



# Indagine sulle Attività 2025

## Manuale

Traduzione non ufficiale in italiano

Aprile 2026, v2

Documento tradotto dal *Activity Survey Manual 2025*, versione inglese (aprile 2026, v2)

---

**EBMT Registry**

EBMT Clinical Research & Registry Department

## Indice

Introduzione.....	3
Come accedere, utilizzare e inviare il modulo online.....	4
Accesso e funzionalità del sondaggio online.....	4
Funzionalità intuitive per l'utente.....	4
Messaggi di errore.....	4
Linee guida per l'invio.....	6
Salvataggio dei passaggi completati.....	6
Ricevere una copia dell'invio.....	7
Indirizzo del centro e informazioni sul team.....	8
Tabelle.....	10
Richieste sul sondaggio.....	11
Protezione dei dati.....	11
Domande e supporto tecnico.....	11
Altre modalità di partecipazione.....	11
Partecipazione al sondaggio di soddisfazione.....	12
Come riportare i dati.....	12
Sezione 1: HCT (autologo e allogenico).....	13
Tabella 1a: Pazienti adulti:.....	13
Tabella 1b: Pazienti pediatrici:.....	14
Definizioni per le tabelle 1a e 1b.....	14
Informazioni aggiuntive.....	15
Sezione 2: CAR-T e/o Terapie Geniche.....	16
Definizioni per le tabelle 2a e 2b.....	16
Informazioni aggiuntive:.....	16
Sezione 3: Altre Terapie Cellulari (escluse HCT, terapia genica e DLI) nel 2025.....	17
Sezione 4: Infusione di linfociti del donatore (DLI):.....	19
Sezione 5: Trattamenti immunosoppressivi (IST) per le Sindromi da Insufficienza Midollare Acquisita.....	19
Appendice 1.....	20

## Introduzione

Benvenuti al Sondaggio di Attività EBMT 2025. Il Sondaggio di Attività rappresenta uno strumento fondamentale per valutare il quadro reale dei trattamenti di HCT, CT, GT e IST in Europa. Questo sondaggio ha una duplice finalità: fornire informazioni sulle tendenze attuali e mettere a disposizione dati essenziali per la consulenza, la pianificazione e i processi decisionali.

La partecipazione dedicata dei team consente all'EBMT di monitorare i cambiamenti nel tempo e di identificare i fattori che influenzano il settore. Questo sondaggio è di grande valore per i singoli team di trapianto, le organizzazioni nazionali, le agenzie sanitarie, l'industria e i pazienti le cui vite sono influenzate da queste terapie.

Quest'anno sono stati introdotti alcuni aggiornamenti ai contenuti del sondaggio, con una raccolta dati specifica per ciascuno dei diversi tipi di trattamento e per fasce d'età. Queste modifiche sono essenziali per garantire che il sondaggio continui a evolversi e rappresenti in modo accurato il panorama completo del trapianto di cellule staminali ematopoietiche e delle altre terapie cellulari e geniche in Europa, soprattutto considerando la crescente diffusione di nuovi trattamenti e delle loro indicazioni. Nonostante questi adeguamenti, le analisi e i confronti con gli anni precedenti restano pertinenti e di grande valore. Incoraggiamo tutti i team di trapianto a continuare a contribuire a questa importante iniziativa.

Il Sondaggio di Attività 2025 raccoglie i dati sulle attività dei centri dal 1° gennaio 2025 al 31 dicembre 2025.

Questo manuale è stato sviluppato con un significativo contributo scientifico di Raffaella Greco (Segretaria dell'EBMT) e Isabel Sánchez-Ortega (Direttrice medica e Direttrice della formazione dell'EBMT), la cui esperienza ha contribuito all'accuratezza e all'integrità dei contenuti clinici e metodologici.

Desideriamo riconoscere il contributo di Helga Neidlinger, Franziska Hanke, Gloria Tridello, Asadullah Sharifi, Ignacio García, Nadiia Dyba ed Eden Tsehay Abera per il loro prezioso supporto nella revisione delle traduzioni e nel garantire l'accuratezza e la coerenza dei contenuti nelle diverse lingue.

Questo documento è una traduzione non ufficiale del Manuale dell'Indagine sulle Attività 2025. In caso di discrepanze o dubbi, fa fede la versione inglese, che costituisce la versione ufficiale e autorizzata, consultabile [qui](#).

## Come accedere, utilizzare e inviare il modulo online

### Accesso e funzionalità del sondaggio online

L'EBMT vi ha fornito un link web che indirizza alla piattaforma digitale che ospita il sondaggio online. Facendo clic su questo link, sarete reindirizzati direttamente al sondaggio relativo al vostro centro e potrete iniziare a inserire le informazioni richieste.

Prima di iniziare, si prega di prendere nota dei seguenti requisiti tecnici:

- Il sondaggio online può essere compilato solo da computer e non è adatto a smartphone o tablet.
- Il sondaggio è ottimizzato per i browser Google Chrome e Microsoft Edge. Se si utilizza un browser diverso, si consiglia di passare a uno di quelli supportati.
- Prima di inserire qualsiasi dato, si raccomanda vivamente di leggere integralmente il presente manuale utente.

### Funzionalità intuitive per l'utente

Il formato digitale del sondaggio offre diverse funzionalità intuitive per i partecipanti, tra cui la possibilità di scorrere il modulo, ingrandire o ridurre la visualizzazione e navigare facilmente tra le varie sezioni. Il sondaggio include diversi tipi di campi di inserimento, come caselle di selezione, campi di testo e menu a tendina. Nel caso delle caselle di selezione, è sufficiente "spuntare" la casella se l'affermazione è applicabile al proprio centro.

### Messaggi di errore

Il sondaggio online è progettato per visualizzare messaggi di errore quando un partecipante commette un errore, aiutandolo a correggere l'inserimento prima dell'invio. Ad esempio, se si preme "Invia" troppo presto, verrà visualizzato un messaggio di errore qualora alcuni campi obbligatori siano stati lasciati vuoti. Tuttavia, se tutti i campi obbligatori sono stati compilati, premendo "Invio" il modulo verrà trasmesso.

Le immagini sottostanti mostrano i campi obbligatori che devono essere selezionati o compilati prima dell'invio del sondaggio online. I campi obbligatori sono contrassegnati da un **asterisco rosso (\*)** posizionato alla destra dell'affermazione o della domanda.

