

Il termine *patient-reported outcome*, letteralmente ‘esito riferito dal paziente’, è stato introdotto nel 2000 dalla Food and Drug Administration (FDA), che nel 2009 ha pubblicato una guida sull’utilizzo di misure di esito riferite dal paziente rivolta alle industrie farmaceutiche, interessate ad inserire i risultati nel foglietto illustrativo del farmaco (*labeling claims*)<sup>1</sup>. Nella guida l’FDA definisce *patient-reported outcome* qualsiasi esito riguardante lo stato di salute riferito direttamente dal paziente, senza alcuna interpretazione da parte del clinico o di altri.

Il termine si focalizza principalmente sulla fonte delle informazioni e rappresenta una sorta di ‘ombrello’ per un insieme di concetti diversi (per esempio: sintomi specifici, aderenza al trattamento, stato di salute generale, fisico e psicologico, qualità della vita associata alla salute, benessere)<sup>2</sup>.

### I punti di vista dei pazienti

La raccolta del punto di vista dei cittadini/pazienti può riguardare<sup>3</sup>:

1. la soddisfazione per l’assistenza ricevuta;
2. l’esperienza dell’assistenza ricevuta;
3. l’efficacia dell’assistenza ricevuta (*patient-reported outcome*).

Rispetto alle tre tipologie di punti di vista, la soddisfazione del paziente è quella con la minore rilevanza ai fini del miglioramento della qualità dell’assistenza, essendo influenzata da variabili non direttamente correlate all’assistenza, come le aspettative e le emozioni individuali<sup>3,4</sup>. L’esperienza dei pazienti sarebbe, invece, positivamente associata alla qualità e sicurezza dell’assistenza erogata<sup>5</sup>. Le dimensioni che caratterizzano l’esperienza sono diverse. Tra queste: il rispetto della dignità, dei valori, delle preferenze e della privacy; l’accessibilità (tempi di attesa per le prestazioni); l’informazione, la comunicazione ed educazione sulla condizione clinica e sul percorso assistenziale; il comfort fisico degli ambienti; il coinvolgimento dei pazienti e caregiver familiari nelle decisioni; continuità delle informazioni tra i diversi setting assistenziali; il

coordinamento e l’integrazione dell’assistenza sanitaria e sociale<sup>6</sup>.

Ad oggi, in numerosi Paesi (per esempio, Danimarca, Norvegia, Olanda, Regno Unito, Canada e Stati Uniti) sono presenti programmi di raccolta sistematica dell’esperienza dei pazienti, che rappresenta anche una dimensione di confronto internazionale tra sistemi sanitari (per esempio, per l’OCSE o per Health Consumer Powerhouse).

### Gli strumenti per la rilevazione degli esiti riferiti dai pazienti

Gli strumenti e le misure utilizzati per la rilevazione degli esiti nella prospettiva dei pazienti sono classificabili in ‘generalisti’ e ‘specifici’ (Tabella 1).

Gli strumenti possono essere somministrati con diverse modalità, dalle più tradizionali (questionario cartaceo autocompilato dal paziente, intervista vis-à-vis o telefonica) alle più innovative (*computerized adaptive testing*).

Alcuni strumenti possono essere utilizzati per il calcolo degli anni di vita corretti per la qualità (*quality adjusted life years - QALY*), una misura utilizzata principalmente nell’ambito delle valutazioni economiche dell’impatto degli interventi sanitari<sup>7</sup>. A tal fine vengono associati allo strumento dei pesi, espressione delle preferenze della popolazione (*preference-based patient-reported outcome*). Ad esempio, attraverso lo strumento EQ-5D (Tabella 1) è possibile ottenere 243 stati di salute diversi, compresi tra i punteggi 11111 (peggior stato di salute) e 33333 (miglior stato di salute); a ciascun punteggio di stato di salute viene assegnato un valore numerico che riflette l’opinione di un campione della popolazione generale, alla quale è stato chiesto di esprimere un giudizio rispetto a come potrebbe essere vivere in quel determinato stato di salute.

