

# **Come dare priorità alle aree di incertezza della ricerca del SSN**

Alessandro Liberati

*Centro Cochrane Italiano*

XI Riunione Annuale Cochrane

Istituto Superiore di Sanità

Roma, 28 Novembre 2006

# Contenuto della presentazione

- Una premessa
- Cercare meccanismi espliciti di definizione delle priorità: mèta o illusione?
- Alcune esperienze (un campione non esaustivo)
- Qualche appunto conclusivo

# Una premessa

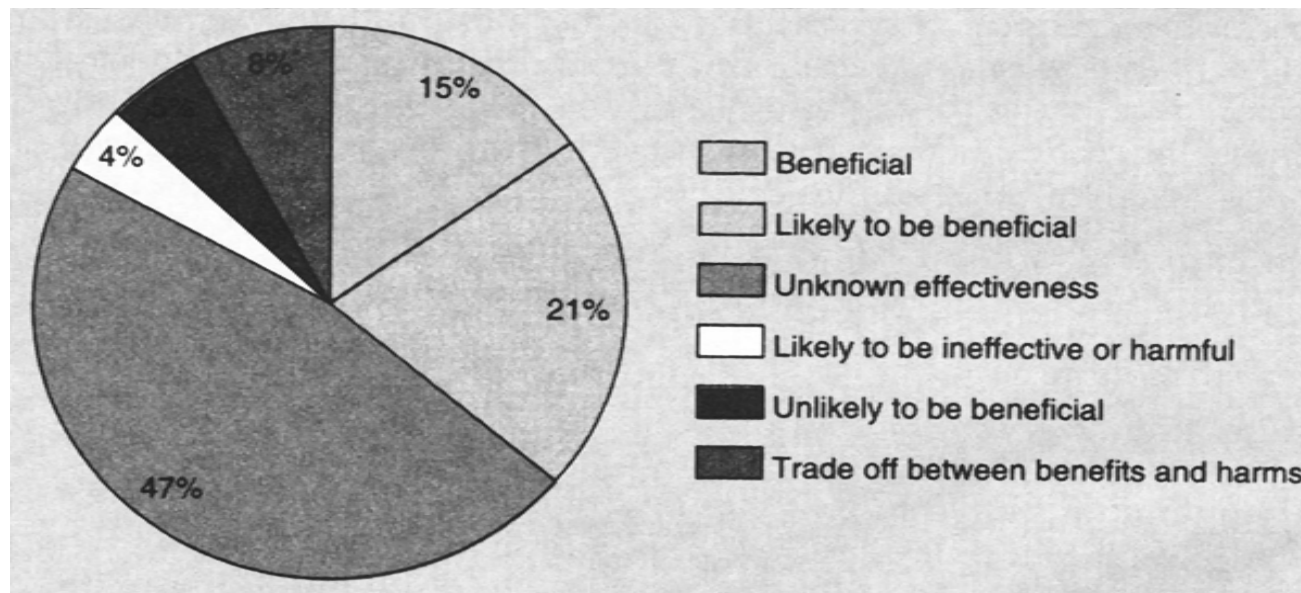
- L' agenda della ricerca sanitaria non è costruita a partire dalle domande che interessano ai pazienti, agli operatori sanitari ed ai cittadini a causa dell' influenza degli interessi commerciali e dell' incapacità etica e culturale del mondo della ricerca di resistere alle pressioni del mercato

**Articoli selezionati  
sulla rivista  
*Evidence-Based Medicine***

<b>Tipo di intervento</b>	<b>No. (%) articoli selezionati</b>
Farmaci	103 ( <b>53.6</b> )
Terapia Fisica	20 (10.4)
Interventi educativi	17 (8.9)
Chirurgia	14 (7.3)
Interventi nutrizionali	9 (4.6)
Interventi psicologici	8 (4.2)
Interventi compositi	5 (2.6)
Medicina complementare	3 (1.6)
Vaccini	1 (0.5)
Altro	12 (6.3)

# L'epidemiologia della efficacia degli interventi

<b>Beneficial</b>	Interventions for which effectiveness has been demonstrated by clear evidence from RCTs, and for which expectation of harms is small compared with the benefits.
<b>Likely to be beneficial</b>	Interventions for which effectiveness is less well established than for those listed under "beneficial".
<b>Trade off between benefits and harms</b>	Interventions for which clinicians and patients should weigh up the beneficial and harmful effects according to individual circumstances and priorities.
<b>Unknown effectiveness</b>	Interventions for which there are currently insufficient data or data of inadequate quality.
<b>Unlikely to be beneficial</b>	Interventions for which lack of effectiveness is less well established than for those listed under "likely to be ineffective or harmful".
<b>Likely to be ineffective or harmful</b>	Interventions for which ineffectiveness or harmfulness has been demonstrated by clear evidence.