Alcuni di questi campi attiveranno determinate parti del modulo in base alle risposte fornite, al fine di evitare errori di inserimento dei dati e la segnalazione di informazioni non corrette.

Has the Team changed for this centre, compared to what is written above? (When it is correct, then continue) \*

- Our Team is the same for this centre
- Our Team has changed for this centre

**This field is required.**

Name of person filling out this form \*

**This field is required.**

Did this unit perform HCT and/or CAR-T and/or Gene therapy on paediatric or adults patients in 2025? \*

- Adults
- Paediatric

**This field is required.**

I have read the [Activity Survey manual](#) \*

**This field is required.**

Did your centre perform non-HCT cellular therapies using manipulated or selected cells in 2025 for paediatric patients? \*

- Yes
- No

**This field is required.**

Did your centre perform unmanipulated DLI infusions in 2025? \*

- Yes
- No

**This field is required.**

Did your centre perform Immunosuppressive Treatments (IST) for acquired Bone Marrow Failure Syndromes in 2025? \*

- Yes
- No

**This field is required.**

Representative's full name (to be displayed in Appendix) \*

This is the full name of the representative from your centre that you would like to be displayed in the Appendix of the Activity Survey Publication.


**This field is required.**

Email for receiving a PDF document of the form \*

example@example.com


 This field is required.

Finished the survey? \*

 Are you finished completing the survey? The next page is Review, on which there is the Submit button. This field is required.

Data Protection \*

By submitting my responses to this survey form, I confirm my wish to have my data saved in the EBMT Activity Survey. My personal data will be used only for the purposes of maintenance of this service which includes communications and updates regarding the EBMT Activity Survey. The personal data provided will be processed according to the General Data Protection Regulation (GDPR 2016/679) and stored in an electronic database located in the EEA (European Economic Area) or in countries that are provided with the same level of protection for privacy. Data Subjects have the right of access, rectification of his/her personal data and to withdraw consent. If, as a Data Subject, you wish to exercise any of the rights listed above, please write to [data.protection@ebmt.org](mailto:data.protection@ebmt.org). For further information please go to the Privacy Policy on [www.ebmt.org/privacy-policy](http://www.ebmt.org/privacy-policy)

 This field is required.

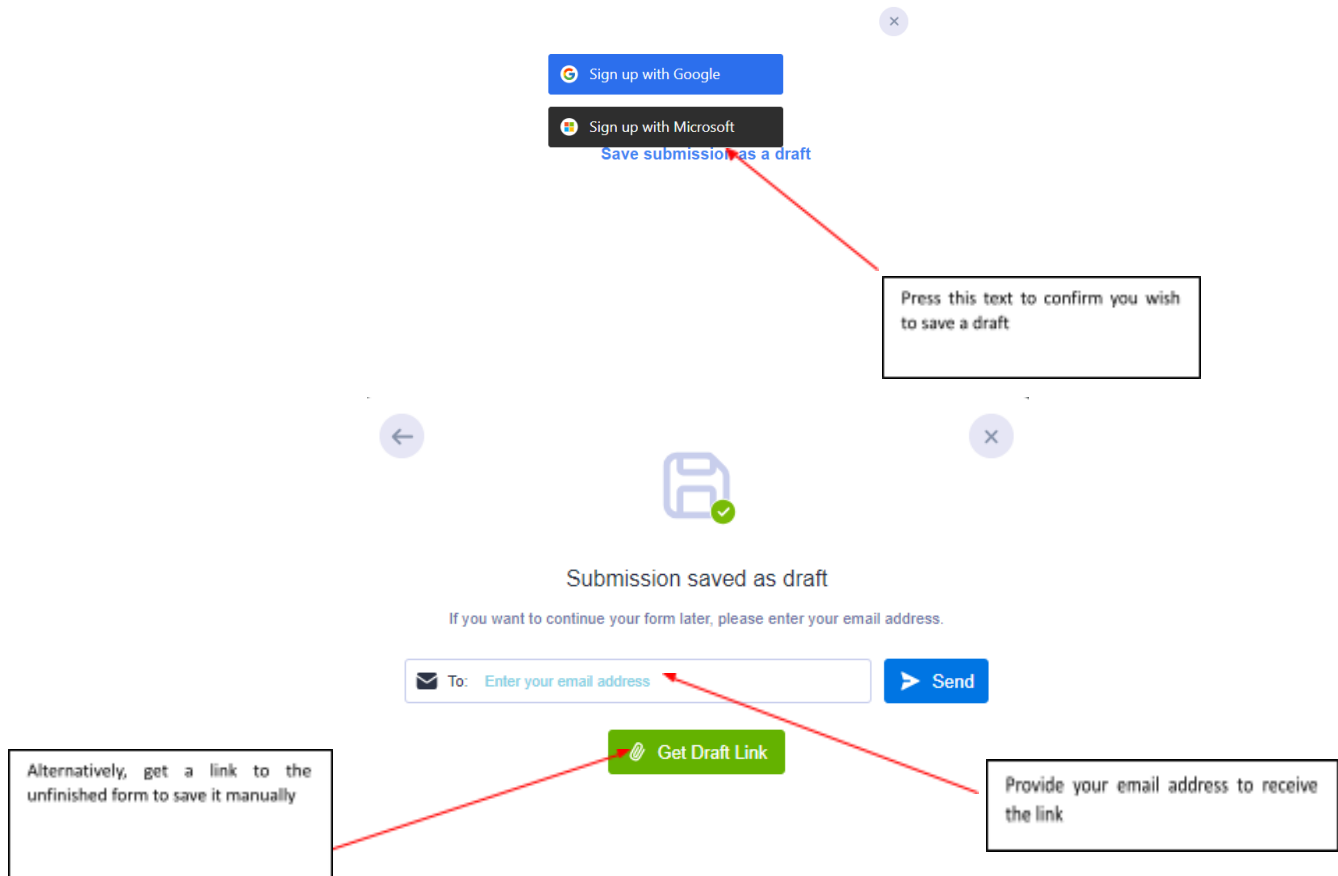
## Linee guida per l'invio

Prima dell'invio, si prega di verificare che **tutti i campi obbligatori** siano stati compilati. Questo è necessario per poter trasmettere correttamente la risposta. Si ricorda che è consentito **un solo invio per centro**; non sono ammessi invii multipli dallo stesso centro. In caso di errore di inserimento dei dati o di invio non intenzionale, si prega di contattarci via email all'indirizzo [activitysurvey@ebmt.org](mailto:activitysurvey@ebmt.org).

