

1° FORUM NAZIONALE **AIPaSiM**

**SINDROME  
MIELODISPLASTICA:  
PAZIENTI, MEDICI  
E ISTITUZIONI A CONFRONTO**

**19 MAGGIO 2018**, ore 10.00-16.00  
Milano, Palazzo Lombardia - Auditorium Testori



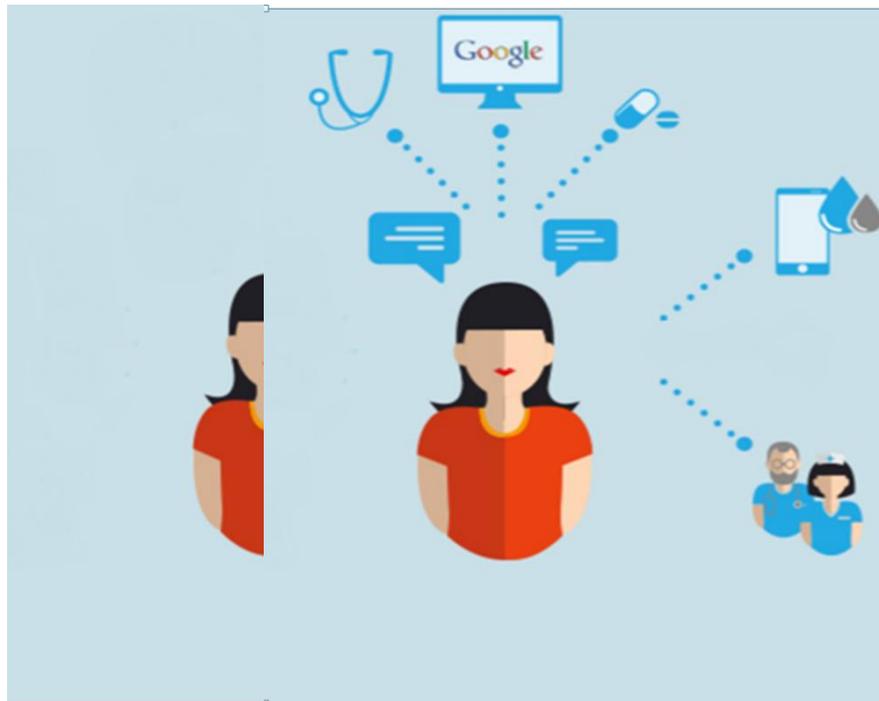
# **Mettere al centro del percorso sanitario la qualità della vita**

*Dr. Esther N Oliva  
Grande Ospedale Metropolitano  
Reggio Calabria*

# Complessità di cura: il paziente al centro

## Il paziente cerca informazioni:

- prima durante e dopo le visite



- condivide le esigenze, le paure e i consigli su comunità online
- usa lo smartphone per automonitoraggio e per stare connesso

# Complessità di cura: il paziente al centro

## Il paziente cerca informazioni:

- prima durante e dopo le visite



**Il rischio: disintermediazione delle conoscenze e delle pratiche cliniche**

# Valore della **voce del paziente**

***Patient reported outcomes = qualità di vita e sintomi***  
**nella pratica clinica quotidiana:**

## **1. Indicatori di impatto della malattia.**

- Durante la raccolta dell'anamnesi
- Durante il periodo di osservazione
- *Diagnosi medica accurata e scelta del trattamento.*

## **2. Indicatori per valutare gli effetti del trattamento.**

- Cambiamenti di *Sintomi/”Effetti collaterali”*
- Impatto del trattamento sulla percezione della salute.