House of Commons  
Health Committee

---

# **The Influence of the Pharmaceutical Industry**

---

**Fourth Report of Session 2004–05**

*Volume I*



House of Commons

Health Committee

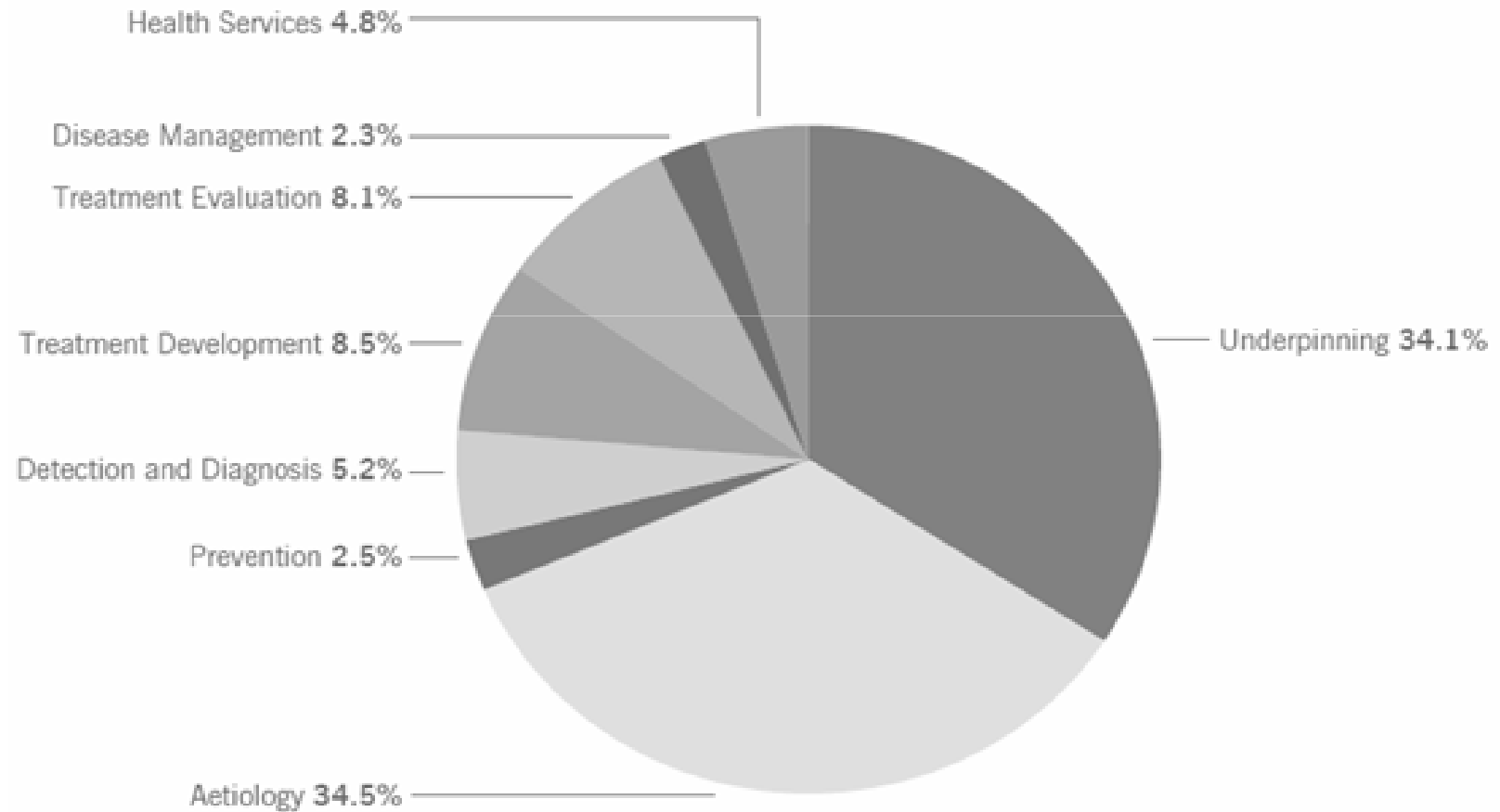
**328. Areas of research that are not of direct interest to the pharmaceutical industry but may significantly benefit patients, such as non-pharmacological treatments, should be funded by Government.**

# L'epidemiologia della ricerca in UK 2004-2005





# L'epidemiologia della ricerca in UK 2004-2005



Fonte: UK Clinical Research Collaboration 2006 - UK Health Research Analysis: London UKCRC

Commentary

Open Access

## Materializing research promises: opportunities, priorities and conflicts in translational medicine

John PA Ioannidis\*<sup>1,2</sup>

Address: <sup>1</sup>Department of Hygiene and Epidemiology, University of Ioannina School of Medicine, Ioannina 45110, Greece and <sup>2</sup>Department of Medicine, Tufts University School of Medicine, Boston, MA 02111, USA

Email: John PA Ioannidis\* - [jiannid@cc.uoi.gr](mailto:jiannid@cc.uoi.gr)

\* Corresponding author

Published: 31 January 2004

Received: 29 December 2003

*Journal of Translational Medicine* 2004, 2:5

Accepted: 31 January 2004

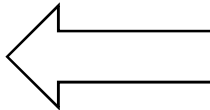
This article is available from: <http://www.translational-medicine.com/content/2/1/5>

© 2004 Ioannidis; licensee BioMed Central Ltd. This is an Open Access article: verbatim copying and redistribution of this article are permitted in all media for any purpose, provided this notice is preserved along with the article's original URL.

