



Schweizerische Pädiatrische Onkologie Gruppe
Groupe d'Oncologie Pédiatrique Suisse
Gruppo d'Oncologia Pediatrica Svizzera
Swiss Paediatric Oncology Group

EWOG-SAA 2010

L'Ospedale Universitario di Friburgo in Germania è responsabile della realizzazione internazionale della sperimentazione in qualità di promotore. In Svizzera, la responsabilità dell'esecuzione della sperimentazione è assunta dal Gruppo d'Oncologia Pediatrica Svizzera (SPOG) (rappresentante del promotore).

Premessa

Nell'anemia aplastica grave, in breve SAA, il numero di cellule del sangue nell'organismo è notevolmente ridotto. I pazienti colpiti sono quindi sempre più stanchi e pallidi, soffrono di emorragia cutanea o epistassi (sanguinamento nasale) e non sono più in grado di difendersi adeguatamente dalle infezioni. La causa di questa malattia è la perdita quasi totale di cellule staminali nel midollo osseo, per cui la produzione di cellule del sangue non funziona più correttamente. Si sospetta che sia dovuto a un sistema immunitario difettoso e ad alterazioni genetiche. La SAA non trattata può causare emorragie gravi, infezioni e leucemia.

Perché è necessario questo studio?

Lo studio tratta principalmente quesiti scientifici sull'origine e sul comportamento della SAA. Poiché si presume che una SAA sia parzialmente innescata da difetti genetici, lo studio si concentra sulla ricerca di questi fattori genetici scatenanti. A tal fine, i campioni di sangue e midollo osseo dei pazienti, prelevati nell'ambito di esami standard, sono esaminati in laboratorio per verificare la presenza di alterazioni genetiche utilizzando moderni metodi analitici. In questo contesto non si prevede di scoprire che la causa della malattia sia una singola alterazione genetica, ma di rilevare diverse proprietà genetiche, la cui significatività non è ancora nota. Vengono inoltre raccolti dati clinici per valutare la risposta alla terapia ed eventuali effetti collaterali. Si tratta di acquisire maggiori conoscenze su questa malattia rara per essere in grado di sviluppare in futuro migliori forme di terapia.

Contatti del rappresentante del promotore in Svizzera:

Partner Relations
SPOG Coordinating Center
Effingerstrasse 33
3008 Berna
Tel.: +41 31 389 91 89