## Salvataggio dei passaggi completati

Il sondaggio online offre anche la possibilità di salvare i passaggi completati qualora non si desidera completare il modulo in un'unica sessione. A tal fine, fare clic sul pulsante **“Save”** alla fine del modulo. Si aprirà quindi una finestra che chiederà di effettuare l'accesso o di registrarsi creando un account. È importante notare che **l'accesso o la creazione di un account Jotform non sono obbligatori**.

È possibile selezionare l'opzione **“Save a submission as draft”** e fornire il proprio indirizzo email. In questo modo si riceverà un link al modulo non completato. In alternativa, è possibile selezionare **“Get Draft Link”**, salvare il link sul proprio computer e utilizzarlo successivamente per riprendere e completare il sondaggio.



## Ricevere una copia dell'invio

Una volta completato il sondaggio e inviato tramite la piattaforma online, si riceverà un'email con oggetto **"We have received your response for EBMT 2025 Activity Survey on Transplant, Cellular, and Gene Therapy"** all'indirizzo email fornito nel campo indicato (potrebbero essere necessari alcuni minuti prima che l'email arrivi nella casella di posta).

Email for receiving a copy of the form \*

  
example@example.com

In questa email sarà inclusa una copia dell'invio. Per visualizzare l'intero messaggio, si prega di scorrere verso il basso e fare clic su **"View entire message"**.

---

[Message clipped] [View entire message](#)

One attachment • Scanned by Gmail ⓘ



Nella stessa email sarà presente un **allegato PDF**, che potrà essere scaricato, salvato e stampato dal centro. Il PDF contiene tutti i dati inseriti nel modulo online, insieme ad alcune informazioni chiave sul centro e sulla persona che ha compilato il modulo.

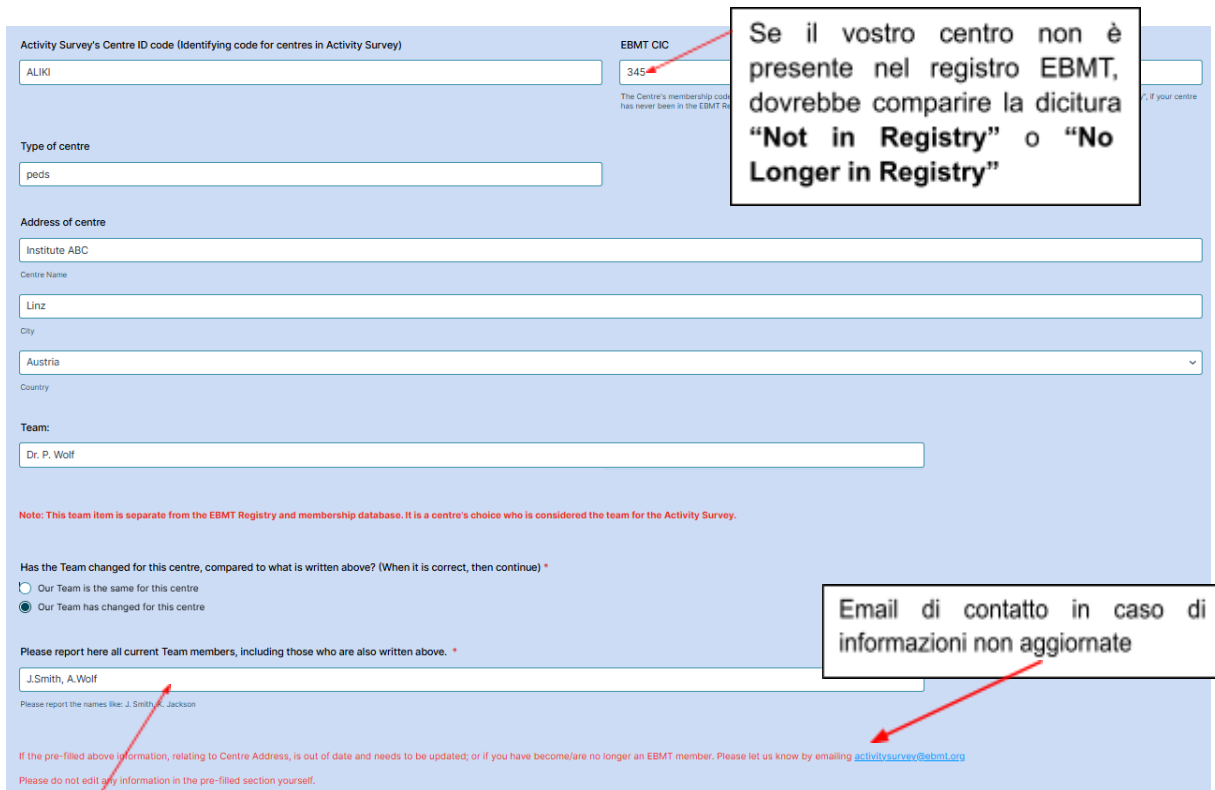
Quando un centro modifica il modulo, la stessa email verrà inviata nuovamente con un PDF contenente i dati più aggiornati.

### Indirizzo del centro e informazioni sul team

La prima sezione del sondaggio online è stata **precompilata dall'EBMT** e contiene le informazioni più aggiornate disponibili relative all'indirizzo del centro partecipante e ai membri del team.

L'immagine sottostante mostra un esempio di questa sezione con dati fittizi precompilati. Nel caso in cui le informazioni del vostro centro non siano aggiornate e necessitino di modifica, si prega di contattarci via email all'indirizzo [activitysurvey@ebmt.org](mailto:activitysurvey@ebmt.org). Inoltre, se il vostro centro è diventato recentemente membro EBMT o non lo è più, vi chiediamo di informarci allo stesso indirizzo email.

Se il team del vostro centro è cambiato, selezionare la casella "**Our Team has changed for this centre**". Nel campo bianco, indicare i nomi delle persone che attualmente fanno parte del team (includendo anche eventuali nomi già presenti in precedenza).