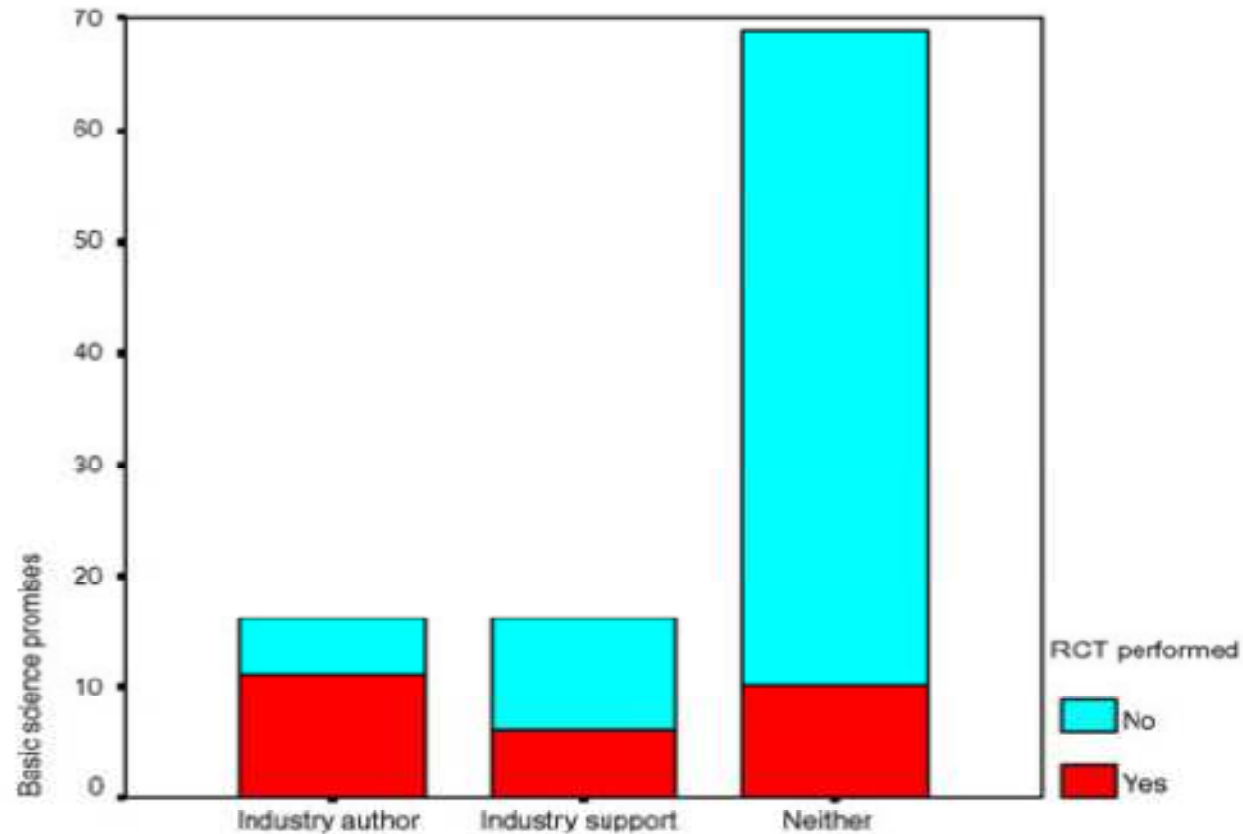


### Abstract

There is considerable evidence that the translation rate of major basic science promises to clinical applications has been inefficient and disappointing. The deficiencies of translational science have often been proposed as an explanation for this failure. An alternative explanation is that until recently basic science advances have made oversimplified assumptions that have not matched the true etiological complexity of most common diseases; while clinical science has suffered from poor research practices, overt biases and conflicts of interest. The advent of molecular medicine and the recasting of clinical science along the principles of evidence-based medicine provide a better environment where translational research may now materialize its goals. At the same time, priority issues need to be addressed in order to exploit the new opportunities. Translational research should focus on diseases with global impact, if true progress is to be made against human suffering. The health outcomes of interest for translational efforts need to be carefully defined and a balance must be struck between the subjective needs of healthcare consumers and objective health outcomes. Development of more simple, practical and safer interventions may be as important a target for translational research as the development of cures for diseases where no effective interventions are available at all. Moreover, while the role of the industry is catalytic in translating research advances to licensed interventions, academic independence needs to be sustained and strengthened at a global level. Conflicts of interest may stifle translational research efforts internationally. The profit motive is unlikely to be sufficient alone to advance biomedical research towards genuine progress.



# Non è tutto oro quel che luccica....



**Figure 1**

Translation of basic science promises after two decades: number of promises resulting or not in at least one randomized controlled trial (RCT) according to whether an industry author was involved in the original basic science publication, the industry was involved in some other way (offering acknowledged financial support or providing the technology under testing), or there was no acknowledged industry involvement at all. Data are from ref [8].

