

## 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.