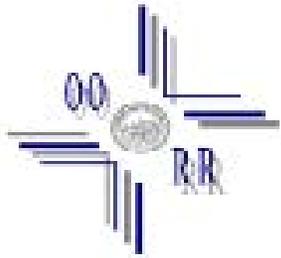


“REAL WORLD EVIDENCE” Nuovi target terapeutici in Ematologia San Giovanni Rotondo 8-9 Novembre 2018



REGIONE PUGLIA
OSPEDALI RIUNITI
AZIENDA OSPEDALIERO-UNIVERSITARIA
FOGGIA

AZIENDA OSPEDALIERO-UNIVERSITARIA
“OO. RR.”

Real World in Puglia: Prima linea e linee successive

*Dott. Spinosa Giuseppina
Foggia*

REGISTRO LMC

REGIONE PUGLIA

CENTRI:

- POLICLINICO CONSORZIALE - BARI
- IRCCS OSPEDALE ONCOLOGICO GIOVANNI PAOLO II - BARI
- OSPEDALE VITO FAZZI - LECCE
- STABILIMENTO PERRINO - BRINDISI
- CASA SOLLIEVO DELLA SOFFERENZA - SG. ROTONDO
- AOU OSPEDALI RIUNTI - FOGGIA
- POC SS ANNUNZIATA -TARANTO
- OSPEDALE MONS DI MICCOLI - BARLETTA
- OSPEDALE CARDINALE PANICO - TRICASE

SITUAZIONE ATTIVAZIONE CENTRI

 **17** REGIONI CON ALMENO IL CENTRO REFERENTE ATTIVO PER L'ARRUOLAMENTO

 **1** REGIONI CON IL CENTRO REFERENTE IN ATTESA DI APPROVAZIONE DEL COMITATO ETICO

Totale di
63 Centri attivi
sul territorio Nazionale



L'arruolamento comprende **retrospettivamente** pazienti che hanno avuto **diagnosi di LMC dal 01 Gennaio 2012**, e **prospettivamente** pazienti cui sarà diagnosticata una LMC nel corso dello studio.

Criteri di Inclusione

Età > 18 anni

Pazienti di nuova diagnosi affetti da LMC in qualsiasi fase di malattia con diagnosi a partire dal 01 Gennaio 2012

Firma del consenso informato

Criteri di Esclusione

Rifiuto a partecipare da parte del paziente

La partecipazione ad un altro studio clinico non è un criterio di esclusione, se non previsto dall'altro studio considerato.

OBIETTIVI DELLO STUDIO

OBIETTIVO PRIMARIO:

Verifica, mediante l'utilizzazione della rete dei laboratori accreditati LABNET, dell'applicazione delle raccomandazioni ELN nel management di tutti i pazienti con LMC con nuova diagnosi dal Gennaio 2012, consecutivamente osservati in ogni Centro

OBIETTIVI SECONDARI:

- A) Valutazione degli eventi favorevoli (tipologia/qualità e durata della risposta) e degli eventi sfavorevoli (resistenza, progressioni in fasi avanzate, intolleranza)*
- B) Valutazione della relazione tra la risposta molecolare precoce e i gruppi di rischio Sokal/Eutos*
- C) Valutazione delle patologie intercorrenti, seconde o altre neoplasie, e della familiarità neoplastica*
- D) Valutazione delle cause di decesso (CML related o unrelated)*

OBIETTIVI SECONDARI BIOLOGICI

LETTERATURA

[Real world treatment patterns in chronic myeloid leukemia patients newly initiated on tyrosine kinase inhibitors in an U.S. integrated healthcare system.](#)

Rashid N, Koh HA, Lin KJ, Stwalley B, Felber E. J Oncol Pharm Pract. 2018

[\[Analysis on tyrosine kinase inhibitor discontinuation in patients with chronic myeloid leukemia in the real world: experience from single center\].](#)

Yu L, Qin YZ, Jiang Q.

[Treatment outcome in a population-based, 'real-world' cohort of patients with chronic myeloid leukemia.](#)

Geelen IGP, Thielen N, Janssen JJWM, Hoogendoorn M, Roosma TJA, Willemsen SP, Visser O, Cornelissen JJ, Westerweel PE. Haematologica. 2017 Nov;102(11):1842-1849

[. The impact of medical insurance coverage and molecular monitoring frequency on outcomes in chronic myeloid leukemia: real-world evidence in China.](#)

Sheng G, Chen S, Zhang R, Miao M, Wu D, Tan SC, Liu C, Xiong T. J Med Econ. 2017 Apr;20(4):382-387.

[Nilotinib versus dasatinib as second-line therapy in patients with Philadelphia chromosome-positive chronic myeloid leukemia in chronic phase who are resistant or intolerant to imatinib: a cost-effectiveness analysis based on real-world data.](#)

Li N, Yang X, Fan L, Totev T, Guerin A, Chen L, Bhattacharyya S, Joseph G. J Med Econ. 2017 Apr;20(4):328-336.

[Myeloid malignancies in the real-world: Occurrence, progression and survival in the UK's population-based Haematological Malignancy Research Network 2004-15.](#)

Roman E, Smith A, Appleton S, Crouch S, Kelly R, Kinsey S, Cargo C, Patmore R. Cancer Epidemiol. 2016 Jun;42:186-98.

[The predictive value of early molecular response in chronic myeloid leukaemia patients treated with imatinib in a single real-world medical centre in a developing country.](#)

Bee PC, Sekaran V, Ng RR, Kweh TY, Gan GG. Singapore Med J. 2017 Mar;58(3):150-154.

[Use of Real-World Claim Databases to Assess Prevalence of Comorbid Conditions Relevant to the Treatment of Chronic Myelogenous Leukemia Based on National Comprehensive Network Treatment Guidelines.](#)

Jabbour E, Makenbaeva D, Lingohr-Smith M, Lin J. Clin Lymphoma Myeloma Leuk. 2015 Dec;15(12):797-802.

[Monitoring Chronic Myeloid Leukemia in the Real World: Gaps and Opportunities.](#)

Goldberg SL. Clin Lymphoma Myeloma Leuk. 2015 Dec;15(12):711-4.