# **Dalla “premessa” derivano due problemi principali**

- I ricercatori non si occupano delle domande vere che nascono dalla pratica clinica
- I ricercatori affrontano le domande giuste ma nel modo sbagliato

OMERACT 7 Workshop

## Incorporating the Patient Perspective into Outcome Assessment in Rheumatoid Arthritis — Progress at OMERACT 7

JOHN R. KIRWAN, SARAH E. HEWLETT, TURID HEIBERG, ROD A. HUGHES, MAGGIE CARR, MAGGIE HEHIR, TORE K. KVIEN, PATRICIA MINNOCK, STANTON P. NEWMAN, ENID M. QUEST, ERIK TAAL, and JANNEY WALE

**Patients and professionals view the outcome of rheumatoid arthritis differently**

**Many outcomes that patients find important are not measured at all by researchers**

## **John Kirwan and Enid Quest**

James Lind Alliance meeting, 3 Dec 2005  
[see [www.lindalliance.org](http://www.lindalliance.org)]

**Priority symptom for research emerging  
from a survey of patients was not pain**

# **New drugs for Alzheimer's disease – A consumer perspective**

Julia Cream and Harry Cayton.

CPD Bulletin Old Age Psychiatry 2001;2:80-82.

# **Gli outcome nel trattamento delle demenze**

## **Ricercatori**

- Miglioramento di 3+ punti nella ADCog
- Posticipo della istituzionalizzazione
- Mantenimento della autonomia funzionale (ADLs))

## **Pazienti**

- Miglioramento del tono dell'umore
- Miglioramento del senso di autostima
- Riduzione dell'ansia e del senso di inadeguatezza

## **Carers/familiari**

- Riduzione dei comportamenti "problematici"
- Riduzione dell'ansia
- Miglioramento del rapporto sonno/veglia



**E' necessario migliorare la  
capacità di analizzare le aree di  
incertezza a partire dalle  
conoscenze disponibili**

# Dall'interno della Cochrane Library

(2530 RS nel numero 4 del 2005, L Clarke et al. JHSRP 2006, in press )

Tutte le revisioni Cochrane contengono una sezione "Implications for research" ed una "Implications for practice"

Quali suggerimenti emergono?

- **2075 (82.0%) uno specifico intervento**
- **765 (30.2%) una specifica categoria di pazienti**
- **1315 (51.9%) di studiare uno specifico end point (esito)**
- **429 (16.9%) discutono tutti e tre gli aspetti**
  
- **82 (3.2%) dicono che non è necessaria ulteriore ricerca**
- **295 (11.6%) non dicono nulla in proposito**
  
- **100 (3.9%) citano esplicitamente studi in corso**
- **151 (6.0%) dichiarano esplicitamente che si tratta di risultati che andranno aggiornati od ampliati**

**Alcuni possibili azioni per ri-orientare la ricerca sanitaria**

# Alcune necessarie azioni per potenziare e ri-orientare la ricerca sanitaria

- Rafforzare la ricerca sanitaria definendone gli ambiti e le responsabilità rispetto agli altri tipi di ricerca pre-clinica e biomedica
- Sostegno alla ricerca “indipendente”  
(che deve però essere anche “trasparente”)
- Integrare l’attività di ricerca con quella assistenziale e di formazione

