD.

Il **concetto di "guarigione" nella LMA** è complesso. In linea generale, i pazienti che mantengono una **remissione completa con MRD negativa per almeno cinque anni** dopo il trattamento sono considerati a basso rischio di recidiva. Per alcune forme a prognosi favorevole (es. leucemia acuta promielocitica trattata con acido all-trans retinoico e triossido d'arsenico) il tasso di guarigione è elevato.

## Effetti collaterali a lungo termine dei trattamenti intensivi

I trattamenti intensivi possono comportare **effetti collaterali persistenti o tardivi**, che richiedono un monitoraggio periodico.

Tra questi, è importante monitorare:

- ✓ **cardiotossicità**: può manifestarsi tardivamente ed è spesso legata all'uso di una particolare classe di chemioterapici: le antracicline. Sono consigliate visite cardiologiche periodiche, comprensive di ecocardiogramma, anche in assenza di sintomi
- ✓ **disturbi endocrinologici**, come ipotiroidismo, insufficienza surrenalica e menopausa precoce. Alcuni farmaci chemioterapici (detti alchilanti) possono ridurre la fertilità; la sterilità completa è rara, salvo nei pazienti sottoposti a trapianto allogenico di midollo;
- ✓ **disfunzione cognitiva** ("chemo-brain"): difficoltà di concentrazione e memoria, generalmente transitorie;
- ✓ **rischio di seconde neoplasie**: da segnalare al medico qualsiasi nuovo sintomo insolito.



# Stili di vita

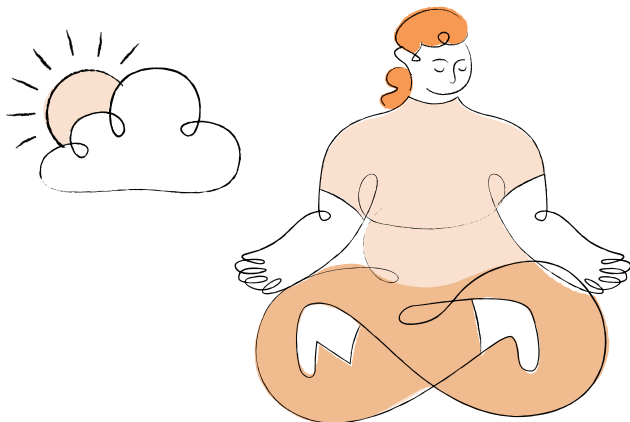
## Alimentazione

Durante il periodo di trattamento della LMA, il **sistema immunitario risulta compromesso** e le terapie chemioterapiche possono causare **l'infiammazione della mucosa orale** (mucosite).

Per questo motivo, soprattutto nei periodi di trattamento, è importante seguire alcune **indicazioni igienico-alimentari per limitare il rischio di infezioni**, tra cui:

- ✓ **preferire alimenti cotti;**
- ✓ **evitare cibi crudi di origine animale**, come carne, pesce, uova crude e formaggi freschi non pastorizzati;
- ✓ **lavare accuratamente frutta e verdura.**

Mantenere un **adeguato apporto calorico e proteico** è fondamentale per conservare le energie durante la terapia. In caso di difficoltà nell'alimentazione, l'équipe medica può suggerire il **supporto di un nutrizionista** o, se necessario, ricorrere alla nutrizione artificiale.



## Esercizio fisico

**L'attività fisica**, anche moderata, è raccomandata durante e dopo il trattamento per la LMA, purché **adattata alle condizioni cliniche del momento**.

Nelle fasi di aplasia profonda (quando si riscontra un numero molto basso di cellule del sangue) o febbre, il **riposo è necessario**. Nelle fasi di recupero, passeggiate quotidiane di 20-30 minuti, esercizi di respirazione e stretching leggero sono generalmente ben tollerati e contribuiscono a ridurre la fatica, migliorare l'umore e accelerare il recupero funzionale. Prima di riprendere qualsiasi attività fisica intensa, è importante **consultare il proprio medico**.