The screenshot shows a survey form with several fields and annotations. A red arrow points from a text box to the EBMT CIC field, which contains the value '345'. Another red arrow points from a text box to the 'Team' field, which contains 'Dr. P. Wolf'. A third red arrow points from a text box to the 'Please report here all current Team members' field, which contains 'J. Smith, A. Wolf'. A fourth red arrow points from a text box to the email address 'activitiesurvey@ebmt.org' in the footer.

Activity Survey's Centre ID code (Identifying code for centres in Activity Survey)

ALIKI

EBMT CIC

345

The Centre's membership code has never been in the EBMT Survey, if your centre

Type of centre

pedS

Address of centre

Institute ABC

Centre Name

Linz

City

Austria

Country

Team:

Dr. P. Wolf

Note: This team item is separate from the EBMT Registry and membership database. It is a centre's choice who is considered the team for the Activity Survey.

Has the Team changed for this centre, compared to what is written above? (When it is correct, then continue) \*

Our Team is the same for this centre

Our Team has changed for this centre

Please report here all current Team members, including those who are also written above. \*

J. Smith, A. Wolf

Please report the names like: J. Smith, K. Jackson

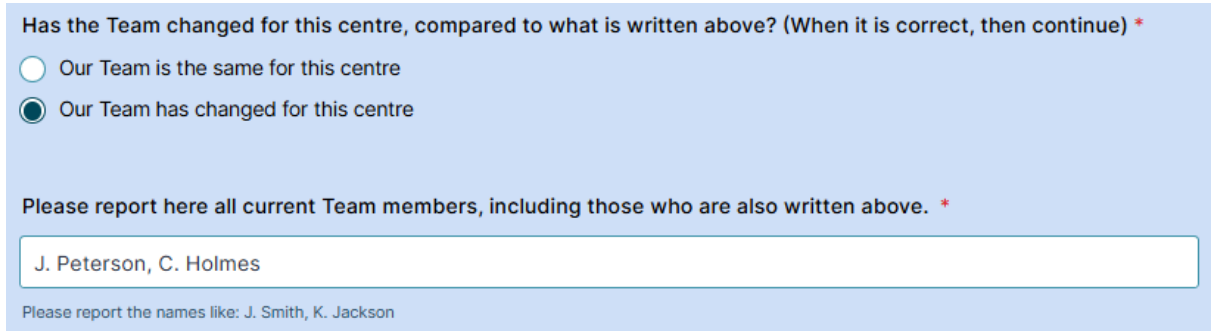
If the pre-filled above information, relating to Centre Address, is out of date and needs to be updated; or if you have become/are no longer an EBMT member. Please let us know by emailing [activitiesurvey@ebmt.org](mailto:activitiesurvey@ebmt.org)

Please do not edit any information in the pre-filled section yourself.

Se il vostro centro non è presente nel registro EBMT, dovrebbe comparire la dicitura "Not in Registry" o "No Longer in Registry"

Email di contatto in caso di informazioni non aggiornate

Se le informazioni del team sono cambiate, selezionare l'opzione "Our Team has changed for this centre" e inserire i membri attuali del team, includendo anche quelli già elencati sopra (campo obbligatorio). Se il team è invariato, selezionare "Our team is the same for this centre".



The screenshot shows a section of the survey form with two radio button options and a text field. The first option is 'Our Team is the same for this centre' and the second is 'Our Team has changed for this centre', which is selected. Below the options is a text field containing 'J. Peterson, C. Holmes' and a note: 'Please report the names like: J. Smith, K. Jackson'.

Has the Team changed for this centre, compared to what is written above? (When it is correct, then continue) \*

Our Team is the same for this centre

Our Team has changed for this centre

Please report here all current Team members, including those who are also written above. \*

J. Peterson, C. Holmes

Please report the names like: J. Smith, K. Jackson

Nel caso in cui il vostro centro non sia più attivo, selezionare la casella "This centre no longer performs HCT or Cellular Therapies". Inoltre, se il centro è stato chiuso, fuso o suddiviso con un altro centro, vi chiediamo di informarci inviando un'email a [activitiesurvey@ebmt.org](mailto:activitiesurvey@ebmt.org).

Are you no longer an active centre?

This centre no longer performs HCT or Cellular therapies

## Tablelle

Nell'immagine sottostante è mostrata una porzione della **tabella 1a**. I nomi delle righe e delle colonne sono evidenziati in azzurro chiaro. Si prega di fare riferimento all'[Appendice 1](#) per le abbreviazioni utilizzate. Si noti che sul lato sinistro della tabella le righe sono numerate; questa numerazione viene utilizzata nella sezione successiva per fornire istruzioni più dettagliate sulla modalità di compilazione dei dati.

Table 1a: Report the number of **adult patients** receiving their **1st allogeneic and/or 1st autologous transplant or non 1st HCT** in 2025:

	Indication	HLA-Id sibling BM	HLA-Id sibling PBSC	HLA-Id sibling Cord	Twin BM	Twin PBSC	Haplo and other HLA mismatched related donors BM	Haplo and other HLA mismatched related donors PBSC	Haplo and other HLA mismatched related donors Cord	Unrelated BM	Unrelated PBSC	Unrelated Cord	Auto BM	Auto PBSC	Auto Cord	Total Allo	Total Auto	Total HCT
1	AML 1st CR															0	0	0
2	AML in CR > 1st CR															0	0	0
3	AML not in CR															0	0	0
4	AML therapy - related															0	0	0
5	AML with MDS - related changes															0	0	0
6	ALL 1st CR															0	0	0
7	ALL non 1st CR															0	0	0
	Indication	HLA-Id sibling BM	HLA-Id sibling PBSC	HLA-Id sibling Cord	Twin BM	Twin PBSC	Haplo and other HLA mismatched related donors BM	Haplo and other HLA mismatched related donors PBSC	Haplo and other HLA mismatched related donors Cord	Unrelated BM	Unrelated PBSC	Unrelated Cord	Auto BM	Auto PBSC	Auto Cord	Total Allo	Total Auto	Total HCT
8	CML 1st CP															0	0	0
9	CML non 1st CP															0	0	0

I campi di testo bianchi (o azzurro chiaro) devono essere compilati dal partecipante **utilizzando esclusivamente numeri**. Se non vi sono pazienti da riportare, il campo può essere lasciato vuoto. Nelle aree ombreggiate in grigio, la somma di ciascuna riga viene calcolata automaticamente; pertanto, non è necessario effettuare manualmente il calcolo del numero di pazienti.