[Real-world analysis of tyrosine kinase inhibitor treatment patterns among patients with chronic myeloid leukemia in the United States.](#)

Henk HJ, Woloj M, Shapiro M, Whiteley J. Clin Ther. 2015 Jan 1;37(1):124-33.

[Real-world cost-effectiveness in chronic myeloid leukemia: the price of success during four decades of development from non-targeted treatment to imatinib.](#)

Ohm L, Lundqvist A, Dickman P, Höglund M, Persson U, Stenke L, Carlsson KS, Björkholm M. Leuk Lymphoma. 2015 May;56(5):1385-91.

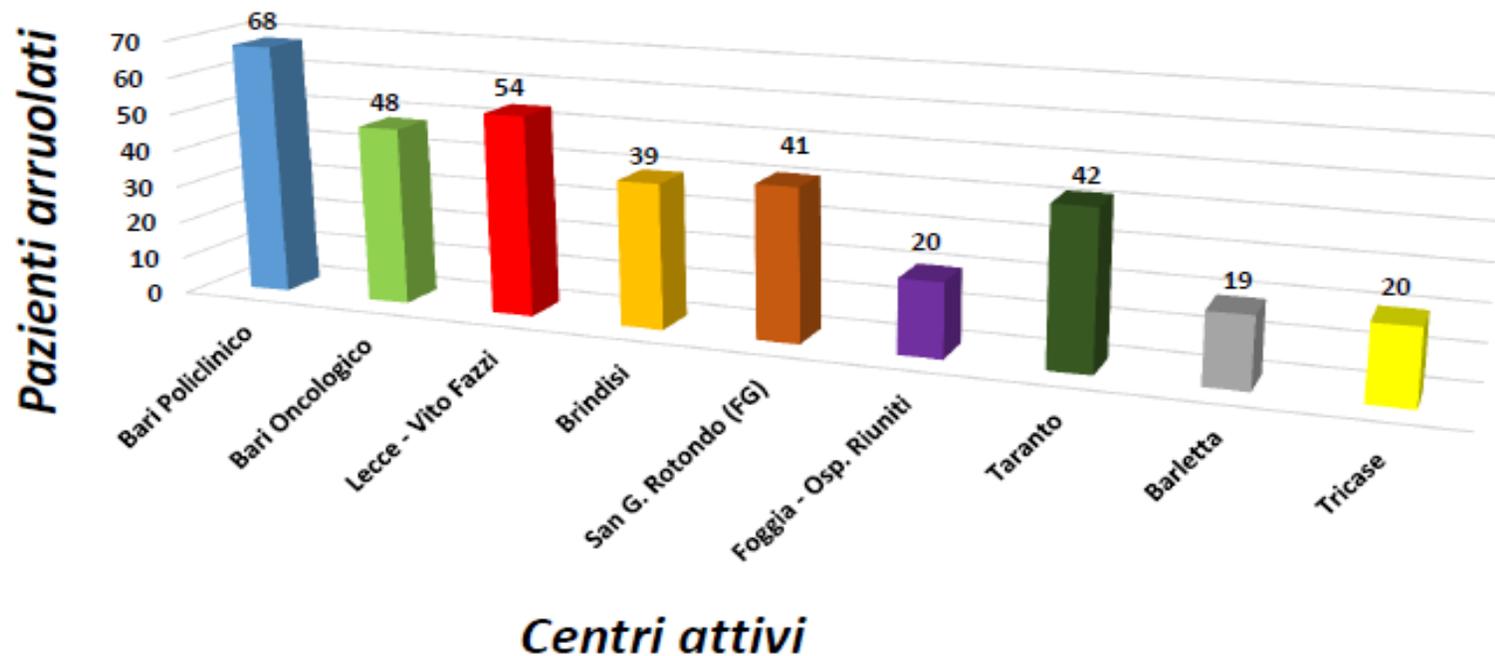
SITUAZIONE ARRUOLAMENTO REGIONE PUGLIA

Lo studio è attivo per l'arruolamento dal 02 Aprile 2015

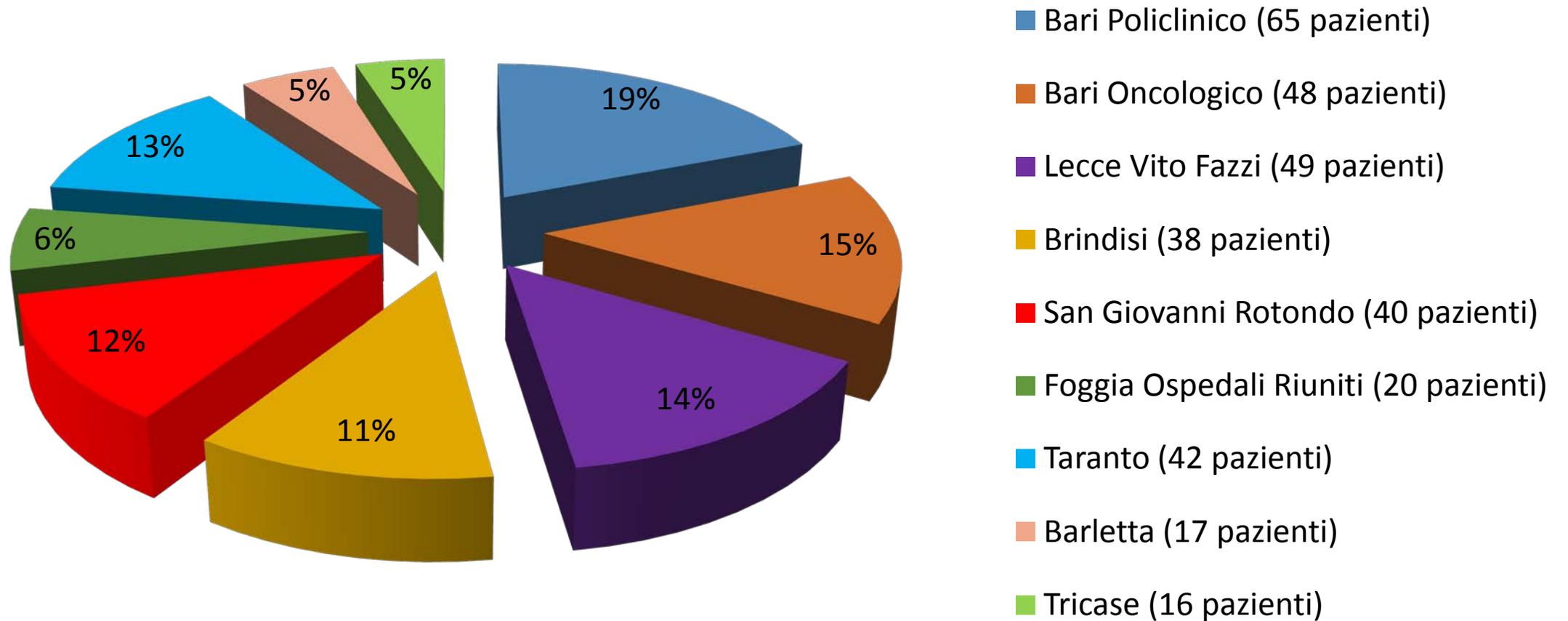
Pazienti Totali Arruolati

351

-  Bari Policlinico – 68 pazienti
-  Bari Oncologico – 48 pazienti
-  Lecce – 54 pazienti
-  Brindisi – 39 pazienti
-  San G. Rotondo (FG) – 41 pazienti
-  Foggia – 20 pazienti
-  Taranto – 42 pazienti
-  Barletta – 19 pazienti
-  Tricase (LE) – 20 pazienti

