

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

Sabato 28 aprile 2018

**CRIMM**

Centro di Ricerca e Innovazione  
per le Malattie Mieloproliferative



## II "TSS-10"

*Claudia Baratè*

*Università di Pisa*



# *Sintomi*

## Microcircolo

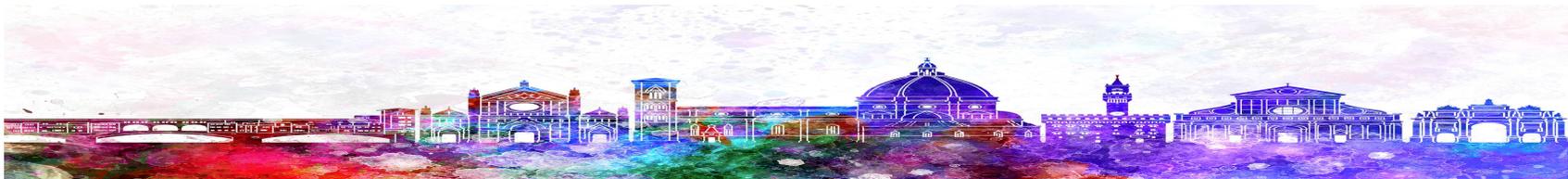
(vertigini, acufeni, cefalea,  
parestesia alle estremità)

