

Incertezza, "pazienti esperti", ricerca

claudio.castegnaro@fondazioneparacelso.it



Fondazione Paracelso

Roma, 28 novembre 2006



Incertezza dal punto di vista dei pazienti

L'attenzione è soprattutto sul rapporto medico paziente, sulla partecipazione a trial clinici, sull'accesso alle (nuove) terapie.

Le associazioni dei pazienti e dei loro familiari cercano di intervenire su più piani:

- **informando** attraverso servizi come numeri verdi, newsletter, sito web
- **puntando a coinvolgere** le persone nel percorso di cura
- **promovendo** eventi e progetti di ricerca
- **finanziando** servizi integrativi a quanto assicurato dal SSN.



Incertezza e priorità: alcune esperienze estere

Il coinvolgimento dei pazienti nella elaborazione dell'agenda è una realtà.

- Consumer in NHS research - INVOLVE (UK)
- National Breast Cancer Coalition (USA) ed Europa Donna
- Athena Institute con la ricerca su Asma e BPCO (NL)
- European AIDS Community Advisory Board
- European Platform for Patients' Organizations, Science and Industry EPPOSI.

Sono esperienze che configurano le persone ammalate quali **expert patient**.



Incertezza e priorità: alcune esperienze italiane

In Italia incontriamo ancora poche iniziative specifiche e organizzazioni capaci di agire su più piani di intervento.

- il Laboratorio di **CittadinanzAttiva** sulle malattie croniche www.cittadinanzattiva.it
- il Progetto **PartecipaSalute** dell'Istituto Mario Negri www.partecipasalute.it
- L'Associazione Italiana contro le **Leucemie** con i programmi ADI www.ail.it
- Lega Italiana per la lotta contro l'AIDS in particolare con **Icab** www.lila.it



In ritardo, perché?

Le difficoltà che identifichiamo sono rilevanti:

- carenza informativa da parte dei pazienti e dei loro rappresentanti
- mancanza di cultura/sensibilità
- organizzazioni minime e rivolte maggiormente all'assistenza
- diffidenza del mondo medico
-



L'emofilia come caso paradigmatico

Le persone con emofilia sono *esperte* perché hanno a che fare con una malattia del sangue, rara, genetica, cronica, con ottime possibilità terapeutiche (domiciliari).

Possono contare su una rete di centri specialistici e una rete associativa sviluppatasi a partire dalla fine degli anni '60 e oggi coordinata da una Federazione.



Dei primi risultati

L'azione associativa nel mondo dell'emofilia sta cogliendo dei risultati significativi per quanto riguarda:

- **informazione** (siamo presenti dal 1996 sul web con il sito www.fedemo.it, il Congresso Triennale dei Problemi Clinici e Sociali dell'Emofilia è co-organizzato)
- **temi e domande** poste ai medici e ai ricercatori (ad esempio l'importanza di minimizzare il rischio di insorgenza di inibitori)
- **servizi integrativi** come il servizio di consulenza genetica per donne portatrici di emofilia e di assistenza riproduttiva per coppie sierodiscordanti
- **ricerca fondi** per finanziare la ricerca clinica e i progetti sociali (nel 2004 è stata costituita la **Fondazione Paracelso**).



Terapia dell'emofilia e incertezza

Prendiamo in considerazione il caso della revisione sistematica pubblicata nel 2005:

"Clotting factor concentrates given to prevent bleeding and bleeding-related complications in people with hemophilia A or B".

(Stobart K, Iorio A, Wu JK, Cochrane Library, 7 feb. 2006)



Plain language summary

*"The role of clotting factor concentrate prophylaxis in people with severe hemophilia A or B is **unclear**."*





Authors' conclusions

...“There is **insufficient evidence** from randomised controlled trials **to determine whether prophylactic clotting factor concentrates decrease bleeding** and bleeding-related complications in hemophilia A or B, compared to placebo, on-demand treatment, or prophylaxis based on pharmacokinetic data from individuals.

Well-designed RCTs are needed to assess the effectiveness of prophylactic clotting factor concentrates. Two clinical trials are ongoing”.



Conseguenze?

Da più parti si pensò che la revisione rischiava di:

- 1. portare conseguenze immediate sui pazienti** (cfr. gli allarmi della National Hemophilia Foundation negli Stati Uniti ove operano le compagnie assicurative)
- 2. rendere più difficile introdurre innovazione** (cfr. il Giappone dove la profilassi non è ancora autorizzata).

