



Pazienti PROtagonisti per la Salute di tutti: un manifesto per includere la loro voce nelle decisioni su ricerca clinica e percorsi regolatori. Con i Patient Reported Outcomes si possono migliorare i percorsi di cura e supportare la sostenibilità del Sistema Salute.

La sostenibilità del Sistema Sanitario non può prescindere dal coinvolgimento dei Pazienti, della Comunità scientifica, ma anche delle Istituzioni tecniche e politiche.

Ascoltare la voce del paziente con misurazioni condivise e validate, traducendo i dati in indicazioni concrete può portare benefici nelle decisioni di politica sanitaria a vantaggio di tutto il Sistema.

Il gruppo di lavoro

Il gruppo PRO4all nasce nel luglio del 2021 con l'obiettivo di comprendere quale fosse l'impatto della voce del paziente nella ricerca clinica e nei percorsi regolatori dei farmaci autorizzati.

Il gruppo è composto dall'Associazione Italiana di Miologia (AIM), dall'Associazione Italiana Oncologia Medica (AIOM), dall'Associazione Italiana Sclerosi Multipla (AISM), dalla Federazione Italiana delle Associazioni di Volontariato in Oncologia (FAVO), dalla Federazione dei Gruppi Cooperativi Oncologici Italiani (FICOG), dalla Società Italiana di Neurologia (SIN), dalla Federazione Italiana Malattie Rare (UNIAMO) e dall'Università SDA Bocconi con il supporto incondizionato di Roche.

Cosa sono i Patient Reported Outcome e come si misurano

La definizione più comune di Patient Reported Outcome (PRO) è quella della Food and Drug Administration (FDA), ovvero "qualsiasi dato sullo stato di salute del paziente che proviene direttamente dal paziente stesso, senza l'interpretazione del clinico o di altre figure". Anche l'EMA definisce un PRO come "qualsiasi risultato valutato direttamente dal paziente stesso e basato sulla percezione da parte del paziente di una malattia e del suo trattamento".

La misurazione dei PRO avviene attraverso strumenti, scale e questionari, nell'insieme chiamati Patient-reported outcome measures (PROMs) che, combinati con i dati clinici, forniscono un quadro più completo dello stato di salute del paziente. La raccolta di questi dati consente di ottenere la prospettiva della persona che vive la malattia riguardo a un determinato trattamento, andando aldilà del dato clinico di sicurezza ed efficacia tradizionalmente misurato dagli sperimentatori, e raccogliendo quindi le istanze riferite agli aspetti intangibili del benessere della persona: funzionamento fisico e cognitivo, burden sociale e benessere psichico ed emotivo.

Lo studio ed analisi, che il gruppo di lavoro ha portato avanti negli anni si è focalizzato sul ruolo dei PROs e PROMs nelle valutazioni degli enti regolatori, EMA ed AIFA, in un orizzonte temporale degli ultimi cinque anni (2017- 2022), generando diverse pubblicazioni scientifiche e comunicazioni a congressi di settore.

I risultati, al momento, evidenziano una presenza crescente dell'uso dei PROs nei documenti EPARs (European Public Assessment Reports) e nelle decisioni di AIFA in particolare relative ai farmaci innovativi.

Il Manifesto: l'appello alle istituzioni in 6 punti *(vedi immagine qui di seguito)*

Ad oggi, l'esperienza europea e americana sulla tematica è più consolidata rispetto a quella italiana, infatti l'Agenzia Italiana del Farmaco non dispone ancora di linee guida dedicate o meccanismi strutturati di coinvolgimento delle Associazioni Pazienti e delle Società Scientifiche nei lavori regolatori.

Con queste premesse il gruppo di lavoro ha stilato un manifesto in 6 punti come appello alle Istituzioni.

