

Pazienti protagonisti nella ricerca clinica e nella valutazione della qualità dell'assistenza

Perché ci sia un effettivo cambio di passo nel processo di miglioramento del nostro servizio sanitario così che sia sempre più in grado di offrire opzioni di cura adeguate alle aspettative dei pazienti e rispettose delle loro esigenze, è sempre più urgente riconoscere il valore aggiunto degli strumenti di misurazione di esito (patient-reported outcome measures) e esperienze (patient-reported experience measures) riferiti dai pazienti stessi. La strada è però in salita, come ci ha raccontato Massimo Di Maio nell'intervista di apertura su questo stesso numero, perché servono risorse sia economiche sia umane per attuare una riorganizzazione dei servizi sanitari che renda l'esperienza dei pazienti protagonista a tutto campo del percorso di cura.

Abbiamo chiesto a Paola Kruger (paziente esperto EUPATI) e a Flori Degrassi (Presidente Nazionale A.N.D.O.S.) di condividere con noi il loro punto di vista su questo tema che ci riguarda tutti.

Il valore della presenza del paziente esperto nelle fasi di sviluppo di uno studio clinico

A colloquio con **Paola Kruger**
Accademia del Paziente esperto EUPATI

L'ottimizzazione dell'impiego delle risorse investite nella ricerca è uno dei vantaggi del coinvolgimento del paziente esperto perché si evita di seguire protocolli che non rispondano ai bisogni insoddisfatti dei pazienti in termini di qualità di vita, con la conseguenza di un alto numero di drop-out o di un numero insufficiente di pazienti arruolati

In considerazione della sua ormai lunga esperienza in qualità di paziente esperta, vuole spiegarci qual è il valore aggiunto di coinvolgere un paziente adeguatamente formato e informato nelle diverse fasi di realizzazione di uno studio clinico?

Il primo vantaggio è senza dubbio quello di ottenere medicinali più in linea con le esigenze dei pazienti e, di conseguenza, medicinali per i quali c'è maggiore accettazione, compliance e soddisfazione rispetto alla qualità di vita che offrono.

Un farmaco può avere un'alta efficacia dal punto di vista degli esiti clinici, che sono quelli che valuta un ricercatore, ma un effetto non ottimale sulla qualità di vita di chi lo dovrà assumere. Pensiamo, per fare un esempio, a un farmaco molto efficace, ma che causa un leggero mal di testa. Risultato: a lungo andare il paziente si stufa di assumerlo come dovrebbe perché, nonostante il decorso della sua patologia magari migliori, la sua qualità di vita subisce un peggioramento. Questo comporta uno spreco di risorse del Servizio Sanitario Nazionale (SSN), un peggioramento degli esiti clinici nel lungo periodo, e una mancata valorizzazione dell'investimento. Includere pazienti adeguatamente formati nelle varie fasi della ricerca e sviluppo di un farmaco permette

di intercettare i possibili ostacoli che potrebbero presentarsi lungo il percorso e di assicurare che quel farmaco risponda alle esigenze dei pazienti, oltre che a quelle dei clinici.

Un altro vantaggio che si ottiene è l'ottimizzazione dell'impiego delle risorse investite nella ricerca, perché si evita di seguire protocolli che non rispondano ai bisogni insoddisfatti dei pazienti in termini di qualità di vita, con la conseguenza di un alto numero di *drop-out* o di un numero insufficiente di pazienti arruolati.

Possiamo permetterci, quindi, di non includere la prospettiva del paziente formato nello sviluppo di un farmaco? Direi proprio di no!

A suo avviso, quali sono le fasi del processo nelle quali diventa critica la presenza o assenza del punto di vista di un paziente esperto?

Il paziente esperto andrebbe coinvolto in tutte le fasi del processo di sviluppo di un farmaco, tuttavia secondo me ci sono dei passaggi nei quali la sua partecipazione è particolarmente rilevante. Uno di questi è la definizione del protocollo, perché il paziente esperto è in grado di capire se la popolazione prevista sia effettivamente disposta ad arruolarsi o se il *burden* dello studio clinico sia eccessivo. Si tende infatti a sottovalutare molto il carico della partecipazione a uno studio clinico da parte del paziente, ma se non si trova il giusto equilibrio si incapperà poi in problemi di arruolamento o di *drop-out* elevato, che possono inficiare l'esito dello studio.

Il paziente esperto si assicura, inoltre, che gli endpoint qualitativi siano inclusi nel protocollo. Un altro aspetto estremamente importante ri-

guarda le misure di esito riferite dai pazienti, i famosi *patient-reported outcomes* (PROs). Se non vengono selezionati quelli giusti per lo studio, i dati raccolti non andranno a supportare efficacemente gli esiti clinici.

