

52°
CONGRESSO NAZIONALE SIE
Società Italiana di Ematologia

MILANO, 19 Ottobre 2025

**I PATIENT REPORTED OUTCOMES MEASURES (PROMS) SULLA QUALITÀ DELLA VITA DEI PAZIENTI
ONCOEMATOLOGICI POST TRAPIANTO DI MIDOLLO OSSEO ALLOGENICO: UNA REVISIONE NARRATIVA**

Mogos Ioana

Sessione Infermieristica

Disclosures of Name Surname

Company name	Research support	Employee	Consultant	Stockholder	Speakers bureau	Advisory board	Other

In Europa, ogni anno vengono registrate quasi 40.000 procedure di TCSE (Niederwieser et al., 2022). Il progresso tecnologico ha portato ad un incremento del numero di sopravvissuti a lungo termine (Atsuta et al., 2016; Niederwieser et al., 2022).

Nonostante i progressi, il 30%-40% dei pazienti necessita di un ricovero ospedaliero per complicanze gravi entro i primi 100 giorni dal trapianto (Johnson et al., 2021; Niederwieser et al., 2022; Valkova et al., 2016). I pazienti affrontano sintomi persistenti e multidimensionali che influenzano negativamente la loro salute fisica, mentale e sociale, spesso per anni dopo il trapianto (Eriksson et al., 2023; Valkova et al., 2016).

Data la complessità e la gravità delle sfide che i pazienti sottoposti ad allo-TCSE devono affrontare, è chiaro che la qualità di vita debba essere una priorità per l'equipe di cura. Tuttavia, ricerche precedenti indicano che gli operatori sanitari spesso non rilevano i sintomi o ne sottostimano la gravità (Di Maio et al., 2022; Laugsand et al., 2010; Marino et al., 2020).

Nel 2022, l'ESMO ha raccomandato l'adozione di misure di esiti riferiti dal paziente (PROMs) nella pratica clinica di routine per i pazienti affetti da cancro. Si tratta di strumenti e/o dispositivi utilizzati per riportare i PROs. I PROs sono definiti come "qualsiasi rapporto sullo stato di salute di un paziente che proviene direttamente dal paziente, senza l'interpretazione della risposta da parte di un medico o di chiunque altro". (Di Maio et al., 2022; Valsecchi et al., 2024)

I Patient-Reported Outcome Measures (PROMs) sono utili per valutare elementi dell'esperienza del paziente, come il carico dei sintomi, lo stato funzionale e il benessere psicologico ed emotivo (Di Maio et al., 2022).

PROBLEMA

Ad oggi non è ancora stato stabilito in maniera univoca quale PROMs utilizzare quando si affronta la QOL o il carico sintomatologico in questa popolazione di pazienti (Hayes et al., 2024). Gli strumenti generici spesso non riescono a cogliere pienamente le esperienze uniche ed i bisogni dei pazienti sottoposti ad allo-TCSE.

Le ricerche finora condotte hanno generalmente focalizzato l'attenzione sulla malattia del trapianto contro l'ospite. Si evidenzia infatti, scarsa attenzione nei riguardi del monitoraggio sistematico dei sintomi, della fattibilità di tali strumenti e del loro potenziale valore aggiunto nella pratica clinica. Tale tematica si riscontra in particolare per quanto riguarda la capacità di catturare la soggettività del paziente.

