



# **Il ruolo e coinvolgimento del paziente nella ricerca clinica**

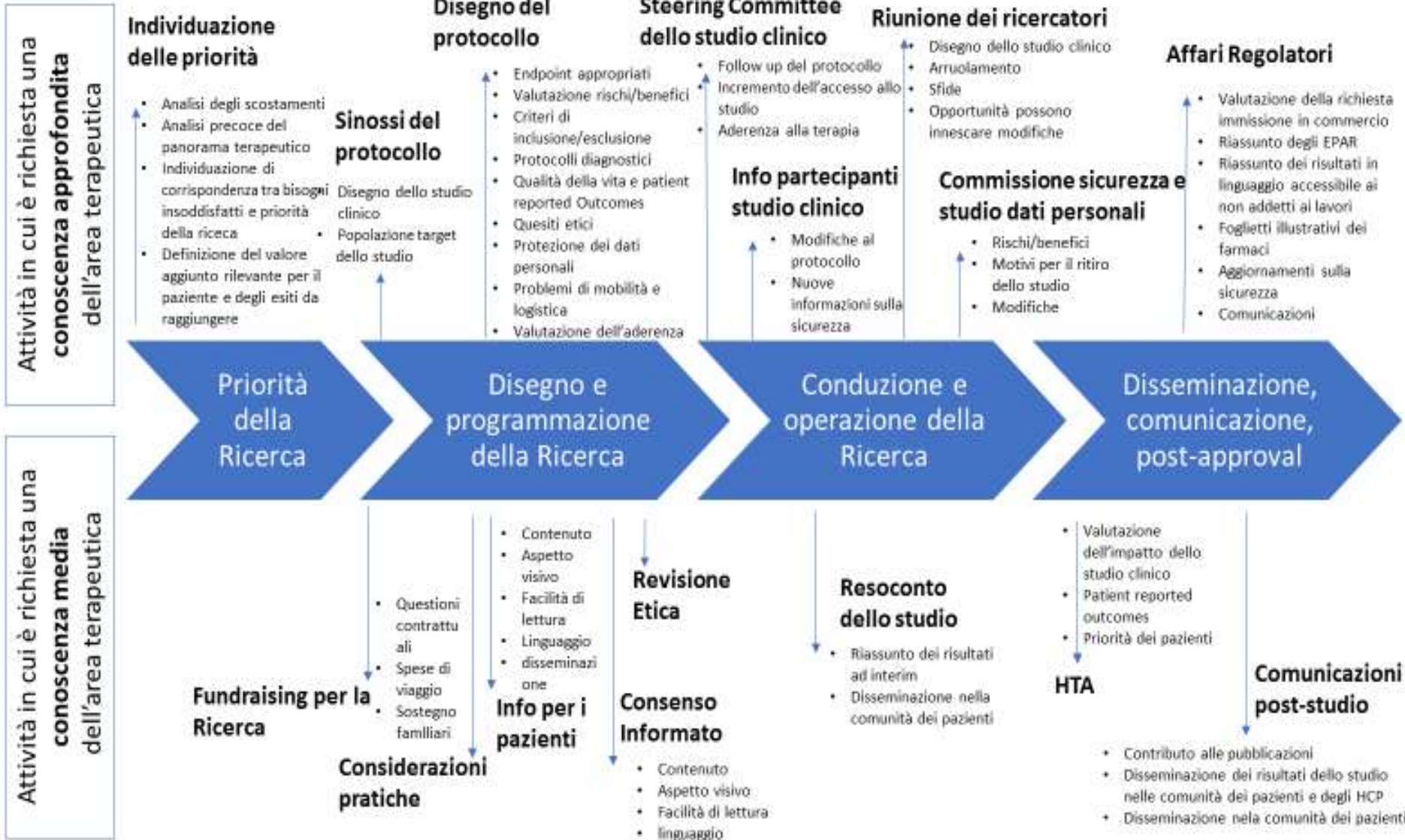
**Paola Kruger, Paziente Esperto, EUPATI Fellow  
7 Aprile 2018**

# L'evoluzione del paziente: da end user a protagonista



- I pazienti più di tutti comprendono la specifica malattia e i suoi molteplici aspetti, così come vivono in prima linea lo stato attuale delle cure e della sanità italiana in generale.
- I pazienti sarebbero felici di contribuire in maniera positiva alla sperimentazione clinica e partecipare al disegno del Protocollo, alla preparazione dei consensi informati, comitati etici, marketing authorization, definizione dei prezzi, politiche sanitarie, tuttavia mancano della preparazione necessaria per partecipare alla pari
- I Pazienti Esperti formati sono in grado di contribuire a tutti gli aspetti di uno studio clinico proponendo la visione del paziente in maniera scientifica e competente