Quali sono secondo lei gli aspetti migliorabili nella raccolta e nell'impiego dei *patient-reported outcomes* per valutare la qualità dell'assistenza sanitaria?

Innanzitutto i pazienti andrebbero inclusi in tutte le fasi del lungo percorso che porta alla definizione di un PRO. L'FDA ha pubblicato una guida proprio su come coinvolgere i pazienti nello sviluppo di PROs, e questo dice molto di come le agenzie regolatorie sempre più valutino questo aspetto come una priorità.

Poi dobbiamo assicurarci che i PROs riflettano veramente gli ambiti che impattano sulla qualità di vita del paziente. Molti PROs sono datati e non corrispondono alla realtà del paziente alla luce di nuovi farmaci che in molti casi hanno cambiato il volto di alcune patologie.

In generale i PROs vengono usati ormai in maniera abbastanza diffusa negli studi clinici, ma molto poco per valutare la qualità dell'assistenza sanitaria. In questo caso sarebbero utilissimi i *patient-reported experience measures* (PREMs), ovvero le misure dell'esperienza del paziente con un particolare servizio. L'utilizzo di PROMs e PREMs dovrebbe diventare uno standard e uno dei *key performance indicators* usati per valutare le prestazioni del SSN. Sono infatti parte integrante del concetto di *value-based healthcare*, di cui si discute diffusamente. ■ ML

"Ascoltare" le problematiche dei pazienti per migliorare la qualità dell'assistenza

A colloquio con **Flori Degrassi**

Presidente Nazionale A.N.D.O.S. - Associazione Nazionale Donne Operate al Seno

Dottoressa Degrassi, sulla base della sua esperienza in qualità di dirigente di importanti strutture sanitarie prima e come rappresentante di una associazione di pazienti adesso qual è la sua opinione sull'utilizzo dei *patient-reported outcome and experience measures* (PROMs/PREMs)?

Le valutazioni PROMs/PREMs sono strumenti molto importanti, già adottati a livello internazionale, per indagare il punto di vista dei pazienti, e nello specifico la soddisfazione del paziente (*patient satisfaction*), cioè l'esperienza del paziente sulla qualità di un trattamento o un processo di assistenza sanitaria, l'interferenza sulla sua qualità della vita (*patient-reported experiences*) e gli esiti, riferiti direttamente dalla persona in cura, riguardo alle cure o a un processo di assistenza sanitaria (*patient-reported outcomes*).

È sempre più necessario dare valore all'impatto che la condizione di malattia esercita sulla qualità della vita della persona-paziente ma anche su chi gli vive vicino.

A livello di azienda sanitaria, l'utilizzo di questi strumenti presuppone la volontà della direzione strategica di aderire alle suddette valutazioni e il coinvolgimento dei professionisti nell'arruola-

Qualità della vita correlata alla salute (health-related Quality of Life – HRQoL)

L'HRQoL è un parametro multidimensionale e costituisce la valutazione di come una condizione di salute e il suo trattamento influiscano sulla vita quotidiana del paziente includendo gli ambiti fisici, psicologici, emotivi e sociali

Stato psicologico

Influsso positivo o negativo e funzione cognitiva, includendo: collera, prontezza, autostima, sensazione di benessere, angoscia, capacità di affrontare la situazione.

Segni e sintomi

Racconto di sintomi fisici e psicologici o di sensazioni non osservabili direttamente, includendo: energia e affaticamento, nausea, irritabilità.

Aderenza al trattamento

Racconti o osservazioni sull'uso dei trattamenti.

CONCETTI PRINCIPALI VALUTATI NEI PROS

Funzionamento fisico

Limitazioni fisiche e restrizioni dell'attività, includendo: cura di sé stesso, deambulazione, mobilità, sonno, sesso, disabilità.

Funzionamento a livello sociale

Limitazioni nel lavoro o a scuola, partecipazione alla vita di comunità.

Utilità

L'utilità, o efficacia, è la capacità (percepita) di qualcosa di soddisfare bisogni o desideri.

