



La qualità di vita nelle MDS. Questionario QoL AIPaSiM

Elena Crisà

IRCCS FPO Candiolo Cancer Institute

Che cos'è la qualità di vita?

- L'Organizzazione mondiale della sanità definisce la **qualità della vita** (in inglese “Quality of Life”, abbreviata in QoL) come “la percezione che gli individui hanno della loro posizione nella vita nel contesto della cultura e dei sistemi di valori in cui vivono e in relazione ai loro obiettivi, aspettative, standard e preoccupazioni. È un concetto di ampio respiro, influenzato in modo complesso dalla salute fisica, dallo stato psicologico, dal grado di indipendenza, dalle relazioni sociali e dalle connessioni con le caratteristiche salienti dell'ambiente”.
- La qualità della vita ideale corrisponde a una condizione di **completo benessere fisico, mentale e sociale**.

Perchè misuriamo la QoL?

Priorities in low-risk MDS

- 1 Improvement of cytopenia(s)
Less transfusions
Less iron overload
- 2 Tolerability of a given treatment
Quality of life
- 3 Delay disease progression
Improve survival
- 4 Cure

Priorities in high-risk MDS

- 1 Delay disease progression
Improve survival
Cure
- 2 Reduction of disease burden
Improvement of cytopenia(s)
Less transfusions
- 3 Tolerability of a given treatment
- 4 Quality of life

Migliorare la qualità di vita è un obiettivo fondamentale sia per le MDS a basso a rischio che per quelle ad alto rischio

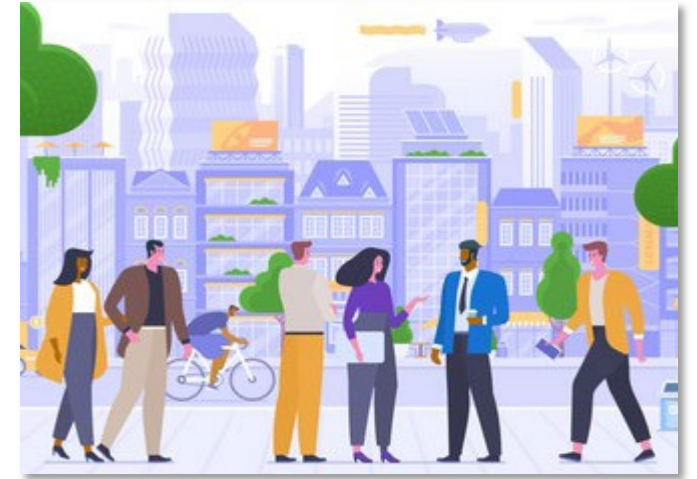


Come si misura la QoL?



Funzione cognitiva

Con questionari o sondaggi che valutano i patients reported outcomes (PROs)



Interazioni sociali



Benessere fisico



Benessere emotivo

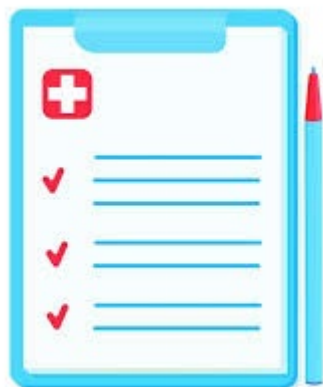
questionari

QOL-E	
Sfera	domande
Percezione generale del benessere	2 domande
Benessere fisico(QOL-FIS)	4 domande
Benessere funzionale(QOL-FUN)	3 domande
Benessere sociale/famigliare (QOL-SOC)	4 domande
Benessere sessuale (QOL-SEX)	2 domande
Fatigue (QOL-FAT)	7 domande
MDS-specifica (QOL-MDSS)	7 domande

HM PRO		
	Sfera	Domande
PARTE A aspetti dell'attività quotidiana	fisica	7 domande
	sociale	3 domande
	emotiva	11 domande
	mangiare e bere	3 domande
PARTE B	sintomi	18 domande

Goswami Pet al (). Front. Pharmacol 2020

Oliva E.N et al Centr Eur J Med, 8 (2013)



EORTC QLQ-C30		
	Sfera	30 Domande
Scale funzionali	fisica	
	Di ruolo	
	sociale	
	emotiva	
	cognitiva	
Sintomi	sintomi specifici	
Scala globale	Stato di salute/qualità di vits	

La QoL dei pz con MDS è peggiore rispetto alla popolazione generale



• Problemi fisici

- **41%** dei pazienti con SMD ha riferito sintomi di mobilità moderati o gravi¹
- Soffrire di SMD provoca una sostanziale e persistente compromissione funzionale in una serie di aree, in parte a causa della fatica^{3 2}



• Funzionamento di ruolo

- **36,1%** dei pazienti con SMD ha riferito problemi moderato o gravi con le attività abituali (per esempio lavoro, lavoro domestico o attività ricreative)^{1 4}

QUALITÀ DI VITA

Problemi emotivi

- **37,9%** dei pazienti con SMD ha riferito problemi moderati o gravi con **ansia/depressione**
- Spesso i pazienti hanno considerato **l'impatto emotivo** della SMD come più problematico delle conseguenze fisiche⁴

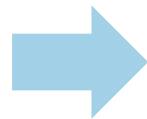


• Funzionamento sociale

- **34%** dei pazienti trasfusionali ha ritenuto che le trasfusioni di sangue gravavano sulle loro famiglie³

Sondaggio AIPaSiM sulla salute dei pazienti con MDS

cartaceo/online

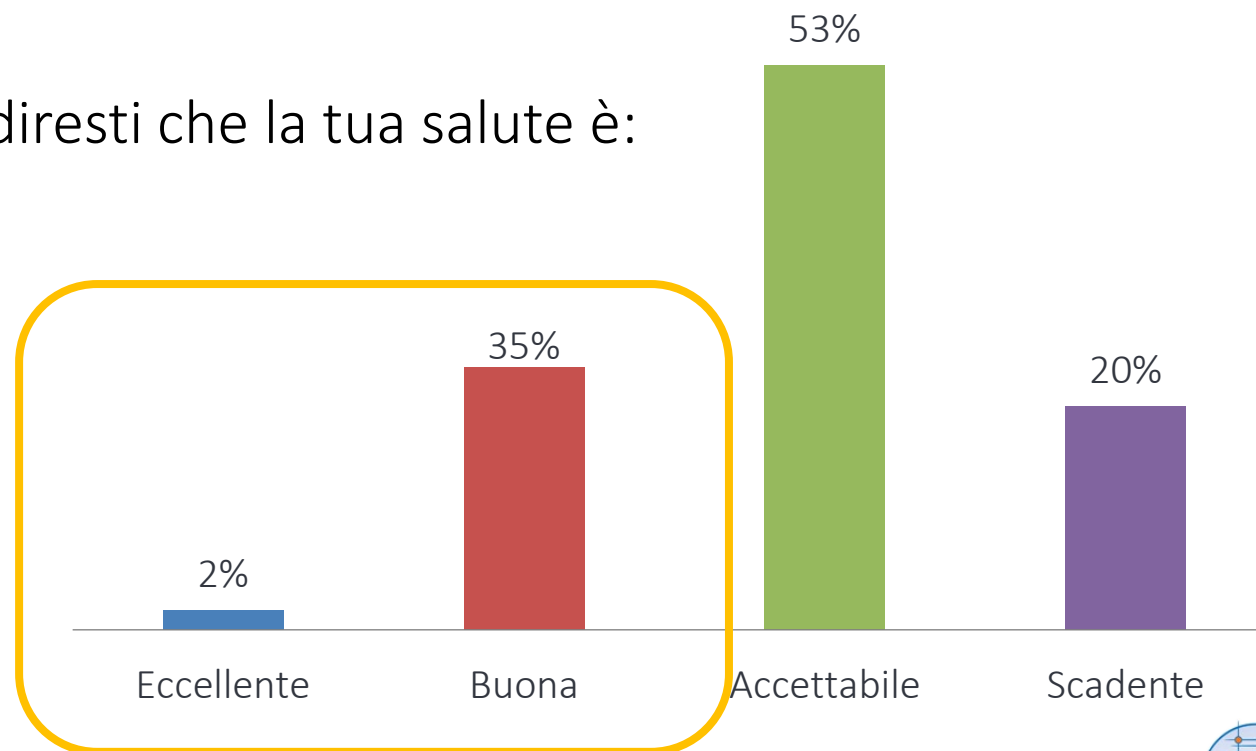


**60 domande dirette ai pazienti* + 20 domande dirette ai caregivers*+
PROs measures: QOL-E e HM-PRO**

259 pazienti, 56% F

105 caregivers, 80% F

diresti che la tua salute è:



