

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

**Sabato 28 aprile 2018**

**CRIMM**

Centro di Ricerca e Innovazione  
per le Malattie Mieloproliferative



**Le novità terapeutiche**

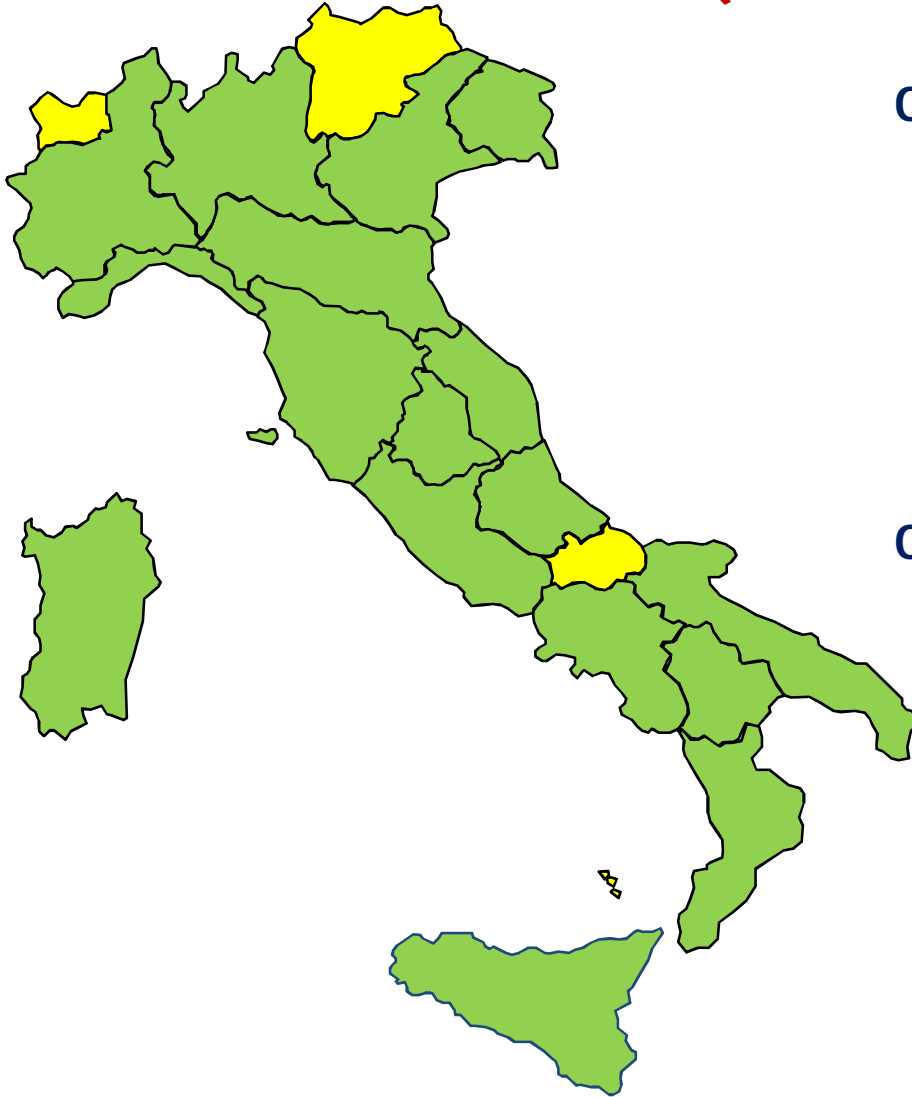
***Paola Guglielmelli***

**CRIMM**

***AOU Careggi  
Università degli Studi di Firenze***