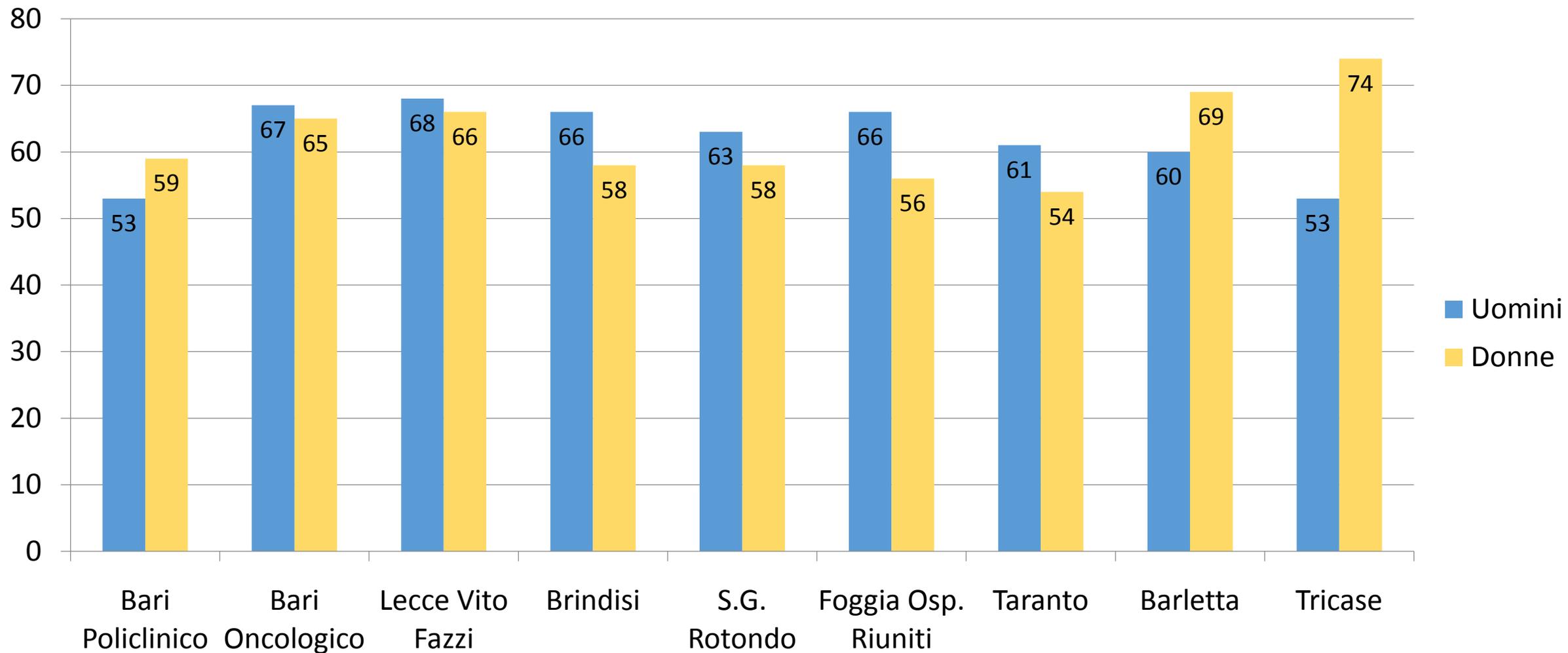


Percentuale arruolamenti per Centro

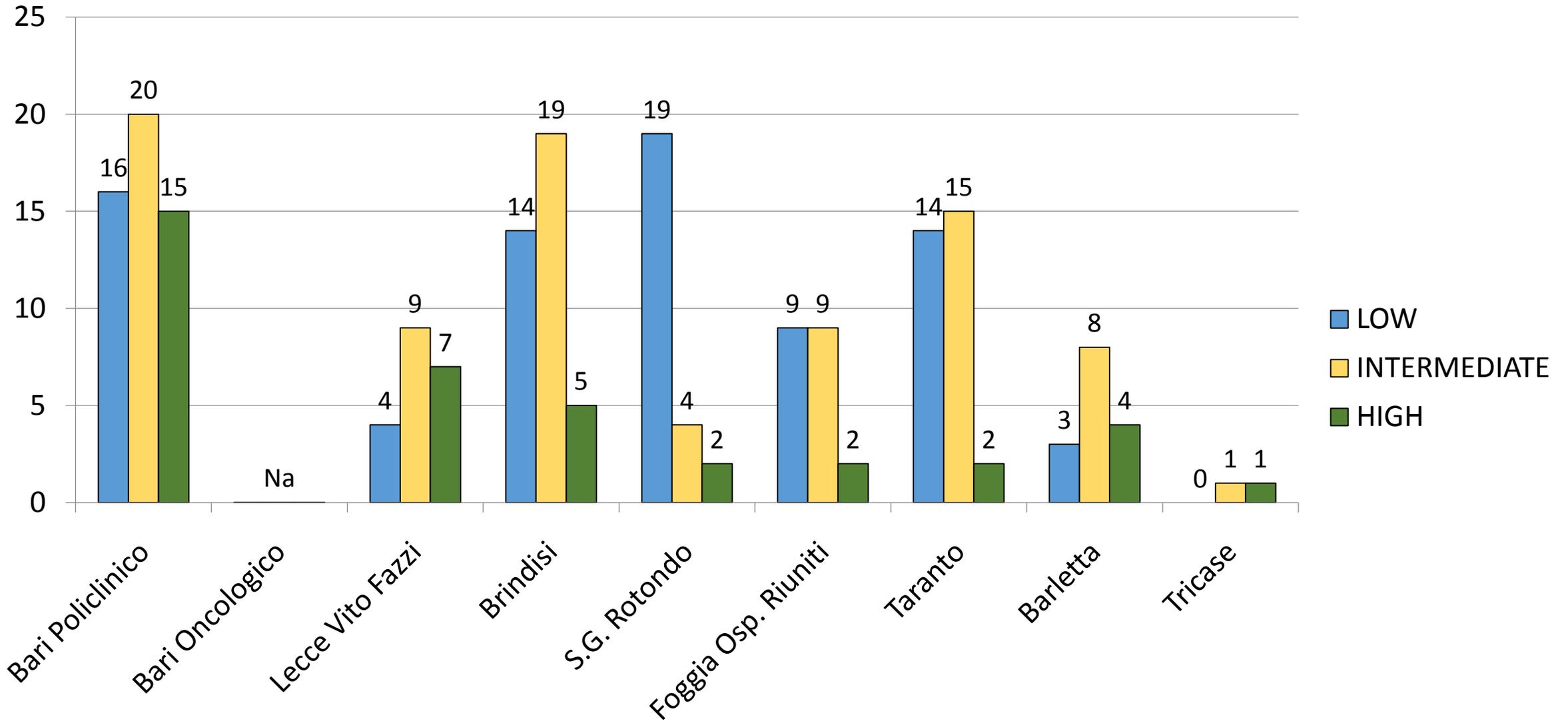


Mediana dell'età alla diagnosi per SESSO

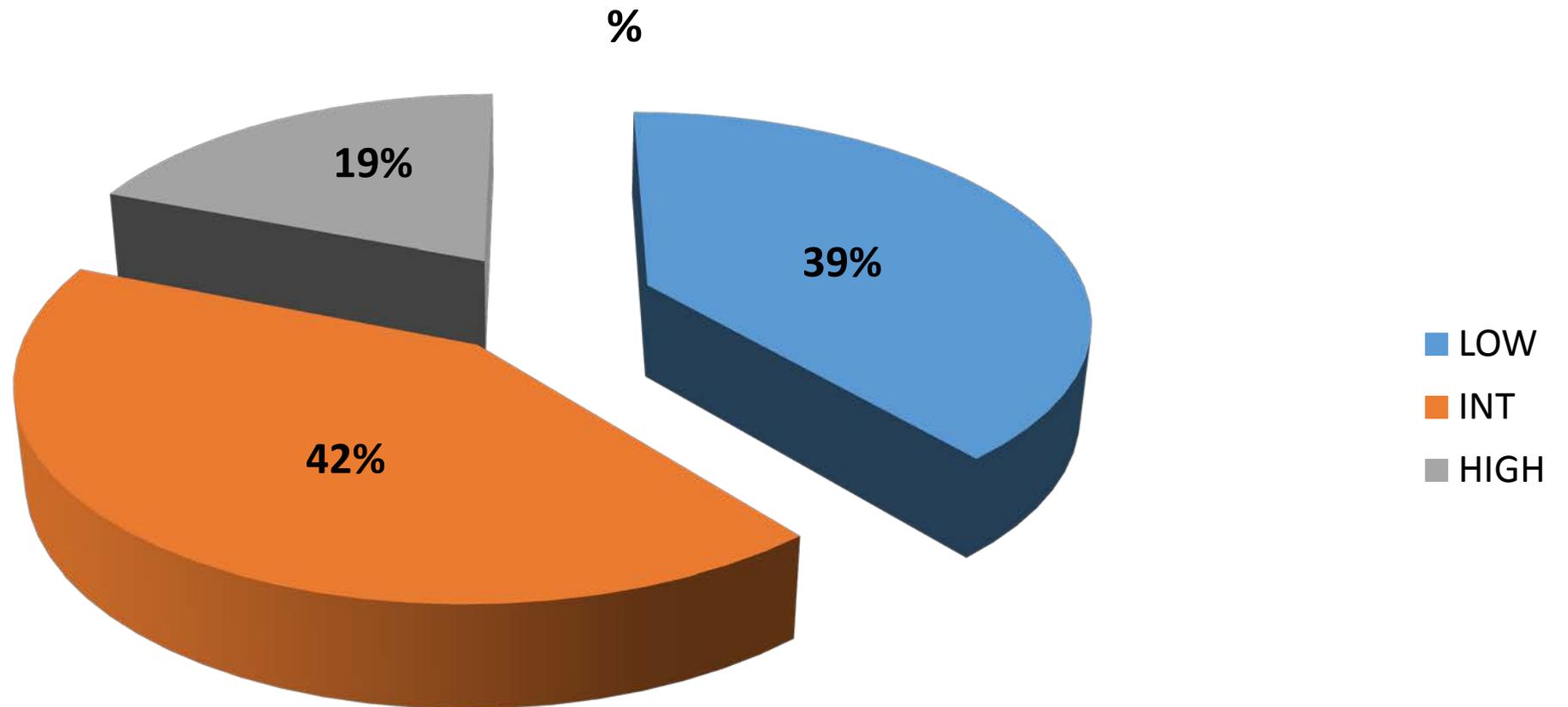
333 CASI



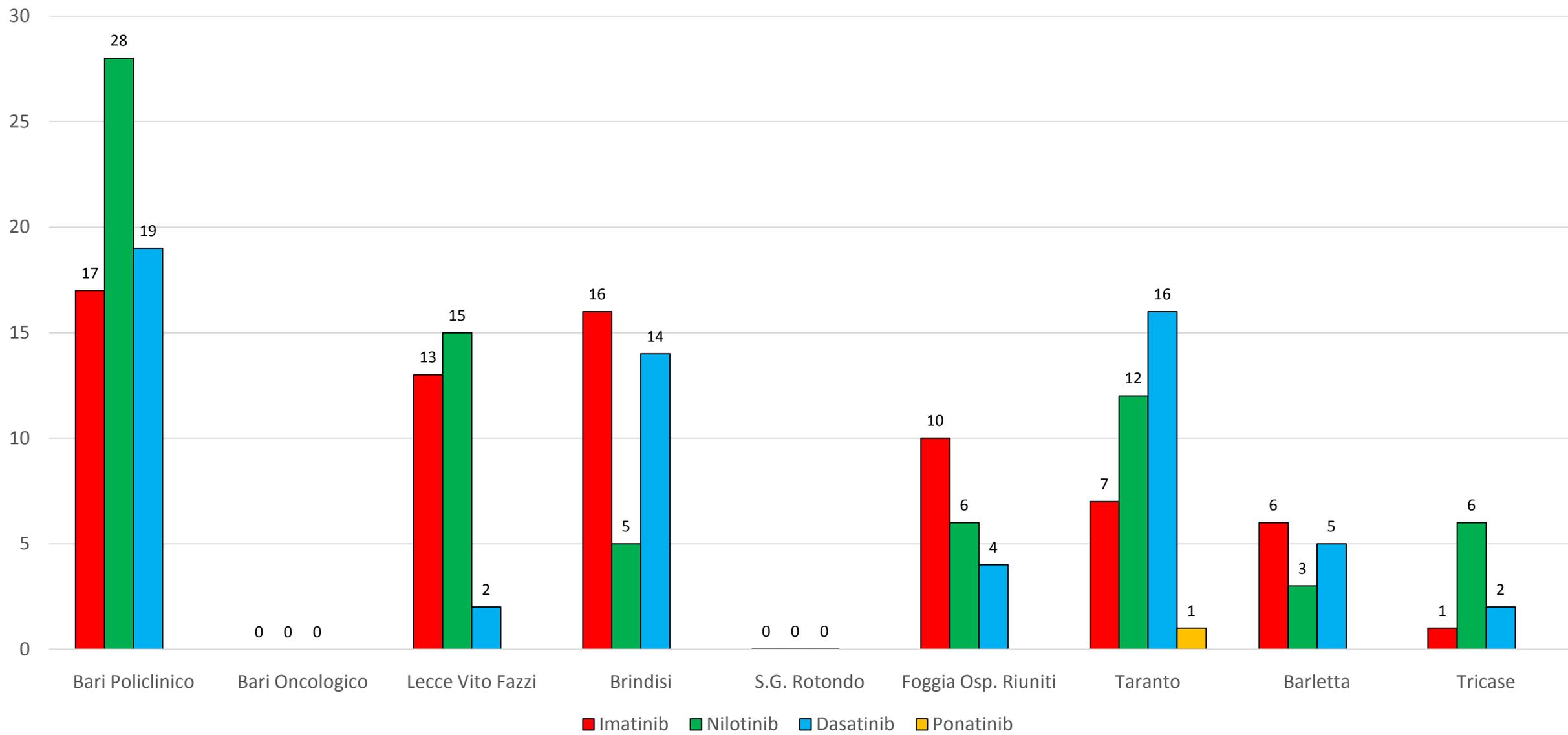
SOKAL SCORE



SOKAL

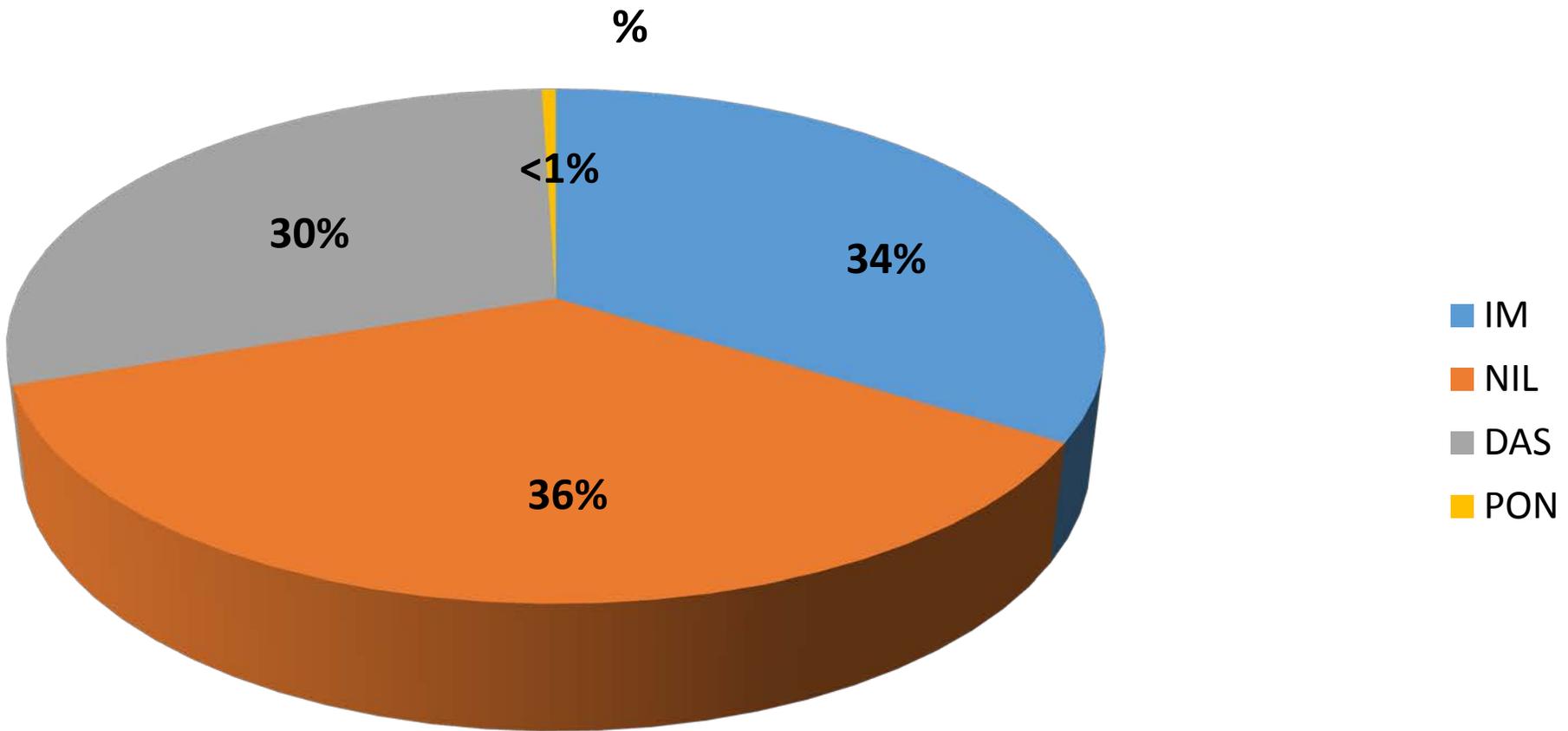


TERAPIA DI 1° LINEA