1. Aggiornare delle linee di indirizzo dell'AIFA in merito alla compilazione del dossier di prezzo e rimborso dei farmaci, per includere le segnalazioni dei PROs specifici per patologia.
2. Prevedere la presenza e la partecipazione attiva dei rappresentanti delle associazioni dei pazienti nella governance dell'AIFA, traendo esempio dalle best practice consolidate a livello europeo.
3. Sensibilizzare il mondo della ricerca clinica, la comunità scientifica, i comitati etici nazionali e territoriali e le Istituzioni sull'importanza di dare la massima diffusione agli esiti riferiti dai pazienti tramite Patient-Reported Outcomes Measures (PROMs), che misurano le condizioni dei pazienti al di là del dato clinico di efficacia e sicurezza, come condizione fisica e cognitiva, burden sociale, benessere psichico ed emotivo.
4. Promuovere una convergenza tra i protagonisti delle varie aree terapeutiche circa l'identificazione e la standardizzazione dei PROMs specifici per patologia, al fine di avviare una maggiore armonizzazione della disciplina.
5. Sfruttare ogni veicolo normativo utile per divulgare il tema dei PROs e promuoverne l'uso sistematico nel SSN, per esempio dando seguito a documenti programmatici e agli atti istituzionali in cui è segnalato il tema del coinvolgimento delle associazioni di pazienti nel percorso di cura e nei processi regolatori (es. Piano Oncologico Nazionale, mozioni e risoluzioni parlamentari).
6. Investire in iniziative di ricerca clinica e cura che abbiano l'obiettivo di validare l'uso di strumenti di eHealth per facilitare l'adozione di PROMs nella ricerca, nelle sperimentazioni e nella gestione clinica.

Manifesto integrale con firme delle istituzioni



L'appello alle istituzioni:

- Aggiornare le linee guida dell'Agenzia Italiana del Farmaco riguardo alla compilazione del dossier di prezzo e rimborso per includere la necessità di raccolta e segnalazione dei PRO specifici per patologia e promuovere l'impiego degli stessi nella prassi dell'AIFA.
- Prevedere la presenza e la partecipazione attiva di rappresentanti delle associazioni di pazienti nelle strutture della futura governance dell'AIFA, traendo esempio da alcune best practice consolidate a livello europeo, e promuoverne il confronto con le istituzioni, anche recependo position paper, ricerche ed esperienze consolidate di patient engagement.
- Sensibilizzare il mondo della ricerca clinica, la comunità scientifica, i comitati etici nazionali e territoriali e le istituzioni sull'importanza di dare la massima diffusione agli esiti riferiti dai pazienti tramite Patient-Reported Outcomes Measures (PROMs), attraverso anche l'implementazione degli strumenti informatici necessari alla loro raccolta e utilizzo.
- Promuovere una convergenza tra i protagonisti delle varie aree terapeutiche circa l'identificazione e la standardizzazione dei PROMs specifici per patologia, al fine di promuovere una maggiore armonizzazione della disciplina.
- Dare seguito ai documenti programmatici e agli atti istituzionali in cui è segnalato il tema del coinvolgimento delle associazioni di pazienti nel percorso di cura e nei processi regolatori (es. Piano Oncologico Nazionale, mozioni e risoluzioni parlamentari) e sfruttare ogni veicolo normativo utile per divulgare il tema dei PRO e promuoverne l'uso sistematico nel SSN.
- Investire in iniziative di ricerca clinica e cura che abbiano l'obiettivo di validare l'uso strumenti di eHealth per facilitare l'adozione di PROM nella ricerca, nelle sperimentazioni e nella gestione clinica.

Smorre del 27
Flavio Jull
Elisa Piro
Beate
Renzo
Eleonora Bonetti
Mario
Carla
Coste



SDA Bocconi

Link alle pubblicazioni realizzate dal gruppo di lavoro

[Patient-Reported Outcome Measures in Oncology Drugs Approved by the European Medicines Agency, 2017-2021](#) *JAMA Network Open*. 2023;6(1):e2251564. doi:10.1001/jamanetworkopen.2022.51564

[Patient-reported outcome measures in drugs for neurological conditions approved by European Medicines Agency 2017-2022](#) *Neurological Sciences* <https://doi.org/10.1007/s10072-023-06825-6>

[The development of an archive of patient-reported outcome measures \(PROMs\) in oncology: The Italian PRO4All project](#) *European Journal of Cancer* 207 (2024) 114161

[The Assessment of Patient-Reported Outcomes for the Authorisation of Medicines in Europe: A Review of European Public Assessment Reports from 2017 to 2022](#) *Applied Health Economics and Health Policy* <https://doi.org/10.1007/s40258-023-00827-3>

[Il ruolo degli esiti riferiti dal paziente nelle decisioni di rimborso e innovatività dei farmaci in Italia](#) *Glob Reg Health Technol Assess* 2023; 10: 12-17 ISSN 2283-5733 | DOI: 10.33393/grhta.2023.2514. **Original Research Article**

[https://www.thebreastonline.com/article/S0960-9776\(24\)00148-6/fulltext](https://www.thebreastonline.com/article/S0960-9776(24)00148-6/fulltext)