## Macrocircolo

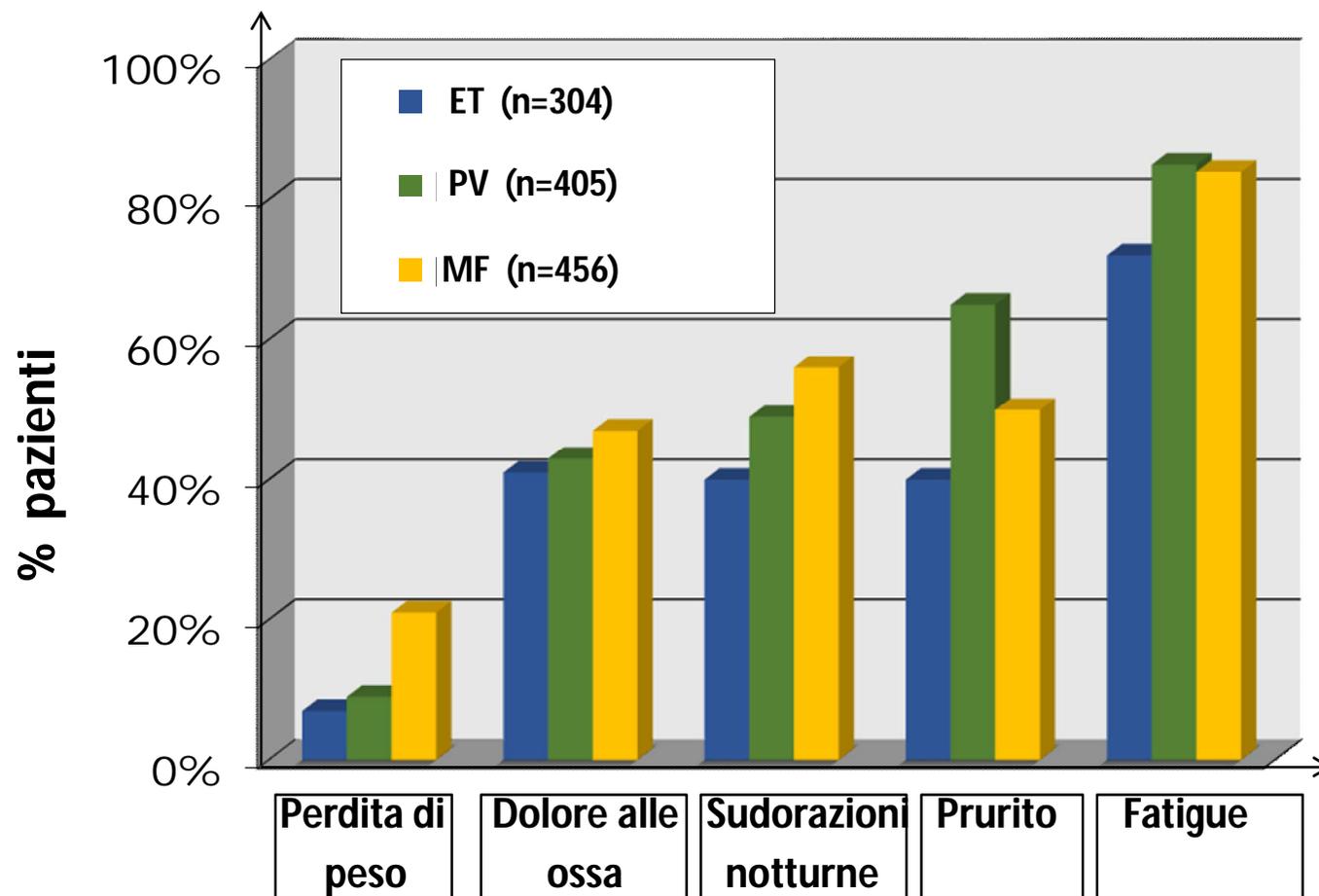
Vascolari trombotiche

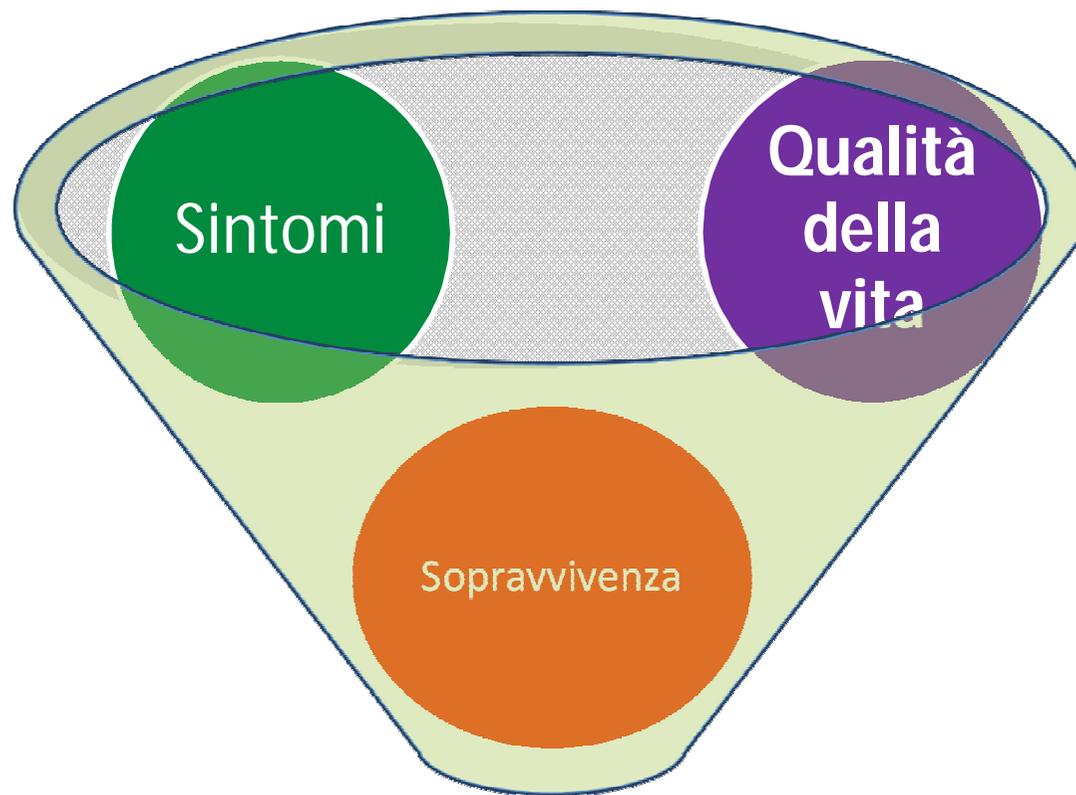
IMA, ictus

Diatesi emorragica più rara

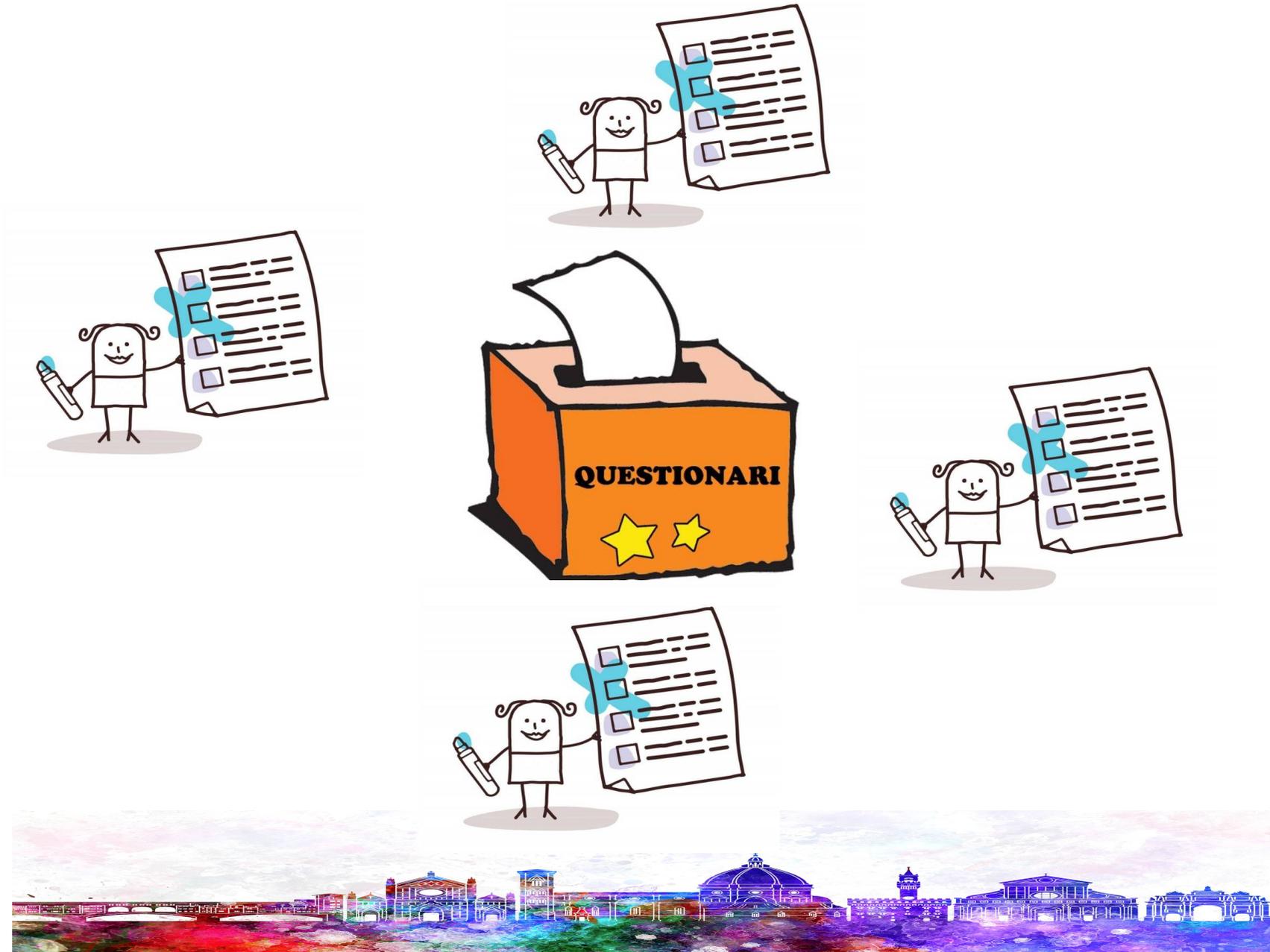


# SINTOMI DELLE MALATTIE MIELOPROLIFERATIVE IN 1179 PAZIENTI



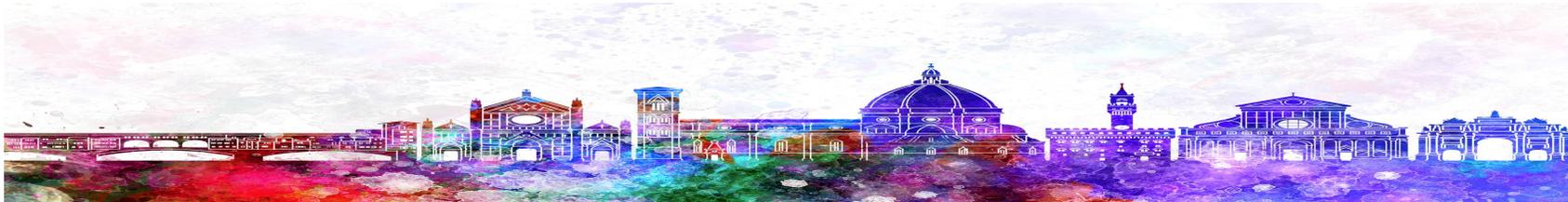


**“Hard end-points” = “ traguardi/obiettivi ” da considerare  
per l'efficacia del farmaco**



# Questionari di raccolta di sintomi

| PRO    | Year | Total No. of Questions | Question composition                                                                                                                                                                                                                                                                              | Clinical studies | Available languages |
|--------|------|------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------|---------------------|
| MF-SAF | 2009 | 20                     | Fatigue<br>Fatigue<br>Inactivity<br>Catabolic/proliferative symptoms<br>Bone pain<br>Cough<br>Pruritus<br>Constitutional symptoms<br>Night sweats<br>Fever<br>Weight loss<br>Splenomegaly/abdominal symptoms<br>Abdominal discomfort<br>Abdominal pain<br>Early satiety<br>Quality-of-Life<br>QoL | Ruxolitinib      | English             |