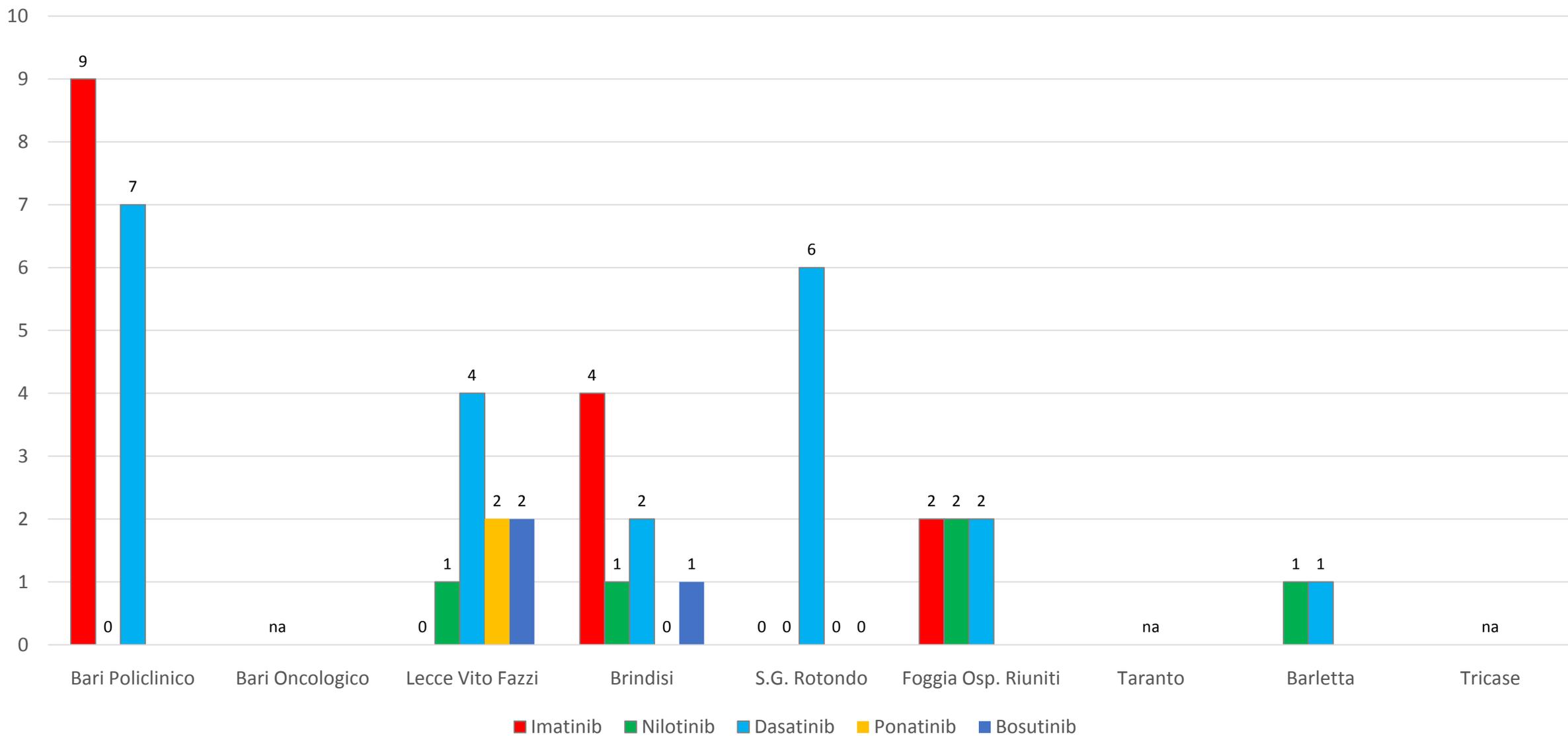


208 CASI INSERITI

TERAPIA DI 1° LINEA

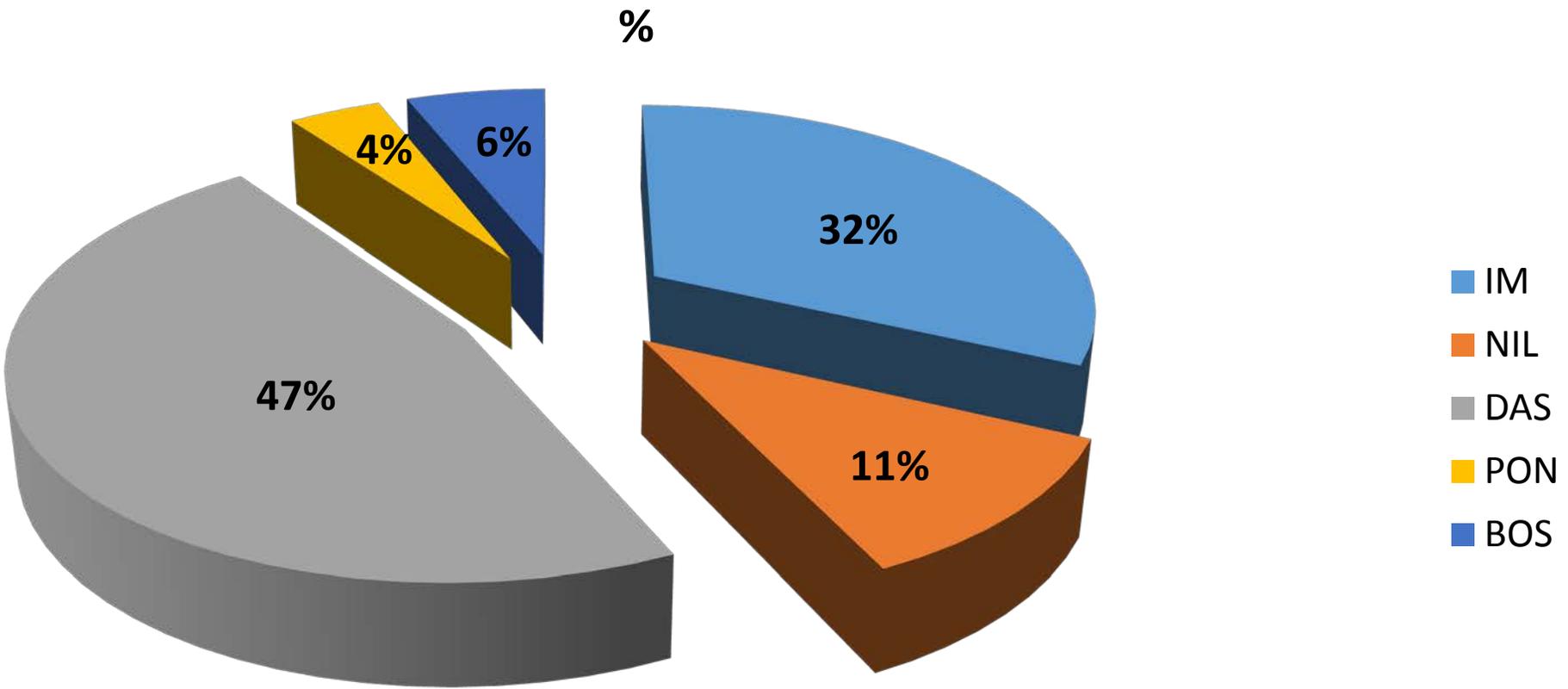


TERAPIA DI 2° LINEA

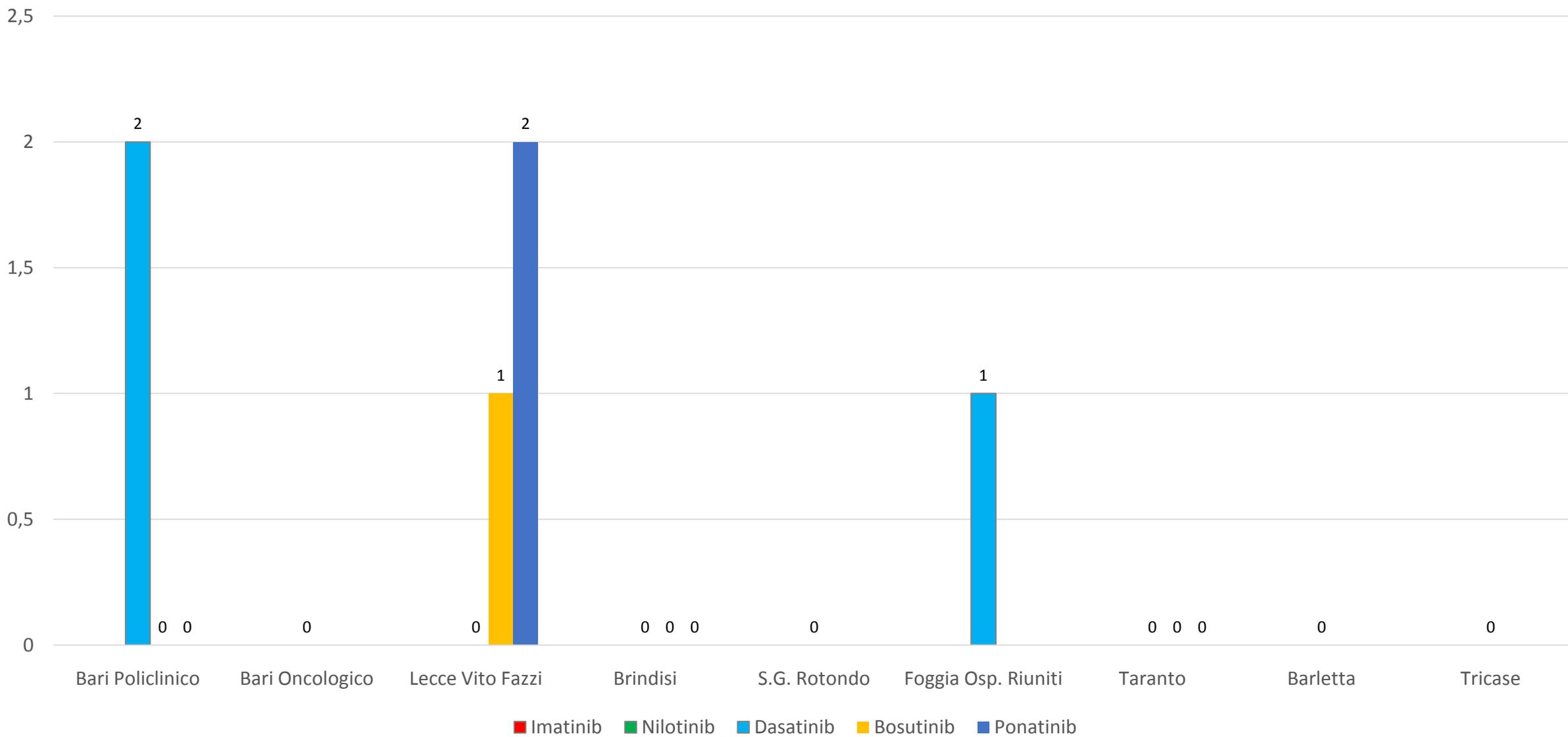


47 CASI

TERAPIA DI 2° LINEA

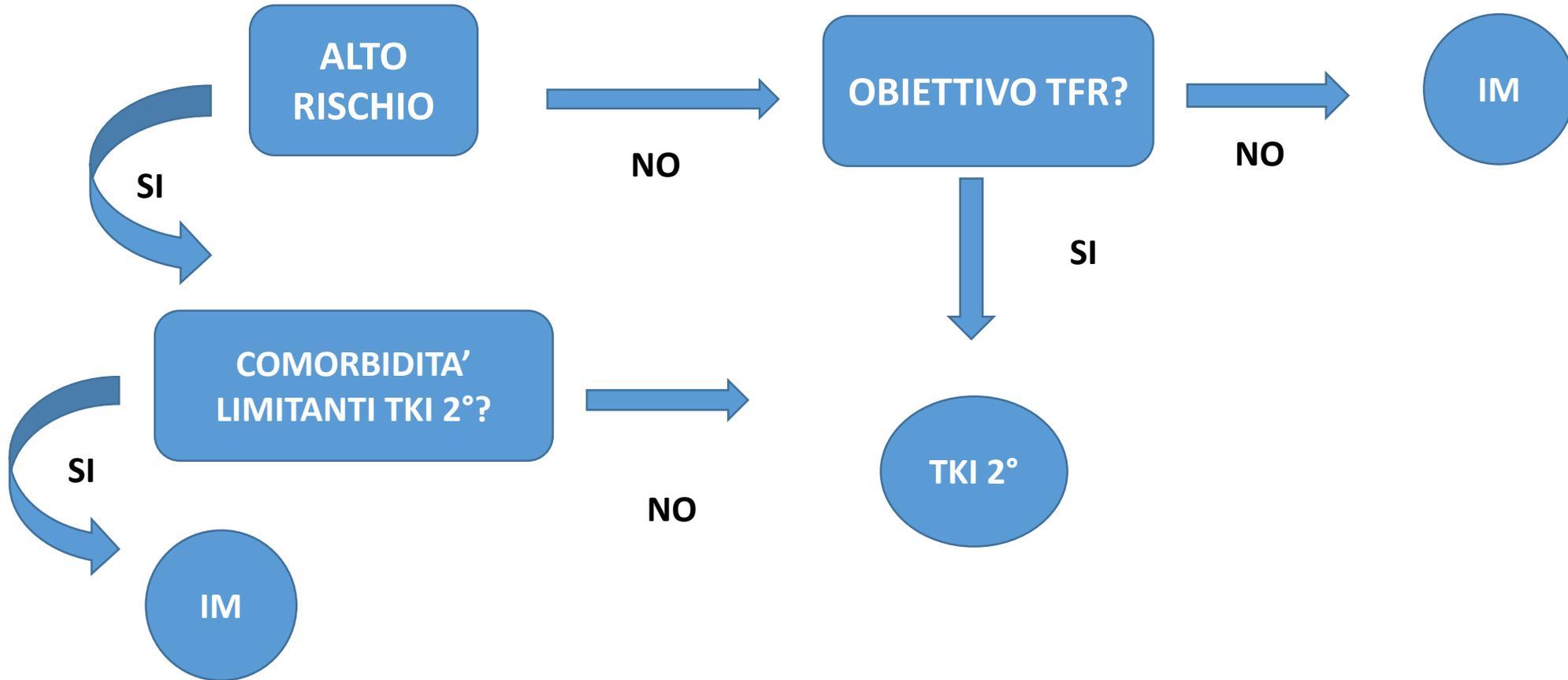


TERAPIA DI 3° LINEA



6 CASI

ALGORITMO SEGUITO NEL NOSTRO CENTRO



CONCLUSIONI