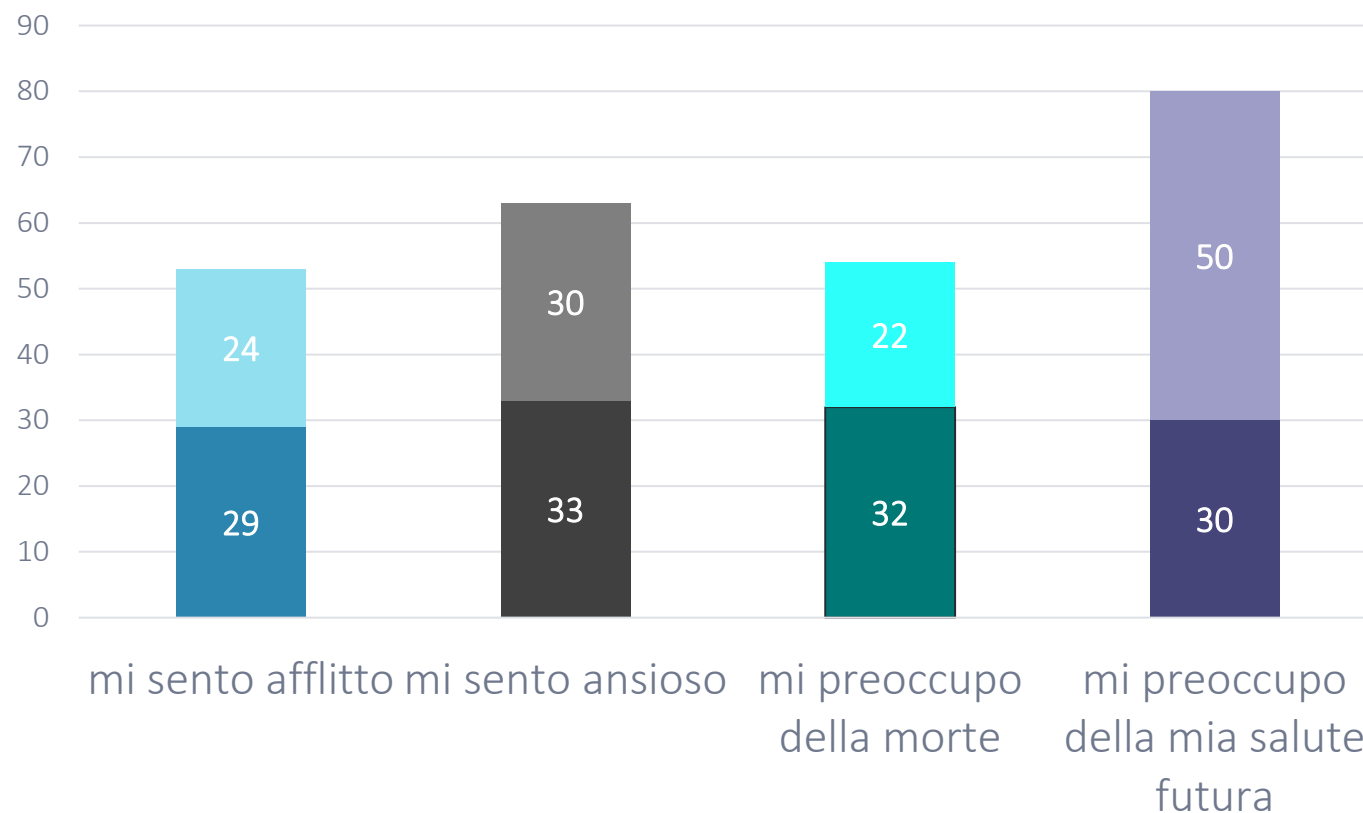
* Questionario originato dalla rete piemontese mielodisplasie



Sondaggio AIPaSiM : impatto emotivo della MDS

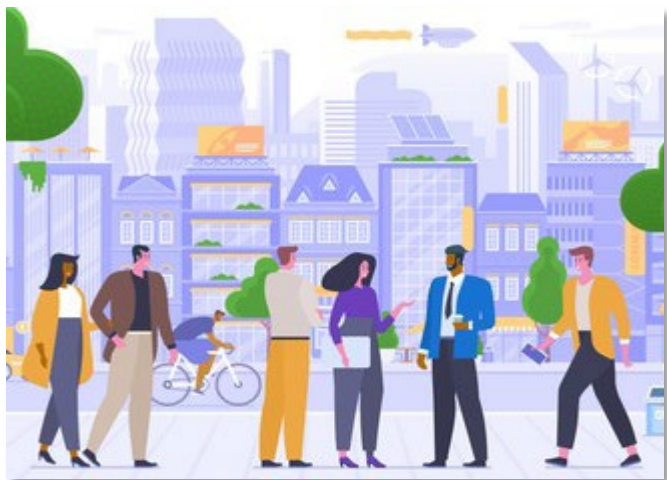


Il 37% dei pazienti si sente oppresso dalla sua malattia

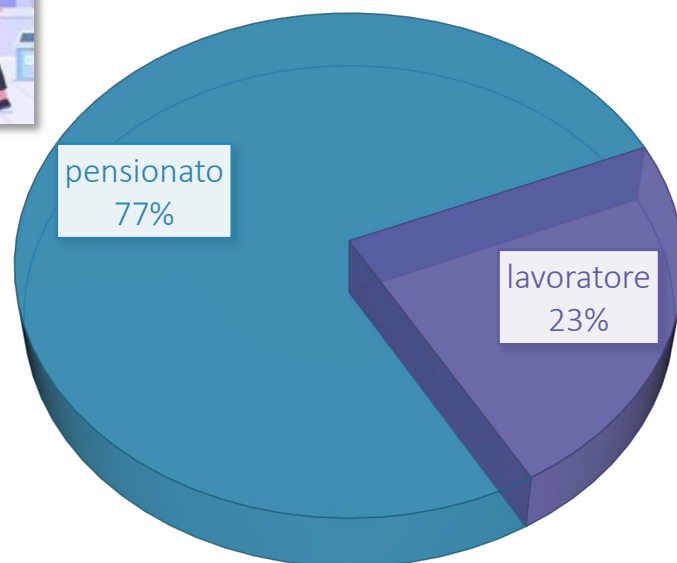


Il 16% dei pazienti sente di essere un fastidio per la famiglia

Sondaggio AIPaSiM : impatto della MDS sul funzionamento sociale



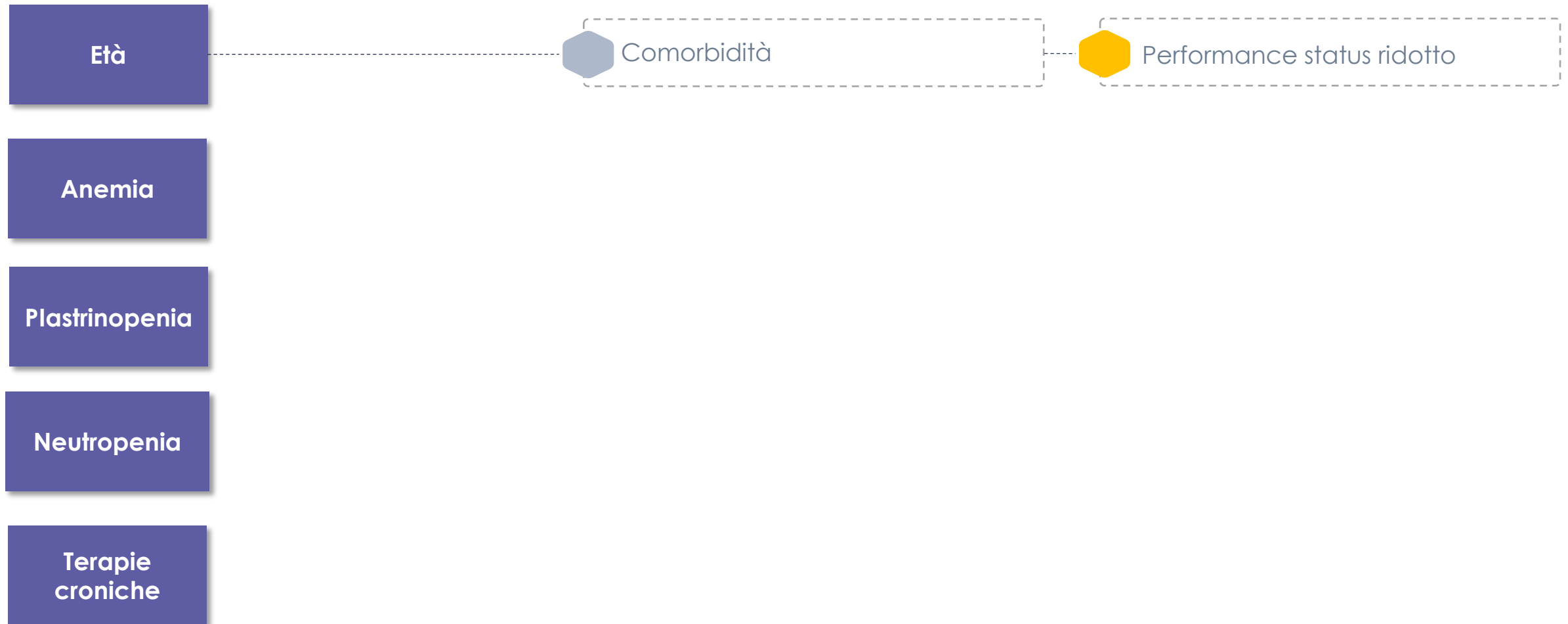
- 37% dei pazienti ha difficoltà nelle relazioni interpersonali



