



## Sesta Giornata Fiorentina dedicata ai pazienti con malattie mieloproliferative croniche



**laboratorio congiunto** sulle  
malattie mieloproliferative croniche

**9 aprile 2016**



## **Studi clinici in corso nella Policitemia Vera**

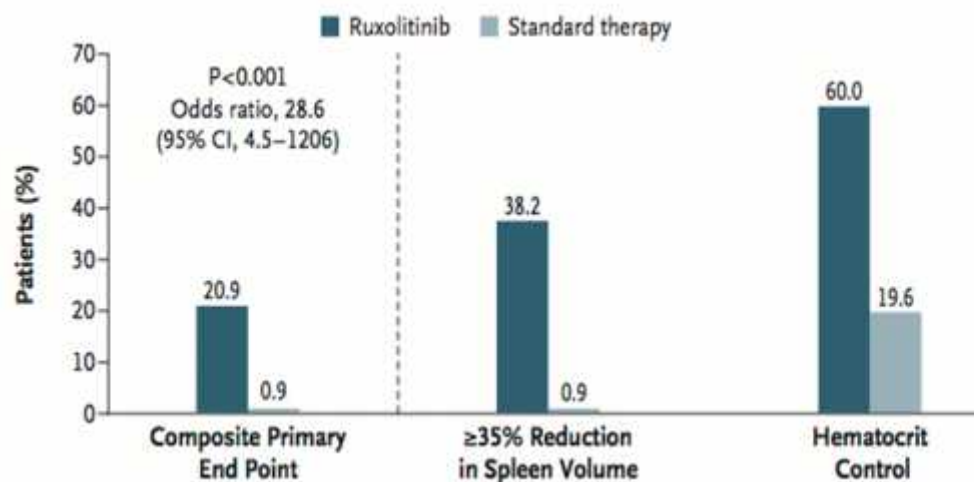
**Emanuela Sant'Antonio**

*CRIMM, Centro di Ricerca e Innovazione per le  
Malattie Mieloproliferative*

# Risultati dello studio Response

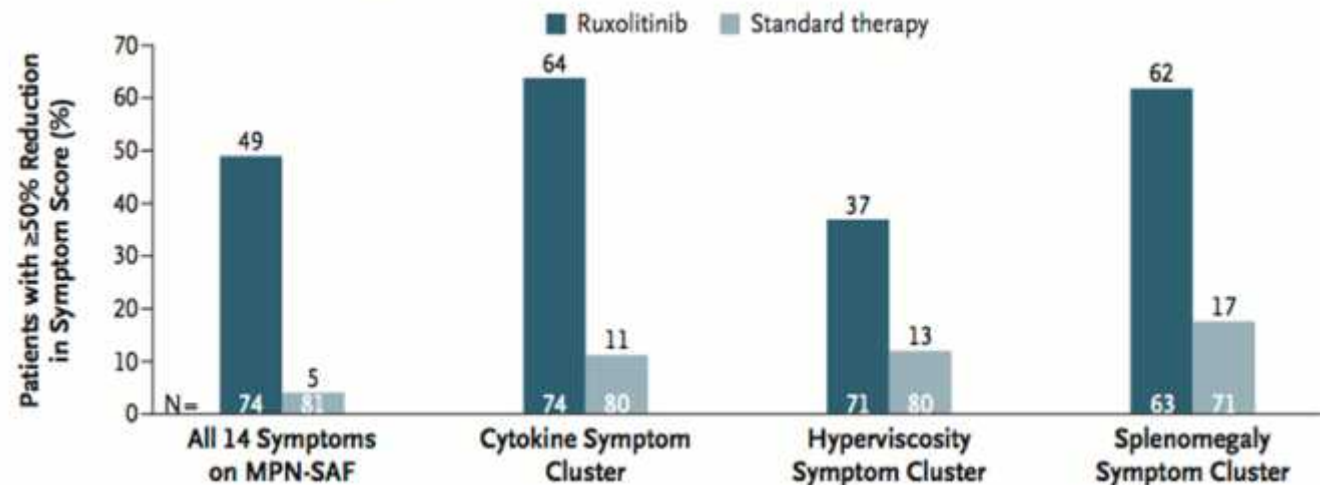
**Ruxolitinib vs la miglior terapia disponibile (BAT) in pazienti con PV resistenti e/o intolleranti ad Idrossiurea, con splenomegalia**

· **Obiettivo primario:** controllo dell'Hct (<45%) senza salassi e riduzione della milza (≥35% alla settimana 32 rispetto all'arruolamento).