È possibile utilizzare il tasto "Tab" della tastiera per spostarsi all'interno di una riga durante la compilazione di una specifica indicazione. Tuttavia, non utilizzare il tasto Tab per passare da una riga all'altra, poiché ciò causerebbe l'espansione della tabella e renderebbe invisibile la parte inferiore della stessa.

## Richieste sul sondaggio

Dopo aver ricevuto l'invio, è possibile che vi contattiamo nuovamente per richiedere un aggiornamento (parziale) della risposta. Ciò può avvenire nel caso in cui vengano riscontrati conteggi anomali o incongruenze rispetto agli invii degli anni precedenti. In tali casi, vi verrà inviato un link insieme alle indicazioni su quali elementi correggere.

## Protezione dei dati

Inviando la vostra risposta come partecipanti a questo sondaggio, confermate la volontà che i vostri dati vengano archiviati nel **Sondaggio di Attività EBMT**. I dati personali dei partecipanti saranno utilizzati esclusivamente per finalità di gestione del servizio, incluse le comunicazioni e gli aggiornamenti relativi al Sondaggio di Attività EBMT.

I dati personali forniti saranno trattati in conformità al **Regolamento Generale sulla Protezione dei Dati (GDPR 2016/679)** e archiviati in una banca dati elettronica situata nello **Spazio Economico Europeo (SEE)** o in Paesi che garantiscono lo stesso livello di protezione della privacy.

Gli interessati hanno il diritto di accesso, rettifica dei propri dati personali e di revocare il consenso. Qualora, in qualità di interessati, desideriate esercitare uno dei diritti sopra elencati, vi preghiamo di scrivere a [data.protection@ebmt.org](mailto:data.protection@ebmt.org). Per ulteriori informazioni, consultare la **Privacy Policy** disponibile sul sito [www.ebmt.org/privacy-policy](http://www.ebmt.org/privacy-policy)

## Domande e supporto tecnico

Sul nostro sito web <https://www.ebmt.org/registry/ebmt-transplant-activity-survey>, è possibile trovare le informazioni più importanti relative al Sondaggio di Attività, nonché le pubblicazioni degli anni precedenti.

In caso di domande o problemi tecnici relativi al sondaggio online, si prega di contattarci via email all'indirizzo [activitysurvey@ebmt.org](mailto:activitysurvey@ebmt.org). Per consentirci di assistervi più rapidamente, potete salvare il link del modulo non completato e inoltrarlo via email insieme alla vostra richiesta.

## Altre modalità di partecipazione

Nel caso sfortunato in cui non siate in grado di compilare il Sondaggio di Attività online per qualsiasi motivo, vi saremmo grati se poteste inviare l'attività del vostro centro utilizzando la versione **Excel** o **PDF** disponibile sul nostro sito web <https://www.ebmt.org/registry/ebmt-transplant-activity-survey>. A tal fine, si prega di seguire i seguenti passaggi:

1. Scaricare il **modulo PDF del Sondaggio di Attività EBMT 2025** pubblicato sul sito web.

2. Compilare i campi dati pertinenti.
3. Nominare e salvare il file utilizzando il vostro **numero CIC** e/o i dettagli del centro. Se non disponete di un numero CIC, nominate il file con il nome della vostra istituzione.
4. Inviare il modulo via email all'indirizzo [activitysurvey@ebmt.org](mailto:activitysurvey@ebmt.org).


## Partecipazione al sondaggio di soddisfazione

Circa 7–14 giorni dopo l'invio del modulo, riceverete un'email da Jotform con oggetto "Participate in Satisfaction Survey - EBMT Activity Survey 2025". Con questa email sarete invitati a partecipare al Sondaggio di Soddisfazione.

Il Sondaggio di Soddisfazione è stato avviato per valutare l'esperienza dei partecipanti con la piattaforma online e per raccogliere feedback sui contenuti medici del sondaggio. La vostra partecipazione a questo breve sondaggio è fondamentale per aiutarci a migliorare il Sondaggio di Attività EBMT.

Il link al sondaggio online sarà disponibile nell'email. Per accedere al sondaggio, fare clic sul link indicato.

To participate in the survey, please click [here](#).



Link al sondaggio sulla soddisfazione
---------------------------------------

## Come riportare i dati

Dal 2025, l'EBMT fornisce tabelle di reporting separate per pazienti adulti e pediatrici. La tabella appropriata deve essere compilata in base alla popolazione trattata. La popolazione trattata dal team/unità di riferimento del centro deve essere indicata nella domanda mostrata nell'immagine sottostante.

Did this unit perform HCT and/or CAR-T and/or Gene therapy on paediatric or adults patients in 2025? \*

- Adults
- Paediatric

A scopo di chiarimento, **l'età da sola non determina la selezione del modulo**. Ad esempio, un paziente di 17 anni trattato in un'unità per adulti deve essere riportato utilizzando il modulo per adulti, mentre un paziente di 18 anni trattato in un'unità pediatrica deve essere riportato utilizzando il modulo pediatrico.

Entrambi i moduli seguono la stessa struttura; tuttavia, in ciascun modulo sono incluse indicazioni specifiche per la popolazione pediatrica e per quella adulta.

## Sezione 1: HCT (autologo e allogenico)

Questa sezione include una tabella per riportare il numero di pazienti che hanno ricevuto HCT allogenico e/o autologo nel 2025. Una delle seguenti tabelle viene visualizzata in base alla popolazione trattata selezionata all'inizio del modulo:

- Tabella 1a: Riportare il numero di pazienti adulti che hanno ricevuto il primo trapianto allogenico e/o il primo trapianto autologo, oppure un HCT non primo, nel 2025.
- Tabella 1b: Riportare il numero di pazienti pediatriche che hanno ricevuto il primo trapianto allogenico e/o il primo trapianto autologo, oppure un HCT non primo, nel 2025.

La procedura di trapianto è considerata iniziata al momento dell'avvio del regime di condizionamento. Se un paziente muore dopo l'inizio del condizionamento ma prima dell'infusione, la procedura deve comunque essere riportata.

**La classificazione delle malattie segue la classificazione OMS dei tumori:**

<https://tumourclassification.iarc.who.int/welcome/> e il **dizionario di classificazione delle malattie EBMT** <https://www.ebmt.org/registry/ebmt-data-collection>.