Soddisfazione del paziente

Valutazione dei trattamenti, della preferenza del paziente, dei sistemi di erogazione dell'assistenza sanitaria e degli operatori sanitari, dei programmi di formazione del paziente, e dei dispositivi medicali.

mento dei pazienti. L'azienda e i professionisti, in questo modo, manifestano non solo l'interesse ad "ascoltare" le problematiche dei pazienti (e quindi a capire come si sentano le persone in trattamento, cosa provino, come cambino le loro percezioni nel tempo, quali siano gli effetti delle terapie a distanza e come questi effetti influiscano sulla loro vita privata e sociale), ma anche l'intenzione di far valutare i processi assistenziali e le organizzazioni, modificando gli aspetti che il paziente percepisce come critici. Negli anni successivi l'azienda potrà monitorare se i cambiamenti organizzativi effettuati per aderire alle richieste dei pazienti abbiano modificato il percepito delle persone, in un processo di miglioramento continuo della qualità assistenziale. Purtroppo, a livello nazionale non sono molte le Regioni e le aziende che abbiano aderito a questa progettualità.

Quanto è importante che diventino parte integrante dei processi valutativi nell'area della salute?

È fondamentale e ne ho conferma dall'esperienza che mi deriva dalla mia vita associativa. Mi è capitato spesso che una donna operata riferisse uno scarso livello di soddisfazione nei confronti di una ricostruzione mammaria, apparentemente perfetta, mentre un'altra fosse contenta di un intervento esteticamente discutibile. Questo perché se non si costituisce l'alleanza medico-paziente e se la donna non ha la sensazione di poter condividere il suo percorso di cura con i medici non sarà mai soddisfatta dell'intervento, che riterrà "subito".

La paziente a cui viene fatta una diagnosi di cancro della mammella necessita di una presa in carico globale perché da quel momento dovrà affrontare un percorso di malattia molto lungo e articolato senza però cessare di essere donna con la sua sessualità, di cui scarsamente ci si occupa, madre, moglie, lavoratrice o comunque inserita nel suo contesto amicale e sociale.

È giusto, perciò, occuparsi di quello che la donna prova nell'ambito del percorso sanitario e di come si senta nel tempo successivo all'intervento, quello scandito dalla radioterapia, eventualmente dalla chemioterapia, dall'ormonoterapia o semplicemente dal follow-up. Non è indifferente sapere se si senta presa in carico, se gli esami le sono stati prescritti dal centro di riferimento, chi è il suo riferimento clinico e/o organizzativo, se ce la fa a specchiarsi, se si sente simmetrica,

se è seguita dallo psiconcologo e se sta facendo o quando farà il linfodrenaggio per il linfedema. Spesso i miglioramenti clinici valutati dal medico non sono correlati al miglioramento percepito dal paziente, i due giudizi sono di frequente discrepanti, così anche due opzioni terapeutiche, pur avendo la stessa efficacia clinica, possono avere un diverso impatto sulla qualità della vita psico-sociale della persona. Le valutazioni PROMs/PREMs, prevedendo la partecipazione attiva dei professionisti sanitari, possono aumentare la loro competenza relazionale e la loro capacità di presa in carico.

Quali sono secondo lei le sfide da affrontare perché i dati riferiti dal paziente oncologico durante il proprio percorso di cura siano valorizzati al meglio?

Il sistema sanitario può migliorare solo se è capace di "ascoltare" le esigenze e le esperienze delle persone.

La patologia oncologica, anche quella metastatica, si sta trasformando in malattia cronica. Se il nostro sistema sanitario non recepisce le osservazioni di chi la vive sulla sua pelle, non riuscirà a far fronte alle nuove e sempre più complesse esigenze assistenziali.

La valutazione delle esperienze e degli esiti fatta dai pazienti rappresenta perciò un grande passo in avanti del sistema sanitario, i cui i professionisti sono disposti a mettersi in gioco per cambiare e le aziende sanitarie si impegnano a modificare le organizzazioni per renderle più "accoglienti". C'è bisogno però di un cambiamento culturale con un approccio bi-direzionale e una condivisione di informazioni che supporti i pazienti e le famiglie nell'assunzione delle decisioni cliniche, faciliti l'accesso a un'assistenza appropriata, metta i pazienti nelle condizioni di affrontare cambiamenti difficili ma necessari per mantenere o migliorare il proprio stato di salute. Una relazione di cura in grado di "costruire un ponte" tra le differenze demografiche, sociali ed economiche dei clinici e dei pazienti.

Le associazioni dei pazienti dovrebbero partecipare sempre, come membri a pieno titolo, ai comitati che presidiano, all'interno di ogni organizzazione sanitaria, gli aspetti sulla sicurezza delle cure, le questioni etiche e quelle relative alla ricerca, e potrebbero offrire informazioni utili nell'orientare le organizzazioni sanitarie verso un'offerta qualitativamente migliore. ■ ML

È sempre più necessario dare valore all'impatto che la condizione di malattia esercita sulla qualità della vita della persona-paziente ma anche su chi gli vive vicino, perché il sistema sanitario può migliorare solo se è capace di "ascoltare" le esigenze e le esperienze delle persone