|                            |      |    |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    |                                                                                            |                                                                                                                                          |
|----------------------------|------|----|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>MPN-SAF</b>             | 2011 | 27 | Fatigue<br>Fatigue<br>Inactivity<br>Microvascular/cognitive symptoms<br>Headache<br>Dizziness<br>Concentration problems<br>Numbness<br>Insomnia<br>Sad mood<br>Sexuality problems<br>Catabolic/proliferative symptoms<br>Bone pain<br>Cough<br>Pruritus<br>Constitutional symptoms<br>Night sweats<br>Fever<br>Weight loss<br>Splenomegaly/abdominal symptoms<br>Abdominal discomfort<br>Abdominal pain<br>Early satiety<br>Quality-of-life<br>QoL | LY2784544<br>Ruxolitinib<br>Ruxolitinib<br>SAR302503(A,<br>Vorinostat pegylated interferon | English<br>Italian<br>German<br>French<br>Mandarin<br>Arabic<br>Spanish<br>Dutch<br>Swedish<br>Portuguese<br>Japanese<br>Hebrew<br>Czech |
| <b>MPN-SAF TSS (MPN10)</b> | 2013 | 10 | Fatigue<br>Fatigue<br>Inactivity<br>Microvascular/cognitive symptoms<br>Concentration problems<br>Catabolic/proliferative symptoms<br>Bone pain<br>Pruritus<br>Constitutional