## Buone abitudini e cosa limitare

Durante il percorso di cura della LMA, adottare alcune **abitudini salutari e limitarne altre può favorire il recupero e ridurre i rischi di complicanze**. Tra queste, è consigliato vivamente di:

- ✓ **smettere di fumare**, in qualsiasi fase della malattia. Il fumo aumenta il rischio di infezioni respiratorie e interferisce con il recupero;
- ✓ **limitare il consumo di alcol;**
- ✓ **evitare l'esposizione a persone con infezioni in corso** (influenza, varicella, herpes) durante le fasi di immunodepressione;
- ✓ **seguire scrupolosamente le indicazioni del proprio ematologo riguardo alle vaccinazioni.**

# Affrontare la malattia



*A cura delle Dott.sse Elvira Tulimieri e Tiziana  
Oliveto, psiconcologhe della sezione ALL di Salerno.*

Ansia, paura, rabbia e tristezza sono **emozioni del tutto normali** dopo una diagnosi o durante il percorso di cura. Si tratta spesso di un **cambiamento improvviso**, che può arrivare come un “fulmine a ciel sereno” e **stravolgere la quotidianità**: dal lavoro alla gestione degli affetti, fino alle piccole cose di tutti i giorni.

In questa fase delicata della vita è comune provare frustrazione, senso di precarietà, stanchezza, difficoltà ad accettare i cambiamenti del proprio corpo e una diversa percezione di sé. **Sono vissuti profondamente umani**, che fanno parte **del processo di adattamento alla malattia**.

Per questo motivo, non è necessario **sentirsi sempre “forti” e nascondere le fragilità**. **Parlarne con familiari, amici o con il proprio medico** può infatti aiutare ad alleggerire il carico emotivo e migliorare il benessere psicologico. Anche la partecipazione a **gruppi di supporto tra pazienti** può favorire la condivisione delle esperienze e ridurre il senso di isolamento.

È inoltre utile considerare, fin dalla diagnosi, un **supporto psicologico professionale con uno psiconcologo**, che può aiutare a elaborare le emozioni, gestire lo stress e sviluppare strategie efficaci per affrontare i cambiamenti.

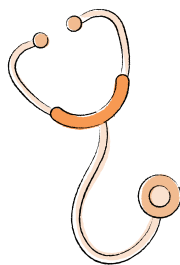
AIL attribuisce grande importanza al **benessere psicologico**, considerandolo una parte integrante del percorso di cura. Per questo offre un **servizio di psiconcologia gratuito**, uno **spazio di ascolto** pensato per supportare pazienti e caregiver e accompagnarli insieme in questo momento delicato della loro vita. Puoi trovare il supporto AIL:

- ✓ **nei reparti di ematologia presenti su tutto il territorio nazionale in cui è presente AIL** (contattare la sezione AIL sul territorio per maggiori informazioni);
- ✓ **al numero verde AIL: 800 226 524**, a cui risponde un esperto psico-oncologo ogni mercoledì dalle ore 10:00 alle 12:00 e dalle 15:00 alle 17:00.



## Q&A

### La malattia nella vita di tutti i giorni



#### Posso usare pomate/gel antinfiammatori?

L'uso topico (direttamente sulla parte del corpo da trattare) di pomate o gel antinfiammatori comporta un minor assorbimento sistemico rispetto ai farmaci orali, rendendoli generalmente poco rischiosi. Tuttavia, poiché alcuni principi attivi possono interferire con la funzionalità delle piastrine o dei reni, è sempre fondamentale chiedere conferma al proprio ematologo prima dell'utilizzo.



#### Posso fare le vaccinazioni in corso o dopo il trattamento?

Durante le fasi attive del trattamento le vaccinazioni con virus vivi attenuati (resi meno offensivi in laboratorio) sono controindicate per il rischio di sviluppare un'infezione. I vaccini inattivati o ricombinanti (come l'antinfluenzale, l'anti-pneumococcico o l'anti-COVID-19) sono invece raccomandati soprattutto nei pazienti più fragili. Sarà l'ematologo a stabilire il momento ottimale per la somministrazione.