# Studio Osservazionale in pazienti con Mielofibrosi trattati con Ruxolitinib (studio ROMEI)



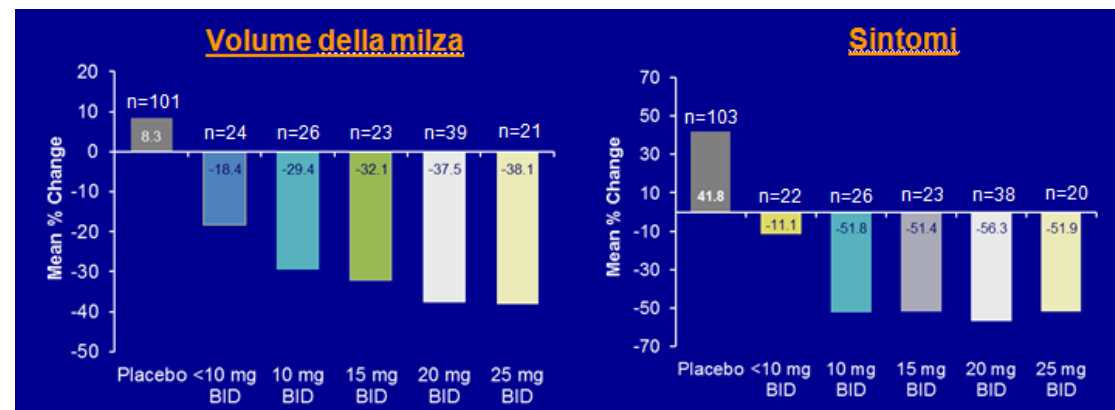
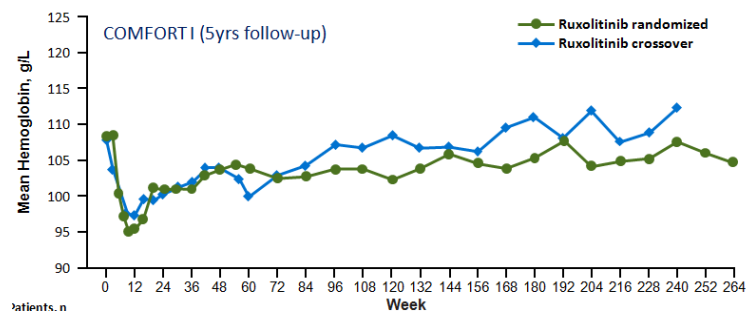
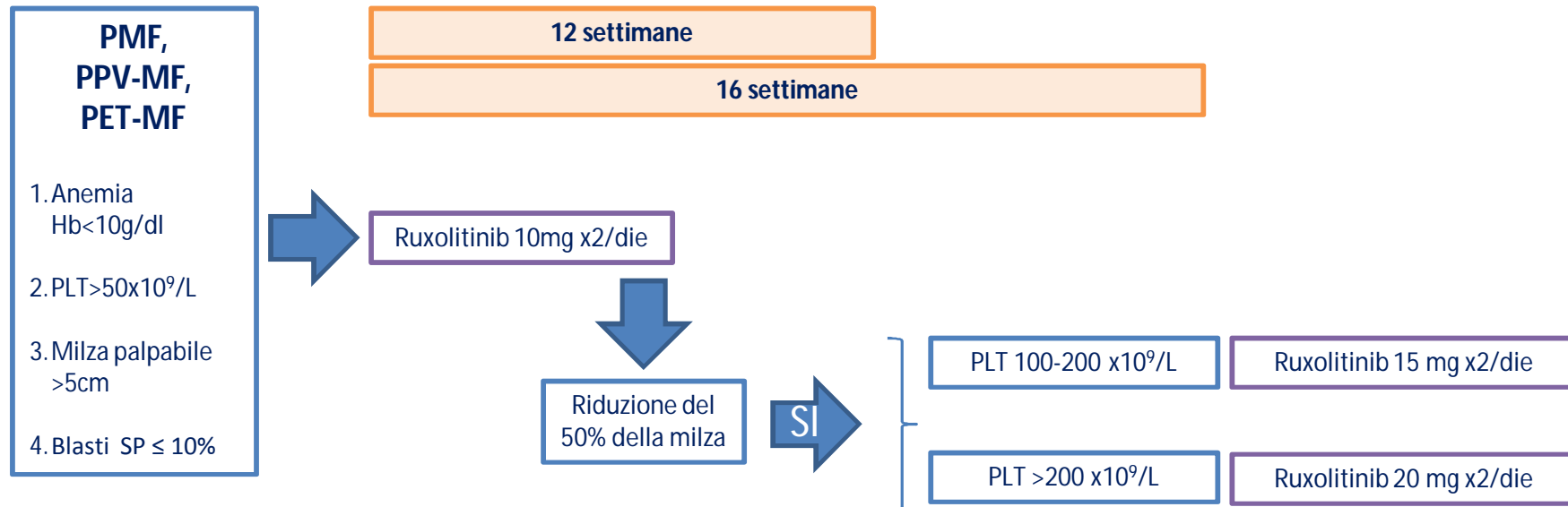
## Obiettivo primario:

Valutazione della risposta sui sintomi e sulla qualità della vita nei pazienti trattati con ruxolitinib nel mondo reale. Utilizzando questionari: MPN 10 total score; EQ-5D-5L score.