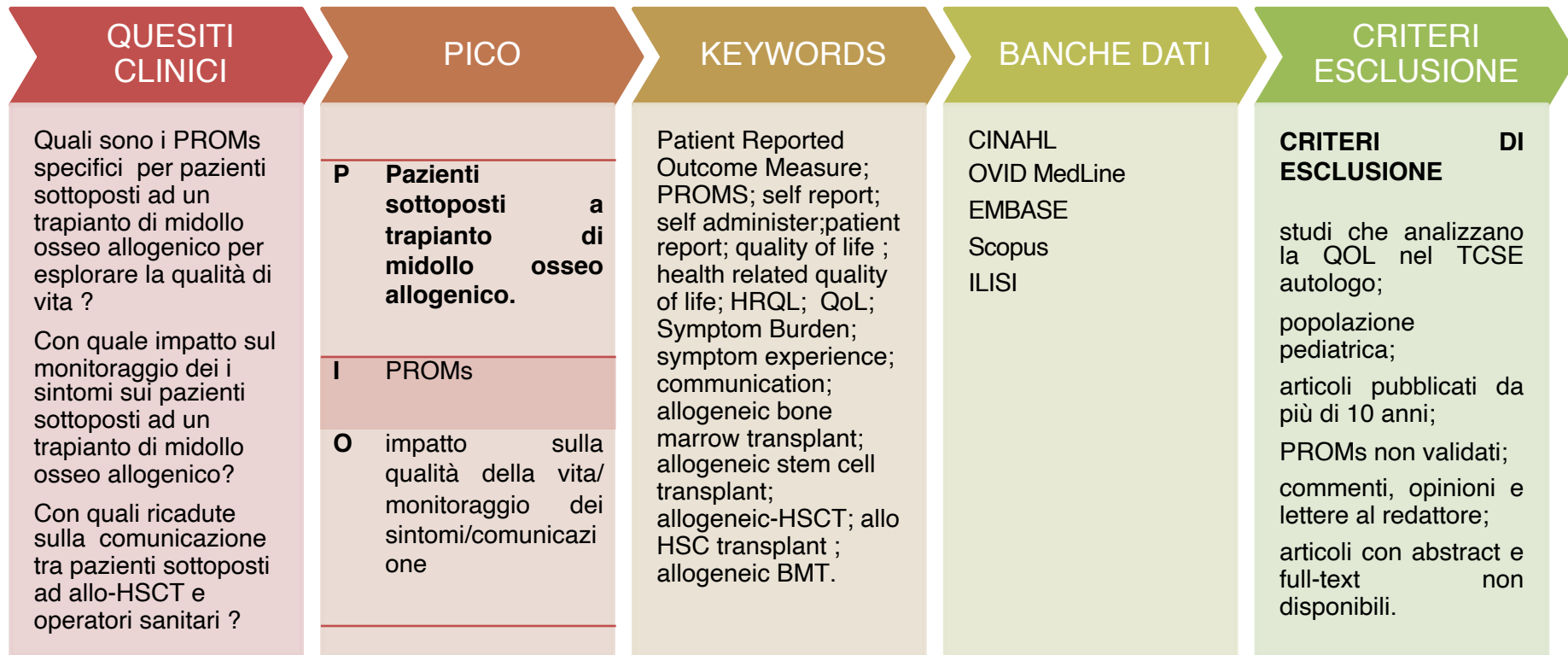
SCOPO

Analizzare l'utilizzo dei PROMS specifici per pazienti sottoposti a trapianto di midollo osseo allogenico ed il loro impatto sulla qualità di vita.

METODI E MATERIALI

Per raggiungere lo scopo di questo studio è stata condotta una revisione narrativa.

La checklist SANRA (Scale for the Assessment of Narrative Review Articles) e il PRISMA hanno guidato la stesura di questo studio



METODI E MATERIALI (2)

Selezione degli studi e acquisizione delle referenze

Al termine della ricerca, i risultati sono stati esportati in Mendeley Reference Manager e controllati per individuare eventuali duplicati.

Gli articoli rimanenti sono stati inseriti nel sistema di revisione Rayyan ed è stata fatta un ulteriore screening per l'identificazione e la rimozione dei duplicati.

A seguire è stata operata una selezione degli articoli, sulla base della pertinenza del titolo e dell'abstract.

I testi integrali degli articoli selezionati sono stati valutati in base ai criteri di inclusione ed esclusione.

Estrazione dati, analisi e sintesi dei risultati

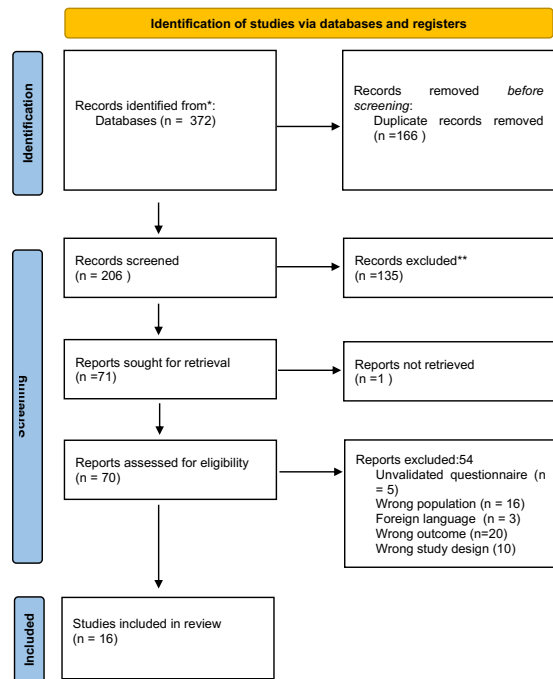
Gli studi inclusi sono stati analizzati e i dati estratti sono stati inseriti nelle tabelle di estrazione dei dati.

