

Quinta Giornata Fiorentina dedicata ai pazienti con Malattie Mieloproliferative Croniche

Firenze, 9 maggio 2015



Trombocitemia Essenziale: La Terapia Convenzionale

Marco Ruggeri
Ematologia Vicenza



Trombocitemia Essenziale

caratteristiche cliniche e di laboratorio

- Neoplasia mieloproliferativa cronica (WHO 2008)
 - Incidenza: 1 per 100.000 abitanti/anno
 - Prevalenza: 10-40 per 100.000
 - Aumentata conta piastrinica ($> 450 \times 10^9/L$)
 - Rischio di complicanze trombotiche (10%-23%)
 - Rischio di complicanze emorragiche (0.3%)
 - Rischio di evoluzione in mielofibrosi (1% a 10 anni -10% a 15 anni)
 - Rischio di evoluzione in leucemia acuta (2% dopo 15 anni dalla diagnosi)

Titmarsh et al, 2014

Barbui et al, 2011

Finazzi et al, 2012

Trombocitemia Essenziale: probabilità di sopravvivenza

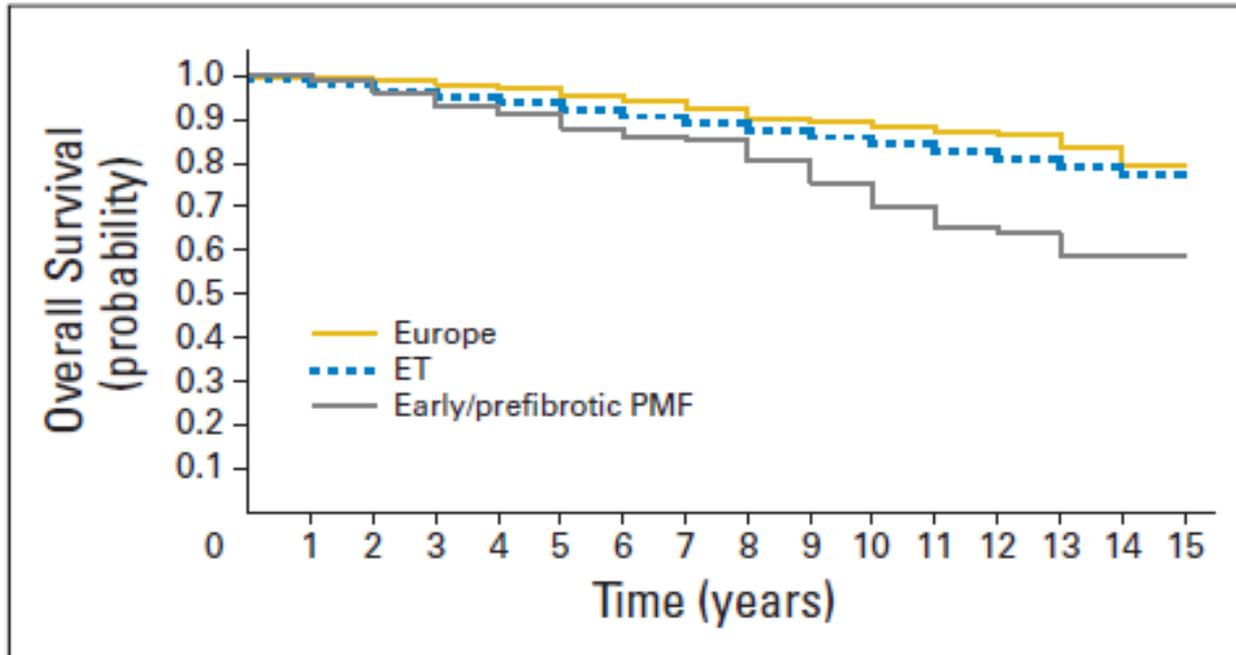


Fig 2. Survival estimates for patients with essential thrombocythemia (ET) and early/prefibrotic primary myelofibrosis (PMF) were compared with those obtained by applying to the population the 2008 Eurostat age- and sex-standardized incidence rates for all causes of death, by using the indirect standardization procedure.

**Tasso di sopravvivenza simile a quello della popolazione generale:
89% a 10 anni e 80% a 15 anni**

Trombocitemia Essenziale: la terapia convenzionale

- Quanto trattare ?
- Con che farmaci ?
- Come seguire i pazienti ?

Quando trattare ?