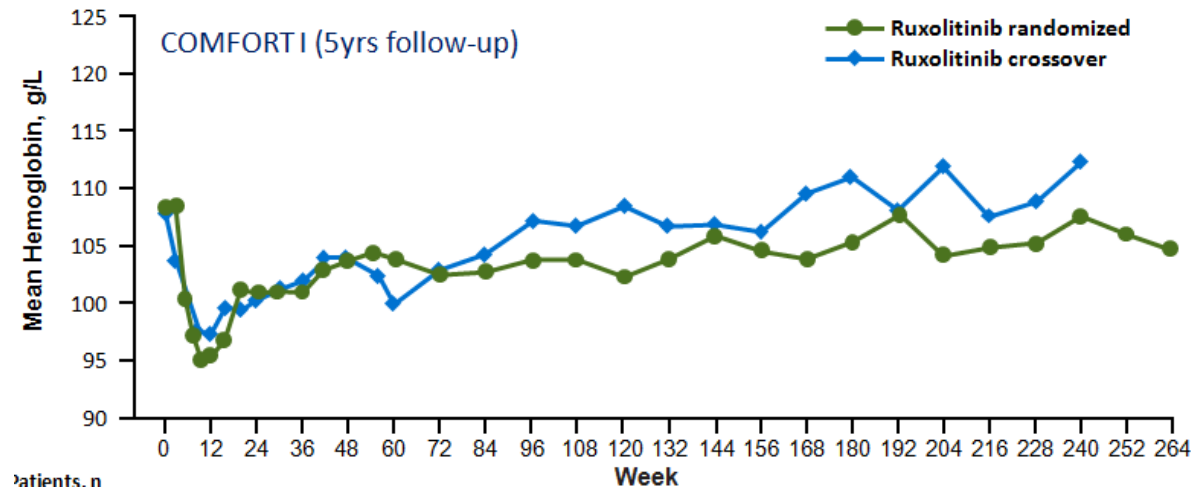
## Obiettivo Secondario:

- Valutazione della risposta sulla splenomegalia
- Valutazione della sopravvivenza
- Valutazione dell'aderenza al trattamento
- Valutazione dell'impatto sulla produttività
- Registrazione della tossicità
- Valutare la gestione del paziente con mielofibrosi trattato con ruxolitinib nelle regioni italiane.

