



“Perché è necessario coinvolgere i pazienti nella ricerca sui farmaci?”

**Paola Kruger, Paziente Esperto, EUPATI Fellow
8 Novembre 2018**

Il ruolo tradizionale del paziente...



*"When we want your opinion,
we'll give it to you."*

“Quando vorremo la sua opinione gliene daremo una!”

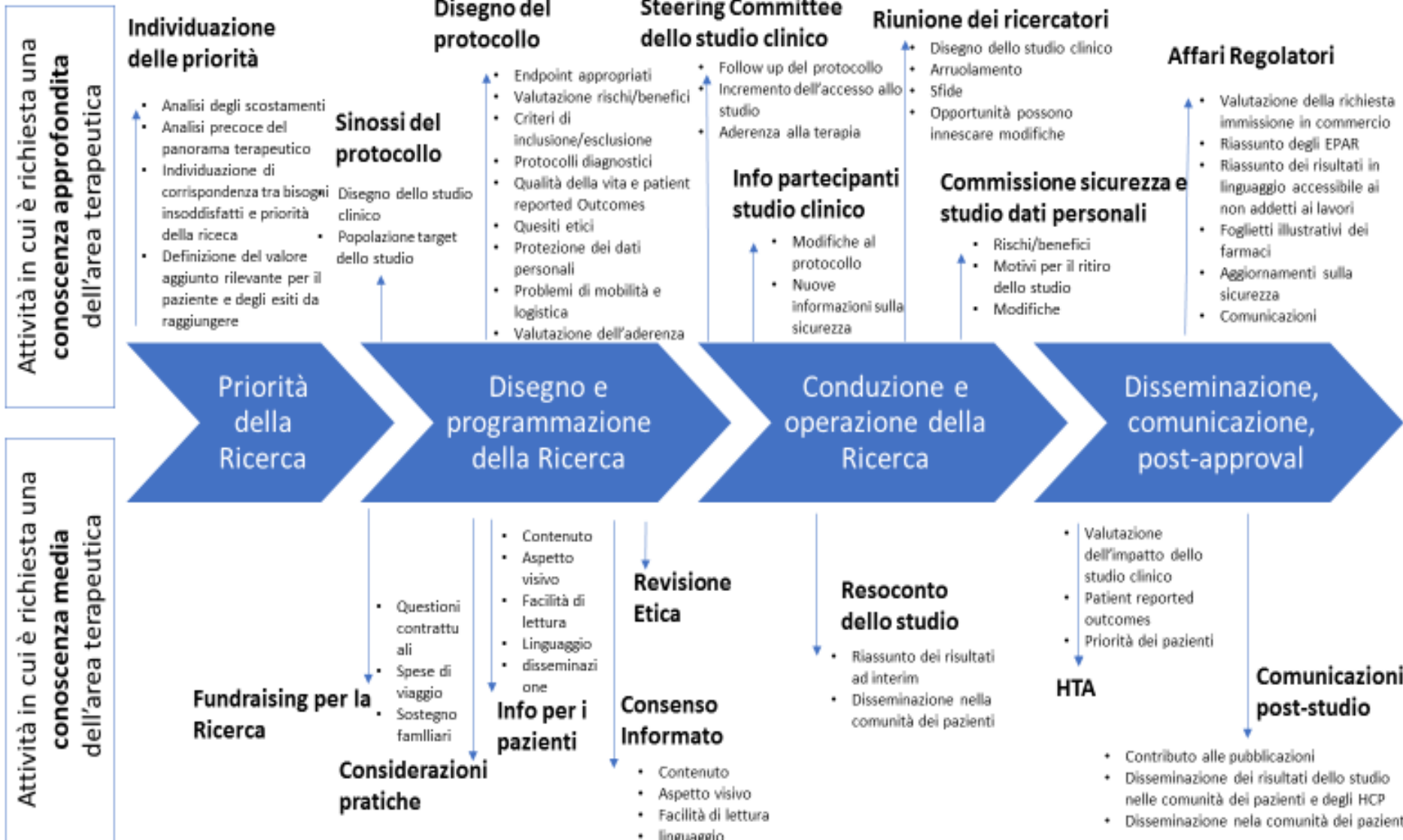
L'evoluzione del paziente: da end user a protagonista



Legge 3/2018 Lorenzin e Regolamento europeo 536/2014 prevedono un sempre maggiore coinvolgimento dei pazienti nelle sperimentazioni cliniche

- I pazienti più di tutti comprendono la specifica malattia e i suoi molteplici aspetti.
- I pazienti desiderano essere protagonisti e contribuire in maniera positiva al proprio percorso di cura e alla sperimentazione clinica, tuttavia spesso mancano della preparazione necessaria per partecipare alla pari.
- Spesso ci si limita a coinvolgere il paziente in maniera “tokenistica”, presupponendo che non sia in grado di comprendere o contribuire ai processi.
- Ruolo del Paziente Esperto.