### Esperienze internazionali e italiane

A livello internazionale, l’impiego di misure di esito riferito dal paziente è documentato nell’ambito della ricerca, dell’assistenza sanitaria (audit, registri di patologia) e anche

**TABELLA 1. GLI STRUMENTI DI RILEVAZIONE DEGLI ESITI RIFERITI DAI PAZIENTI: GENERALI VS SPECIFICI**

<b>Generali</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Rilevano la qualità della vita o lo stato di salute generale (concetti multidimensionali).</li> <li>• Somministrati nella popolazione generale e anche in specifici sottogruppi (per esempio, persone affette da specifiche patologie).</li> <li>• Tra gli strumenti di più frequente utilizzo (anche in Italia) si citano: <ul style="list-style-type: none"> <li>– SF-36 Health Survey (e versione breve SF-12), che rileva: attività fisica, limitazioni dovute a problemi fisici oppure emotivi, dolore fisico, stato di salute generale, vitalità, attività sociali, salute mentale;</li> <li>– EQ-5D che rileva: capacità di movimento, cura della persona, attività abituali, dolore, ansia o depressione, e lo stato di salute generale.</li> </ul> </li> </ul>
<b>Specifici</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Rilevano sintomi, stato di salute, qualità di vita riferiti a specifici sottogruppi di popolazione. Ad esempio, presso l'Università di Oxford uno specifico gruppo di lavoro ha curato numerose revisioni delle misure di esito riferite dal paziente, distinte per classe di età (per esempio, bambini, anziani), per patologia (per esempio, asma, diabete, scompenso cardiaco, BPCO, neoplasia), per intervento chirurgico (per esempio, tunnel carpale, colecistectomia, prostatectomia) (fonte: <a href="http://phi.uhce.ox.ac.uk/home.php">http://phi.uhce.ox.ac.uk/home.php</a>).</li> <li>• Gli strumenti disponibili sono innumerevoli. Per esempio, nel database <i>Patient-reported outcome and Quality of Life Instruments Database (PROQOLID)</i> sono presenti 1373 strumenti (fonte: <a href="https://eprovide.mapi-trust.org">https://eprovide.mapi-trust.org</a>).</li> </ul>

della valutazione della performance delle organizzazioni sanitarie<sup>8</sup>. Al riguardo, merita un approfondimento il programma di raccolta di misure di esito riferito dal paziente del Servizio Sanitario Nazionale del Regno Unito, avviato nel 2009 e tutt'ora attivo (Tabella 2)<sup>9</sup>.

A livello nazionale il termine di esiti riferiti dal paziente non sembra particolarmente diffuso, al di là di alcune esperienze<sup>10</sup>, diversamente dai concetti ad esso sottesi, come ad esempio la qualità della vita, lo stato di salute fisico e psicologico,

indagati soprattutto nell'ambito dell'assistenza a persone affette da patologie croniche, da neoplasie, da patologie psichiche e da demenza. Al riguardo, nel nuovo Piano Nazionale della Cronicità (2016) viene ribadito in più parti del testo come nella valutazione degli esiti dell'assistenza sia necessario tenere conto non solo degli esiti clinici, ma anche del benessere e della qualità della vita.

Ad oggi, l'interesse prevalente da parte delle istituzioni pubbliche e anche delle associazioni di cittadini e pazienti

**TABELLA 2. L'ESPERIENZA DEL SERVIZIO SANITARIO NAZIONALE DEL REGNO UNITO**

Nel 2009 il Department of Health ha avviato un programma di raccolta delle misure di esito riferito dal paziente al fine di integrare l'insieme delle misure correntemente utilizzate per la valutazione della qualità dell'assistenza e delle *performance* degli erogatori.