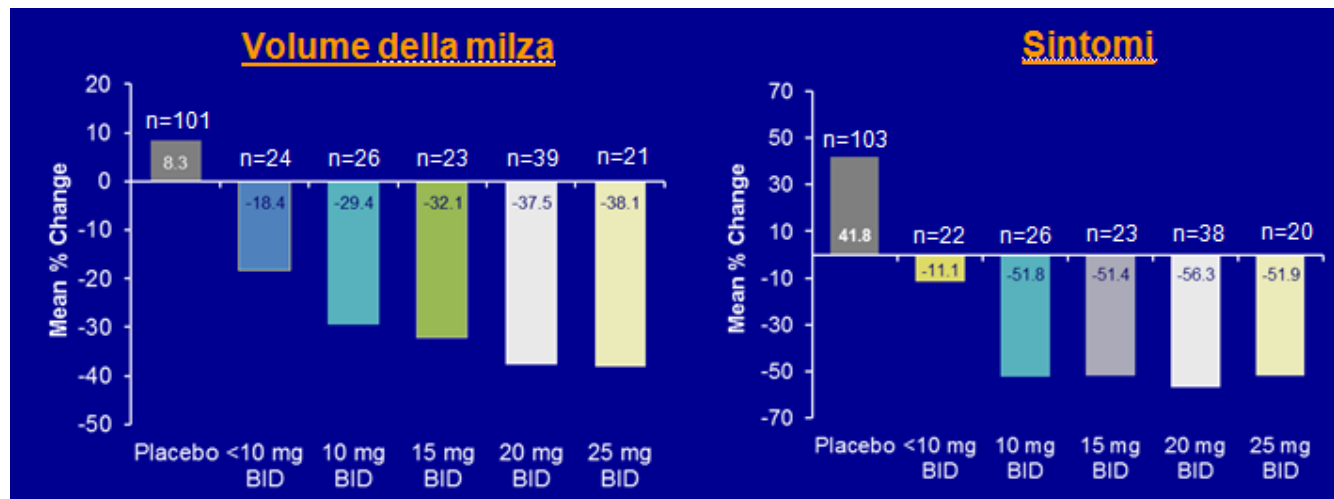
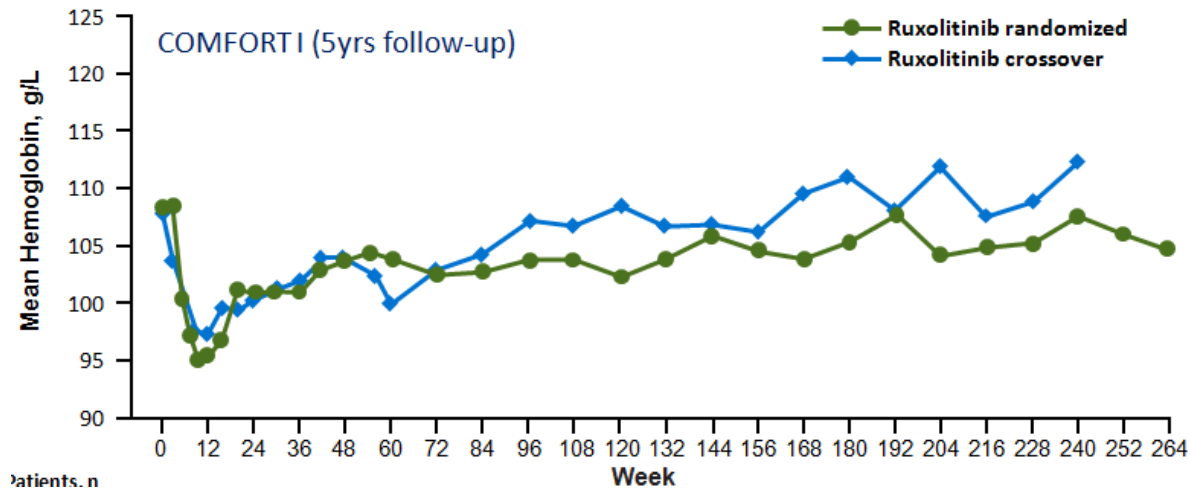
# Studio di fase 2 per valutare l'efficacia e la sicurezza di Ruxolitinib in pazienti con mielofibrosi ed anemia (studio REALISE)



# Studio di fase 2 per valutare l'efficacia e la sicurezza di Ruxolitinib in pazienti con mielofibrosi ed anemia (studio REALISE)



# Studio di fase 2 per valutare l'efficacia e la sicurezza di Ruxolitinib in pazienti con mielofibrosi ed anemia (studio REALISE)