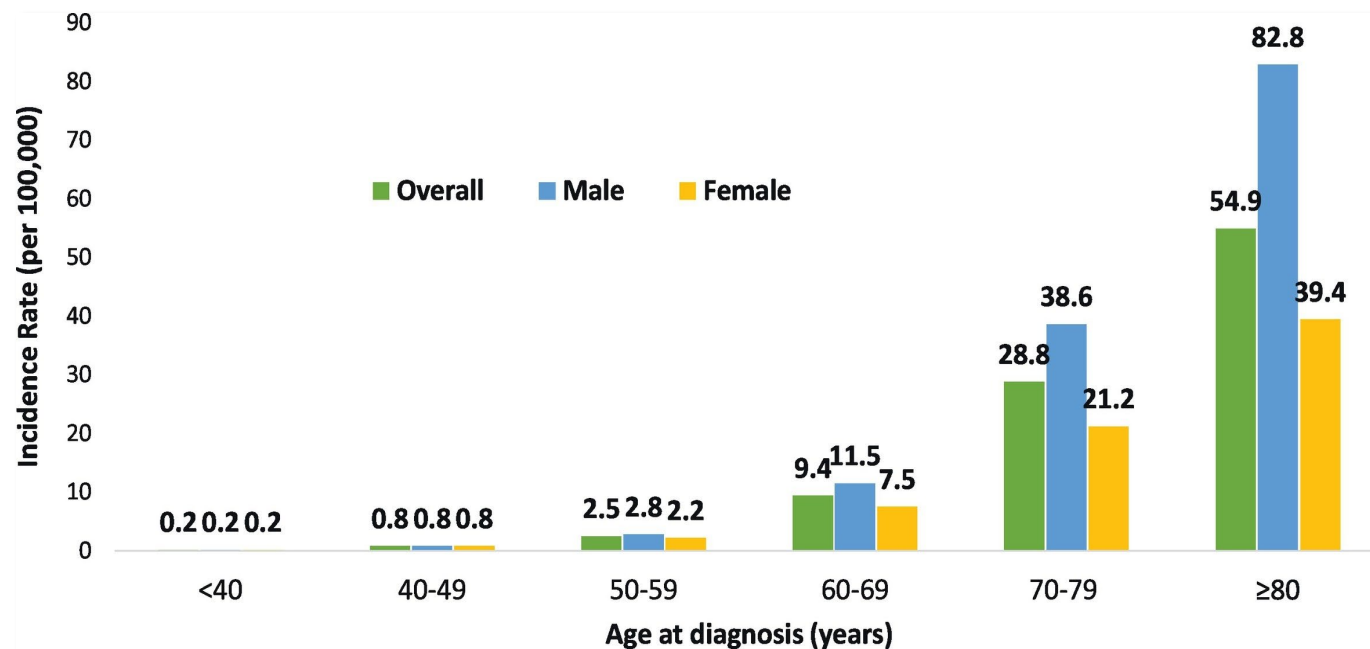
Il 40% dei pazienti lavoratori, per la malattia ha:

- Lasciato posto di lavoro
- Chiuso attività
- Ridotto orario
- Cambiato lavoro

Le MDS si associano a un carico di sintomi importante che reduce la qualità di vita legata alla salute



età



Età mediana over 70



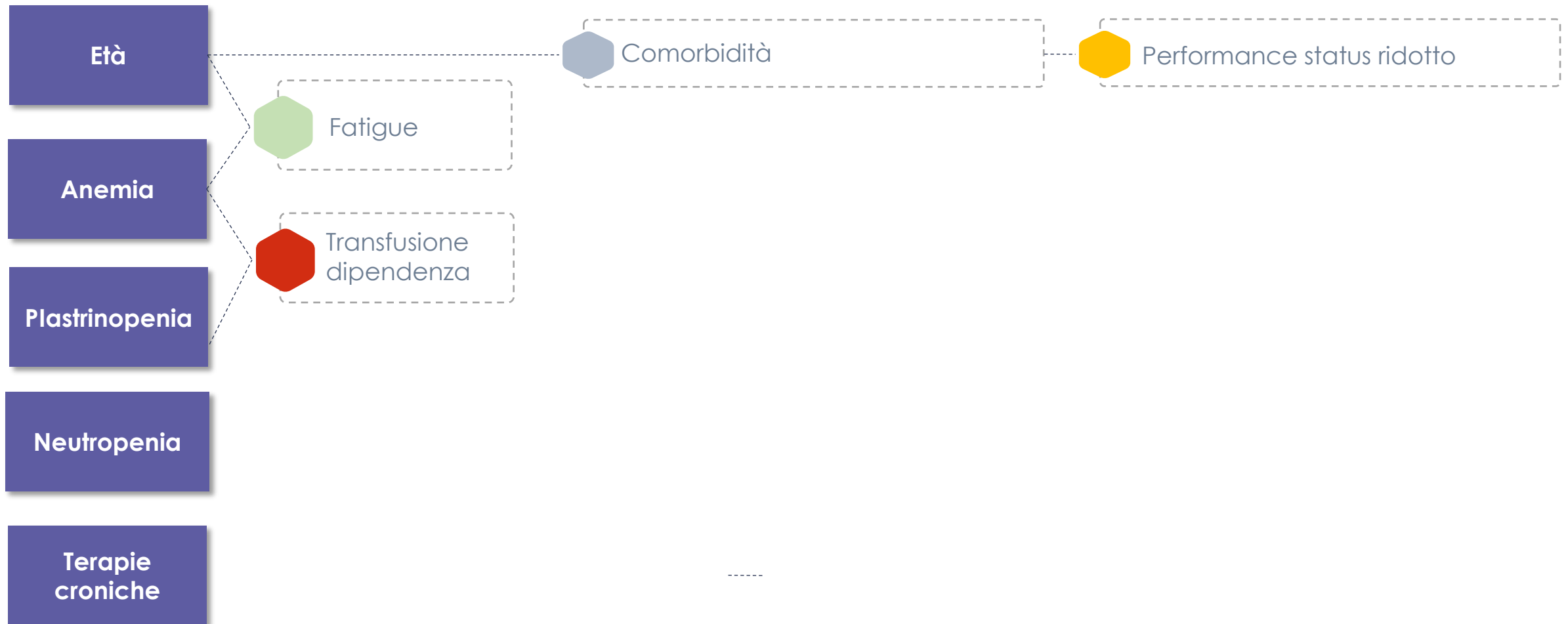
studio PROMYS (*Patient-Reported Outcomes in Myelodysplastic Syndromes*),

- Studio GIMEMA su 927 MDS, sia ad alto (N421) che a basso rischio (N506), arruolati tra il 2008 e il 2018 in 53 centri ematologici internazionali.
- età media 71,6 anni
- questionario EORTC QLQ-C30



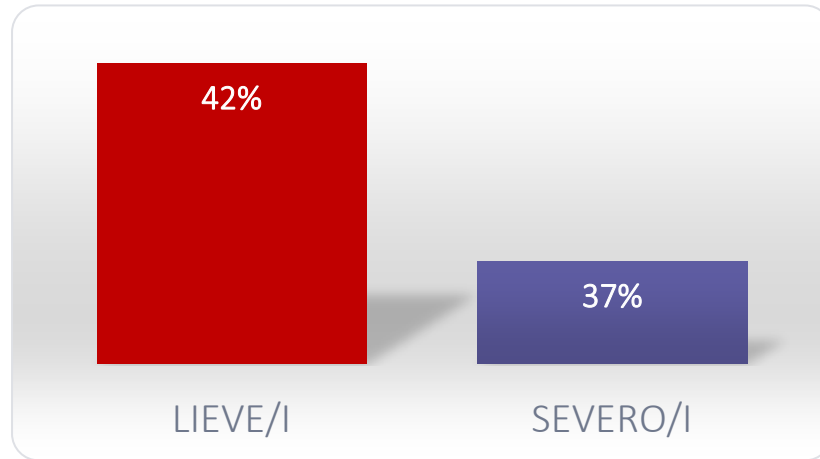
- i pazienti giovani tra i 30 e i 59 anni con una MDS ad alto rischio tendono ad avere uno stato funzionale generale peggiore e una sintomatologia più accentuata, soprattutto per la faticabilità e la dispnea, rispetto ai pazienti di età superiore.
- Questa tendenza non è stata osservata nelle MDS a basso rischio
- Le **donne hanno riportato peggiori punteggi** nei sintomi e nello stato funzionale rispetto agli uomini in entrambi i gruppi di rischio. Dato confermato da registro EUMDS (>2000 pazienti) in cui il sesso femminile è risultato un determinante indipendente di una bassa HRQoL alla diagnosi di MDS

Le MDS si associano a un carico di sintomi importante che reduce la qualità di vita legata alla salute