Il programma riguardava 4 interventi chirurgici: sostituzione dell'anca, sostituzione del ginocchio, ernia inguinale, varici degli arti inferiori.

Dall'aprile 2009 tutte le strutture sanitarie finanziate dal Servizio Sanitario Nazionale sono state invitate a somministrare un set di questionari ai pazienti che si sottoponevano ad uno dei 4 interventi indicati. Prima e dopo l'intervento (3/6 mesi) dovevano essere somministrati questionari di carattere sia generale (EQ-5D) che specifico (Oxford Hip Score, Oxford Knee Score, Aberdeen Varicose Vein Questionnaire).

La compilazione dei questionari da parte dei pazienti era volontaria.

I dati raccolti vengono utilizzati per la valutazione delle performance delle strutture erogatrici da parte dei committenti, a livello locale e nazionale, e per il miglioramento della qualità dei percorsi assistenziali nelle singole strutture.

I dati sono, inoltre, accessibili pubblicamente (<http://content.digital.nhs.uk/proms>). Dalla loro consultazione emerge come il tasso complessivo di risposta dei pazienti ai questionari (per tutti e 4 gli interventi) sia elevato e incrementato negli anni: 69,3% negli anni 2009/2010 vs 86,5% negli anni 2014/2015. Si osserva una variabilità nel tasso di risposta dei pazienti tra i singoli interventi. Per esempio, il tasso di risposta dei pazienti che si sono sottoposti ad intervento per varici degli arti inferiori si posiziona al di sotto del tasso complessivo con un trend in marcato decremento: 57,1% 2009/2010 vs 15,3% nel 2014/2015.

(per esempio, Cittadinanzattiva) riguarda il livello di umanizzazione dell'assistenza, ovvero l'esperienza dei pazienti rispetto alle modalità di accesso ed erogazione<sup>11,12</sup>.

### Considerazioni

Il termine 'esiti riferiti dal paziente' non presenta una reale portata innovativa rispetto ai contenuti proposti, come al suo razionale, dallo "storico pedigree" risalente alla fine degli anni '60, periodo in cui è stato introdotto il concetto di centralità del paziente<sup>13</sup>. Il contributo più rilevante di tale termine risiede, piuttosto, nell'introdurre la prospettiva del paziente, misurata secondo una metodologia strutturata, nell'ambito della valutazione degli esiti delle cure, tradizionalmente dominato dalla sola prospettiva professionale.

Le potenzialità di utilizzo degli esiti riferiti dal paziente sono molteplici, come per esempio la valutazione delle performance dei sistemi sanitari<sup>14</sup>, la valutazione dell'efficacia dei farmaci<sup>15</sup> e, più in generale, degli interventi sanitari, il miglioramento dei percorsi assistenziali nelle organizzazioni sanitarie<sup>16</sup>. Nella realtà quotidiana delle Aziende Sanitarie italiane la raccolta della "voce" dei pazienti rispetto agli esiti delle cure, non diversamente dalla raccolta della "voce" dei pazienti rispetto ad altre dimensioni dell'assistenza, rappresenta una attività episodica, più che sistematica. A questo vanno aggiunte le criticità riguardanti il "come utilizzare" le informazioni raccolte, integrandole con quelle già esistenti (per esempio, banche dati amministrativi, registri), per il miglioramento della qualità dell'assistenza. L'analisi delle criticità e delle barriere nell'implementazione della raccolta e dell'utilizzo delle misure di esito riferito dal paziente è quasi scontata (per esempio, barriere organizzative e culturali). Il principale rischio è che le valutazioni dei pazienti sugli esiti delle cure siano strumentalizzate da diversi soggetti, venendo interpretate come una valutazione complessiva e assoluta delle cure ricevute, in considerazione della forte legittimazione valoriale ed etica. Tale rischio può contribuire ad alimentare lo scetticismo dei professionisti e un atteggiamento di cautela della dirigenza delle Aziende Sanitarie<sup>17</sup>.