symptoms<br>Night sweats<br>Fever<br>Weight loss<br>Splenomegaly/abdominal symptoms<br>Abdominal discomfort<br>Early satiety                                                                                                                                         | PRM-151<br>Ruxolitinib Ruxolitinib (NCT02092324)<br>Pacritinib (NCT02055781)               | English<br>Italian<br>German<br>French<br>Mandarin<br>Arabic<br>Spanish<br>Dutch<br>Swedish<br>Portuguese<br>Japanese<br>Hebrew<br>Czech |

MF-SAF indicates Myelofibrosis Symptom Assessment Form; MPN-SAF, Myeloproliferative Neoplasm Symptom Assessment Form; MPN-SAF TSS, Myelofibrosis Symptom Assessment Form Total Symptom Score; and QoL, quality-of-life.

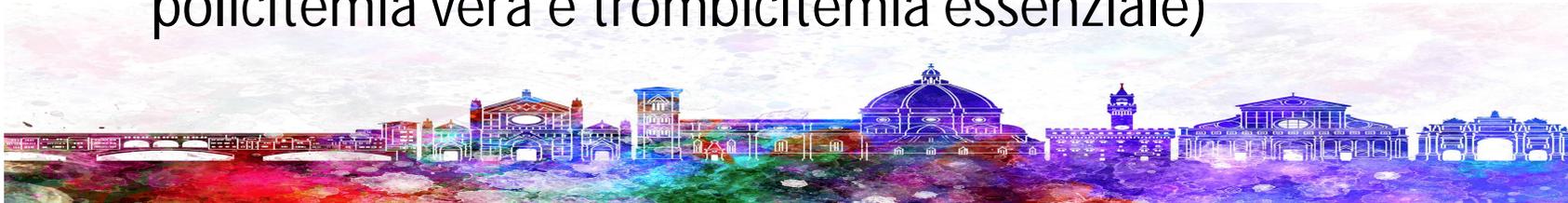


# TSS-10

*Total symptoms score*

<http://www.mpn10app.com>

- Considera 10 sintomi fra i più frequenti
- Applica un punteggio da 1 a 10 che valuta la PERCEZIONE del sintomo paziente specifica
- Permette di confrontare SINTOMI e gruppi prognostici
- I dati raccolti consentono di confermare la severità e la frequenza dei sintomi (fatigue al primo posto, dolore osseo, perdita di peso)
- I dati raccolti confermano la diversità di sintomi fra una forma e l'altra (peggiori nella mielofibrosi, rispetto a policitemia vera e trombocitemia essenziale)