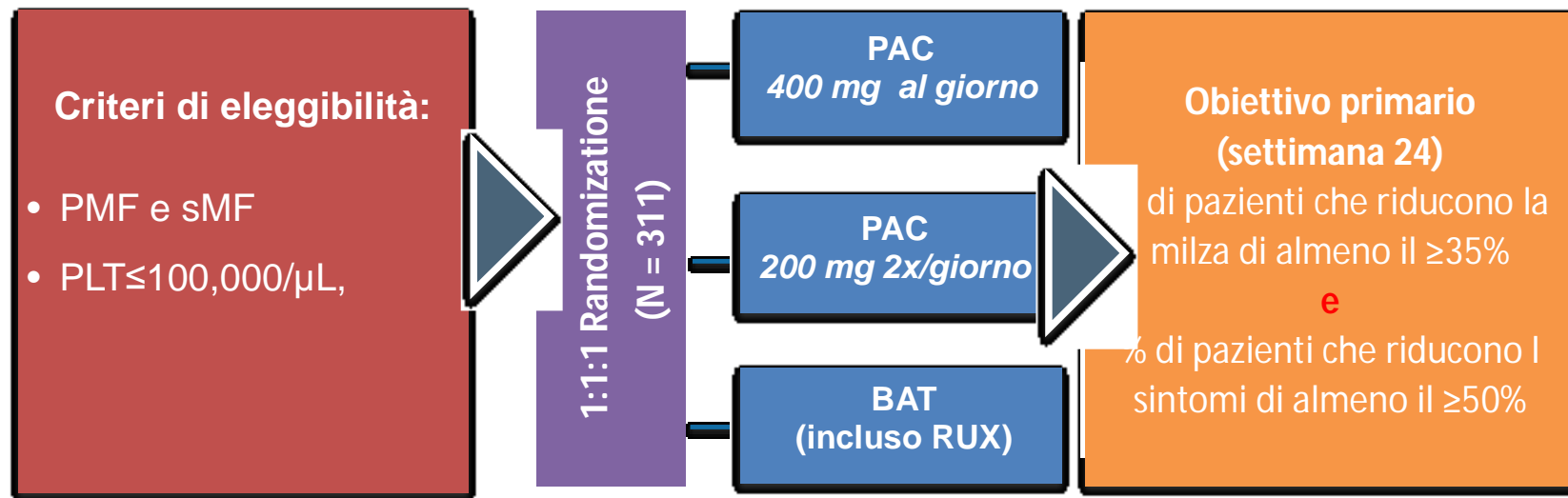


# Studio di fase 2, randomizzato, per la ricerca del miglior dosaggio di Pacritinib in pazienti con mielofibrosi che hanno fallito il trattamento con ruxolitinib (studio PAC203)



# Studio di fase 2, randomizzato, per la ricerca del miglior dosaggio di Pacritinib in pazienti con mielofibrosi che hanno fallito il trattamento con ruxolitinib (studio PAC203)

