

FESTIVAL DELLA SCIENZA MEDICA IL TEMPO DELLA CURA

DAL 3 AL 6 MAGGIO 2018 - BOLOGNA



VENERDÌ 4 MAGGIO, ORE 16.00

AULA DELLE CONFERENZE SOCIETÀ MEDICA CHIRURGICA DI BOLOGNA
(PALAZZO DELL'ARCHIGINNASIO, PIAZZA GALVANI, 1)

“PAZIENTE ESPERTO E PATIENT ENGAGEMENT”.
COME EVOLVONO I RUOLI DEL PAZIENTE
NELLA RICERCA SUL FARMACO?

A CURA DELLA: FONDAZIONE SMITH KLINE

RENZA BARBON GALLUPPI, STEFANO MAZZARIOL, GIUSEPPE RECCHIA

Un paziente è «esperto»

Per sé?

Per alcuni?

Oppure per tutti?

Alcuni spunti di riflessione.

Stefano Mazzariol

Accademia dei pazienti – Eupati Italia

Cosa può fare il paziente nella ricerca?

Definizione delle priorità e dei bisogni insoddisfatti.

Definizione dei criteri di inclusione e di esclusione, individuare strumenti per il reclutamento (per es.: registri di pazienti).

Collaborare nella definizione delle scale di valutazione e di outcome.

Definizione di outcome efficaci e di PRO scientificamente solidi.

Collaborare nel disegno dello studio clinico e nell'elaborazione del protocollo.

Individuare criticità per l'aderenza allo studio e stabilire strategie per la retention.

Partecipazione attiva negli steering committee e negli investigators' meeting.

Collaborare nella stesura e nella revisione della modulistica per il consenso informato.

Partecipare alla definizione e alla revisione di norme e linee guida.

Partecipare attivamente alla revisione etica dello studio, ai tavoli regolatori e alle procedure di HTA.

Ma quale «paziente»?

Attività quali quelle indicate richiedono competenze specifiche di alto livello in tutti gli aspetti correlati alla ricerca scientifica: normative, procedure, linee guida, etica e principi regolatori.



E' quindi necessario che i pazienti attivi in simili attività acquisiscano una particolare *expertise* (= competenza) di alto livello, devono essere quindi dei *pazienti «ESPERTI»* sugli aspetti legati alla ricerca scientifica, in possesso quindi di competenze che possono derivare solamente da **una specifica attività di studio e di comprensione** su queste tematiche fondamentali.
Serve quindi una **specifico formazione che trascende dalla singola patologia.**

REGOLAMENTO (UE) N. 536/2014 DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO
del 16 aprile 2014

sulla sperimentazione clinica di medicinali per uso umano e che abroga la direttiva 2001/20/CE

- (18) La facoltà di stabilire quali siano l'organismo o gli organismi appropriati ai fini della valutazione della domanda di autorizzazione a condurre una sperimentazione clinica e di organizzare la partecipazione dei comitati etici entro i termini per l'autorizzazione a detta sperimentazione clinica previsti nel presente regolamento dovrebbe essere lasciata allo Stato membro interessato. Tali decisioni rientrano nell'organizzazione interna di ciascuno Stato membro. In sede di determinazione dell'organismo o degli organismi appropriati **gli Stati membri dovrebbero assicurare la partecipazione di persone non addette ai lavori, in particolare di pazienti o di organizzazioni di pazienti. Essi dovrebbero altresì assicurare la disponibilità delle competenze necessarie.** In base agli orientamenti internazionali la valutazione dovrebbe essere tuttavia effettuata congiuntamente da un numero ragionevole di persone **collettivamente in possesso delle qualifiche e dell'esperienza necessarie.** Le persone incaricate di valutare la domanda dovrebbero essere indipendenti dal promotore, dal sito di sperimentazione clinica e dagli sperimentatori coinvolti, nonché esenti da qualsiasi indebito condizionamento.

Anche il legislatore, quindi, prende atto dell'importanza che i pazienti abbiano un ruolo attivo e centrale anche nei processi autorizzativi della sperimentazione clinica, ma va anche oltre, aggiungendo la raccomandazione che debba essere assicurata **la presenza delle opportune competenze** e che i partecipanti siano «in possesso delle **qualifiche e dell'esperienza** necessarie».



Anche in questo caso, quindi, la sola componente esperienziale e/o di auto-apprendimento **non può essere ritenuta sufficiente** per partecipare alle attività dei comitati etici a tutela dei pazienti, ma si ravvede la necessità anche di una componente di studio **di tipo «accademico» generale e certificabile** di conoscenze specifiche sui processi di R&S in ambito medico-scientifico e di tutti i vari aspetti che ne fanno parte (procedurale, etico, etc...).

Un nuovo fattore determinante:

Affinché un paziente possa...

...contribuire efficacemente
nelle attività di ricerca

E' NECESSARIA

...tutelare efficacemente la
comunità dei pazienti

E' NECESSARIA

FORMAZIONE



Trasversalità: requisito minimo nella formazione dei P.E.

Basata su corsi di tipo «simil-accademico» possibili in diverse modalità, come per esempio in e-learning e/o face-to-face, ma con **verifiche di corretta comprensione** e acquisizione dei concetti.

Completa di tutti gli aspetti coinvolti nella R&S in ambito farmacologico e di terapie innovative (procedure, norme, etica, processi regolatori, post-regolatori e HTA).

Basata su materiale preparato e validato da un consorzio che raggruppi una platea di stakeholder **quanto più ampia possibile**, a garanzia di obiettività e completezza degli argomenti trattati, inclusa l'industria quale portatrice di conoscenze ed esperienze nella R&S.

Trasversale e indipendente dalle singole branche di patologia, in modo da fornire una preparazione generale utile e funzionale per interagire a tutti i livelli di engagement, inclusi i tavoli autorizzativi/regolatori, i cui membri sono fissi per i periodi di tempo stabiliti.

Preparazione trasversale consente **altre forme di partecipazione** ad attività correlate, quali revisioni di articoli scientifici e della validità di uno studio, attività di formazione su pazienti, stesura di materiale informativo, norme, linee guida, e altro.

Un Paziente «Esperto»

Un paziente (o caregiver) che, partendo da un'esperienza di malattia propria o di un familiare, abbia affrontato un percorso di formazione con tali caratteristiche, e che **decida di mettere competenze ed esperienze a servizio della comunità**, diventa contemporaneamente:



Garanzia per sponsor, comitati etici, Istituzioni ed enti regolatori di interagire con un rappresentante della comunità dei pazienti in possesso delle **qualifiche**, delle **competenze** e dell'**esperienza** utili a portare un contributo efficace.



Garanzia per la comunità dei pazienti di essere rappresentata ai vari livelli e nei vari tavoli (inclusi quelli autorizzativi e regolatori) da figure con la **preparazione adeguata** ad affrontare le diverse tematiche.

Un paziente al massimo grado di «expertise» dovrebbe possedere gli strumenti per poter rappresentare sé stesso e la *comunità dei pazienti con la sua stessa malattia*, sicuramente, ma contemporaneamente anche **tutti gli altri pazienti** indipendentemente dalla specifica branca di patologia, compresi i «potenziali» pazienti, quindi di fatto **la popolazione generale**.

Condizioni fondamentali su cui lavorare



Definizione di «regole di ingaggio» trasparenti e condivise:

- Norme e linee guida per stabilire il coinvolgimento e la rappresentanza dei pazienti a tutti i livelli;
- Individuare e regolamentare i conflitti di interesse;
- Certificazione e riconoscimento istituzionale dei Pazienti Esperti.