# MPN 10 KNOW YOUR SCORE



FATIGUE



SENSO DI SAZIETA'



DISTURBI ADDOMINALI



INATTIVITA'



CONCENTRAZIONE <



SUDORAZIONI  
NOTTURNE



PRURITO



DOLORE OSSEO



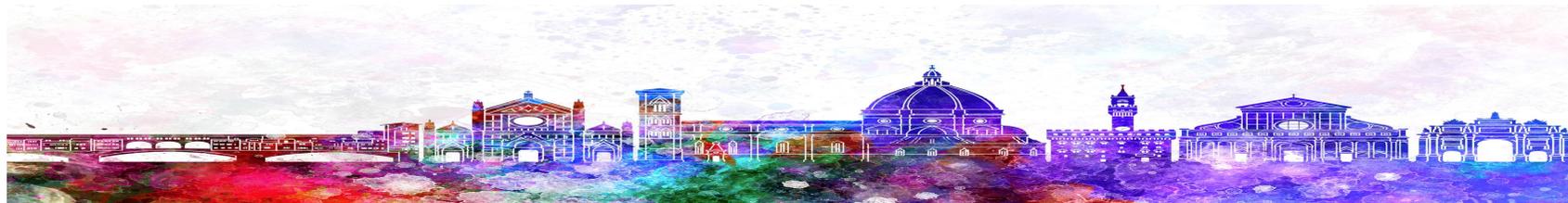
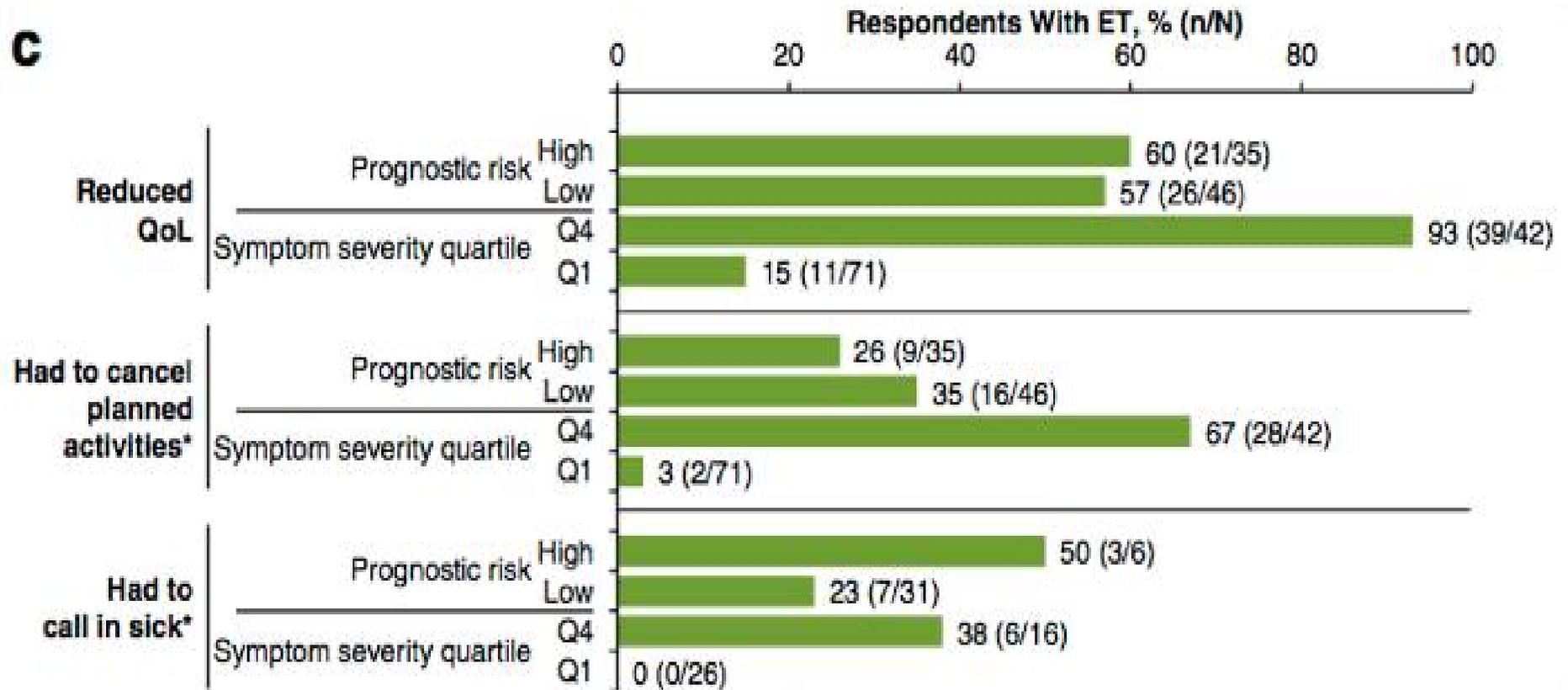
FEBBRE