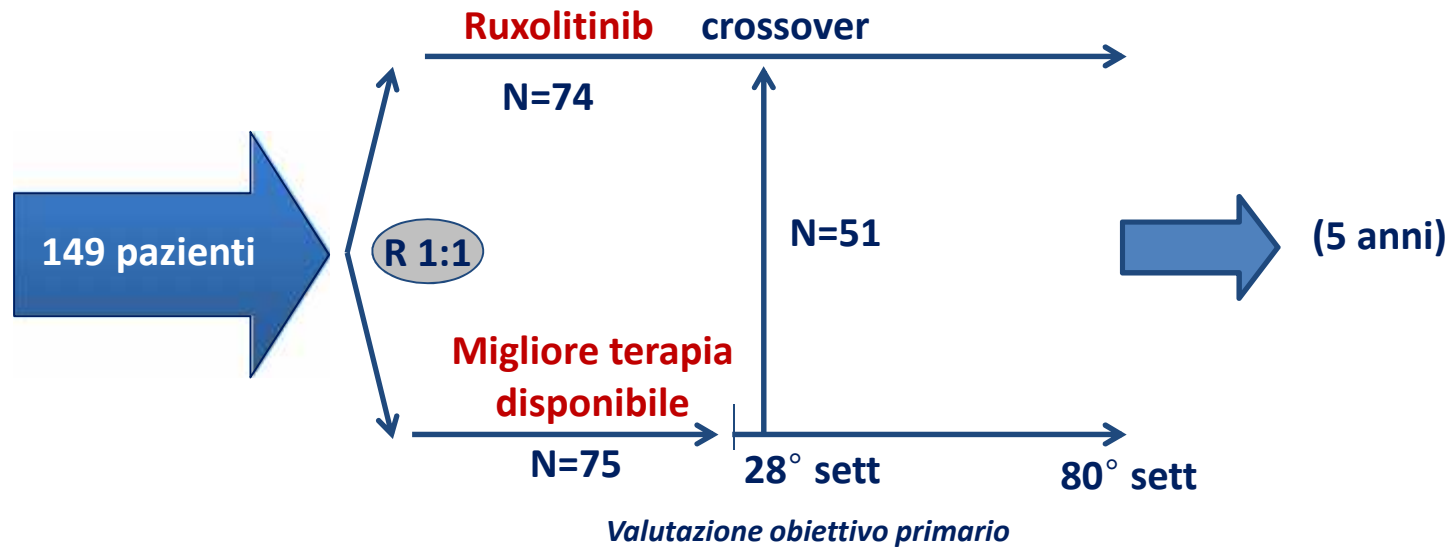
· Braccio **Ruxolitinib**: il 77% ha raggiunto almeno uno dei due componenti dell'obiettivo primario, con risposte durature.

· Marcata riduzione dei **sintomi** in ogni area, incluso il **prurito**.



# Studio Response 2

pazienti con PV, senza splenomegalia, resistenti e/o intolleranti ad Idrossiurea.  
in corso, ma con arruolamento concluso



Obiettivo primario:  
Hct <45%, senza salassi  
alla 28° settimana.

Obiettivi secondari:  
normalizzazione dell'emocromo,  
efficacia sui sintomi e valutazione  
della sicurezza.