I dati estratti includevano gli autori, anno di pubblicazione, paese, disegno dello studio, i PROMs utilizzati, concetti emersi, numero di item, la tipologia di risposta, la specificità per TCSE, formato e frequenza, ambito di somministrazione (ospedalizzati vs non ospedalizzati), outcome sulla QOL, il monitoraggio dei sintomi o la comunicazione.

Infine, i risultati sono stati analizzati e presentati organizzando le evidenze in sequenze: PROMs, formato e frequenza di somministrazione, fattibilità, monitoraggio della qualità di vita e dei sintomi, comunicazione tra pazienti e operatori sanitari.

RISULTATI

Figura 1. PRISMA 2020 flow diagram for new systematic reviews which included searches of databases and registers only



*Consider, if feasible to do so, reporting the number of records identified from each database or register searched (rather than the total number across all databases/registers).

**If automation tools were used, indicate how many records were excluded by a human and how many were excluded by automation tools.

Tabella 1. Caratteristiche degli studi inclusi

Autore/ anno	Disegno o di studio	Scopo	Campione	Paese	Rivista di pubblica azione
(Bryant et al., 2020)	RCT	Valutare se l'uso quotidiano dei (PROs) riduce il carico di sintomi e migliora i sintomi individuali in misura maggiore rispetto alle cure abituali nei giorni successivi al trapianto.	76 pazienti sottoposti a HSCT	USA	Supportive care in cancer

Gli studi inclusi sono stati pubblicati tra il 2014 e il 2024.

10 studi su 16 sono stati condotti negli Stati Uniti (Bevans et al., 2014; Bryant et al., 2020; El-Jawahri et al., 2014, 2018; Jacobs et al., 2019; Lee et al., 2018; Patel et al., 2023; Shaw et al., 2016; Sidana et al., 2022; Wood et al., 2015).

I disegni di studio comprendevano trial randomizzati controllati (RCT) (Bryant et al., 2020), studi con metodo misto (Dovern et al., 2023), studi osservazionali (Bevans et al., 2014; Cheon et al., 2021; Devins et al., 2018; El-Jawahri et al., 2014; Gruber et al., 2022; Gudmundstuen et al., (2023); Jacobs et al., (2019); Lee et al., (2018); Peric et al., (2016); Sidana et al., 2022) e di fattibilità (El-Jawahri et al., 2018; Patel et al., 2023; Sidana et al., 2022; Wood et al., 2015).

I campioni analizzati variavano da piccoli gruppi di pazienti (10 partecipanti) come nello studio di Dovern et al., (2023) a coorti più ampie (fino a 1049 partecipanti) (Lee et al., 2018).

RISULTATI (II)

Sono stati identificati 13 PROMs, tra questi solo il FACT-BMT è specifico per i pazienti sottoposti a TCSE.

FORMATO: 7 su 16 ha utilizzato il formato elettronico (Bryant et al., 2020; Cheon et al., 2021; Dovern et al., 2023; El-Jawahri et al., 2018; Gruber et al., 2022; Lee et al., 2018; Sidana et al., 2022).

FREQUENZA DI SOMMINISTRAZIONE: giornaliera (Bryant et al., 2020; Wood et al., 2015); settimanale o mensile (Devins et al., 2018; Gudmundstuen et al., 2023; Patel et al., 2023; Shaw et al., 2017; Sidana et al., 2022); ogni 6 mesi o annuale (Bevans et al., 2014; Lee et al., 2018).

La **FATTIBILITA'** varia tra gli studi: Patel et al. (2023) ha registrato un completamento dei PROMs del 47%, mentre Wood et al. (2015) ha riportato una percentuale del 87% per TCSE a ridotta intensità e del 70% per alta intensità.

PROMs	Numero item	Specifico/non specifico per TCSE
FACT-BMT	50 (FACT-G + 23 domande (BMTS))	Specifico
PROMIS	Variabile	Non specifico
EORTC QLQ-C30	30	Non specifico
IIRS	13	Non specifico
HAP	94	Non specifico
SF-36	36	Non specifico
PRO-CTCAE	124	Non specifico
PSDS	23	Non specifico
Neuro QoLv2	variabile	Non specifico
CES-D	20	Non specifico
MSAS	96	Non specifico
PH4	4	Non specifico
LSS	30	Specifico GVHD

RISULTATI (III)

QUALITA' DI VITA E MONITORAGGIO DEI SINTOMI

Bryant et al. (2020) ha mostrato che il monitoraggio giornaliero dei sintomi riduce il carico sintomatologico post-trapianto (gruppo di intervento registrava una media di 10.4 sintomi vs 14.5 del controllo) nei giorni +7, +10 e +14 ($p = 0.03$). Al giorno +10 nessun paziente nel gruppo di intervento ha riportato vomito, mentre il 36% nel gruppo con cure standard ha sperimentato questo sintomo ($p=0.002$).