#### Posso assumere qualsiasi medicina insieme ai farmaci per il trattamento?

No, prima di assumere qualsiasi medicinale, inclusi quelli da banco, gli integratori alimentari o i rimedi casalinghi, è necessario informare il proprio ematologo di riferimento. Molti farmaci comuni, come i classici antinfiammatori non steroidei (FANS) o alcuni sciroppi, possono interagire con i farmaci antileucemici, alterandone l'efficacia o potenziandone la tossicità.



#### Ci sono integratori o vitamine che possono aiutare o interferire con i farmaci?

L'impiego di integratori alimentari, multivitaminici o prodotti erboristici deve essere evitato se non espressamente prescritto dal proprio ematologo. Molti estratti naturali interferiscono con gli enzimi del fegato che metabolizzano i farmaci antileucemici, alterandone l'efficacia o potenziandone la tossicità.



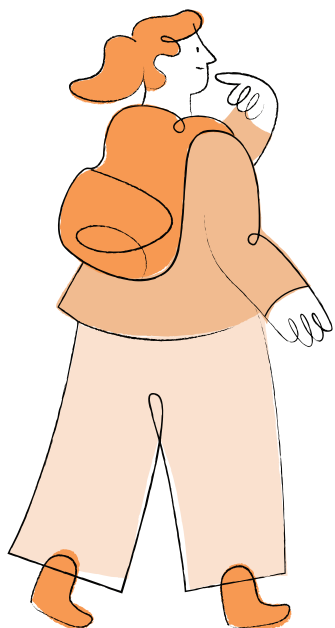
#### Come gestire nausea, perdita di appetito o cambiamenti di gusto?

Per contrastare la nausea è molto utile frazionare l'alimentazione in piccoli pasti frequenti, preferendo cibi cotti consumati a temperatura ambiente per ridurre il fastidio legato agli odori intensi. I cambiamenti del gusto possono essere mitigati curando l'igiene orale. Può essere di aiuto l'assunzione di farmaci antiemetici e procinetici.



## Come gestire contatti con bambini o animali?

Nelle fasi di neutropenia e quelle immediatamente successive ai cicli di chemioterapia è consigliabile evitare il contatto con i bambini piccoli che frequentano asili e potrebbero avere infezioni in incubazione. Mantenere in casa un animale domestico è permesso se questo è sano, regolarmente sverminato e vaccinato dal veterinario. Il paziente deve però evitare il contatto diretto con feci, urina, lettiera o gabbie, per scongiurare infezioni opportunistiche. numero e l'aspetto delle cellule del sangue, rilevando l'eventuale presenza di blasti leucemici in circolo.



## Posso prendere il sole?

Molti farmaci chemioterapici e antibiotici impiegati nel trattamento della leucemia aumentano la sensibilità alla luce solare o UV (effetto chiamato fotosensibilizzante), aumentando il rischio di eritemi solari e scottature anche dopo brevi esposizioni. È pertanto necessario proteggere sempre la pelle utilizzando creme solari con filtro massimo (SPF 50+), indossando abiti coprenti di cotone, occhiali da sole e cappelli. Si raccomanda di evitare totalmente l'esposizione diretta ai raggi solari nelle ore più calde, mantenendo questa precauzione anche nei mesi immediatamente successivi al termine delle terapie.



## Come affrontare piccoli malesseri senza allarmismi?

È fondamentale imparare ad ascoltare il proprio corpo senza farsi prendere dal panico per ogni minimo fastidio, appuntando i sintomi lievi per discuterne con calma alla visita ambulatoriale. Esistono però dei chiari campanelli d'allarme che richiedono l'intervento immediato del centro di ematologia di riferimento: febbre (superiore a 38°C), soprattutto se accompagnata da brividi forti e persistenti, pressione bassa o sanguinamenti anomali improvvisi. In caso di dubbi su un sintomo, una telefonata di confronto con il proprio centro ematologico rappresenta sempre la scelta migliore per gestire la situazione in totale sicurezza.