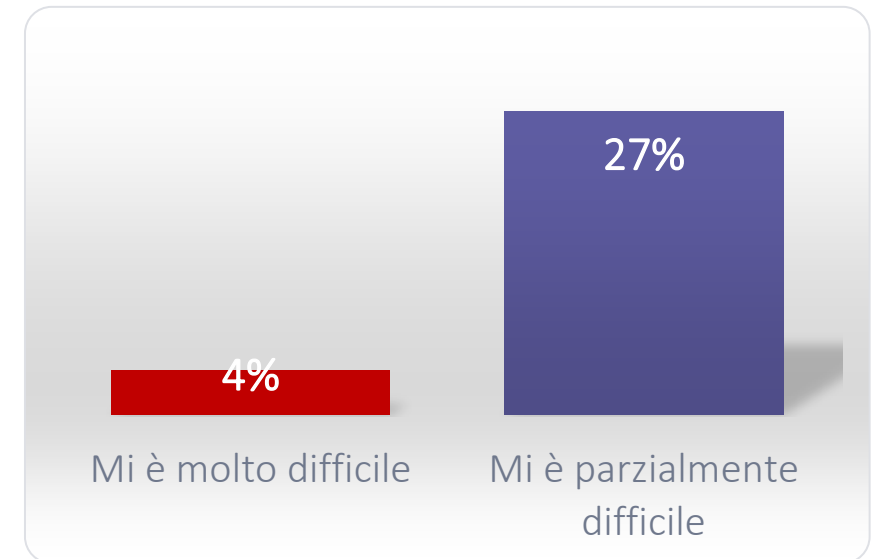


Anemia e fatigue: dati dal questionario AIPASIM

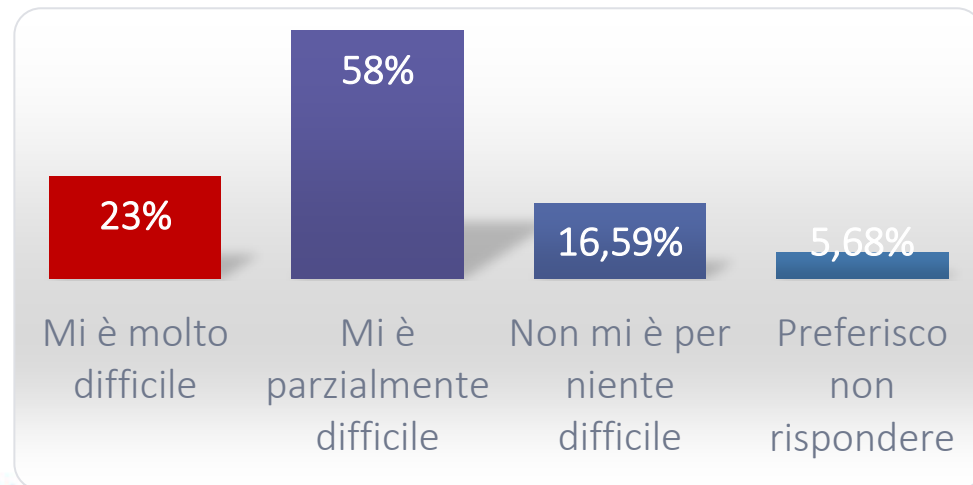
Mi sento stanco



Accudirsi (lavarsi, vestirsi, alimentarsi)

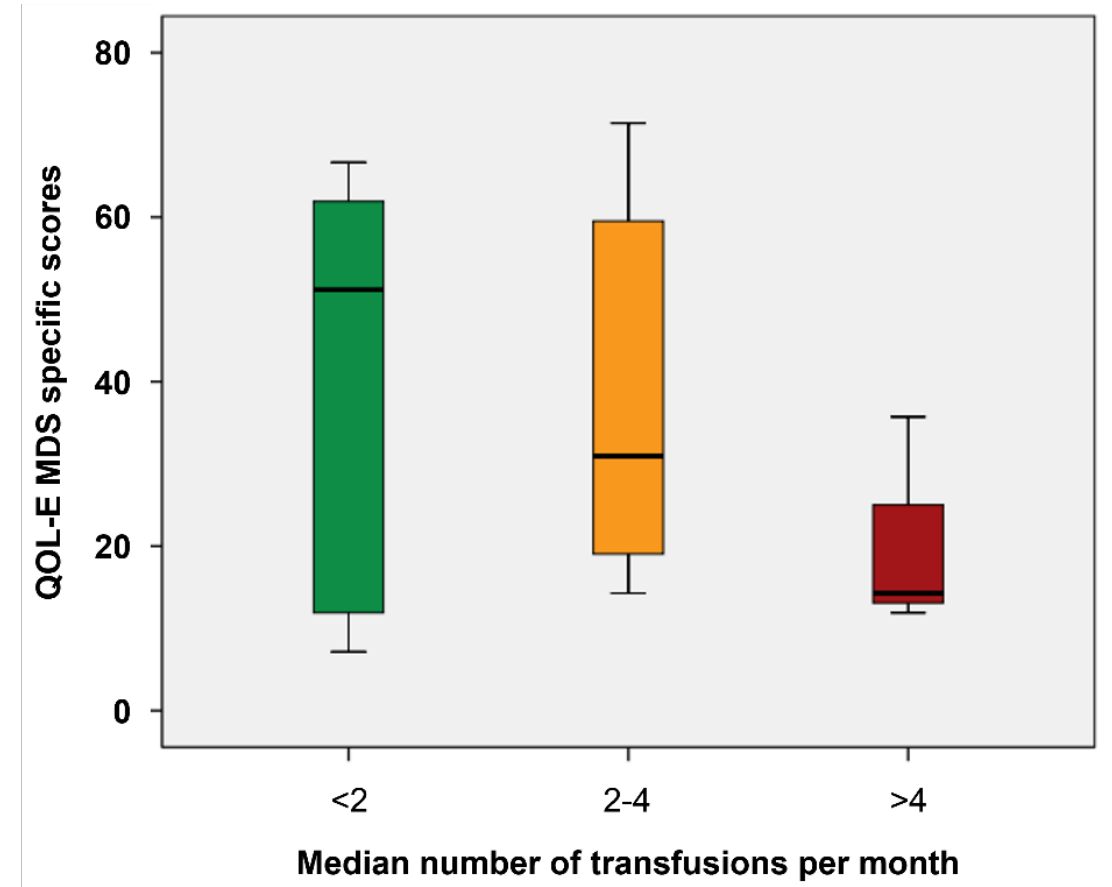


Salire le scale



Impatto della trasfusione dipendenza su QoL: dati dal questionario AIPASIM

- il trattamento ha avuto un impatto negativo sulla vita quotidiana per il 70% (49/70) dei pazienti TD, rispetto al 49% (46/94) dei pazienti TI, $p=0,011$.
- I pazienti con TD hanno riportato punteggi significativamente peggiori in tutti i domini del QOL-E e dell'HM-Pro.



Box plot of QOL-E MDS specific scores according to transfusion frequency

Impatto delle trasfusioni su QoL: dati AIPASIM

Solo il 2% riceve le trasfusioni a casa

MA

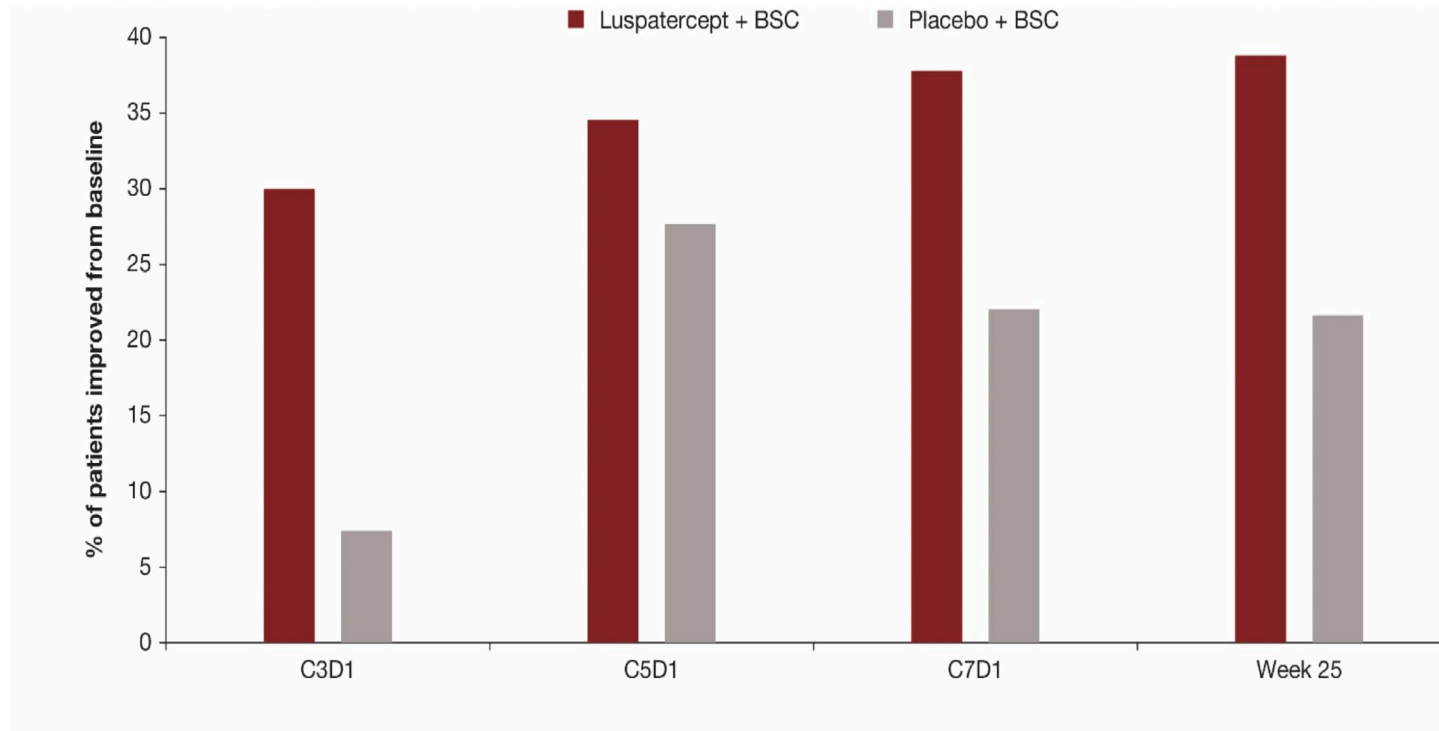
- **38% dei pazienti preferirebbe essere trasfuso a casa**
 - pazienti per cui raggiungere l'ospedale crea un disagio
 - pazienti con peggiore qualità di vita misurata dai questionari

	Luogo preferito per le trasfusioni punteggi mediani		
	casa	ospedale	P value
HM-PRO scores			
fisico	64	42	0.001
emotivo	54	40	0.002
Part A score	54	30	0.004
QOL-E			
funzionale	11	33	0.002
fatigue	31	36	0.020
treatment-outcome index	20	28	0.012

Luspatercept – MEDALIST trial

Non sono stati osservati cambiamenti clinicamente significativi all'interno dei gruppi né differenze tra i gruppi in tutti i domini dell'EORTC QLQ-C30 e del QOL-E.