PERDITA PESO



# Risk score versus symptoms score



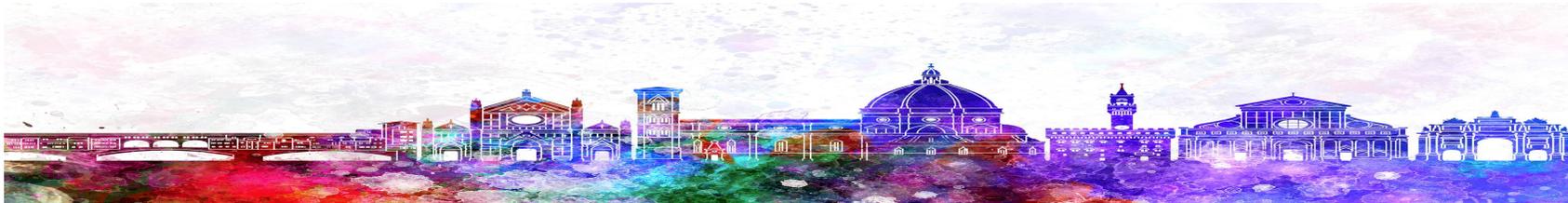
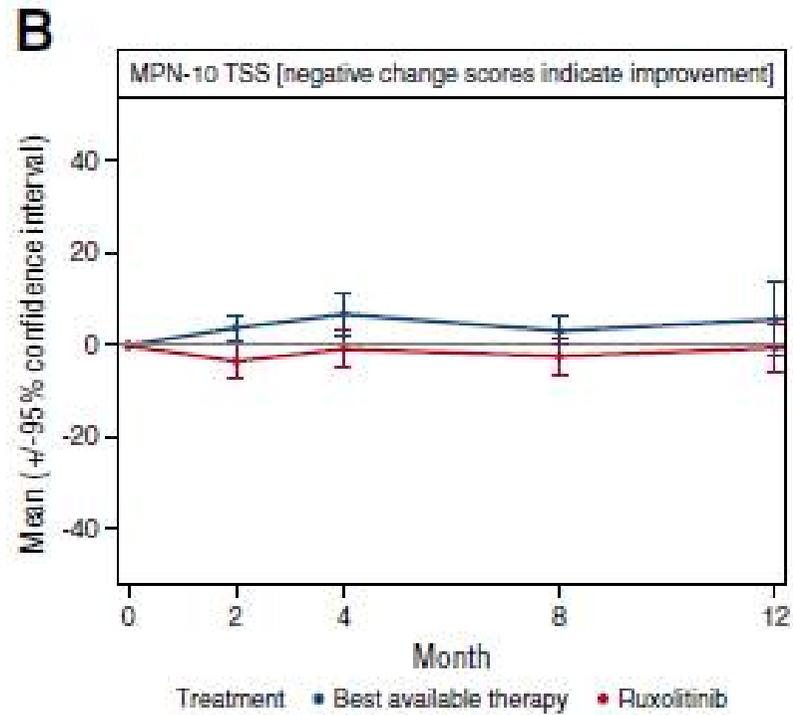
# TSS-10

Nella pratica clinica consente di:  
Valutare la risposta alla terapia, soprattutto ai nuovi farmaci  
Monitorare la evoluzione della malattia