**Elemento chiave nel percorso terapeutico decisionale.**

# Narrazione del medico $\neq$ del paziente

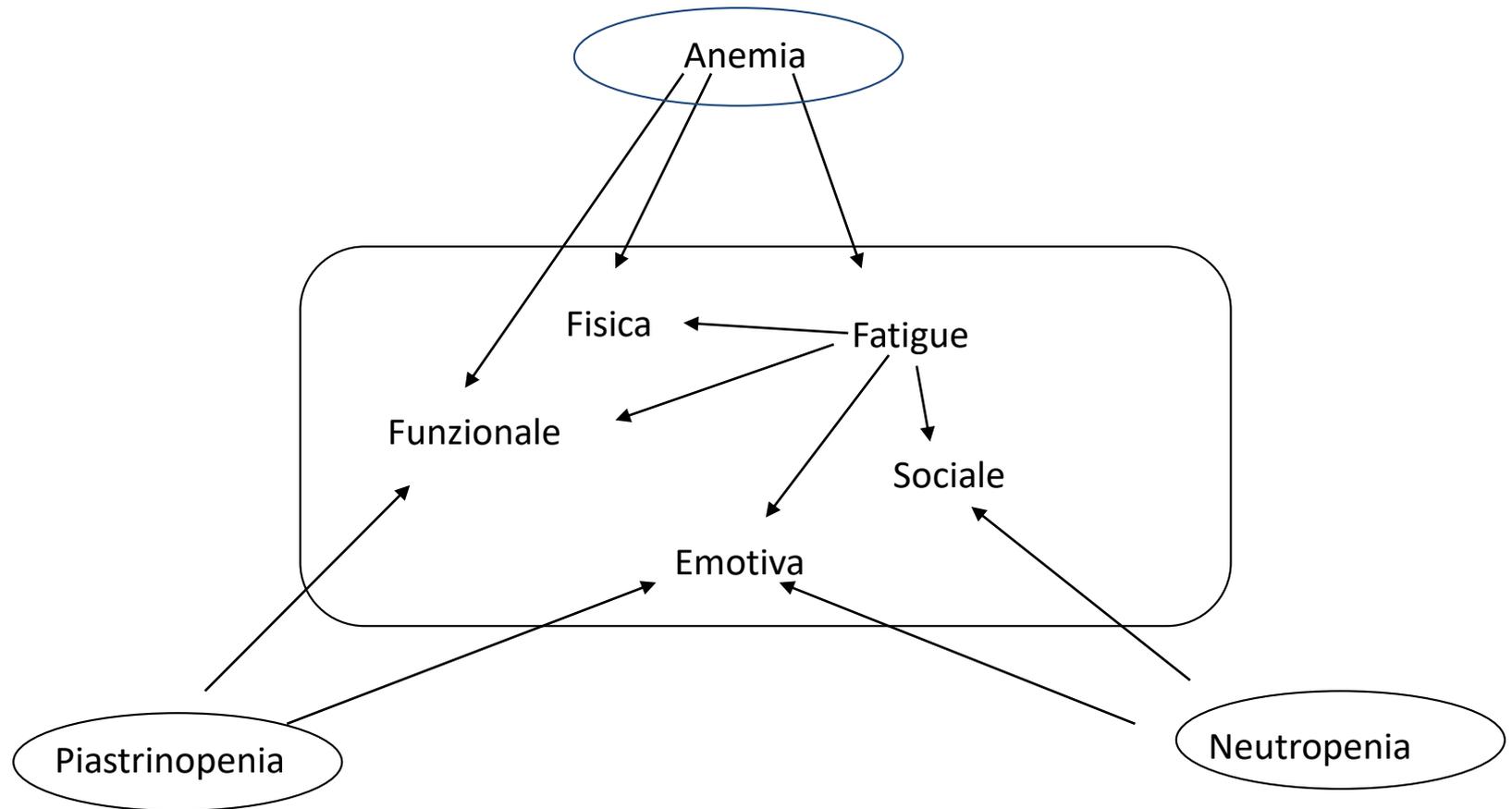
- La narrazione del medico
  - Informazioni biomediche.
  - La malattia raccontata dal medico è fatta di organi, di cellule, di atomi e molecole.
- La narrazione del paziente
  - Include anche aspetti psicologici, sociali, culturali, esistenziali, biografici (patient-reported outcomes)

# Cos'è la Qualità di Vita legata alla salute?

Definizione dell'Organizzazione Mondiale della Sanità

- “il valore assegnato alla vita modificata dalla patologia e influenzato dalla malattia e/o dal suo trattamento ...”
- “la percezione della posizione dell'individuo nella vita, nel contesto della cultura e del sistema dei valori in cui vive, rapportata alle sue mete, aspettative, standard e apprensioni”.

# Impatto della MDS sulle varie dimensioni di qualità della vita



# Strumenti per misurare la Qualità della Vita nelle MDS: Questionario QOL-E , specifico per la sindrome mielodisplastica

Dimensioni:

Fisica

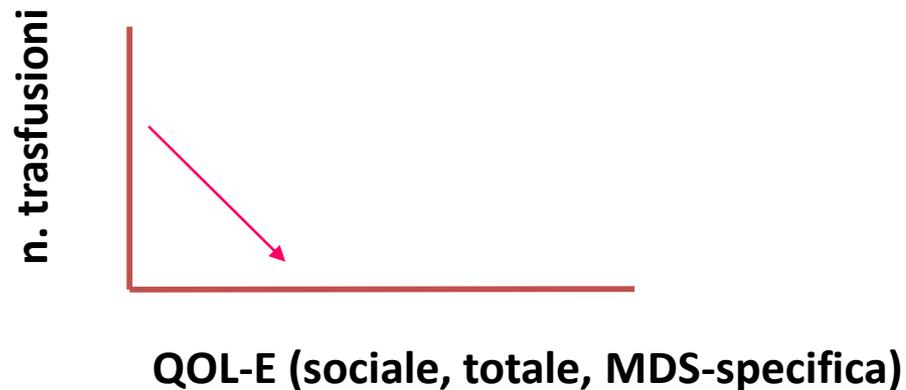
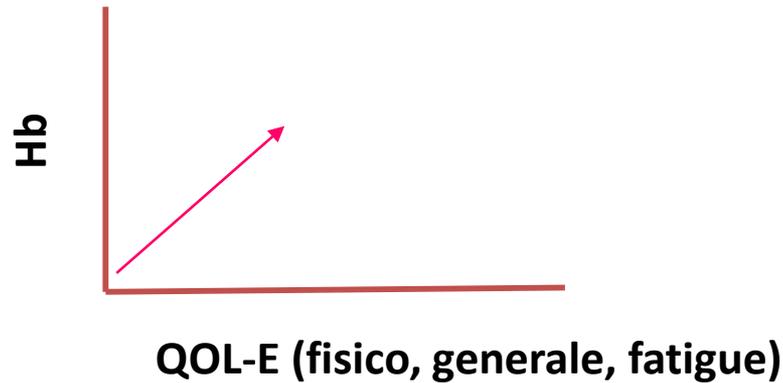
Funzionale

Sociale

Sessuale

Fatigue

MDS-specifica



# Comunicazione della Diagnosi

Anemia Hb 9 g/dL, Piastrinopenia – PLT 90000/mmc

Aspirato midollare: quadro compatibile con sindrome mielodisplastica con displasia trilineare. Blasti midollari < 5%. Colorazione Perls negativa.

Diagnosi: Citopenia refrattaria con displasia multilineare.

*“Lei ha una sindrome mielodisplastica che ha causato una scarsa produzione di globuli rossi e di piastrine”*



E' grave?  
Si può curare?

IMPATTO

# Comunicazione della Diagnosi

- Mancano alcuni elementi per formulare la diagnosi.

Ci sono effetti collaterali?  
Posso prendere la cura con le  
altre medicine? Posso mangiare  
tutto?

*“Non deve fare chemioterapia  
In attesa, le tratto l’anemia:*



*Eritropoetina:  
40000 U 2 volte alla settimana”*

# Misure di Efficacia

**Segni obiettivi: emocromo, lividi, pallore**



**Sintomi, effetti collaterali  
Soddisfazione del paziente**

# Completamente della Diagnosi 2 settimane dopo

- Hb 10,8 g/dL.

*“Bene, ho ricevuto il risultato della citogenetica midollare. E’ normale”*

46 XY



Io mi sento molto meglio con questa terapia. Devo continuarla? Per quanto tempo?

IMPATTO della terapia

“La sua malattia non guarisce. E’ una malattia lieve del midollo osseo che ha già risposto al trattamento iniziale e che deve continuare fino a quando va bene. Ma la malattia potrebbe cambiare nel tempo e diventare più aggressiva; per tale ragione dovrà essere seguito attentamente. ”

Mi devo preoccupare, allora. Mi dica, dottore. Posso continuare a lavorare in giardino?



*“Certamente. Deve fare ciò che le fa piacere.....” (adattamento, qualità di vita)*

# Dopo 1 anno il paziente perde la risposta all'eritropoietina

Ripete l'esame del midollo: stabile



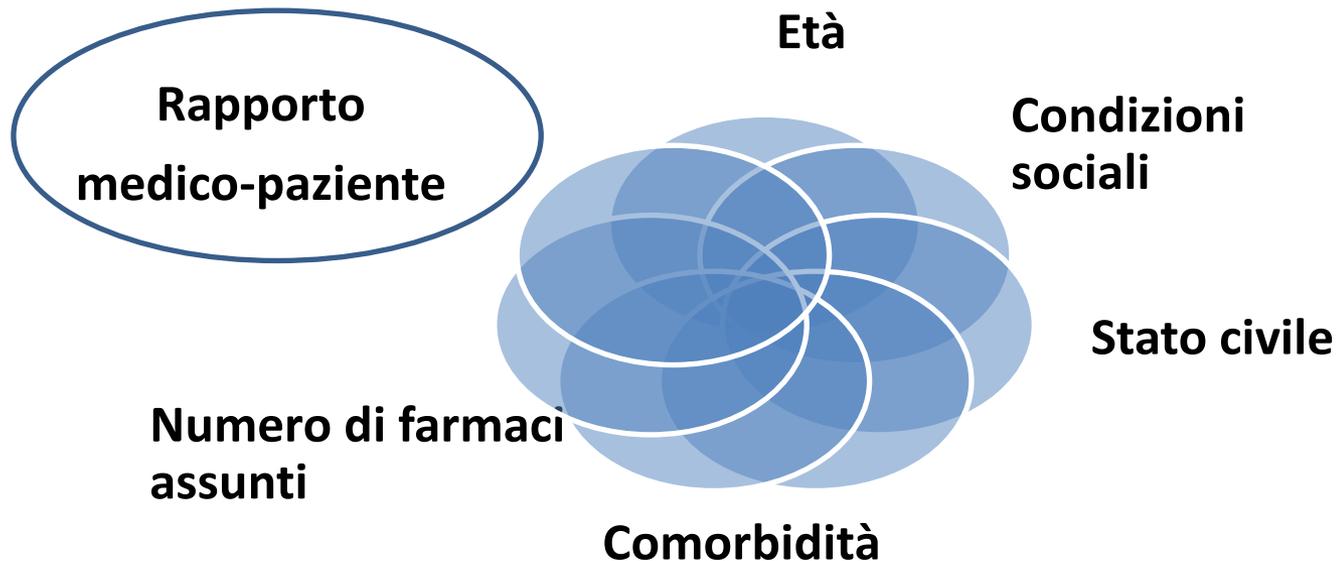
Diventa trasfusione-dipendente.  
Gli viene prescritta la ferrochelazione.....e gli viene  
raccomandata ***l'aderenza***.