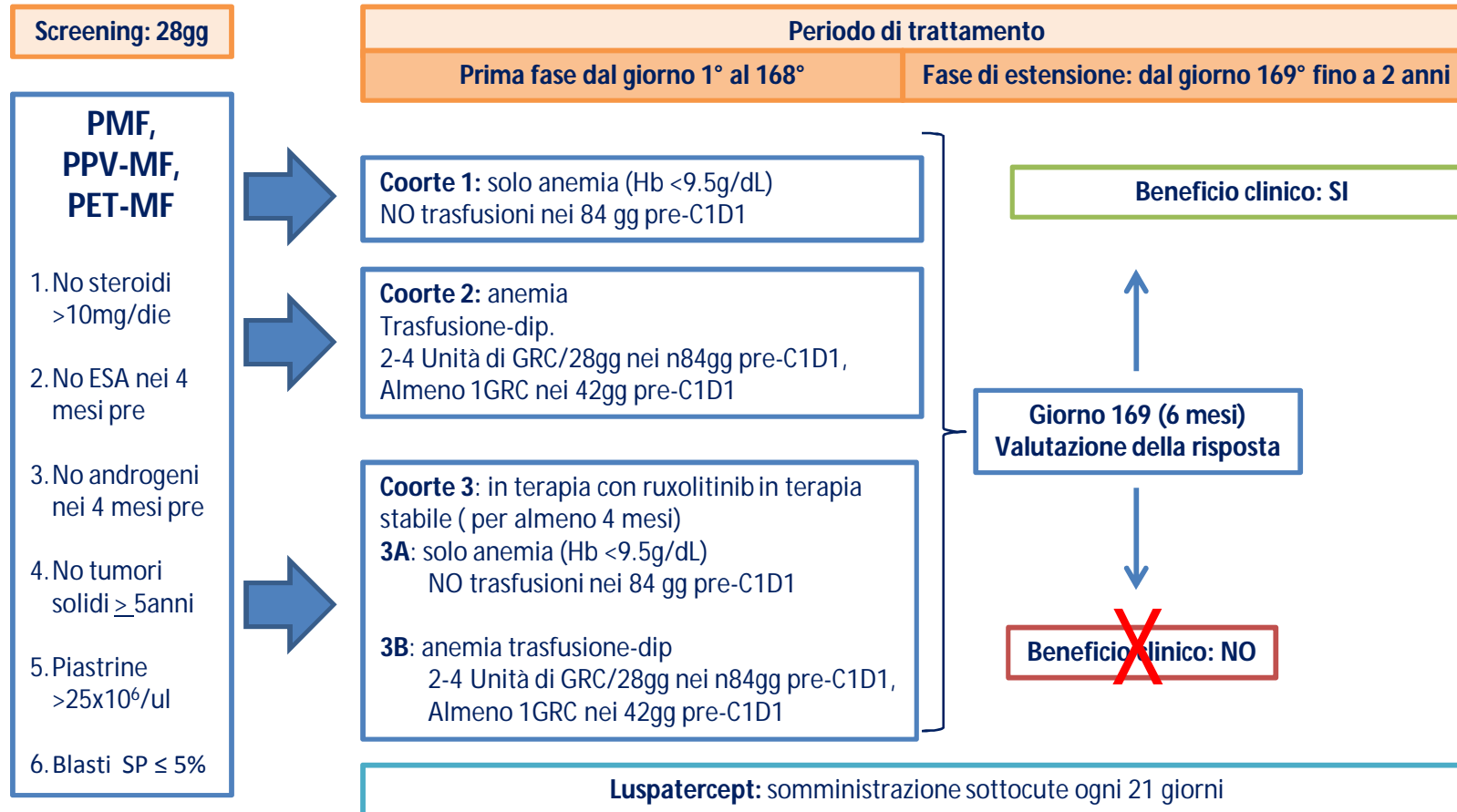
Protocollo PERSIST-2 trial



Raggiunto un solo obiettivo dei due definiti dallo studio:

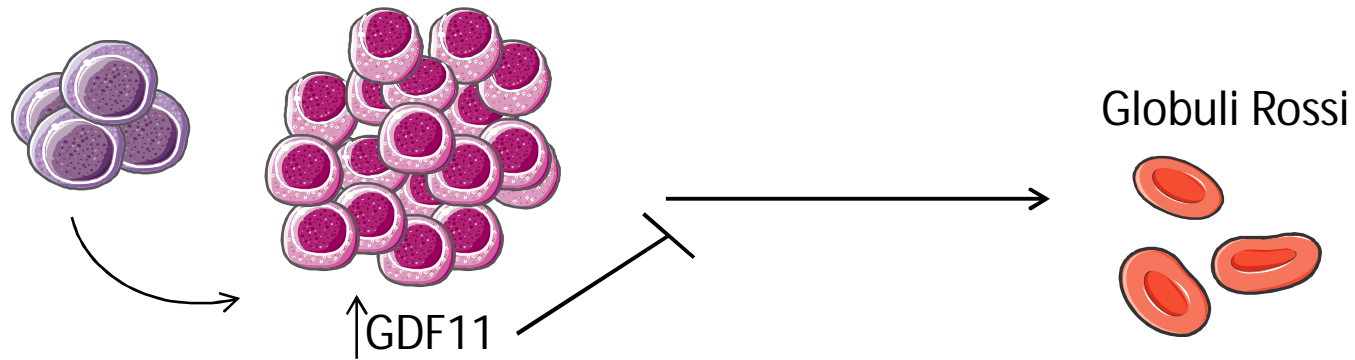
- Risposta sulla riduzione della splenomegalia raggiunto
- L' endpoint primario che prevedeva la riduzione  $\geq 50\%$  dei sintomi non è stato raggiunto.