In realtà, a distanza di un paio d'anni il "sistema salute" non sembra aver tenuto conto dello studio. **Perché?**

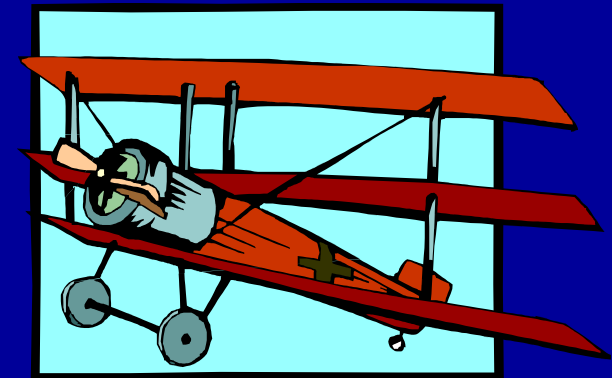


Una critica e una provocazione

La revisione dà un risultato negativo, ma le *implications for practice* non considerano la plausibilità biologica dell'approccio terapeutico, il largo consenso tra i clinici e i feed-back dei pazienti.

Viaggi pericolosi ?

Parachute use to prevent death and major trauma related to gravitational challenge: systematic review of randomised controlled trials [Smith and Pell, BMJ 2003].

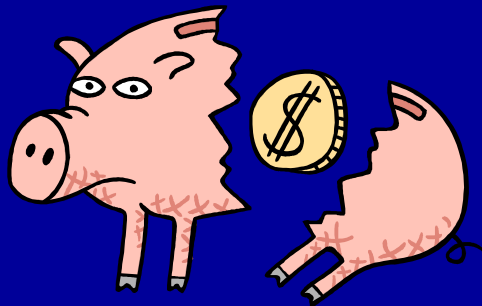


**Se è forte la plausibilità,
allora non c'è grande incertezza!**



Piste per l'azione (1)

E' proponibile un coinvolgimento della associazione dei pazienti nel percorso di elaborazione di una revisione?



E' noto che la ricerca è in mano all'industria.

L'emofilia, oltre tutto, è una patologia che assicura ai produttori di farmaci un alto valore aggiunto.

Occorrono risorse indipendenti e nuovi soggetti finanziatori si sono attivati (es. AIFA con criteri di selezione dei progetti trasparenti e condivisi).



Piste per l'azione (2)

All'associazione dei pazienti interessa avere voce sulle priorità di ricerca e percorrere campi che sono poco rilevanti (...forse pericolosi) per altri attori del "sistema salute".

Occorre fare ricerca anche sugli approcci integrati alla malattia, non solo sui farmaci (es. lo studio portoghese sui benefici dell'attività motoria in piscina, relegato in una sessione sociale del convegno WFH Siviglia 2002).



Emofilia e scenari futuri

La **Fondazione Paracelso** ha cominciato a operare assicurando delle prime **borse di studio** a giovani medici. Sta collaborando con AICE e Istituto Superiore di Sanità al fine di costruire un nuovo **Registro epidemiologico nazionale**.

Stiamo co-organizzando un **meeting a livello europeo** che vedrà riuniti medici, funzionari amministrativi e referenti associativi su un complesso di temi legati alle politiche sanitarie (www.ehc-parma2007.org)

In futuro dovremo elaborare **criteri** condivisi di priorità per erogare i finanziamenti e lavorare molto sulle **condizioni** a cui svolgere gli studi (interessante lo Spazio Parita di IRFMN).



Limiti

Il discorso fin qui affrontato si iscrive nel quadro di una patologia **cronica che rappresenta tutte le caratteristiche proposte da OMS**

(in particolare il paziente ha un contatto costante con il servizio sanitario; la patologia tende a sviluppare un tasso di disabilità variabile se non curata adeguatamente; richiede una formazione speciale per una corretta gestione).

Quali percorsi di coinvolgimento sono proponibili per altri tipi di patologie?



Una questione di diritti

Tra i 14 diritti sanciti dalla **Carta Europea dei Diritti del Malato** ve ne sono alcuni che sono assolutamente da presidiare.

E' significativo che si possano incrociare delineando dei nodi che riguardano anche l'incertezza.

Trattamento personalizzato, terapia globale
Innovazione, ricerca

Accesso, Piani Diagnostico Terapeutici
Rispetto di standard di qualità,
Accreditamento dei Centri specialistici

[Rapporto di CittadinanzAttiva sulla Cronicità, 2006]