# Bibliografia

1. Döhner H, Wei AH, Appelbaum FR, et al. Diagnosis and management of AML in adults: 2022 recommendations from an international expert panel on behalf of the ELN. *Blood*. 2022;140(12):1345-1377. doi:[10.1182/blood.2022016867](https://doi.org/10.1182/blood.2022016867).
2. Khoury, J. D., Solary, E., Abla, O., et al. (2022). The 5th edition of the World Health Organization Classification of Haematolymphoid Tumours: Myeloid and Histiocytic/Dendritic Neoplasms. *Leukemia*, 36(7), 1703-1719. <https://doi.org/10.1038/s41375-022-01613-1>.
3. <https://www.registri-tumori.it/cms/sites/default/files/pubblicazioni%20numer%20del%20cancro%20in%20Italia%20-%20versione%20per%20operatori%201.pdf>
4. Döhner, H., DiNardo, C., Appelbaum, F., et al. (2024); Genetic risk classification for adults with AML receiving less-intensive therapies: the 2024 ELN recommendations. *Blood* 2024; 144 (21): 2169–2173. doi: <https://doi.org/10.1182/blood.2024025409>
5. Sekeres MA, Mattison RJ, Artz AS, et al. American Society of Hematology 2025 guidelines for treating newly diagnosed acute myeloid leukemia in older adults. *Blood Adv*. Published online November 25, 2025. doi:[10.1182/bloodadvances.2025017934](https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2025017934) <https://acuteleuk.org/highlights-from-ash-2025-update-in-aml/>
6. Venditti A et al. *Blood Adv*. 2025 May 13;9(9):2207-2220. doi: [10.1182/bloodadvances.2024013744](https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2024013744).

La Fondazione GIMEMA – Franco Mandelli Onlus è un’organizzazione no profit italiana che promuove la ricerca clinica indipendente sulle malattie del sangue dell’adulto, con l’obiettivo di migliorare gli standard di cura e la qualità di vita dei pazienti ematologici. Fondata oltre quarant’anni fa dal professor Franco Mandelli, porta oggi il suo nome in riconoscimento della sua visione pionieristica e dei risultati che hanno reso GIMEMA un punto di riferimento nazionale e internazionale nella ricerca ematologica. La Fondazione coordina una rete che coinvolge più di 140 centri di ematologia e oltre 50 laboratori specializzati distribuiti su tutto il territorio italiano. Questa rete consente di condurre studi clinici su larga scala e di raccogliere dati fondamentali per comprendere meglio le malattie del sangue e sviluppare trattamenti sempre più efficaci e personalizzati. Le attività di ricerca sono affidate ai Working Parties, gruppi di lavoro indipendenti dedicati a specifiche aree dell’ematologia.

In oltre quarant’anni di attività, GIMEMA ha contribuito a cambiare la storia naturale di diverse patologie ematologiche. Ne sono esempio i risultati ottenuti nella leucemia acuta linfoblastica Philadelphia-positiva (LAL Ph+) e nella leucemia acuta promielocitica (APL), che oggi sono trattabili con protocolli “chemio-free”: terapie meno tossiche, altamente efficaci e capaci di garantire una sopravvivenza a lungo termine superiore all’80%. Oltre a migliorare la prognosi, questi approcci hanno un impatto significativo sulla qualità della vita dei pazienti, un parametro che tiene conto dello stato di benessere generale percepito dai pazienti, che rappresenta un punto centrale in tutti gli studi condotti dalla Fondazione.

Un elemento strategico della ricerca GIMEMA è la rete LabNet, un’infrastruttura nazionale che assicura uniformità e qualità nella valutazione molecolare delle principali patologie onco-ematologiche, che negli ultimi anni ha permesso di identificare parametri prognostici avanzati, utili per predire precocemente il rischio di progressione della malattia.

Accanto alla ricerca, la Fondazione GIMEMA è attiva nella formazione e nella divulgazione scientifica, organizzando webinar, corsi e iniziative informative. Attraverso il proprio sito diffonde aggiornamenti costanti dal mondo dell’ematologia.

Con tutte le sue attività, la Fondazione continua la missione del professor Mandelli: migliorare la vita dei pazienti ematologici, ogni giorno, con la forza della ricerca e della collaborazione.