# Studio di fase 2 per valutare l'efficacia e la sicurezza di Luspatercept (ACE-536) in pazienti con mielofibrosi ed anemia e/o trasfusione-dipendenza

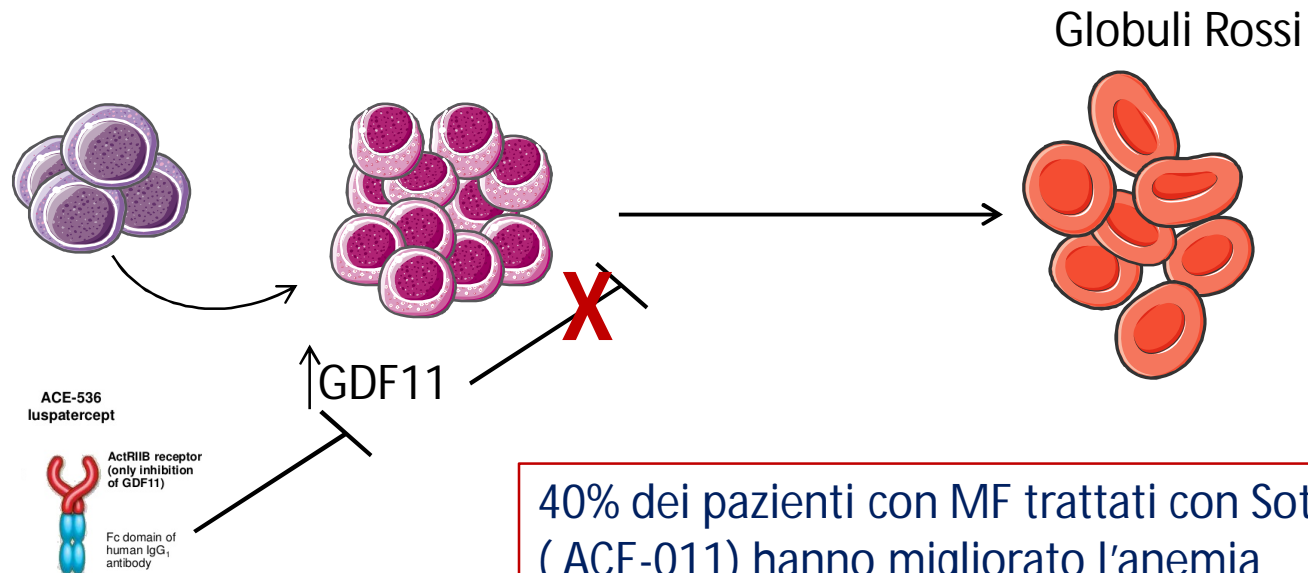
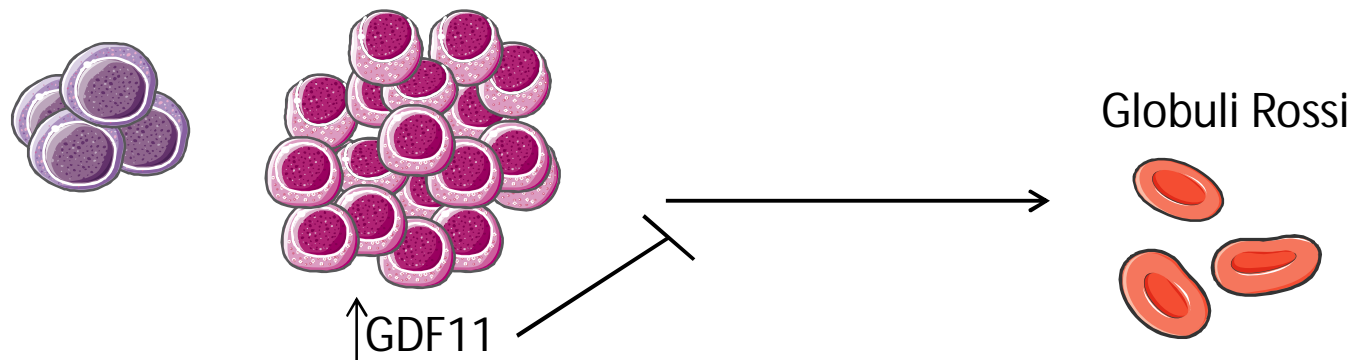




# Studio di fase 2 per valutare l'efficacia e la sicurezza di Luspatercept (ACE-536) in pazienti con mielofibrosi ed anemia e/o trasfusione-dipendenza



# Studio di fase 2 per valutare l'efficacia e la sicurezza di Luspatercept (ACE-536) in pazienti con mielofibrosi ed anemia e/o trasfusione-dipendenza



40% dei pazienti con MF trattati con Sotatercept (ACE-011) hanno migliorato l'anemia