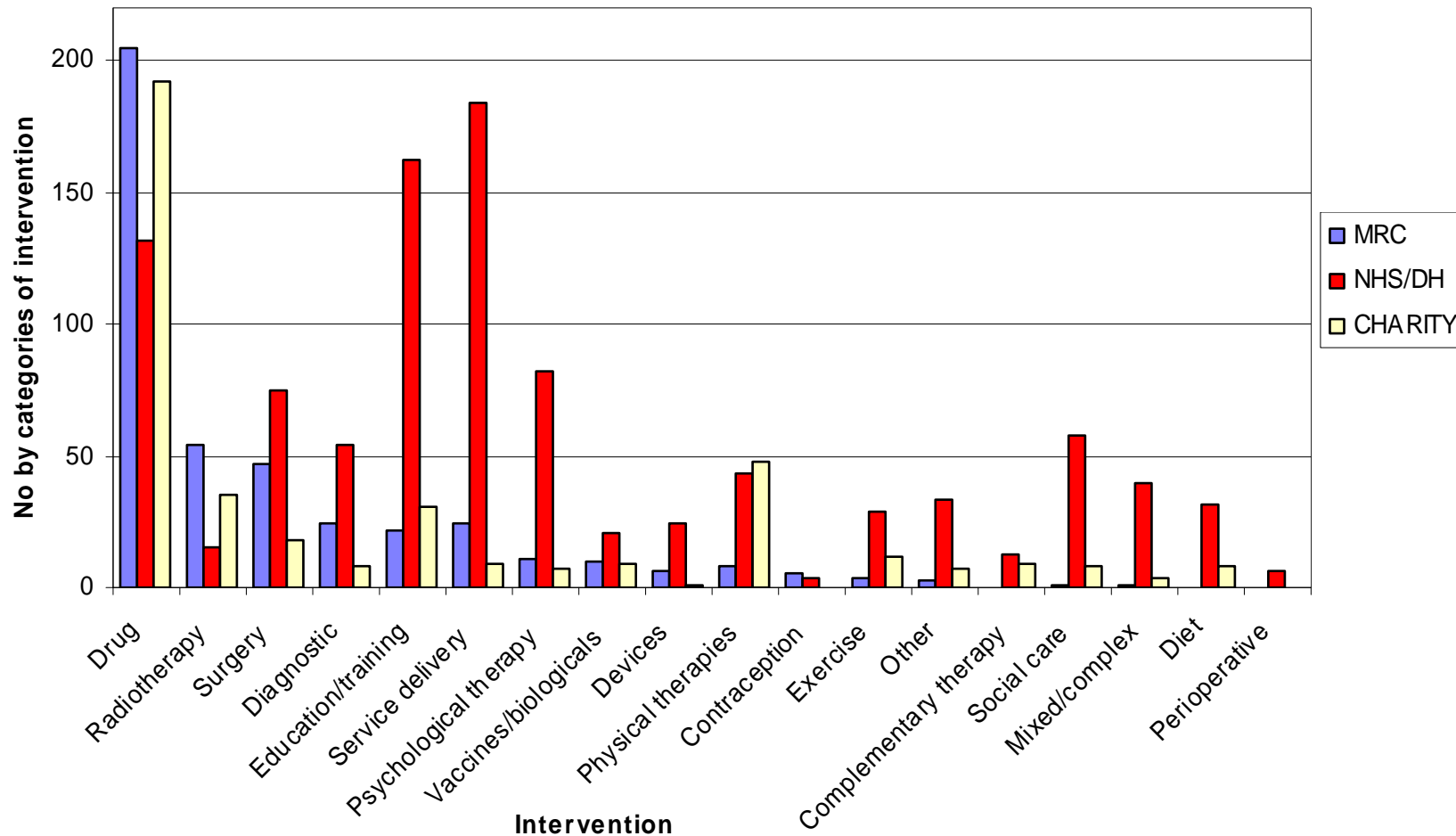
# **1. A livello di sistema**

# A livello di sistema

- Rafforzare la ricerca sanitaria definendone gli ambiti e le responsabilità per il finanziamento
- Introdurre elementi di *trasparenza* nella scelta dei temi
- Censimento della ricerca finanziata ed integrazione esplicita tra le diverse agenzie di finanziamento a livello nazionale

# Come si può ri-orientare l'agenda di ricerca

Numbers of randomized controlled trials starting between 1980 and 2002, by main category of funder and type of intervention