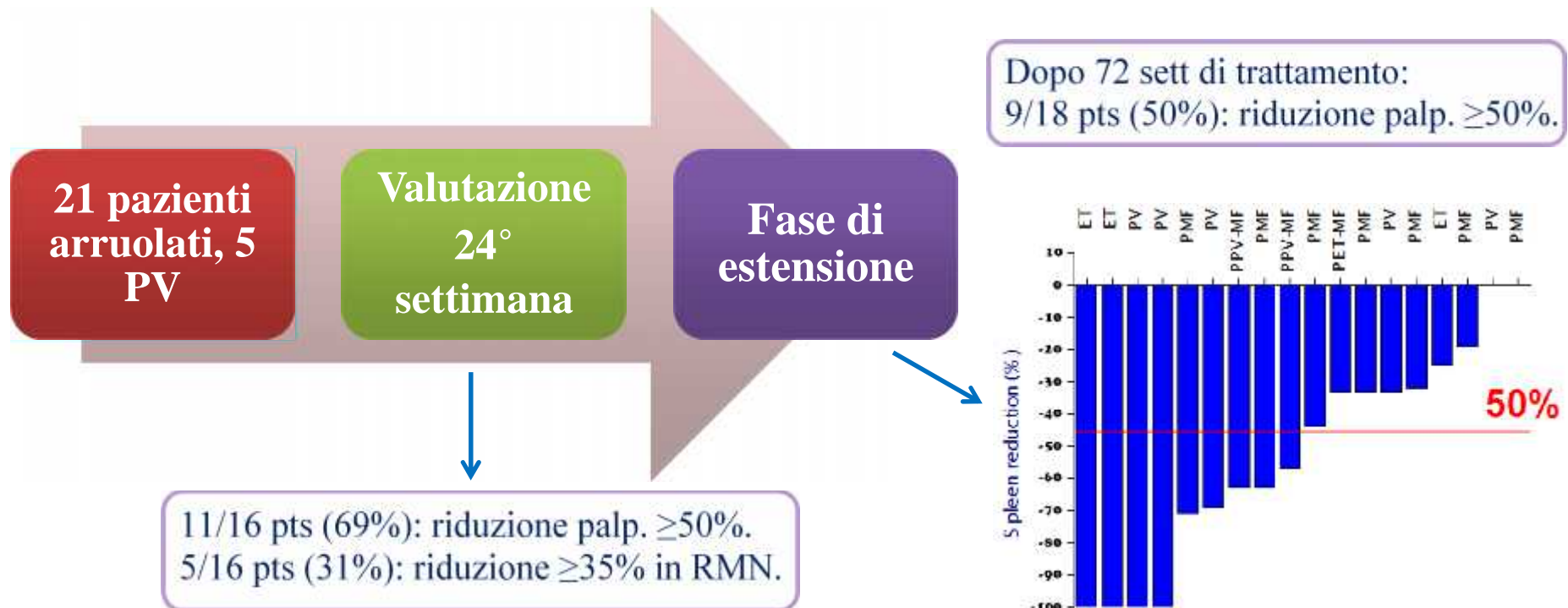
**I risultati, molto attesi, verranno presentati all'EHA 2016.**

# Studio SVT-Ruxo (AGIMM)

Fase 2, in pazienti con **trombosi splancnica** associata a MPN  
**in corso, ma con arruolamento concluso**



- 5/21 pazienti con PV.
- Risultati preliminari: confermata efficacia sulla splenomegalia; possibile miglioramento delle varici esofagee (miglioramento emodinamico locale?).
- Nessun nuovo evento avverso.



# Consorzio sulle MPN

in corso, con arruolamento aperto



**MPD-RC 105** (*Molecular Biology of Familial Myeloproliferative Disorders*): studio delle basi genetiche dei casì familiari di MPN, tramite raccolta di materiale biologico da pazienti affetti e familiari sani;

**MPD-RC 106** (*Research Tissue Bank*): raccolta di materiale biologico in pazienti con MPN, per lo studio delle loro basi genetiche, per affinare le tecniche diagnostiche e per disegnare nuove strategie terapeutiche.