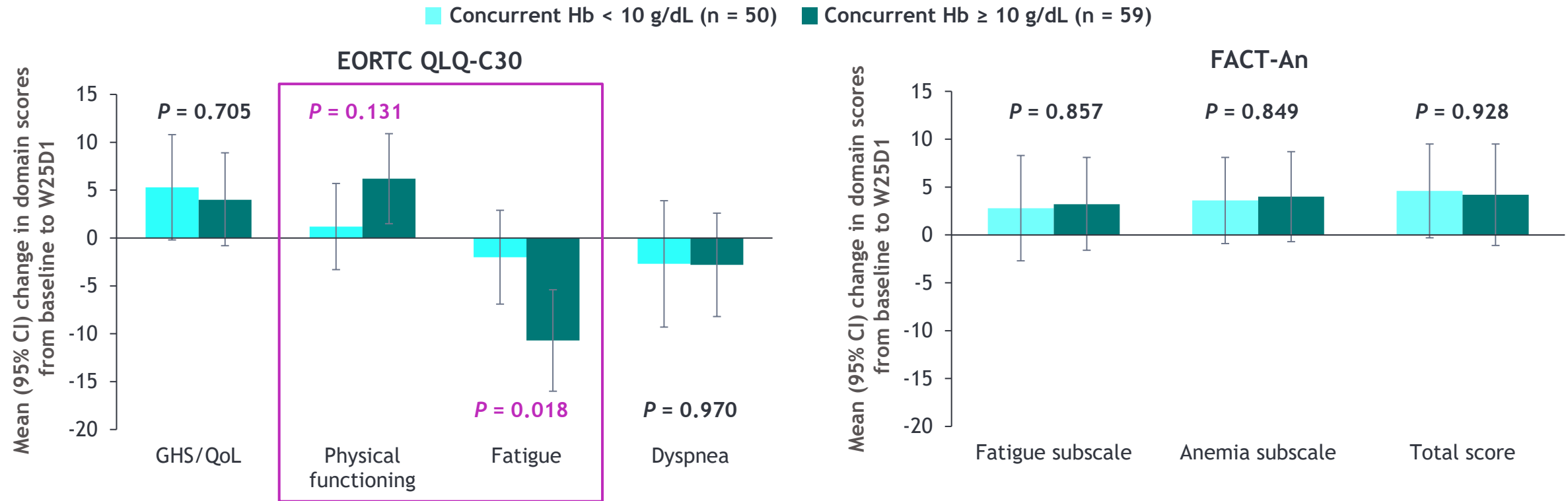
- In un item del dominio specifico QOL-E MDS, i pazienti trattati con luspatercept hanno riportato notevoli miglioramenti grazie alla riduzione del carico trasfusionale



Oliva et al. JCM 2021

Question from the QOL-E instrument: What effect of the disease disturbs your daily life? Being dependent on transfusions: response options: "No, not at all", "A little bit", or "Yes, extremely".

Studio COMMANDS: Hb ≥ 10 g/dL associata a un miglioramento della (HRQoL) nei pazienti trasfusione indipendenti per ≥ 12 settimane.

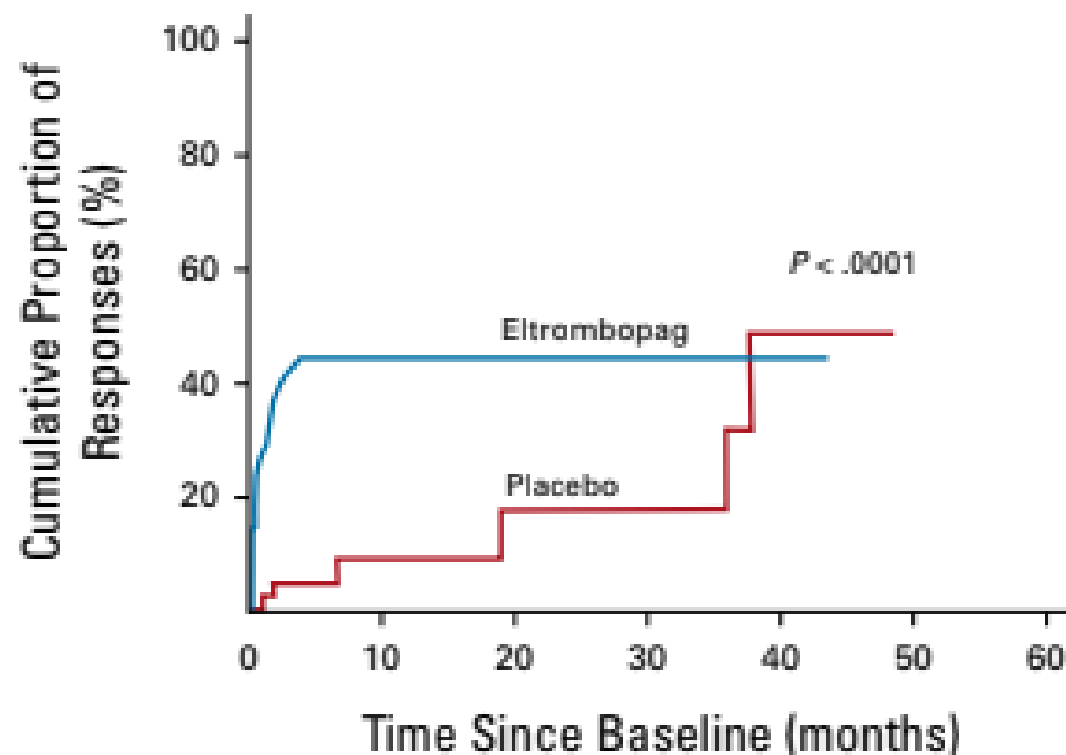


W25D1, week 25 day 1.

Oliva EN, et al. Poster presentation at the 29th EHA Annual Congress; June 13–16, 2024; Madrid, Spain. Poster 774.

piastrinopenia

EQoL-MDS: Platelet response

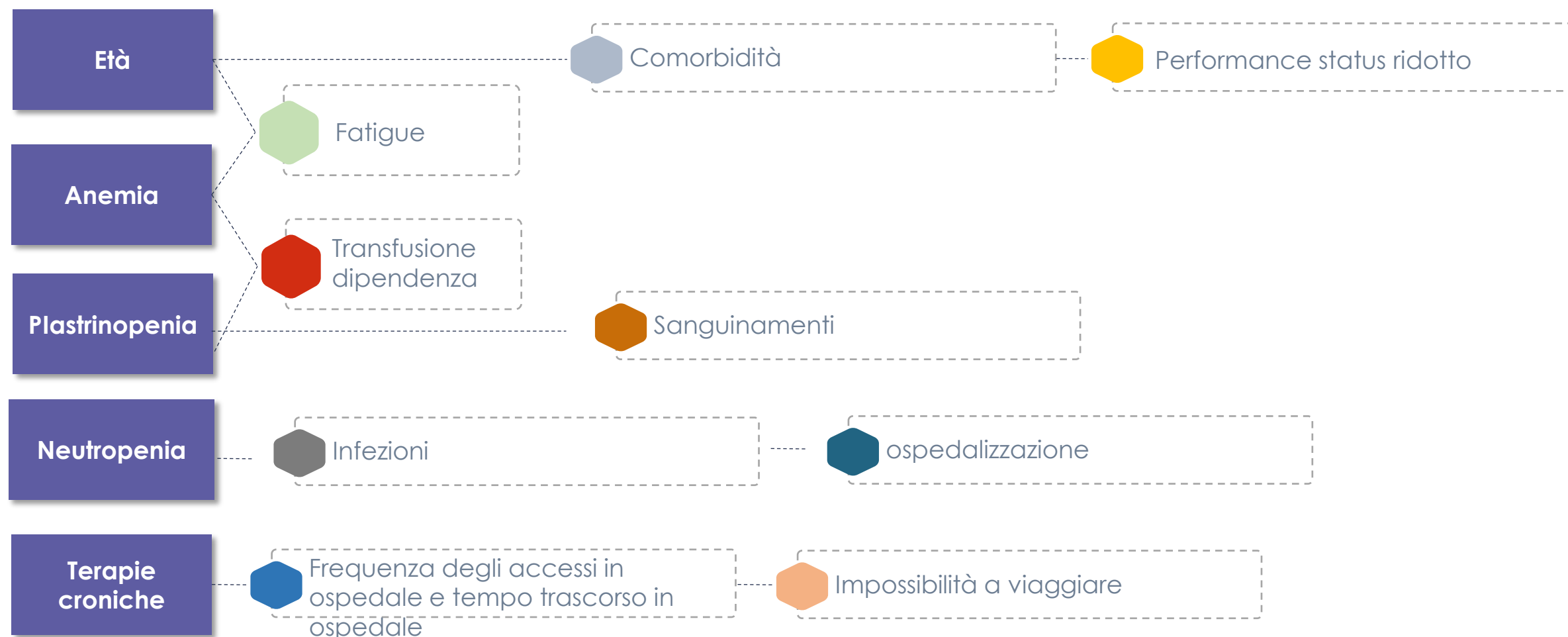


Nei pazienti che hanno risposto al trattamento con aumento delle piastrine, si è osservata più spesso stabilità o miglioramento clinicamente significativo della qualità di vita (punteggi fisici, globali e funzionali), mentre nei non responder era più frequente un peggioramento.