# Trasfusione-dipendenza e qualità della vita

- Dipendenza dalle strutture sanitarie, dallo staff, dai familiari
- Impossibilità di viaggiare
- Ansia in attesa dell'emocomponente compatibile
- Ansia durante la ricezione di tessuto estraneo
- Eventi avversi
- Fluttuazioni dell'Hb
- Sintomi dell'anemia severa (dispnea)

# Valore della comunicazione nell'aderenza ai trattamenti

- Il medico deve identificare i fattori individuali (qualità della vita), che includono condizioni sociali e atteggiamento e le comorbidità (patologia intestinale, quantità di farmaci assunti giornalmente)



# Barriere al trattamento

## Medico

- Informare
- Avere l'arte di persuasione
- Anticipare e pre-pianificare



## Paziente

- **Preconcetti**
  - Comportamento che impatta la salute
  - Credere che il farmaco sia efficace
- **Aspettative**
- **Percezioni di severità**

**L'Aderenza al trattamento è favorita dalle percezioni ed aspettative del paziente insieme all'incoraggiamento del medico sull'appropriata assunzione del farmaco.**

# Dopo 3 anni tutti i valori dell'emocromo peggiorano

- Il paziente ha fatto troppe trasfusioni, le piastrine e i globuli bianchi sono bassi.....

Non so che mi succede. Sono troppo stanco e non riesco a salire le scale di casa.....Cosa succede?

*“Dobbiamo ripetere l'esame del midollo”*



# Comunicazione della Diagnosi

Midollo: blasti 15%

*“No, ma se non fa la cura la malattia potrebbe trasformarsi in leucemia ”*

Avevo capito che non va bene. E' grave? Ce la farò? E' una leucemia?



# Azacitidina:

## Efficacia sulla Qualità della Vita

Nei pazienti trattati con Azacitidina:

- Miglioramento fisico, della fatigue e della dispnea
- Miglioramento delle aspettative e del senso di angoscia

# Azacitidina: malattia fino a “progressione” ...per “sempre”

## Adeguatezza delle informazioni

- Informazioni adeguate sulla continuità della terapia sino a perdita della risposta
- Necessità di uno stretto controllo clinico in sede o a distanza per la prevenzione degli eventi avversi
- Informazioni adeguate sugli effetti collaterali per rassicurare il paziente che possono avvenire e che diminuiscono nel tempo
- Nei pazienti con stitichezza prima del trattamento, prescrivere un trattamento preventivo adeguato e chiedere al paziente le informazioni relative all'alvo durante il monitoraggio
- Informare il paziente sulla possibilità di reazioni nella sede d'iniezione

# Terapia sperimentale

Spesso un farmaco già utilizzato (es. azacitidina) viene combinato ad un farmaco sperimentale o placebo?

## VANTAGGI:

- La terapia sperimentale espone il paziente a un farmaco innovativo e promettente
- Possibilità di beneficio “anticipato”
- Il rischio di prendere placebo? Comunque vantaggio: Il paziente viene osservato da tante persone (il suo medico, altri componenti dello staff presso il centro di cure, persone esperte addette alla sperimentazione che ricevono le informazioni e monitorizzano il comportamento degli sperimentatori)

# Conclusioni

- **Il medico non può sostituirsi al paziente**
- La comunicazione attraverso il colloquio e/o strumenti specifici possono rilevare elementi chiave per migliorare l'impatto della malattia e dei suoi trattamenti (la qualità della vita e sintomi), l'aderenza, e quindi l'efficacia
- Le comunità online devono esistere ma supportate da esperti perché le informazioni siano corrette ed efficaci.
- Per la MDS non esiste una "pillola" che guarisce. La terapia sperimentale è un vantaggio per il paziente nel suo percorso.