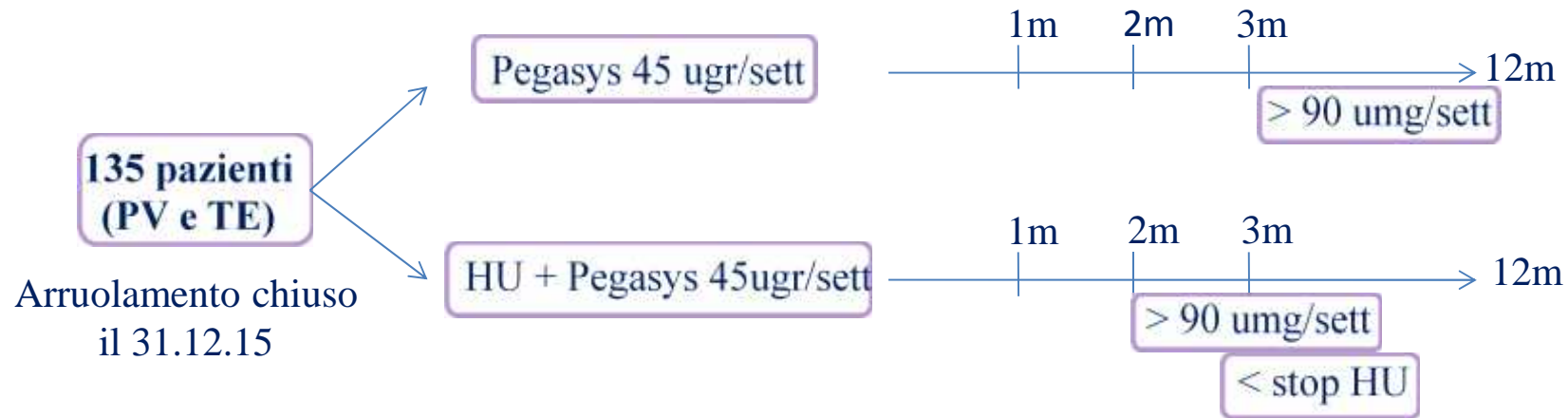
Centri italiani partecipanti:

- Bergamo;
- Brescia;
- Firenze;
- Genova;
- Pavia;
- Roma.



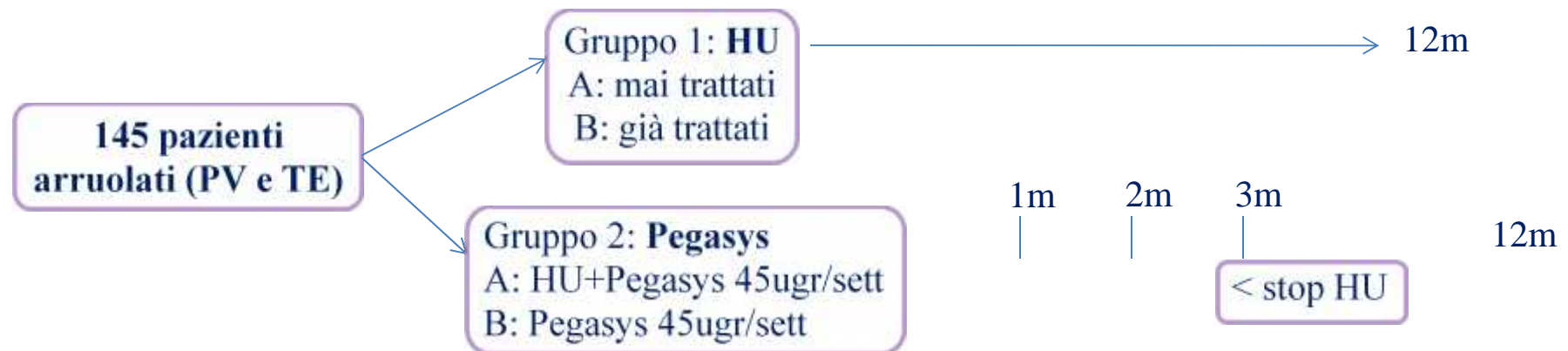
## Studio MPD-RC 111

fase 2, IFN alfa-2a pegilato per pazienti con **PV** o **TE** ad alto rischio, **resistenti** e/o **intolleranti** ad Idrossiurea o con trombosi addominali.