No. at risk:

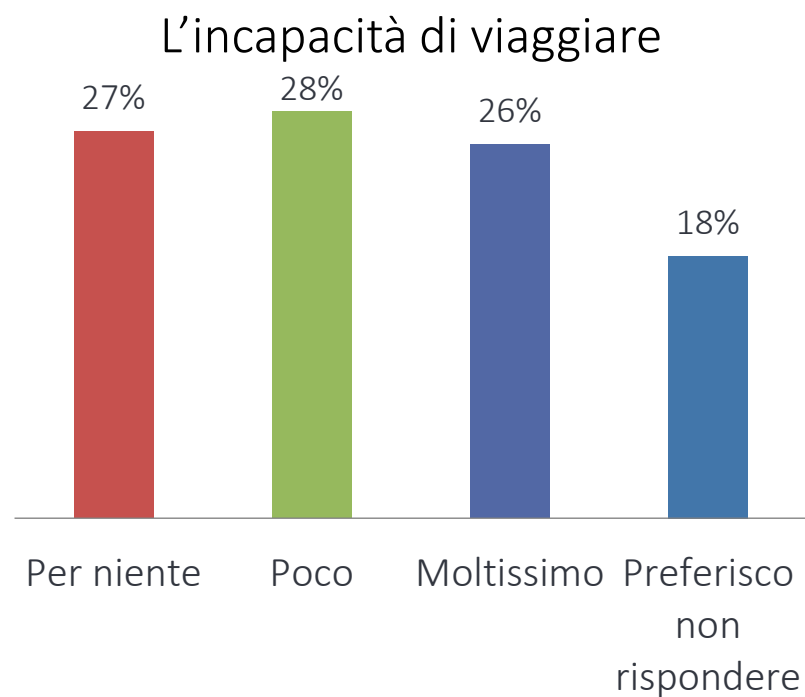
Eltrombopag	111	11	2	1	1	0	0
Placebo	54	13	8	6	2	0	0

Le MDS si associano a un carico di sintomi importante che reduce la qualità di vita legata alla salute

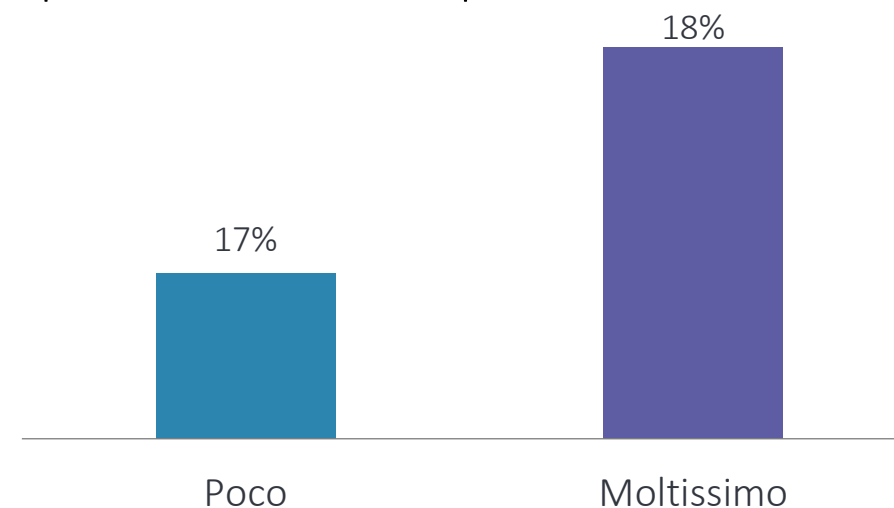


Terapie croniche: dati questionario aipasim

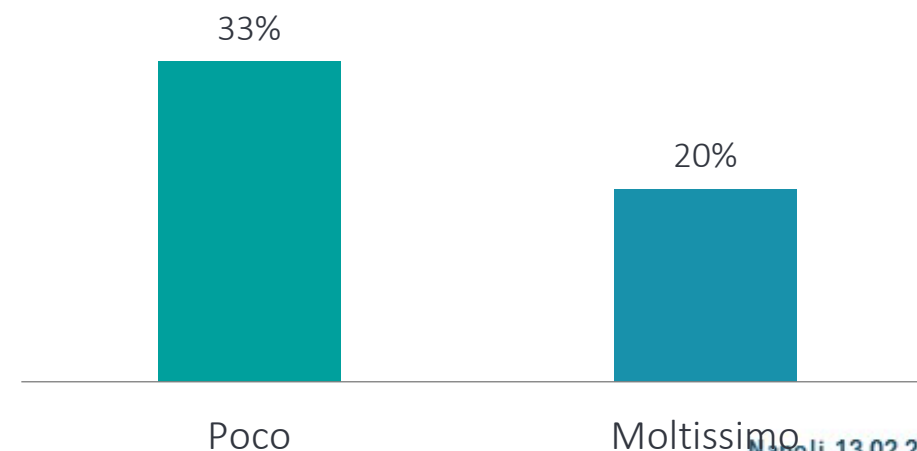
Quali effetti della malattia disturbano la tua vita quotidiana?



La dipendenza dalla terapia trasfusionale

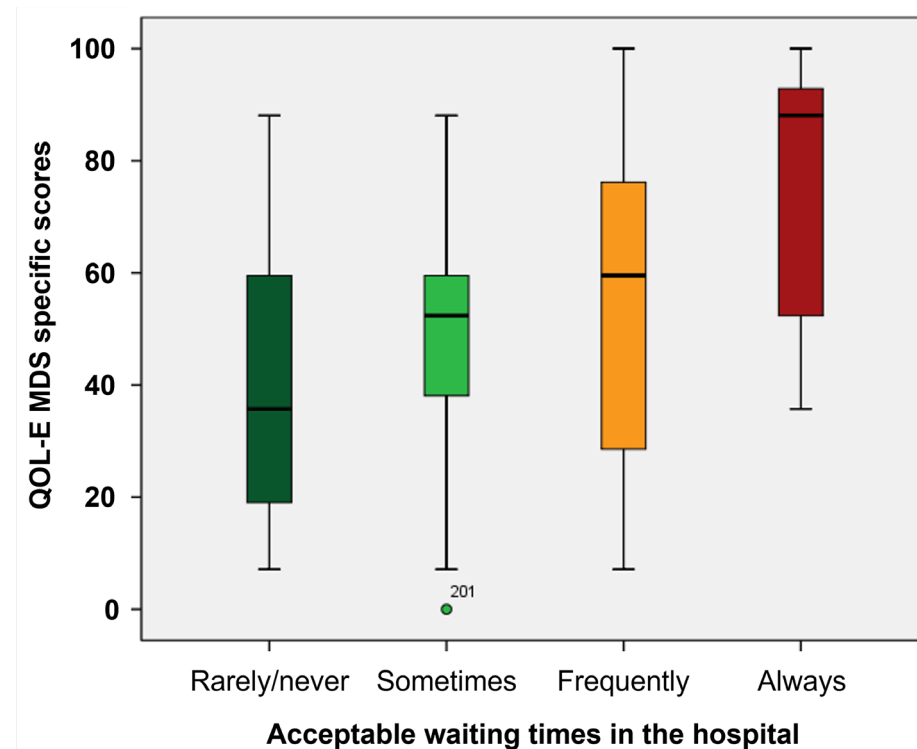


La dipendenza dall'ospedale, da medici e/o da infermieri



Impatto delle terapie croniche sulla QoL: dati AIPASIM

Per il 40% dei pazienti ,i tempi di attesa in ospedale non sono accettabili e hanno avuto un significativo impatto negativo sulla QoL misurata dai questionari