La severità dei sintomi potrebbe risultare leggermente più alta con il richiamo di 24 ore rispetto al richiamo di 7 giorni (Wood et al., 2015)

La raccolta dei PROs può identificare precocemente pazienti a rischio di peggioramento della QOL. Inoltre, i punteggi dei PROs pre-trapianto possono essere considerati predittori significativi di sopravvivenza. Nello studio di Shaw et al., (2017) i pazienti che avevano un punteggio pre-trapianto più alto sono stati associati a una maggiore sopravvivenza.

COMUNICAZIONE

4 studi su 16 hanno incluso un focus su questo aspetto (Bryant et al. (2020); Patel et al., (2023); (El-Jawahri et al. 2018); Shaw et al. (2017) dimostrando che i PROMs contribuiscono a rafforzare la fiducia e l'efficacia delle decisioni terapeutiche.

Nello studio di Bryant et al. (2020) i dati raccolti tramite PRO-CTCAE sono stati utilizzati dagli infermieri durante i giri mattutini per guidare le conversazioni con i pazienti e adattare il piano di cura in base al carico sintomatologico riportato.

Patel et al. (2023) ha rilevato che il 36% dei partecipanti ha trovato i PROMs utili per ricordare sintomi da discutere con il team di cura.

DISCUSSIONE



Molti PROMs utilizzati per i pazienti sottoposti ad allo-TCSE sono stati adattati da altri contesti clinici, limitandone l'efficacia nel cogliere le esperienze uniche dei pazienti. L'uso combinato di più strumenti all'interno di uno stesso studio suggerisce che nessun PROM singolo è in grado di coprire tutte le dimensioni rilevanti per questa popolazione di pazienti.



Analogamente agli studi su pazienti oncologici (Mooney et al., 2017), gli ePROMs nei pazienti sottoposti a TCSE mostrano vantaggi significativi rispetto ai metodi tradizionali, tra cui un rilevamento più rapido dei sintomi, un feedback immediato e un miglioramento della QoL (Shaw et al., 2017).



I risultati contrastanti sulla fattibilità e il tasso di risposta dei questionari per i pazienti sottoposti a allo-TCSE sono in linea con quanto osservato in altri studi su coorti di popolazioni diverse (Bouazza et al., (2017). Tra le difficoltà emerse vi sono: lunghezza dei questionari; accessibilità tecnologica; gravità della malattia e supporto di personale sanitario (Bryant et al., 2020; Patel et al., 2023; Wood et al., 2015). Questi fattori sono simili a quelli ritrovati in altri studi (Bouazza et al., 2017; Briggs et al., 2020; Foster et al., 2018; Ho et al., 2019; Maharaj et al., 2020).



LIMITI DELLO STUDIO

Assenza valutazione formale della qualità, inclusione solo di articoli pubblicati in inglese o italiano; inclusione di soli studi pubblicati negli ultimi 10 anni; la maggior parte degli studi analizzati proviene dagli Stati Uniti

CONCLUSIONI

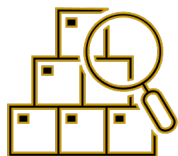
I Patient-Reported Outcome Measures (PROMs) si confermano strumenti fondamentali per il monitoraggio della qualità della vita (QoL) e del carico sintomatologico nei pazienti sottoposti a trapianto di midollo osseo allogenico.

La revisione della letteratura ha dimostrato come l'uso di questi strumenti favorisca una gestione clinica più tempestiva e personalizzata, contribuendo in modo significativo al miglioramento del benessere complessivo dei pazienti.

Tra i PROMs, le versioni elettroniche (ePROMs) si sono dimostrate particolarmente promettenti per la loro capacità di fornire dati in tempo reale. Questo approccio permette di identificare precocemente complicanze, ottimizzare il controllo dei sintomi e ridurre il carico complessivo per i pazienti.

SUCCESSIVE RICERCHE

La ricerca futura dovrebbe concentrarsi sullo sviluppo di PROMs specifici, sulla valutazione della loro applicabilità in contesti diversi, come le visite ambulatoriali o il follow-up remoto. Infine, sono essenziali studi longitudinali per valutare l'impatto a lungo termine dei PROMs sulla QoL e sugli esiti clinici.



Inoltre, l'uso di dati derivanti dai PROMs potrebbe rivelarsi fondamentale per identificare aree critiche di miglioramento, supportare lo sviluppo dei PDTA, progettare programmi personalizzati per il recupero post-trapianto e ottimizzare l'allocazione delle risorse sanitarie.