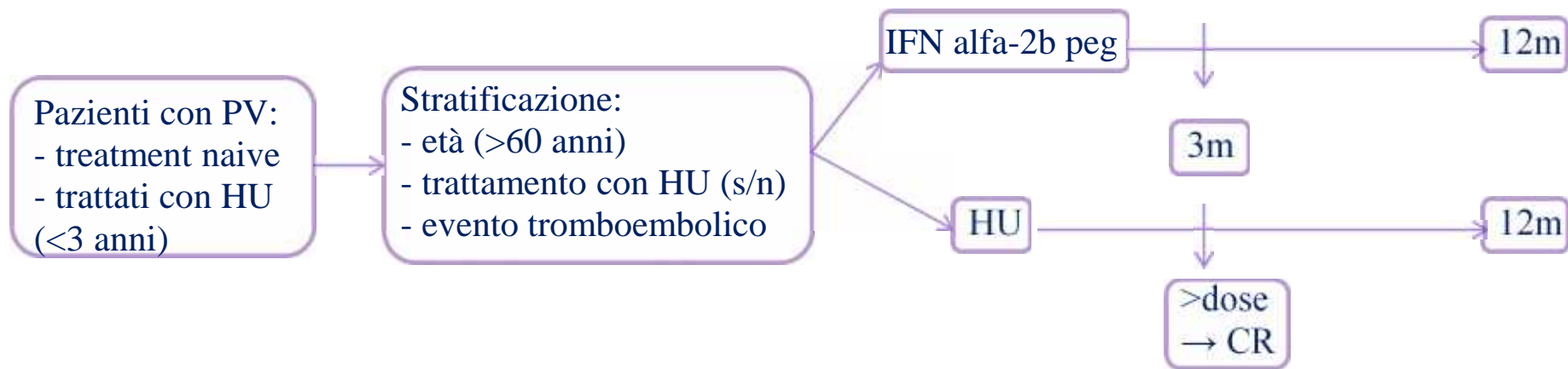
## Studio MPD-RC 112

fase 3, IFN alfa-2a pegilato vs Idrossiurea in pazienti con **PV** e **TE** ad alto rischio. Diagnosi entro 3 anni; ammessa precedente HU per massimo 3 mesi.



# Studio PROUD-PV

fase 3, nuova formulazione di IFN vs HU per pazienti con PV  
(naive o già trattati con HU, ma non resistenti/intolleranti)  
**in corso, con arruolamento chiuso**



Farmaco: **prolina-IFN-alfa-2b pegilato**, AOP2014;

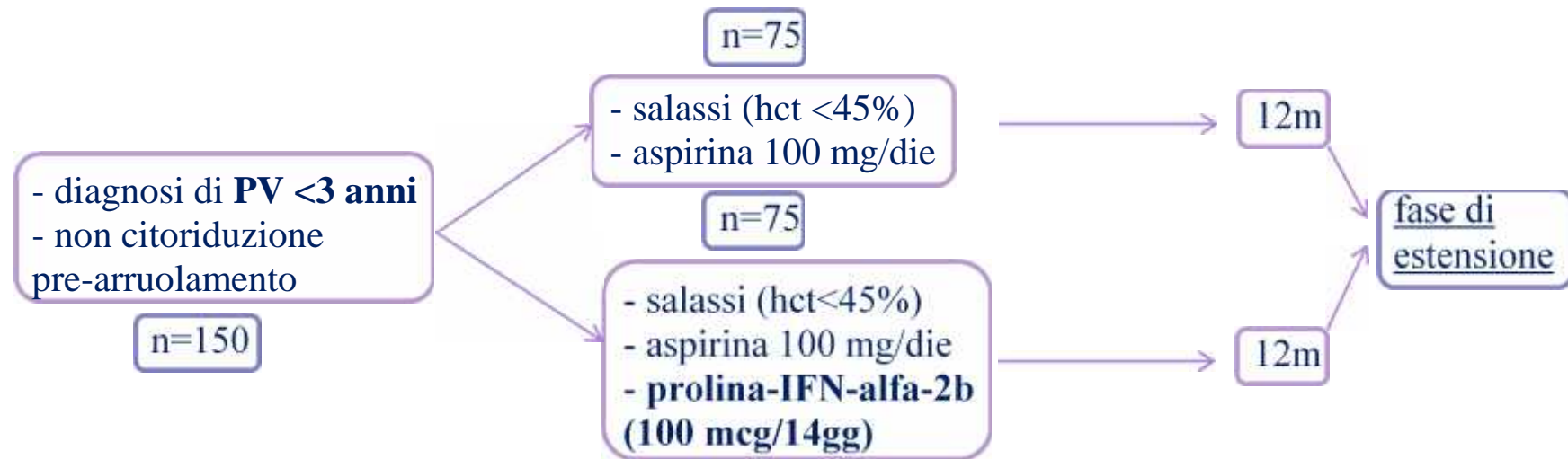
Somministrazione: sottocute, ogni 14 giorni.