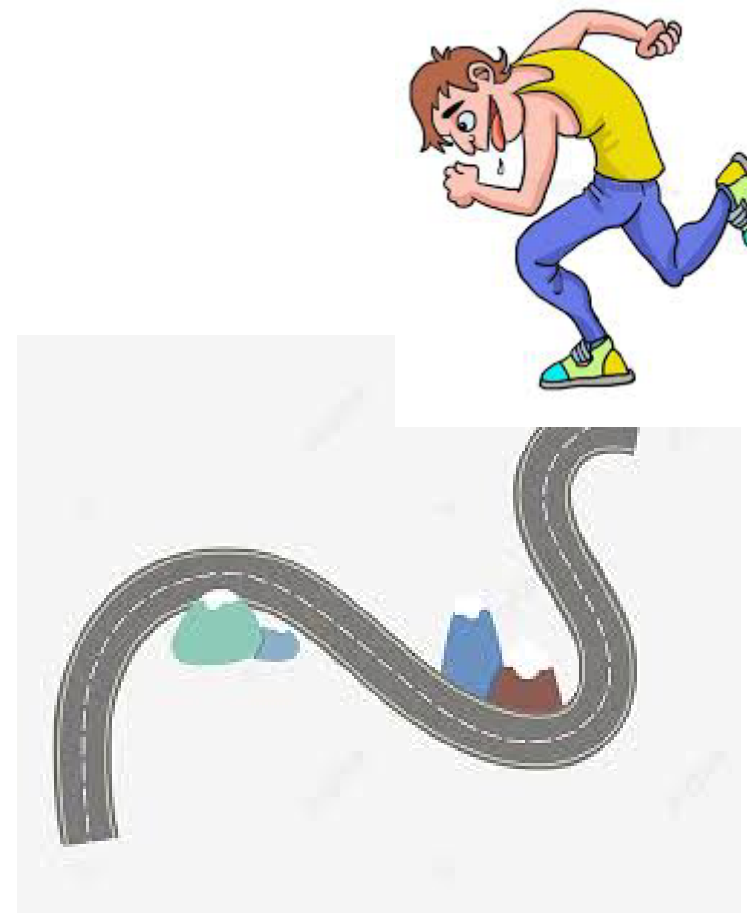


- Il 33% chiederebbe a un funzionario regionale un percorso di cura più snello e con meno attese

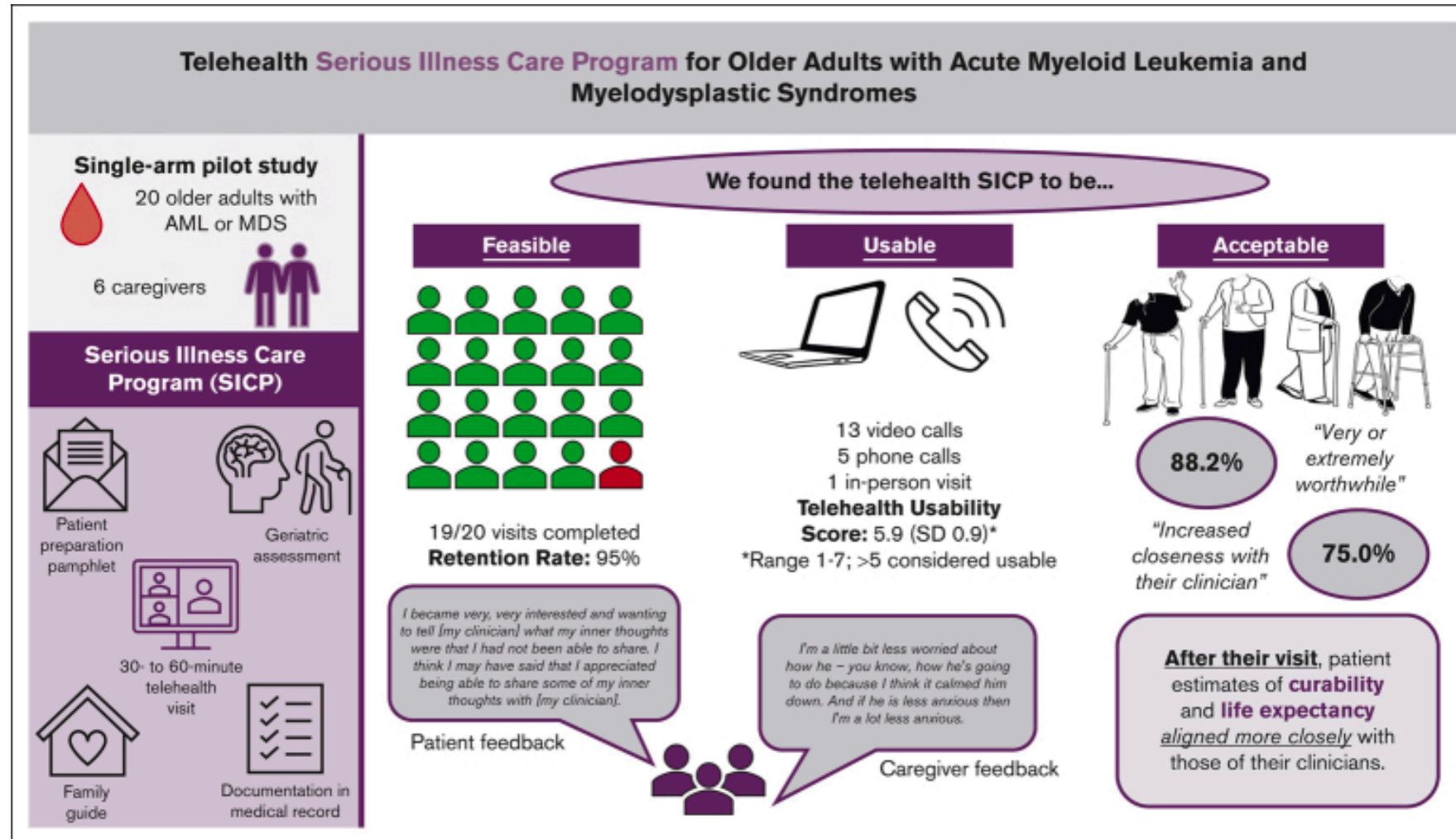
Figure 1. Box plot of QOL-E MDS-specific score according to waiting times in hospital.

Impatto della distanza da ospedale su QoL: dati AIPASIM

- **48%** dei pazienti (N = 118; 48%) necessita di un accompagnatore **per recarsi in ospedale.**
- 21,5% vive in una zona/regione diversa dal centro ematologico che li tratta
- Per 107 pazienti (45%), il viaggio verso l'ospedale è stato descritto come stressante in termini di onere fisico ed economico, influenzando anche i membri della famiglia e il loro impiego
- 54% userebbe la telemedicina

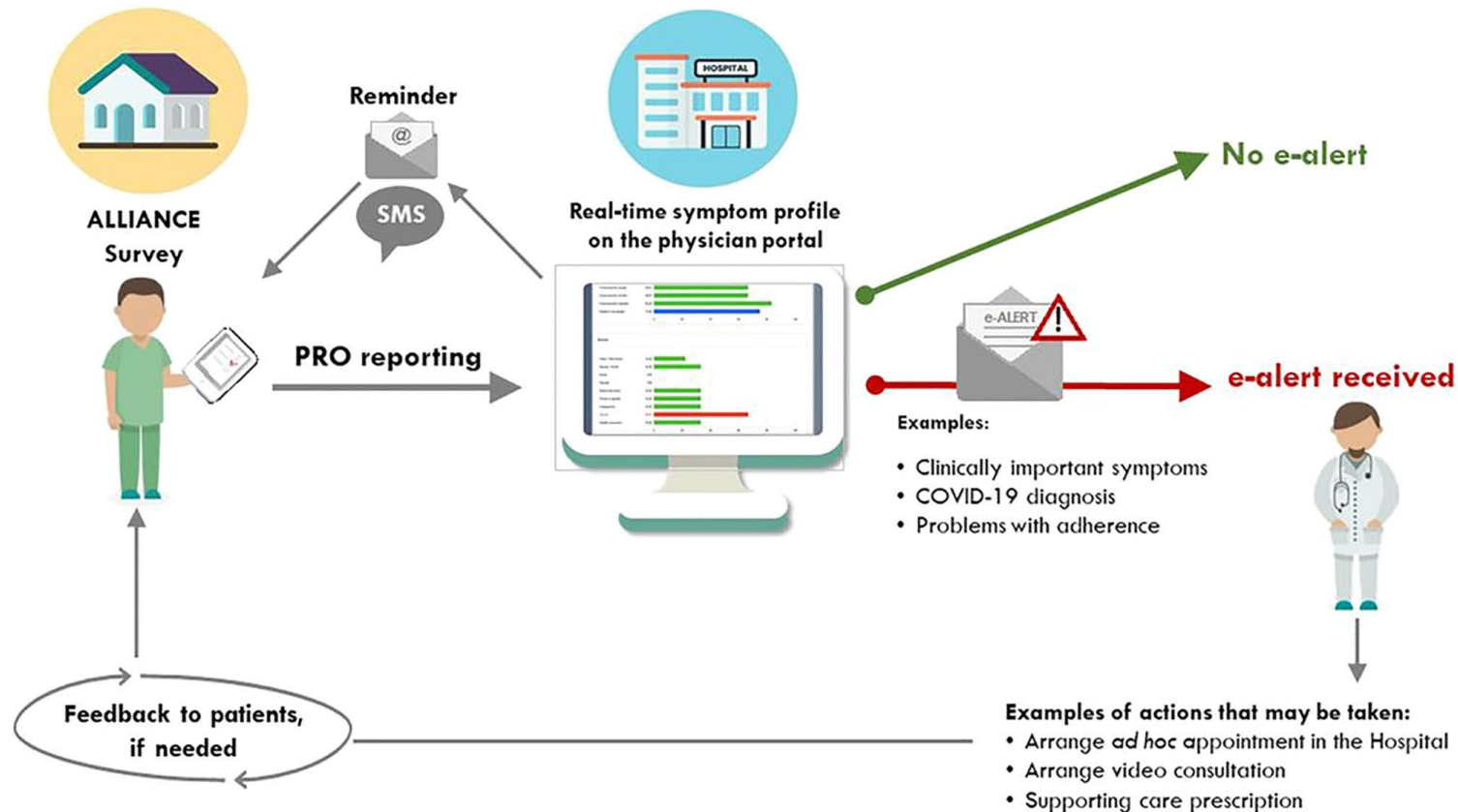


Ruolo della telemedicina



Strumenti digitali o elettronici per misurare PRO

GIMEMA-ALLIANCE Digital Health Platform for Patients With Hematologic Malignancies