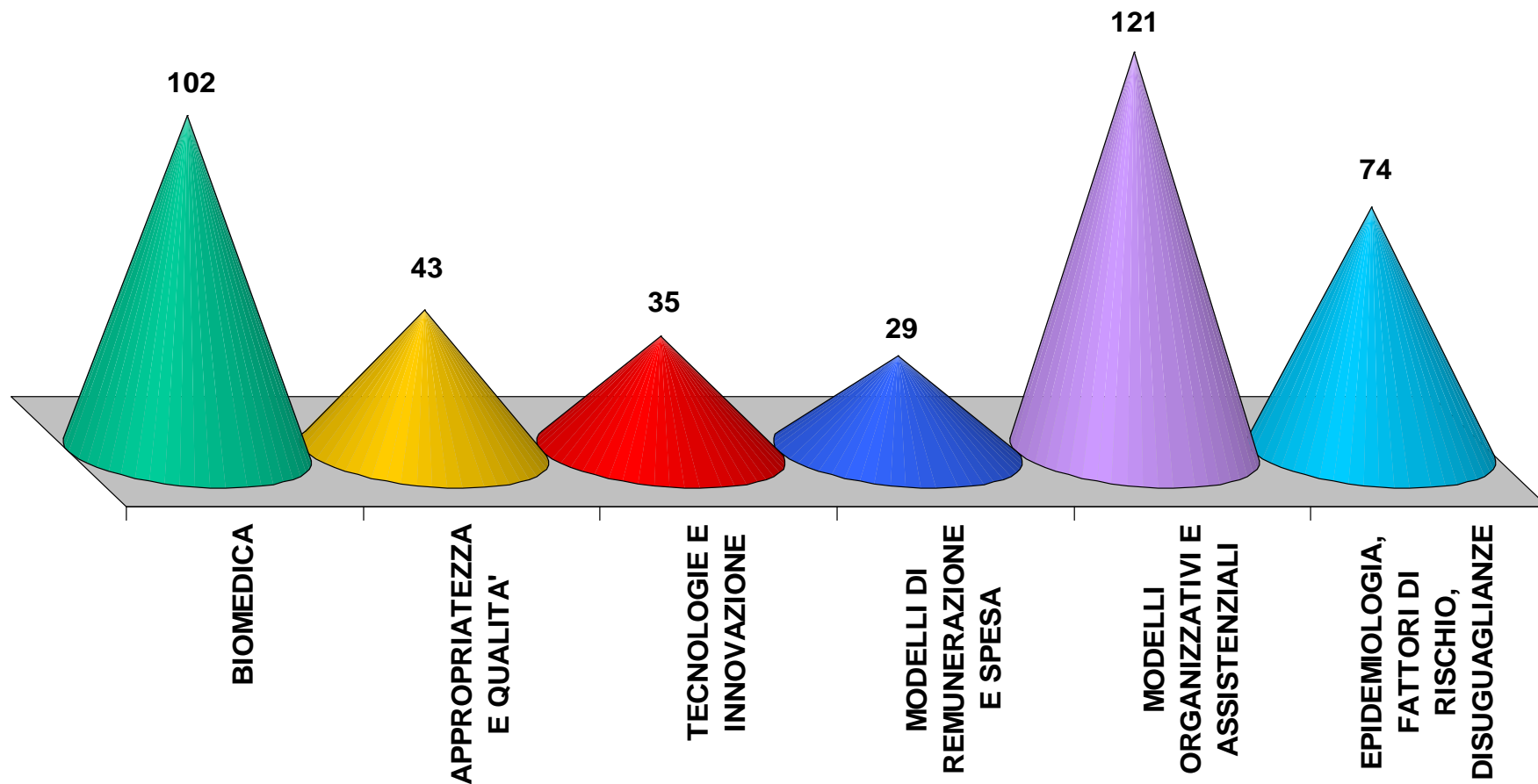


# **L'epidemiologia complessiva della ricerca in Italia**

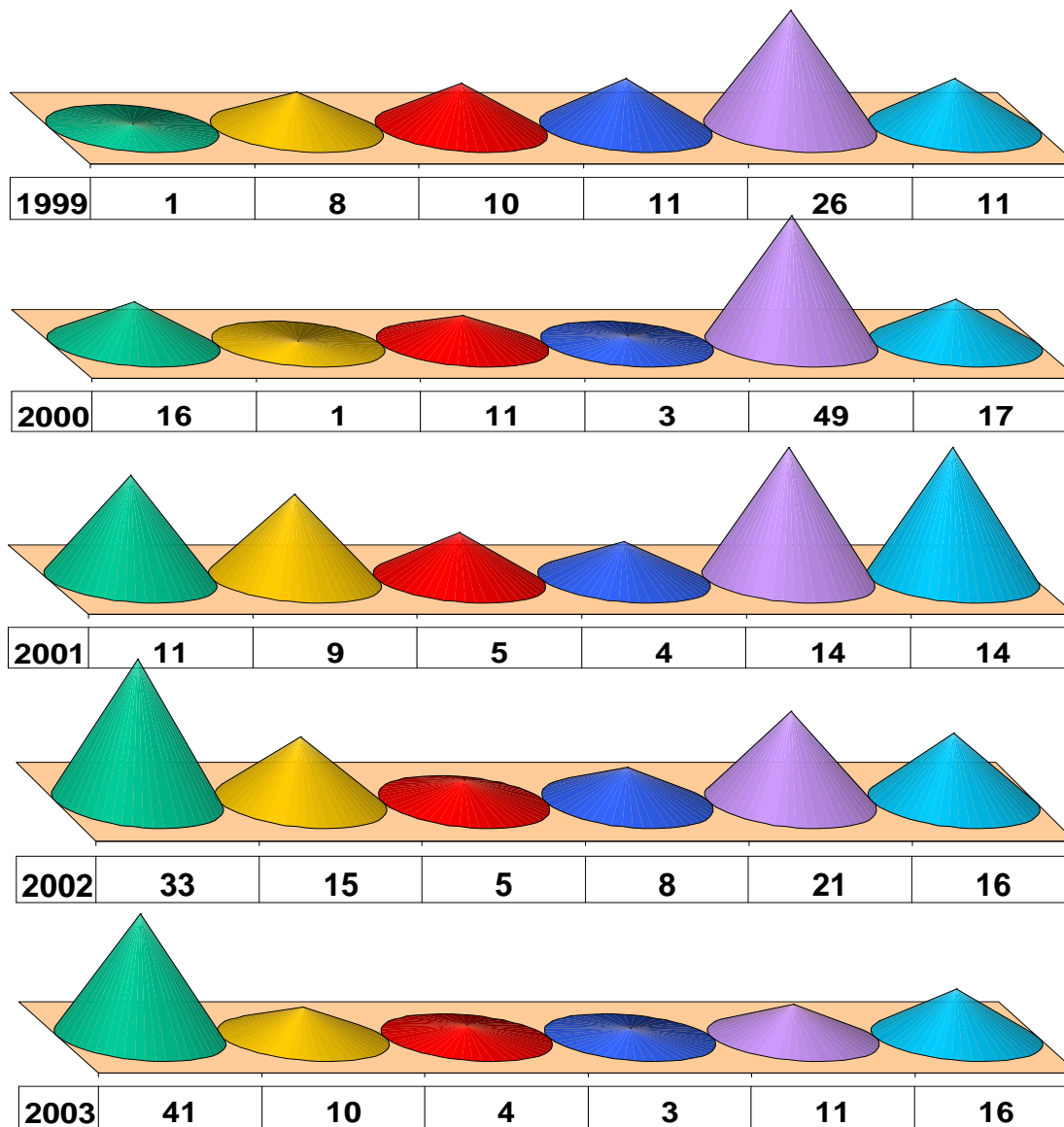
**?**



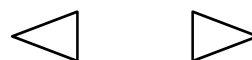
# Totale progetti suddivisi per tematiche dal 1999 al 2003



Indice



-  BIOMEDICA
-  APPROPRIATEZZA E QUALITÀ
-  TECNOLOGIE E INNOVAZIONE
-  MODELLI DI REMUNERAZIONE E SPESA
-  MODELLI ORGANIZZATIVI E ASSISTENZIALI
-  EPIDEMIOLOGIA, FATTORI DI RISCHIO, DISUGUAGLIANZE