Analisi dei dati per obiettivo primario (confronto per efficacia) in corso

**In attesa dei risultati**

# Protocollo Low-PV

Studio di fase 3, randomizzato, in aperto, per pazienti con **PV a basso rischio**:  
confronto fra terapia convenzionale da sola o in associazione a AOP2014  
**in apertura, autunno 2016**



- Obiettivo primario: valutare se l'aggiunta di IFN può migliorare il controllo dell'hct (<math><45\%</math>) lungo un periodo di 12m.
- Obiettivi secondari: risposta ematologica e molecolare, eventi vascolari, modifiche dell'istologica midollare, qualità di vita, tossicità ed interruzioni dovute ad eventi avversi.



# Protocollo ITF45

fase Ib/II, per valutare sicurezza ed efficacia di Givinostat in pazienti con PV  
in corso, con arruolamento aperto

• Prima fase: valutazione sicurezza e tollerabilità. Identificazione della **MTD** (100 mg due volte al giorno).



• Obiettivi: valutazione di efficacia e tollerabilità di Givinostat alla MTD dopo 3m e 6m.

• Obiettivi investigativi: efficacia sulla splenomegalia, sui sintomi e sul prurito, efficacia sul burden allelico di *JAK2*.

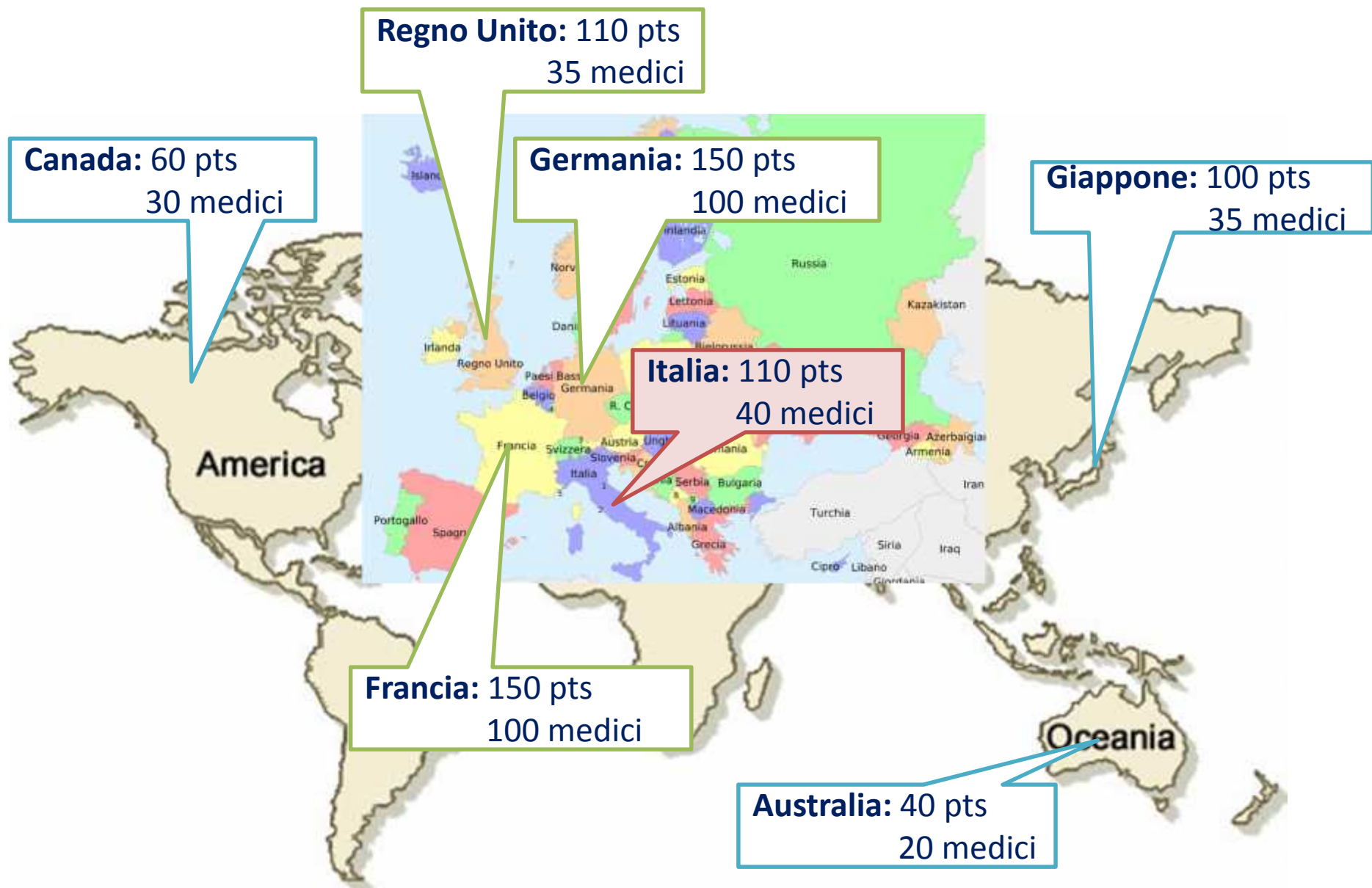
# Questionario sull' impatto dei sintomi nelle malattie mieloproliferative croniche