The majority of physicians (78%) accessed the platform at least once per month to consult the symptom and health status profile of their patients

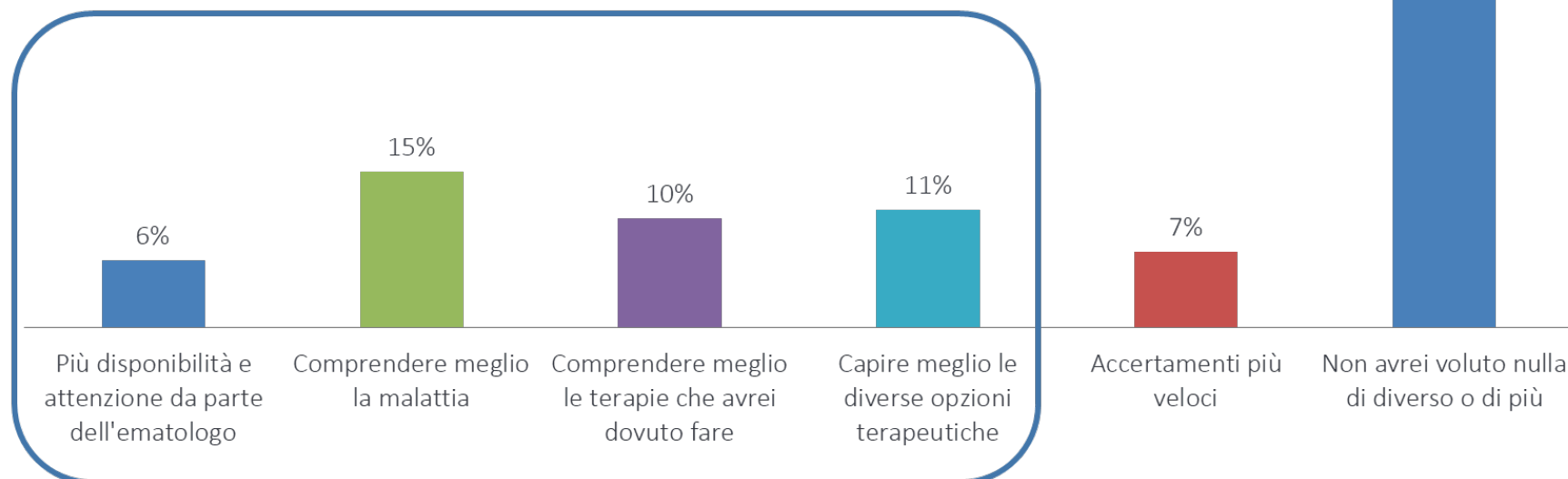
Comunicazione alla diagnosi:

- Completa per 82% dei pazienti
- Garbata per il 91%
- Ben compresa per il 62% dei pazienti
- Compresa parzialmente per il 36%
- Non compresa per il 2%

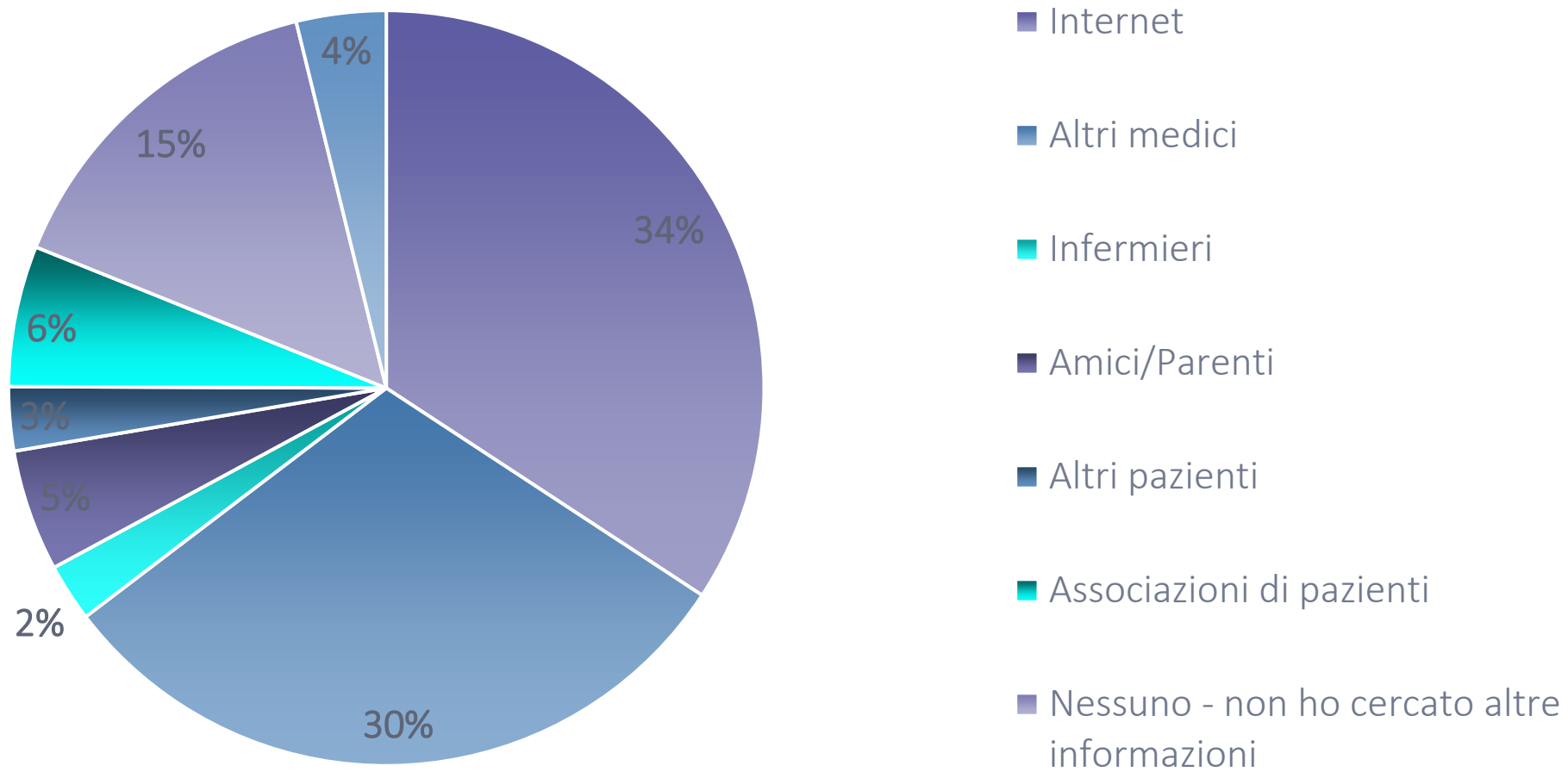


Misuriamo QoL senza dimenticare la comunicazione medico - paziente

Cosa avresti voluto di diverso, nella fase di comunicazione della diagnosi della malattia?



Attraverso chi hai cercato principalmente di avere più informazioni sulla malattia ?



LA QoL passa per i diritti dei pazienti e dei caregivers

- Il 60% dei pazienti è a conoscenza dei diritti del paziente (Legge 104/invalidità)
- Il 23% dei pazienti ha avuto difficoltà ad usufruire dei diritti in qualità di paziente



CONCLUSIONI

- Migliorare la QoL dovrebbe essere un obiettivo principale sia per i medici che per i pazienti
- La qualità di vita non dipende solo dall'efficacia delle terapie ma anche da ciò che c'è oltre la terapia: tempo passato in ospedale, impatto su famiglia e care-givers..
- Gli strumenti di misurazione dell'outcome riportato dai pazienti possono aiutare a garantire che le scelte delle autorità regolatorie rispecchino i bisogni dei pazienti e avere impatto nella ricerca clinica
- I questionari non sostituiscono la comunicazione medico paziente

COSA POSSIAMO FARE ?

- Investire nella ricerca di nuove terapie che impattino su citopenia e storia di malattia nelle MDS-> partecipare ai clinical trial
- Inserire tra gli obiettivi di trattamento la riduzione delle visite in ospedale e la possibilità di essere trattati a casa.
- Potenziare l'accessibilità alla cure , anche con l'uso della telemedicina
- Migliorare la comunicazione medico-paziente dedicare più tempo alla comunicazione della diagnosi, della prognosi e delle opzioni di trattamento e a raccogliere il vissuto dei pazienti
- Coinvolgere nel percorso del paziente figure quali gli infermieri, l'assistente sociale e lo psicologo
- Identificare di strumenti di supporto ai care-giver



Grazie!