Coinvolgimento dei pazienti nelle sperimentazioni cliniche



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

1. Definizione degli “unmet needs”
2. Feasibility
3. Partecipazione ad un clinical trial
4. Patient Reported Outcomes

1-Definizione degli “unmet needs”



- Si fanno le domande giuste?

Es: Oncologia

- Focus oncologo: anni di sopravvivenza in più
- Focus paziente: qualità della vita e aspetto fisico
- In un lavoro su *Seminars in Hematology* pubblicato nel 1999 veniva posta la medesima domanda sia ai clinici che ai pazienti affetti da patologia neoplastica avanzata: ‘è più importante trattare il dolore o la *fatigue*?’.
- La risposta fornita da oncologi ed ematologi per oltre il 90% era stata ‘il dolore’; mentre oltre 50% dei pazienti aveva risposto la ‘*fatigue*’.

- L'identificazione e la soddisfazione di un bisogno potrebbero avere priorità diverse per i pazienti, rispetto ai clinici.
- Far emergere quello che è il bisogno prioritario del paziente anche nel disegno di un trial è fondamentale per il successo di una sperimentazione clinica.

Suggerimenti:

- Focus Group iniziale per decidere a quali quesiti dare risposta
- PE nei Patient Advisory Board

2-PE e feasibility: quale ruolo?



- La feasibility di uno studio clinico non è solo appannaggio degli sperimentatori.
- Se il protocollo non è condiviso con i pazienti, si rischia di avviare una sperimentazione con un disegno troppo complicato, che si traduce in un follow-up di difficile gestione.
- Risultato: il paziente non sarà compliant con il protocollo o, peggio ancora, uscirà dallo studio (drop-out).
- Il Paziente Esperto è in grado di fornire una serie di informazioni riguardo al Protocollo, evidenziando disegni troppo complicati e quindi difficoltà nel follow-up (es: studi adattativi).

3-Partecipazione ad un Clinical Trial



- Se il Protocollo non è correttamente spiegato, il reclutamento diventa difficile.
- Spiegare ai pazienti i “diritti e doveri” della partecipazione ad un trial permette di avere un minor numero di abbandoni.
- Prevedere un feedback per i pazienti riguardo alla loro partecipazione ad una sperimentazione.
- È importante avere una versione del Protocollo con linguaggio a misura di paziente (lay language summary)

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%.

4- Patient Reported Outcomes (PROs)



- Esiti riferiti dal paziente senza interpretazione del clinico
- Nel Febbraio 2018 JAMA ha pubblicato lo SPIRIT-PRO, vere e proprie istruzioni per l'uso per includere nel protocollo dei trial clinici la voce dei pazienti
- Ottobre 2018, la European Society for the Study of Diabetes nelle sue nuove linee guida afferma che le *patient preferences* devono diventare un fattore importante nella scelta del farmaco
- Ruolo del Paziente Esperto

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.**”*

Policy Review

Incorporating the patient experience into regulatory decision making in the USA, Europe, and Canada

Paul G Kluetz, MD  , Daniel J O'Connor, PhD, Katherine Soltys, MD

Published: May 2018

•Vi è consenso unanime dagli enti regolatori internazionali che la misurazione accurata dell'esperienza diretta del paziente può completare le valutazioni di efficacia e sicurezza dell'attuale processo autorizzativo dei medicinali.

Key Messages:



- I pazienti formati sono in grado di contribuire in maniera attiva alla sperimentazione clinica. Investire nella formazione dei pazienti in ambito ricerca e sviluppo dei farmaci porta benefici a tutti gli stakeholder
- Coinvolgere i pazienti come partecipanti attivi di uno studio permette di avere farmaci più in linea con le reali esigenze dei pazienti e quindi con percentuali di aderenza più alte
- Se vogliamo avere pazienti più coinvolti sul tema delle sperimentazioni dobbiamo dar loro voce

Grazie per l'attenzione!



www.eupati.eu