# TSS-10

*confronto terapia standard e ruxolitinib  
miglioramento TSS*



# TSS-10

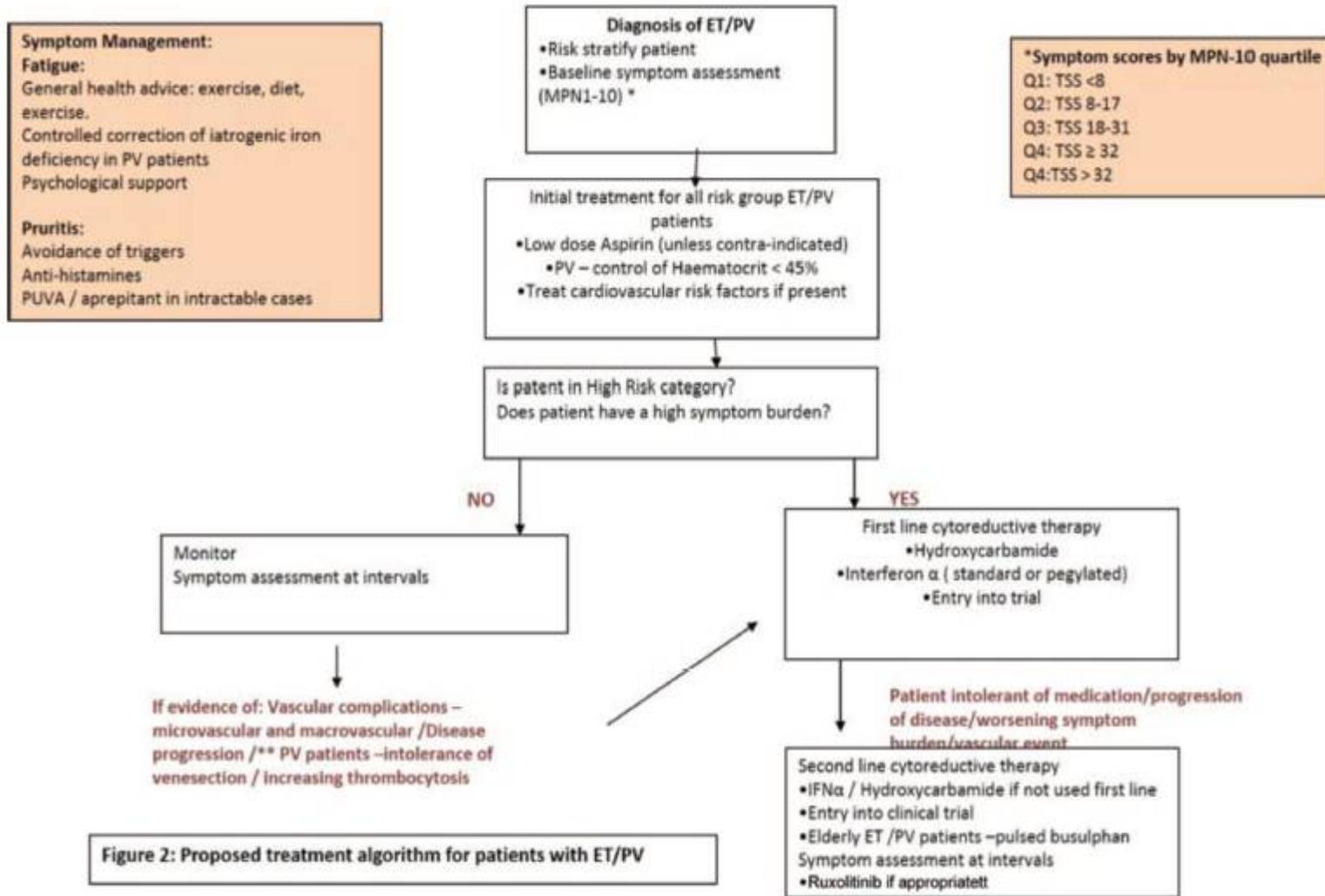


Figure 2: Proposed treatment algorithm for patients with ET/PV



# TSS-10

- Buono strumento di valutazione dei sintomi alla DIAGNOSI, di MONITORAGGIO della malattia e di RISPOSTA alla terapia.
- Indicatore della qualità della vita, che rimane obiettivo della cura.
- Più dati/informazioni raccogliamo e migliore sarà la validazione dei questionari nella valutazione della QOL.
- Migliora la comunicazione medico-paziente.