- Coorte Ematologia Bologna¹:
 - Pazienti : 386
 - Follow-up mediano: 9 anni
 - Mai trattati: 48 (12%)
- Coorte Laziale²:
 - Pazienti 1144
 - Follow-up mediano: 15 anni
 - Mai trattati: 265 (23%)

¹: Palandri et al, 2008; ²: Montanaro et al, 2014

Quando trattare ?

Selezionare i pazienti in base al rischio individuale

IPSET trombosi^{1,2}

Età > 60 anni	:1 punto
Trombosi precedenti	:2 punti
Fattori di rischio cardiovascolari	:1 punto
JAK V617F	:2 punti

< 2 punti: rischio basso	(1.03% pazienti/anno)
2 punti : rischio intermedio	(2.35% pazienti/anno)
> 2 punti: rischio elevato	(3.56% pazienti/anno)

¹: Barbui et al, 2012; ²: Finazzi et al, 2014

Quando trattare ?

Selezionare i pazienti in base al rischio individuale

IPSET survival¹

Età > 60 anni	:2 punto
Trombosi precedenti	:1 punti
Globuli bianchi > 11 x 10 ⁹ /L	:1 punto

0 punti: basso rischio (mediana sopravvivenza non raggiunta a 25 anni)
1-2 punti: rischio intermedio (mediana sopravvivenza 25 anni)
3-4 punti: rischio alto (medianta sopravvivenza 15 anni)

¹: Passamonti et al, 2012

Quando trattare ?

E' "efficiente trattare solo i pazienti ad alto rischio per complicanze trombotiche

Barbui et al, 2011

Con quali farmaci ?

Idrossiurea prima scelta > 40 anni

1132

THE NEW ENGLAND JOURNAL OF MEDICINE

April 27, 1995

HYDROXYUREA FOR PATIENTS WITH ESSENTIAL THROMBOCYTHEMIA AND A HIGH RISK OF THROMBOSIS

SERGIO CORTELAZZO, M.D., GUIDO FINAZZI, M.D., MARCO RUGGERI, M.D., OSCAR VESTRI, M.D.,
MONICA GALLI, M.D., FRANCESCO RODEGHIERO, M.D., AND TIZIANO BARBUI, M.D.

The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE

ORIGINAL ARTICLE

Hydroxyurea Compared with Anagrelide in High-Risk Essential Thrombocythemia

Claire N. Harrison, M.R.C.P., M.R.C.Path.,
Peter J. Campbell, F.R.A.C.P., F.R.C.P.A., Georgina Buck, M.Sc.,
Keith Wheatley, D.Phil., Clare L. East, B.Sc., David Bareford, M.D., F.R.C.P.,
Bridget S. Wilkins, M.D., F.R.C.Path., Jon D. van der Walt, M.D., F.R.C.Path.,
John T. Reilly, F.R.C.P., F.R.C.Path., Andrew P. Grigg, F.R.A.C.P., F.R.C.P.A.,
Paul Revell, M.D., F.R.C.P., Barrie E. Woodcock, F.R.C.P., F.R.C.Path.,
and Anthony R. Green, F.R.C.Path., F.Med.Sci., for the United Kingdom Medical
Research Council Primary Thrombocythemia 1 Study*

Con quali farmaci ?

Casi particolari (pazienti giovani, gravidanze, resistenza/intolleranza a HU):

anagrelide

Interferone

Casi selezionati (pazienti anziani)

busulfano

pipobromano

Con quali farmaci ?

Un ruolo per gli agenti antiaggreganti ?

SI per:

disturbi del microcircolo (terapia sintomatica)

eritromelalgia

profilassi secondaria della trombosi arteriosa

Ruolo Dubbio per profilassi primaria

Table 2. Outcomes in 300 patients with low-risk ET followed with careful observation or treated with antiplatelet therapy

	Observation (848 person-years)		Antiplatelet therapy (802 person-years)		<i>P</i>
	No. of events	Incidence rate* (95% CI)	No. of events	Incidence rate* (95% CI)	
Thrombosis (arterial and venous)	15	17.7 (10.7-29.3)	17	21.2 (13.2-34.1)	.6
Arterial thrombosis	8	9.4 (4.7-18.9)	13	16.2 (9.4-27.9)	.2
Venous thrombosis	7	8.2 (3.9-17.3)	4	4.9 (1.9-13.3)	.4
Bleeding	5	6.0 (2.5-14.5)	10	12.6 (6.8-23.4)	.09

ET indicates essential thrombocythemia.

*Events per 1000 person-years.

NO in caso di forme emorragiche