# Coinvolgimento dei pazienti nelle sperimentazioni cliniche



# Dove e perché il coinvolgimento del Paziente Esperto può avere un impatto significativo nella ricerca clinica



- Il Paziente Esperto nei Clinical Trials:
  - 1- Protocollo/ Definizione degli “unmet needs”
  - 2- Reclutamento/Partecipazione
  - 3- Comitato Etico
  - 4- Consenso informato
  - 5- Patient Reported Outcomes
  - 6- Health Technology Assessment

# 1- Definizione degli “unmet needs”



- Facciamo le domande giuste?
  - Es: Oncologia
    - Oncologo focus 5 anni di sopravvivenza in più
    - Paziente focus qualità della vita e aspetto fisico
- Suggestimenti:
  - Focus Group iniziale per decidere a quali quesiti dare risposta
  - Paziente come Co-Investigator

## 2- Partecipazione ad un Clinical Trial



- Rendere la logistica e lo svolgimento più semplice aumenta l'aderenza al Protocollo e riduce il numero di abbandoni (drop-outs)
- Se il CT non è correttamente spiegato il reclutamento diventa difficile. Versione con linguaggio a misura di paziente
- Case Study: ProtecT (Prostate Testing for Cancer Treatment)

# Case Study: ProtecT (Prostate Testing for Cancer Treatment)



- Gli arruolatori non hanno spiegato bene le incertezze riguardo al trattamento e non hanno presentato bene le opzioni per cui il braccio non trattato era descritto come “vigile attesa” che i pazienti hanno interpretato come “aspettano che io muoia”.
- La descrizione è stata cambiata in “monitoraggio attivo” e la percentuale di reclutamento è passata da 40% a 70%

# 3-Comitato Etico



- I pazienti hanno spesso visioni diverse e sono in molti casi disposti a correre più rischi.
- La presenza dei Pazienti Esperti nel Comitato Etico è particolarmente importante nel caso di studi adattativi che spesso hanno un disegno complesso e che non possono prescindere dall'opinione del paziente.



## 4- Consenso Informato



- Circa il 30% dei partecipanti di un Clinical Trial non comprende alcuni dei concetti base, come la possibilità di effetti collaterali.
- Necessità di Consensi Informati più “snelli”.
- Suggerimento: insieme al documento legale fornire un riassunto con linguaggio a misura di paziente in cui sono specificati i punti di fondamentale interesse

## 5- Patient Reported Outcomes (PROs)

- Esiti riferiti dal paziente, cioè valutazioni che vengono dal paziente senza interpretazione del clinico.
- Per essere utili devono essere pertinenti e adeguatamente validati (objective metrics).
- Devono valutare la qualità della vita e lo stato di funzionalità.
- Tuttavia, molti PROs si limitano a raccogliere informazioni di interesse per i clinici senza valutare impatti fondamentali sulla vita dei pazienti che solo essi sono in grado di cogliere

During the past week:

17. Have you had diarrhea?

Not at All	A Little	Quite a Bit	Very Much
---------------	-------------	----------------	--------------

1	2	3	4
---	---	---	---

18. Were you tired?

1	2	3	4
---	---	---	---



- **Below exemplary quotes how cancer patients describe Fatigue/being tired. Are these descriptions reflected in the item?**
- *“And so you mentioned being tired. Can you describe that a little bit? A: Oh, it’s like being pregnant. It’s debilitating. It’s just like – it’s just like being pregnant. The first three term – first trimester. Except you’re not pregnant. **It’s that fatigue, the deep fatigue.** And you need sleep, and it’s not really enough no matter what you do”*
- *“So, you're just so **extraordinarily fatigued** that you just – you can't even – **you can't lift your hand**”*
- *“And I just – I don’t even know – like **I just felt tired all the time, and so I would read for a little bit and then I would nap.** I’d read and I’d nap.”*
- *“No tired – like – actually, tired like after you have a baby tired. Like, holy shit, **I am so wiped out I can't move.** Yeah.”*
- *“I’d walk maybe for four minutes and I’d say, sorry guys, I have to sit down. **It was that bad. It was that dramatic. And so I just remember the incredible fatigue.**”*

# 6- Health Technology Assessment

- E' giusto decidere sulla rimborsabilità di un farmaco senza coinvolgere i Pazienti?
- I Pazienti possiedono conoscenze, prospettive e esperienza che sono uniche e contribuiscono a fornire evidenze essenziali per il processo di HTA
- Case Study: Distrofia di Duchenne
- Modello NICE

# Grazie per l'attenzione!



[www.eupati.eu](http://www.eupati.eu)

[www.accademiadeipazienti.org](http://www.accademiadeipazienti.org)