ASSOCIAZIONE ITALIANA  
CONTRO LEUCEMIE  
LINFOMI E MIELOMA

# Sempre al vostro fianco

Care e cari pazienti, care e cari caregivers,

se avete ricevuto questo opuscolo è perché avete partecipato a uno dei nostri incontri pazienti-medici, visitato una sezione AIL o uno dei nostri canali di comunicazione.

Tuttavia, le **attività e le iniziative di AIL** dedicate a pazienti e caregiver **non si esauriscono qui**.

Per rimanere sempre aggiornati e scoprire tutte le nostre iniziative, vi invitiamo a visitare il sito di AIL Nazionale [www.ail.it](http://www.ail.it) e seguire i nostri canali social.



**Facebook**

@AIL.associazione.contro.leucemie



**Instagram**

@ail\_ets



**LinkedIn**

@AIL - Associazione Italiana contro Leucemie,  
linfomi e mieloma



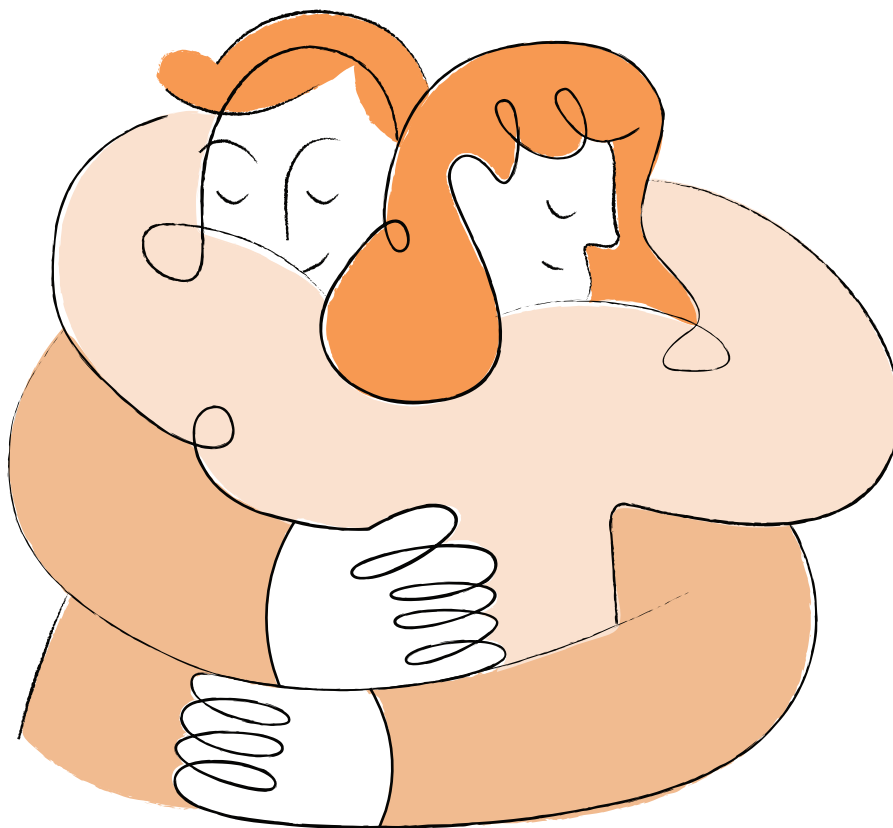
**TikTok**

@ail\_ets

Da oltre 55 anni, in AIL condividiamo un unico obiettivo comune: **costruire insieme un futuro senza tumori del sangue**.

Mentre la ricerca scientifica lavora per raggiungere questo ambizioso traguardo, **AIL Nazionale, le sue sezioni e oltre 17.000 volontari** presenti su tutto il territorio nazionale si impegnano ogni giorno per garantire che ogni paziente e chi lo accompagna possa affrontare la malattia con sempre maggiore **dignità, coraggio e qualità della vita**.

**Qualunque sia la fase del percorso oncologico in cui vi trovate, AIL è al vostro fianco.**



Un futuro senza tumori del sangue.  
Insieme possiamo.