Tabella 1a: Pazienti adulti:

**Righe 1–38:** riportare il primo HCT allogenico e/o il primo HCT autologo per i pazienti adulti, in base all'indicazione di malattia, al tipo di donatore e alla fonte di cellule staminali.

Lo stesso paziente può essere riportato due volte se l'inizio di ciascun tipo di HCT ha avuto luogo nel 2025.

Poiché tutti i dati sono raccolti in forma anonima, anche i pazienti che non hanno fornito il consenso alla condivisione dei dati devono essere riportati.

**Riga 39:** Numero totale di pazienti adulti che hanno ricevuto il primo allo-HCT o auto-HCT nel 2025 (totale delle righe 1–38).

**Riga 40:** Numero totale di trapianti aggiuntivi (HCT autologhi e allogenici non primi) eseguiti per qualsiasi motivo nel 2025, inclusi i trapianti effettuati nell'ambito di protocolli di trapianto multiplo pianificato.

**Riga 41:** Numero totale di trapianti eseguiti nel 2025, comprendente il primo allo-HCT e il primo auto-HCT (righe 1–38) più i trapianti aggiuntivi non primi (riga 40).

### Tabella 1b: Pazienti pediatrici:

**Righe 1–52:** riportare il primo HCT allogenico e/o il primo HCT autologo per i pazienti pediatrici, in base all'indicazione di malattia, al tipo di donatore e alla fonte di cellule staminali.

Lo stesso paziente pediatrico può essere riportato due volte se la l'inizio di ciascun tipo di HCT ha avuto luogo nel 2025.

Poiché tutti i dati sono raccolti in forma anonima, anche i pazienti pediatrici che non hanno fornito il consenso alla condivisione dei dati devono essere riportati.

**Riga 53:** Numero totale di pazienti pediatrici che hanno ricevuto il primo allo-HCT o auto-HCT nel 2025 (totale delle righe 1–52).

**Riga 54:** Numero totale di trapianti aggiuntivi (HCT autologhi e allogenici non primi) eseguiti per qualsiasi motivo nel 2025, inclusi i trapianti effettuati nell'ambito di protocolli di trapianto multiplo pianificato.

**Riga 55:** Numero totale di trapianti eseguiti nel 2025, comprendente il primo allo-HCT e il primo auto-HCT (righe 1–52) più i trapianti aggiuntivi non primi (riga 54).

### Definizioni per le tabelle 1a e 1b

- **First HCT:** Primo HCT: paziente che non ha mai precedentemente subito un HCT.
- **First Allo-HCT:** Primo allo-HCT: primo HCT allogenico eseguito, indipendentemente da un precedente auto-HCT o da altre terapie cellulari.
- **First Auto-HCT:** Primo auto-HCT: primo HCT autologo eseguito, indipendentemente da un precedente allo-HCT o da altre terapie cellulari.
- **HLA-identical sibling:** Fratello HLA-identico: fratello con HLA identico.
- **Haploidentical donor:** Donatore aploididentico: donatore familiare con mismatch di un aplotipo.
- **Other HLA-mismatched related donor:** Altro donatore consanguineo HLA-mismatch: donatori consanguinei con mismatch inferiore rispetto a un aplotipo completo.
- **Unrelated Donor:** Donatore non consanguineo: donatore non consanguineo compatibile o non compatibile.

Combinazione di fonti di cellule staminali	Come segnalare
Midollo osseo + sangue periferico	Segnala come PBSC (trapianto di cellule staminali del sangue periferico)
Midollo osseo + sangue del cordone ombelicale	Segnala come Cordone (trapianto di sangue del cordone ombelicale)
Sangue periferico + sangue del cordone ombelicale	Segnala come Cordone (trapianto di sangue del cordone ombelicale)
Midollo osseo + sangue periferico + sangue del cordone ombelicale	Segnala come Cordone (trapianto di sangue del cordone ombelicale)

### Informazioni aggiuntive

- Pre-planned multiple transplants: rapianti multipli pianificati:** doppi o tripli HCT allogenici o autologhi, ciascuno preceduto dal proprio regime di condizionamento, devono essere classificati come trapianti aggiuntivi e riportati alla **riga 40 per gli adulti** e alla **riga 54 per i pazienti pediatrici**. Le cellule staminali ematopoietiche (HSC) allogeniche somministrate dopo un precedente allo-HCT per qualsiasi indicazione, a seguito di terapia di condizionamento (chemioterapia e/o TBI), devono anch'esse essere classificate come secondo trapianto, indipendentemente dal tipo di donatore o dalla fonte di cellule staminali, e riportate alla riga 40 (adulti, tabella 1a) e alla riga 54 (pediatrici, tabella 1b).
- Allogeneic “boost”:** **“Boost” allogenico:** la reinfusione di HSC allogeniche dallo stesso donatore, senza condizionamento e in assenza di evidenza di fallimento dell'attecchimento, è considerata un **boost allogenico** e **NON** un trapianto. Questi casi devono essere riportati nella sezione **Potenziamento dell'attecchimento – Altre terapie**, tabelle 3a e/o 3b, **riga 2**.
- Autologous “boost” or “top-up”:** **“Boost” o “top-up” autologo:** la reinfusione di HSC autologhe come intervento di salvataggio a seguito di fallimento dell'attecchimento è considerata un boost o top-up autologo e **NON** un trapianto. Tali casi devono essere riportati nella sezione **Potenziamento dell'attecchimento – Altre terapie**, tabelle 3a e/o 3b, **riga 2**.
- Multiple infusions of the same product:** **Infusioni multiple dello stesso prodotto:** infusioni multiple dello stesso prodotto di cellule staminali (ad esempio

doppio cordone o infusioni multiple di PBSC) somministrate in giorni diversi dopo lo stesso regime di condizionamento sono considerate **un singolo trapianto**.

- **Concurrent autologous and allogeneic HCT: HCT autologo e allogeneico concomitanti:** le cellule staminali autologhe somministrate in concomitanza con un trapianto allogeneico, entro pochi giorni, sono considerate parte di **un unico trapianto allogeneico**.