Indice

# **Consumer involvement in NHS Health Technology Assessment programme**

*Consulting consumers*

# Consulting consumers about...

- **Suggestions for research topics**
  - **via www, face-to-face, affiliate organisations**
  - **Supported with help sheets**
  - **Research topic briefings**
    - **Telephone, email and fax**
    - **Supported with help sheets**
  - **Research proposals**
    - **by post/ www**
    - **Supported with detailed guidelines for consumer peer reviewers**

# NHS HTA Programme

- What research is needed?
  - Identifying research topics
- What research is most important?
  - Prioritising and clarifying research questions
- Which research team can do the best work?
  - Peer review of research proposals

**Coinvolgimento dei pazienti e degli  
operatori sanitari nella definizione delle  
priorità in Italia**

**?**

## **2. A livello di ricerca/intervento**

# **DUETs**

## **The Database of Uncertainties about the Effects of Treatments**

**Iain Chalmers**, coordinator

**Mark Fenton**, editor

**Hazim Timimi**, software design

**Patricia Atkinson**, secretariat

An initiative of the  
**National Therapeutic Ignorance Service**



## Database of Uncertainties about the Effects of Treatments (DUETs): *A resource to help prioritise new research*

### What is DUETs?

The *Database of Uncertainties about the Effects of Treatments* (DUETs) has been established in the UK to publish uncertainties that cannot currently be answered reliably by referring to up-to-date systematic reviews of existing research evidence. Systematic reviews are based on worldwide searches for reliable, relevant evidence, analysed using methods to reduce biases and the play of chance. More detailed information about systematic reviews and fair tests of the effects of medical treatments is available in the [\*James Lind Library\*](#).

DUETs draws on three main sources to identify uncertainties about the effects of treatments:

- patients', carers' and clinicians' questions about the effects of treatments
- research recommendations in reports of systematic reviews and clinical guidelines
- ongoing research, both systematic reviews in preparation and new 'primary' studies

DUETs does **not** include unanswered questions about the frequency, causes and diagnosis of health problems.

# **Harvesting and publishing uncertainties about the effects of treatments**

- Patients', carers' and clinicians' unanswered questions
- Research recommendations
- Information about ongoing research

# Esempi di domande identificate dal DUET

## Questions asked by carers: page 1 of 2

Does advice to parents for children with asthma on allergen avoidance help avoid asthma attacks?

My daughter who has been diagnosed with asthma only seems to become wheezy when she takes her steroid inhaler. Should this be happening?

Does allergen avoidance work in asthma?

Is it safe to use steroids in children under two with asthma? What are the side effects and will I damage my child in the long term?

What are the benefits of continuing to use medication, over experiencing side-effects for children with mild asthma?

If doctors cannot diagnose asthma in children under 2, what is the most appropriate treatment?

If my child, who has asthma, is poorly but on medication, should I send him to school?

What is the optimum dosage of oral steroids in children with asthma?

My 18 month-old child has very unstable asthma. What is the best treatment?

## Database of Uncertainties about the Effects of Treatments (DUETs): *A resource to help prioritise new research*

Search for (topic **Asthma** which has health condition codes *Respiratory diseases: Asthma*)

<b>Patients' questions (8)</b>	Carers' questions (18)	Clinicians' questions (11)	Research recommendations (41)	Ongoing research (6)
--------------------------------	------------------------	----------------------------	-------------------------------	----------------------

# Le domande per la ricerca poste dai pazienti

## Questions asked by patients: page 1 of 1

What is the value of complementary medicines such as Buteyko method for people with asthma?

Will how I position myself to get to sleep help improve my asthma?

Are there any complementary therapies or supplements that help in asthma?

What is the value of using inhaled steroids continuously, versus a short course of oral steroids when the need arises if one doesn't have regular asthma attacks?

Is continuous medication beneficial for my asthma if I don't have symptoms?

Is it really necessary to take preventative medication if I only have mild asthma?

Is it better to inhale steroids rather than take them as tablets?

Will exercise affect my asthma?

# Le domande per la ricerca poste dai pazienti (II)

***Will how I position myself to get to sleep help improve my asthma?***

Record type	Questions asked by patients
Source	DUETs Editorial team
Why is there uncertainty?	No relevant systematic reviews identified
What is needed?	Systematic reviews
Systematic reviews that need updating or extending	<i>None identified</i>
Systematic reviews in preparation	<i>None identified</i>
Ongoing controlled trials	<i>None identified</i>

# Progetto - PartecipaSalute

*Sperimentare iniziative:*

- per orientare le **associazioni di cittadini & pazienti** ad un confronto sui temi della assistenza sanitaria
- per orientare le **organizzazioni professionali e scientifiche** ad un rapporto di condivisione delle aspettative di cittadini & pazienti su ricerca clinica e diffusione conoscenze scientifiche

**Le tre parole chiave del progetto**

**Conoscenza**

***Empowerment***

***Partnership***

# Articolazione del progetto

## Conoscenza

➔ Raccolta dati (indagini, riunioni, ...) con il coinvolgimento delle associazioni di pazienti & cittadini e delle organizzazioni professionali e scientifiche

## Empowerment

➔ Messa a punto di strumenti per aumentare i livelli di conoscenza sulla ricerca clinica e sul trasferimento delle informazioni sulla salute mirati a partecipare e decidere consapevolmente

## Partnership

➔ Realizzazione di corsi sperimentali di “coinvolgimento diretto” delle associazioni di pazienti & cittadini