MPN  
Landmark Health  
Survey  
Patient Survey  
Prepared for: Novartis  
Prepared by: Adelphi Real World Ltd  
17<sup>th</sup> March 2016 v 5.0



MPN  
Landmark Health  
Survey  
Physician Questionnaire  
Prepared for: Novartis  
Prepared by: Adelphi Real World Ltd  
17<sup>th</sup> March 2016 v 5.0



# Obiettivi

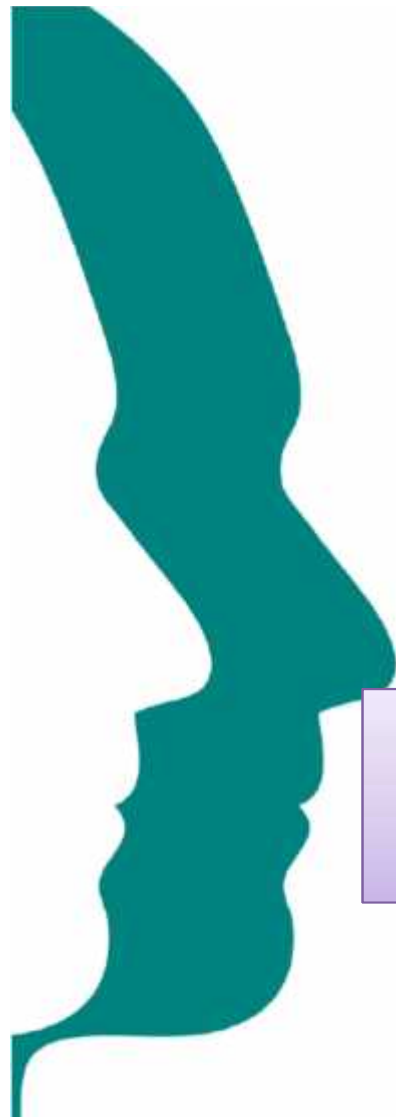
1. Valutare quanto (pazienti/medici) conoscono i criteri diagnostici e le necessità cliniche delle NMP;
2. Confrontare la percezione del problema “sintomi” e dei trattamenti terapeutici tra paziente e medico;
3. Definire l’auto-consapevolezza del paziente sui sintomi, le necessità terapeutiche e i regimi di terapia;
4. Identificare le potenziali differenze nella comprensione delle opzioni terapeutiche tra paziente e medico;
5. Definire l’impegno economico (assenza dal lavoro, interruzione del lavoro, ecc...) di un paziente con una diagnosi di NMP.

**- Questionario Anonimo da compilarsi su un sito web**

**- 63 domande per i pazienti e 49 domande per i medici**

**- Inizio raccolta dati il 25 Aprile – termine raccolta dati il 17 Luglio**

# Questionario sull' impatto dei sintomi nelle malattie mieloproliferative croniche



MPN  
Landmark Health  
Survey  
Patient Survey  
Prepared for: Novartis  
Prepared by: Adelphi Real World Ltd  
17<sup>th</sup> March 2016 v 3.0

**Referente per i  
PAZIENTI:  
Sig.a Tina Flindt**



MPN  
Landmark Health  
Survey  
Physician Questionnaire  
Prepared for: Novartis  
Prepared by: Adelphi Real World Ltd  
17<sup>th</sup> March 2016 v 3.0

**Referente per i  
MEDICI:  
Dr.a Paola Guglielmelli  
[paola.guglielmelli@unifi.it](mailto:paola.guglielmelli@unifi.it)**