## Sezione 2: CAR-T e/o Terapie Geniche

Questa sezione include una tabella per riportare tutte le terapie geneticamente modificate ex vivo a scopo terapeutico, comprese: CAR-T, altre cellule T geneticamente modificate, terapia genica con HSC autologhe e altre terapie geniche. In base alla popolazione trattata selezionata all'inizio del modulo, viene visualizzata una delle seguenti tabelle:

- Tabella 2a: Riportare il numero di pazienti adulti che hanno ricevuto la prima terapia CAR-T e/o la prima terapia genica, oppure una procedura CAR-T/terapia genica non prima, nel 2025.
- Tabella 2b: Riportare il numero di pazienti pediatrici che hanno ricevuto la prima terapia CAR-T e/o la prima terapia genica, oppure una procedura CAR-T/terapia genica non prima, nel 2025.

### Definizioni per le tabelle 2a e 2b

- **CAR-T cells:** Cellule CAR-T: cellule T geneticamente modificate in vitro per esprimere un recettore antigenico chimerico.
- **Other genetically modified T cells:** Altre cellule T geneticamente modificate: cellule T geneticamente modificate diverse dalle CAR-T.
- **Autologous haematopoietic stem cell gene therapy (autologous HSC Gene Therapy):** Terapia genica con cellule staminali ematopoietiche autologhe
- (Autologous HSC Gene Therapy): modifica genetica ex vivo di cellule staminali ematopoietiche CD34+ autologhe, seguita da reinfusione dopo un regime di condizionamento.
- **Other gene therapies:** Altre terapie geniche: terapie geniche autologhe o allogeneiche non incluse nelle categorie sopra elencate.

### Informazioni aggiuntive:

- Nella Sezione 2 sono state incluse **indicazioni aggiuntive**, tra cui: recidiva di ALL post-HCT, miosite, miastenia gravis, GvHD, fallimento/potenziamento dell'attecchimento, infezioni e altre indicazioni.
- Le **cellule T virus-specifiche** devono essere riportate nella **Sezione 3**, sotto **Altre cellule T geneticamente modificate**, con indicazione **Infezione**.

**Righe 1–45 nella tabella 2a per adulti e righe 1–59 nella tabella 2b per pazienti pediatrici:** riportare il numero di pazienti che hanno ricevuto nel 2025 presso il vostro centro la prima terapia CAR-T (autologa o allogenica), altre terapie con cellule T geneticamente modificate, terapia genica con HSC autologhe e/o altre terapie geniche autologhe o allogeniche.

- Riportare per indicazione e tipo di donatore.
- Includere pazienti con o senza un precedente HCT.
- Includere pazienti arruolati in studi clinici.

**Riga 48 nella tabella 2a per adulti e riga 61 nella tabella 2b per pazienti pediatrici:** riportare il numero totale di procedure CAR-T e di terapie geniche aggiuntive (non prime) somministrate per qualsiasi motivo nel corso del 2025.

**Riga 49 nella tabella 2a per adulti e riga 62 nella tabella 2b per pazienti pediatrici:** numero totale di terapie CAR-T e terapie geniche eseguite nel 2025, comprendente le prime terapie più quelle aggiuntive (per la tabella 2a per adulti: righe 1–45 più riga 48; per la tabella 2b per pazienti pediatrici: righe 1–59 più riga 62).

**Accademico / Sperimentale.** È presente un campo dati separato sotto la tabella per indicare il numero di terapie CAR-T (autologhe e allogeniche) e di terapie geniche con HSC autologhe riportate dal vostro centro nel 2025 che erano di tipo accademico o sperimentale. I campi sono denominati come segue:

- Quante terapie CAR-T (autologhe e allogeniche) e terapie geniche con HSC autologhe riportate nel vostro centro nel 2025 erano accademiche? (pazienti adulti)
- Quante terapie CAR-T (autologhe e allogeniche) e terapie geniche con HSC autologhe riportate nel vostro centro nel 2025 erano accademiche? (pazienti pediatrici)

Le terapie CAR-T accademiche si riferiscono a terapie CAR-T che vengono sviluppate, prodotte e testate clinicamente all'interno di istituzioni accademiche (come università, ospedali universitari o centri di ricerca finanziati con fondi pubblici), piuttosto che da aziende farmaceutiche o biotecnologiche.

### **Sezione 3: Altre Terapie Cellulari (escluse HCT, terapia genica e DLI) nel 2025**

Questa sezione include una tabella per riportare le **altre terapie cellulari**. In base alla popolazione trattata selezionata all'inizio del modulo, viene visualizzata una delle seguenti tabelle:

- **Tabella 3a:** Riportare il numero di pazienti **adulti** che hanno ricevuto terapie cellulari non-HCT o infusioni cellulari nel 2025, per indicazione e tipo di cellula.
- **Tabella 3b:** Riportare il numero di pazienti **pediatrici** che hanno ricevuto terapie cellulari non-HCT o infusioni cellulari nel 2025, per indicazione e tipo di cellula.

Report here the number of patients receiving other cellular therapies at your centre in 2025, by indication and cell type for which the therapy is given.

- **Escludere HCT (riportati nella Sezione 1), terapie geneticamente modificate (riportate nella Sezione 2), DLI (riportate nella Sezione 4).**
- Includere pazienti con o senza precedente HCT.
- Devono essere inclusi anche i pazienti arruolati in studi clinici.

Definizioni per le tabelle 3a e 3b:

- **Allogeneic “boost”:** Allogeneic “boost” (potenziamento allogeneico): La reinfusione di cellule staminali ematopoietiche (HSC) allogeneiche provenienti dallo stesso donatore, senza condizionamento e senza evidenza di fallimento del trapianto, è considerata un potenziamento allogeneico e NON un trapianto. Questi casi devono essere riportati nella Sezione 3, sotto *Graft Enhancement – Other Therapies*, riga 2.
- **Autologous “boost” or “top-up”:** Autologous “boost” o “top-up” (potenziamento/autotrapianto): La reinfusione di HSC autologhe come recupero dopo un fallimento del trapianto è considerata un potenziamento/autotrapianto e NON un trapianto. Questi casi devono essere riportati nella Sezione 3, sotto *Graft Enhancement – Other Therapies*, riga 2.
- **Selected/expanded T cells or Cytokine Induced Killer cells (CIK):** T cellule selezionate/espansive o CIK (Cytokine Induced Killer cells): T cellule non geneticamente modificate, selezionate ed espansive in vitro o attivate mediante citochine o altri stimoli.
- **Regulatory T cells (TRegs):** T cellule regolatorie (TRegs): Sottogruppo di linfociti CD4<sup>+</sup> con proprietà immunosoppressive, essenziali per l'omeostasi immunitaria e la tolleranza verso se stessi.
- **NK cells:** Cellule NK: Linfociti Natural Killer, caratterizzati dall'espressione di CD56 e/o CD16 e dall'assenza di CD3, facenti parte del sistema immunitario innato.
- **Dendritic cells:** Cellule dendritiche: Cellule presentanti l'antigene che regolano le risposte immunitarie mediate dai T linfociti, influenzano il rigetto del trapianto, la tolleranza e la GVHD.