➔ Discussione, studio e realizzazione di iniziative congiunte tra associazioni di pazienti & cittadini e organizzazioni professionali e scientifiche



# Il sito: [www.PartecipaSalute.it](http://www.PartecipaSalute.it)



Il portale sulla salute per partecipare e decidere consapevolmente

chi siamo progetto - project

## LE RUBRICHE

**Miti da sfatare**  
[Il peperoncino picca ma non brucia](#)

**Medicina e interesse**  
[I rapporti finanziari tra industria farmaceutica e associazioni di pazienti](#)

**L'incertezza della medicina**  
[Psicologia cognitiva vs psicanalisi](#)

**Storie di partecipazione**  
[In prima persona contro la psoriasi](#)

**Il buon sito della settimana**  
[Resource Bank: una nuova banca dati on-line del Cochrane Consumers and Communication Review Group](#)

**Trial al setaccio**  
[Melanoma: e se bastasse la biopsia del linfonodo sentinella?](#)

**Decisioni condivise**  
[La comunicazione: il segreto di una consultazione efficace](#)

**Cure: utili, inutili, non si sa**  
[Cure per il tumore della pelle](#)

**Pillole sì, pillole no**  
[Atenololo/colecalciferolo](#)

**Storie di collaborazione**  
[Conferenze di consenso sulla disabilità da grave cerebrolazione acquisita](#)

## LA NOTIZIA ILLUSTRATA



## LE NOSTRE ATTIVITA' >>

Ⓢ [Clinical trial day: per una ricerca clinica etica e trasparente](#)  
On line gli interventi dei relatori

Ⓢ [Costruire un ruolo per i pazienti nella ricerca e nel percorso di cura](#)  
On line gli interventi dei relatori

## I TUOI DIRITTI >>

Ⓢ [Farmaci da banco anche senza farmacia. Il conteso «pacchetto Bersani»](#)  
Ecco le principali norme e le relative ricadute sui consumatori

## INFORMATI BENE >>

Ⓢ [Esame a tappeto per l'epatite C? No grazie!](#)  
I medici di famiglia prendono posizione contro la campagna di sensibilizzazione sull'epatite C

Ⓢ [Cos'è l'eccezionismo diagnostico e come si fronteggia](#)  
Prevenire è meglio che curare? Un convegno per chiarire pro e contro della diagnosi precoce

## PARTECIPA ALLA RICERCA >>

Ⓢ [Perché gli studi clinici vanno registrati?](#)  
Commenti sull'importanza di aprire al pubblico i registri delle sperimentazioni

## LE ASSOCIAZIONI >>

Ⓢ [Lo European Patients'Forum rappresenta gli interessi dei pazienti o dell'industria?](#)  
In un articolo sulla rivista Ricerca&Pratica, Health Action International critica la mancanza di trasparenza del Forum europeo dei pazienti

Ⓢ [Industria farmaceutica e associazioni di pazienti](#)  
Nascono norme di trasparenza e manuali di buona condotta per regolamentare questo rapporto

## GLI STRUMENTI

**NEWSLETTER: Iscriviti**

**SPAZIO PARITA**

**IL MISURATESTI**  
[Il «miracolo cinese» delle staminali](#)

**IL MISURASITI**

**IL MISURASALUTE**

**IL MISURASSOCIAZIONI**

**IL GENERATORE DI COMUNICATI STAMPA**

**IL GLOSSARIO DELLA RICERCA CLINICA**

**LA BANCA DATI**  
Publicazioni su esperienze di coinvolgimento di pazienti e cittadini

## IL CALENDARIO DELLE MALATTIE

Oggi 04.10.2006  
non ci sono  
eventi  
da segnalare.



**L'approfondimento sulla Giornata mondiale della celiachia >>**

**Vai alle altre giornate >>**

## GLI EVENTI IN CORSO >>

Progetto realizzato con il sostegno della

**COMPAGNIA**  
di San Paolo

Ultimo aggiornamento: 19 settembre 2006

# PartecipaSalute 2007: lo spazio Parita

**Nel terzo anno di attività si realizzerà lo “Spazio PARITA” a cui le associazioni potranno rivolgersi per discutere lo sviluppo di progetti di ricerca indipendente**

Incontri informali con piccoli gruppi di rappresentanti di associazioni al fine di individuare e discutere i nodi critici di assistenza come vengono percepiti dai malati e le aree grigie di conoscenza

Selezione di alcuni argomenti pilota, coinvolgimento delle società scientifiche

Costituzione gruppo di lavoro multidisciplinare per:

- mettere a punto un metodo che consenta di trasformare esperienze aneddotiche di malattia in quesiti di ricerca formali
- definire protocolli di ricerca da sottoporre a finanziatori istituzionali

# CONCLUSIONI

- Migliorare la capacità di indirizzo della ricerca sanitaria è una necessità ineludibile per dare senso alle informazioni che vengono prodotte
- E' necessario creare le condizioni perché gli “utilizzatori veri” dei risultati di questa ricerca possano esprimere le loro priorità
- Questo percorso deve svilupparsi attraverso alcuni *progetti dimostrativi* di ricerca-intervento e, al tempo stesso, attraverso la sperimentazione di specifiche modalità di *prioritarizzazione* all'interno dei programmi nazionali di ricerca