La promozione del coinvolgimento e della partecipazione dei pazienti nei processi decisionali riguardanti la loro salute appare come una delle principali strategie utili a creare un contesto favorente la raccolta e l'utilizzo delle misure di esito riferito dal paziente<sup>18</sup>. Tra l'altro, così facendo, si potrebbe anche scoprire

che il questionario da somministrare al paziente non coglie la sua "reale" prospettiva, ovvero gli esiti ritenuti dallo stesso prioritari in quel determinato contesto e momento<sup>19</sup>.

**Davide Botturi**

*Servizio Assistenza Territoriale, Regione Emilia-Romagna*

### BIBLIOGRAFIA

1. Food and Drug Administration, USA. Guidance for industry. Patient-reported outcome measures: use in medical product development to support labelling claims. December 2009.
2. Patrick DL. Patient-reported outcomes (PROs): an organizing tool for concepts, measures, and applications. *Quality of Life Newsletter* 2003; 31: 1-5.
3. Black N, Jenkinson C. How can patients' views of their care enhance quality improvement? *BMJ* 2009; 339: 202-5.
4. Fenton JJ, Jerant AF, Bertakis KD, Franks P. The cost of satisfaction. A national study of patient satisfaction, health care utilization, expenditures, and mortality. *Arch Intern Med* 2012; 172: 405-11.
5. Doyle C, Lennox L, Bell Derek. A systematic review of evidence on the links between patient experience and clinical safety and effectiveness. *BMJ Open* 2013; 3: e001570.
6. Department of Health. NHS patient experience framework. Disponibile al seguente indirizzo: <https://www.gov.uk/government/publications/nhs-patient-experience-framework>.
7. Devlin NJ, Appleby J. Getting the most out of PROMS. *The King's Fund*, 2010.
8. Black N. Patient reported outcome measures could help transform healthcare. *BMJ* 2013, 346: f167.
9. Rodella S, Botturi D. Esiti riferiti dal paziente. Patient reported outcome. Concetti, metodi, strumenti. Dossier 238, Agenzia Sanitaria e Sociale Regionale dell'Emilia-Romagna, 2014.
10. Istituto Superiore di Sanità. Patient-reported outcomes Moving Toward Evidence. Disponibile al seguente indirizzo: <http://www.iss.it/promote/>.
11. AAVV. L'esperienza dei cittadini per il miglioramento dei servizi. *I quaderni di Monitor*, Anno XII, n. 32, 2013.
12. Patto per la Salute 2014-2016. Approvato nell'Intesa tra il Governo, le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano, seduta del 10 luglio 2014.
13. Berwick DM. What 'patient-centered' should mean: confessions of an extremist. *Health Aff* 2009; 28 (4): 555-65.
14. OECD Policy Forum on the Future of Health. People at the Centre. 16 January 2017. Disponibile al seguente indirizzo: <https://search.oecd.org/health/ministerial/>
15. Fitzpatrick R. Patient-reported outcome measures and performance measurement. In: Smith PC, Mossialos E, Papanicolas I, Leatherman S (eds). *Performance measurement for health system improvement. Experiences, challenges and prospects*. New York: Cambridge University Press, 2009.
16. Brasser MR. Benefits case study for PROMs outputs. *Health & Social Care Information Centre*, 20/08/2015. Disponibile all'indirizzo: <http://content.digital.nhs.uk/benefitscasestudies/proms>.
17. Geddes da Filicaia M. Centralità del paziente. *Care* 2014, 4: 31-34.
18. Brigoni P, Bianco E, Sampaolo L, Carra L. Il coinvolgimento dei cittadini nelle scelte in sanità. Programma nazionale linee guida. Milano: Zadig 2005.
19. Trujols J, Portella MJ, Iraurgi I et al. Patient-reported outcome measures: are they patient-generated, patient-centred or patient-valued? *J Ment Health* 2013; 22: 555-62.