- **Mesenchymal stromal cells (MSC):** Cellule stromali mesenchimali (MSC): Cellule stromali multipotenti con proprietà immunomodulatorie e rigenerative.
- **Expanded CD34+ cells:** Cellule CD34+ espanse: Cellule staminali ematopoietiche coltivate ex vivo che esprimono CD34+, espanse per aumentare la dose cellulare mantenendo il potenziale di engraftment.
- **Other therapies:** Altre terapie: Potenziamanti allogenici o autologhi e qualsiasi altra terapia cellulare non elencata sopra.

#### Sezione 4: Infusione di linfociti del donatore (DLI):

Riportare il numero totale di pazienti per il gruppo di età selezionato (separatamente per pazienti adulti e pediatrici) che hanno ricevuto una o più infusioni di linfociti del donatore non manipolati (DLI) nel 2025, indipendentemente dall'anno del trapianto HCT.

I centri devono specificare l'indicazione primaria per la somministrazione di DLI. Questa sezione include una delle seguenti tabelle (in linea con la popolazione trattata indicata all'inizio del modulo) per riportare la suddivisione di DLI nelle colonne 2-5:

- **Tabella 4a:** Riportare il numero di pazienti adulti che hanno ricevuto la **1° DLI non manipolati** nel 2025.
- **Tabella 4b:** Riportare il numero di pazienti pediatrici che hanno ricevuto la **1° DLI non manipolati** nel 2025.

Se l'indicazione è sconosciuta, rispondere **No** alla domanda: 'EBMT would like to collect the number of patients receiving unmanipulated DLI , categorised by graft enhancement/ failure, residual disease, relapse and protocol. Is your centre able to provide the number of unmanipulated DLI with this breakdown?' (L'EBMT desidera raccogliere il numero di pazienti che ricevono DLI non manipolati, categorizzati per potenziamento/fallimento del trapianto, malattia residua, recidiva e protocollo. Il vostro centro è in grado di fornire il numero di DLI non manipolati con questa suddivisione?) e riportare solo il numero totale di pazienti che hanno ricevuto DLI per il gruppo di età selezionato.

#### Sezione 5: Trattamenti immunosoppressivi (IST) per le Sindromi da Insufficienza Midollare Acquisita

Riportare il numero di pazienti che hanno ricevuto trattamenti immunosoppressivi (IST) per sindromi da insufficienza midollare acquisita presso il vostro centro nel 2025. I centri devono riportare separatamente il numero di pazienti trattati per **anemia aplastica (AA)** e per altre sindromi da insufficienza midollare acquisita. Questa sezione include una delle seguenti tabelle, visualizzata in base alla popolazione trattata indicata all'inizio del modulo:

- **Tabella 5a:** Riportare il numero di pazienti adulti che hanno ricevuto trattamenti immunosoppressivi (IST) per sindromi da insufficienza midollare acquisita nel 2025.
- **Tabella 5b:** Riportare il numero di pazienti pediatriche che hanno ricevuto trattamenti immunosoppressivi (IST) per sindromi da insufficienza midollare acquisita nel 2025.

Se l'indicazione specifica non è nota, rispondere **No** alla domanda: 'EBMT would like to collect the number of patients receiving IST, categorised by Aplastic Anaemia and Other Bone Marrow Failure Syndromes. Is your centre able to provide the number of IST patients with a breakdown by Aplastic Anaemia and Other Bone Marrow Failure Syndromes?' (L'EBMT desidera raccogliere il numero di pazienti che ricevono IST, categorizzati per Anemia Aplastica e altre Sindromi da Insufficienza Midollare. Il vostro centro è in grado di fornire il numero di pazienti IST con questa suddivisione?) e riportare solo il numero totale di pazienti trattati con IST, separatamente per il gruppo di età selezionato.

## Appendice 1

Abbreviazioni utilizzate nel modulo del sondaggio sulle attività:

1. AA – Aplastic Anaemia
2. ALL – Acute Lymphoblastic Leukaemia
3. AML – Acute Myeloid Leukaemia
4. CAR-T - Chimeric Antigen Receptor T-cell Therapy
5. CGD – Chronic Granulomatous Disease
6. CML – Chronic Myeloid Leukaemia
7. CR – Complete Remission
8. D9L – SAMD9L Mutation Disorder
9. DADA2 – Deficiency of Adenosine Deaminase 2
10. DBA – Diamond-Blackfan Anaemia
11. DLBCL – Diffuse Large B-Cell Lymphoma
12. DLI – Donor Lymphocyte Infusion
13. GvHD – Graft-versus-Host Disease
14. HCT - Hematopoietic Cell Transplantation.
15. HLH – Hemophagocytic Lymphohistiocytosis

16. IST - Immunosuppressive Therapy
17. JIA – Juvenile Idiopathic Arthritis
18. JMML – Juvenile Myelomonocytic Leukaemia
19. MDS – Myelodysplastic Syndrome
20. MLD – Metachromatic Leukodystrophy
21. MM – Multiple Myeloma
22. MPN – Myeloproliferative Neoplasm
23. MPS I – Mucopolysaccharidosis Type I
24. MS – Multiple Sclerosis
25. NHL – Non-Hodgkin Lymphoma
26. PCD – Primary Ciliary Dyskinesia
27. PLL – Prolymphocytic Leukaemia
28. PNH – Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria
29. SAA – Severe Aplastic Anaemia
30. SAMD9 – SAMD9 Mutation Disorder
31. SCID – Severe Combined Immunodeficiency
32. SDS – Shwachman-Diamond Syndrome
33. SLE – Systemic Lupus Erythematosus
34. SSC – Systemic Sclerosis
35. TBD – Telomere Biology Diseases
36. WAS – Wiskott-Aldrich Syndrome
37. X-ALD – X-linked Adrenoleukodystrophy