---



ASSOCIAZIONE ITALIANA  
CONTRO LEUCEMIE  
LINFOMI E MIELOMA

# La nostra missione

AIL promuove e sostiene la ricerca scientifica per la cura delle leucemie, dei linfomi e del mieloma; assiste i pazienti e le famiglie accompagnandoli in tutte le fasi del percorso della malattia con servizi adeguati alle loro esigenze; si propone di migliorare la qualità di vita dei pazienti e di sensibilizzare l'opinione pubblica alla lotta contro le malattie del sangue.

Nel 2025, AIL Nazionale  
e le sue Sezioni hanno...



finanziato **206**  
progetti di ricerca



curato **2.326**  
pazienti nella propria  
abitazione



supportato **111**  
centri di ematologia



ospitato **2.418**  
pazienti e familiari  
nelle Case AIL

I servizi che offriamo per un futuro senza tumori del sangue:

### **Aggiorniamo pazienti e famiglie su patologie e terapie disponibili**

↳ organizzando 13 incontri medici-pazienti (4 online e 9 in forma ibrida) sulle principali malattie ematologiche nei quali esperti analizzano i diversi aspetti delle patologie e si confrontano con pazienti e caregiver, protagonisti della giornata.

### **Offriamo informazioni e supporto per pazienti e famiglie**

↳ grazie al Numero Verde AIL, attivo dal lunedì al venerdì allo 800 22 65 24: in linea un ematologo, uno psicologo e un esperto di diritto del lavoro e agevolazioni sociali.

### **Diamo voce ai diritti dei pazienti**

↳ attraverso i Gruppi AIL Pazienti (articolazione organizzativa di AIL Nazionale) ci occupiamo di diritti di informazione, di accesso alle cure e sociali.

### **Finanziamo la ricerca**

↳ su leucemie, linfomi, mieloma e altre malattie del sangue e sosteniamo il GIMEMA (Gruppo Italiano Malattie Ematologiche dell'Adulto).

### **Forniamo cure domiciliari**

↳ evitando ogni anno a 1.948 adulti e 378 bambini difficoltà e rischi connessi allo spostamento verso l'ospedale e permettendo loro una migliore qualità di vita.

### **Aiutiamo pazienti e familiari con servizi socioassistenziali**

↳ un aiuto concreto per circa 6.000 pazienti e familiari ogni anno, che include consulenze legali, assistenza sociale, supporto psicologico.

### **Supportiamo i Centri di Ematologia**

↳ e di Trapianto di Cellule Staminali aiutando a realizzare/ristrutturare day hospital, reparti, ambulatori e laboratori, ad acquistare apparecchiature, a finanziare personale sanitario e a sostenere protocolli di cura sperimentale.

### **Sosteniamo la mobilità sanitaria**

↳ con 8.390 viaggi solidali per garantire gli spostamenti a pazienti, familiari e donatori di midollo verso centri di cura lontani dalla residenza.

### **Accogliamo pazienti e familiari nelle Case AIL**

↳ ospitando 1.047 pazienti e 1.371 familiari che sostengono le terapie lontani dal luogo di residenza

### **Contribuiamo alla formazione e l'aggiornamento**

↳ di medici, biologi, infermieri e tecnici di laboratorio con l'erogazione di borse di studio, prestazioni professionali e contratti di lavoro.

### **Supportiamo pazienti e familiari nell'affrontare le problematiche sociali**

↳ con il servizio "sportello sociale AIL": per facilitare l'orientamento tra i percorsi della burocrazia, fornendo informazioni su diritti e agevolazioni assistenziali. 119 pazienti all'anno usufruiscono del servizio.



ASSOCIAZIONE ITALIANA  
CONTRO LEUCEMIE  
LINFOMI E MIELOMA

Trova la Sezione AIL  
più vicina a te



[www.ail.it](http://www.ail.it)

Con il patrocinio di

 **fondazione GIMEMA** onlus  
per la promozione e lo sviluppo della ricerca scientifica  
sulle malattie ematologiche. **FRANCO MANELLI**