- La terapia con IM ha trasformato la prognosi della LMC con un OS dell'83% a 10 anni; DAS e NIL inducono più alti tassi di RCC e RMM rispetto ad IM così come un minor tasso di progressione a CB; BOS è stato inizialmente studiato nei pz res/int a IM; Ponatinib è efficace anche nei pz con mutazione T315I
- Nel 2018 l'OS non è più l'unico obiettivo del trattamento, ma è affiancato dal TFR
- Non abbiamo ancora purtroppo ancora l'identikit del pz che otterrà una TFR in quanto nel 50% dei casi circa il tentativo fallisce
- L' indefinita durata del trattamento con TKI rende pertanto la tollerabilità e la manegevolezza degli EA essenziali per il successo terapeutico
- Tra prima e altre linee di terapia ci sono più di 50 possibili combinazioni di sequenze di trattamento
- Si potrebbe auspicare di uniformare l'orientamento terapeutico nei pz LMC nell'ambito dei centri di Ematologia della REP ma questo presuppone uno sforzo comune nell'implementazione dell'inserimento dei dati nel registro
- E' attualmente in corso un progetto della REP in collaborazione con i cardiologici per la valutazione del rischio cardiologico nei pz in tp con TKI che ci potrebbe guidare anche nell'uniformare la valutazione del "fitness" dei pz candidabili ai 2TKI



REGIONE PUGLIA
OSPEDALI RIUNITI
AZIENDA OSPEDALIERO-UNIVERSITARIA
FOGGIA



AZIENDA OSPEDALIERO-UNIVERSITARIA
“OO. RR.”



Grazie per l'attenzione