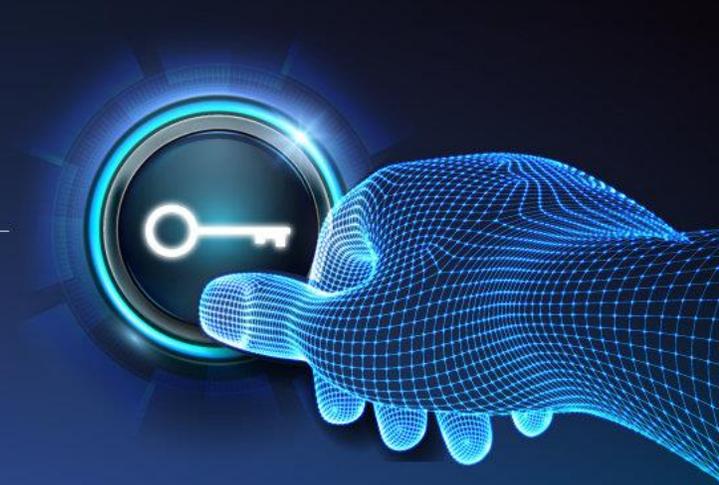


Percorso di perfezionamento
MARKET ACCESS PER LE LIFE SCIENCES
VIII EDIZIONE
10 febbraio - 31 marzo 2022



**Il “paziente esperto” e il coinvolgimento delle associazioni
nei processi istituzionali, regolatori e scientifici relativi alle
politiche farmaceutiche e sanitarie**

Vittorio Gnutti

IL PAZIENTE

Dal latino *patiens*, participio presente di *patio* soffrire, sopportare, resistere.

Fra i vari significati che questa parola ha, il più vicino alla radice sembra essere quello di ambito medico: il **paziente** è il malato in cura da un medico, sofferente proprio in quanto malato.

Il quadrifarmaco di Epicuro sosteneva che se un dolore durava molto, allora era sopportabile ed è proprio la capacità di sopportazione sfoderata dal sofferente a generare il primo significato che ha “paziente” come aggettivo. Il paziente diventa colui che, per disposizione caratteriale o per volontà, affronta con sopportazione disagio e avversità

Il nuovo codice deontologico dei medici, tende a sostituire il “paziente” con la “persona assistita”. L'intenzione è chiara: il ruolo del medico non è solo quello di intervenire a fronteggiare una patologia, ma di assistere con ampio respiro la salute e il benessere delle persone che si rivolgono a lui..

La definizione di **salute** data dall'Organizzazione mondiale della sanità (OMS) è tra le più ampie ed è ampiamente conosciuta. Secondo l'OMS, la salute è:
"Uno stato di benessere fisico, mentale e sociale completo e non la mera assenza di malattie o infermità".

La salute viene tutelata dai **Sistemi Sanitari** dei vari paesi

Il **SSN** Italiano è un sistema di strutture e servizi che hanno lo scopo di garantire a tutti i cittadini l'accesso all'erogazione equa delle prestazioni sanitarie, in attuazione dell'art.32 della Costituzione, che recita:

"La Repubblica tutela la salute come fondamentale diritto dell'individuo e interesse della collettività, e garantisce cure gratuite agli indigenti. Nessuno può essere obbligato a un determinato trattamento sanitario se non per disposizione di legge. La legge non può in nessun caso violare i limiti imposti dal rispetto della persona umana".

I principi fondamentali su cui si basa il SSN Italiano dalla sua istituzione, avvenuta con la legge n.833 del 1978, sono l'universalità, l'uguaglianza e l'equità. (parità di accesso in rapporto a uguali bisogni di salute).

Il SSN deve garantire a tutti qualità, efficienza, appropriatezza e trasparenza del servizio e in particolare delle prestazioni; deve inoltre fornire , da parte del medico, infermiere e operatore sanitario, una comunicazione corretta sulla prestazione sanitaria necessaria per il cittadino e adeguata al suo grado di istruzione e comprensione (consenso informato, presa in carico).

Quattro importanti elementi sono fondamentali per il corretto funzionamento di un SS:
la promozione della salute, la generazione di risorse, il finanziamento e la gestione

Il **Sistema Sanitario** per raggiungere i propri obiettivi si avvale delle **tecnologie sanitarie**. Una tecnologia sanitaria è definita come: "Qualsiasi intervento che può essere utilizzato per promuovere la salute, prevenire, diagnosticare o trattare una malattia oppure per terapie riabilitative o a lungo termine. Sono quindi inclusi prodotti farmaceutici (farmaci), dispositivi, procedure e sistemi organizzativi. Sono tecnologie sanitarie :

- Programmi per la prevenzione delle malattie (ad esempio, programmi di vaccinazione infantile).
- Procedure (come le gli interventi chirurgici).
- Farmaci.
- Dispositivi (apparecchiature o macchinari che forniscono interventi sanitari o assistono in attività della vita quotidiana, come una pompa per l'insulina o un auto-iniettore dell'adrenalina).

IL PAZIENTE VS IL SISTEMA SANITARIO

Paziente :
senso di impotenza
paura e ansia
tristezza
rimpianto
solitudine
senso di colpa

Sistema sanitario :
politiche sanitarie (welfare)
tempistiche /costi
persone (competenze tecniche e umane)
strutture
burocrazia
tecnologie sanitarie

La valutazione delle tecnologie sanitarie (**Health Technology Assessment, HTA**) è un processo multidisciplinare che esamina le conseguenze a breve e a lungo termine dell'utilizzo di una tecnologia sanitaria. Tale processo tenta di riassumere le informazioni riguardanti gli aspetti di carattere medico, sociale, economico ed etico relativi all'utilizzo di una tecnologia sanitaria in maniera sistematica, trasparente, imparziale e affidabile.

L'obiettivo dell'HTA è di contribuire al processo decisionale, fornendo informazioni circa l'impatto di tali potenziali decisioni. Il suo scopo è quello di fornire informazioni a supporto della formulazione di politiche sanitarie sicure ed efficaci che siano centrate sul paziente e cerchino di ottenere il massimo valore. Malgrado i suoi obiettivi legati alle politiche, il processo di HTA deve sempre fondarsi saldamente sulla ricerca e sul metodo scientifico

Al fine di valutare una tecnologia, l'organismo di HTA può richiedere evidenze che riguardano più aspetti, tra cui:

- Il peso della malattia (disease burden).
- Le proiezioni delle tendenze epidemiologiche di una malattia.
- L'efficacia (effectiveness) relativa delle tecnologie.
- Il rapporto costo-efficacia delle tecnologie (occorre sottolineare che non tutti gli organismi di HTA considerano il rapporto costo-efficacia: alcuni si concentrano maggiormente sui benefici clinici aggiunti (valore aggiunto) e sull'impatto sul budget).

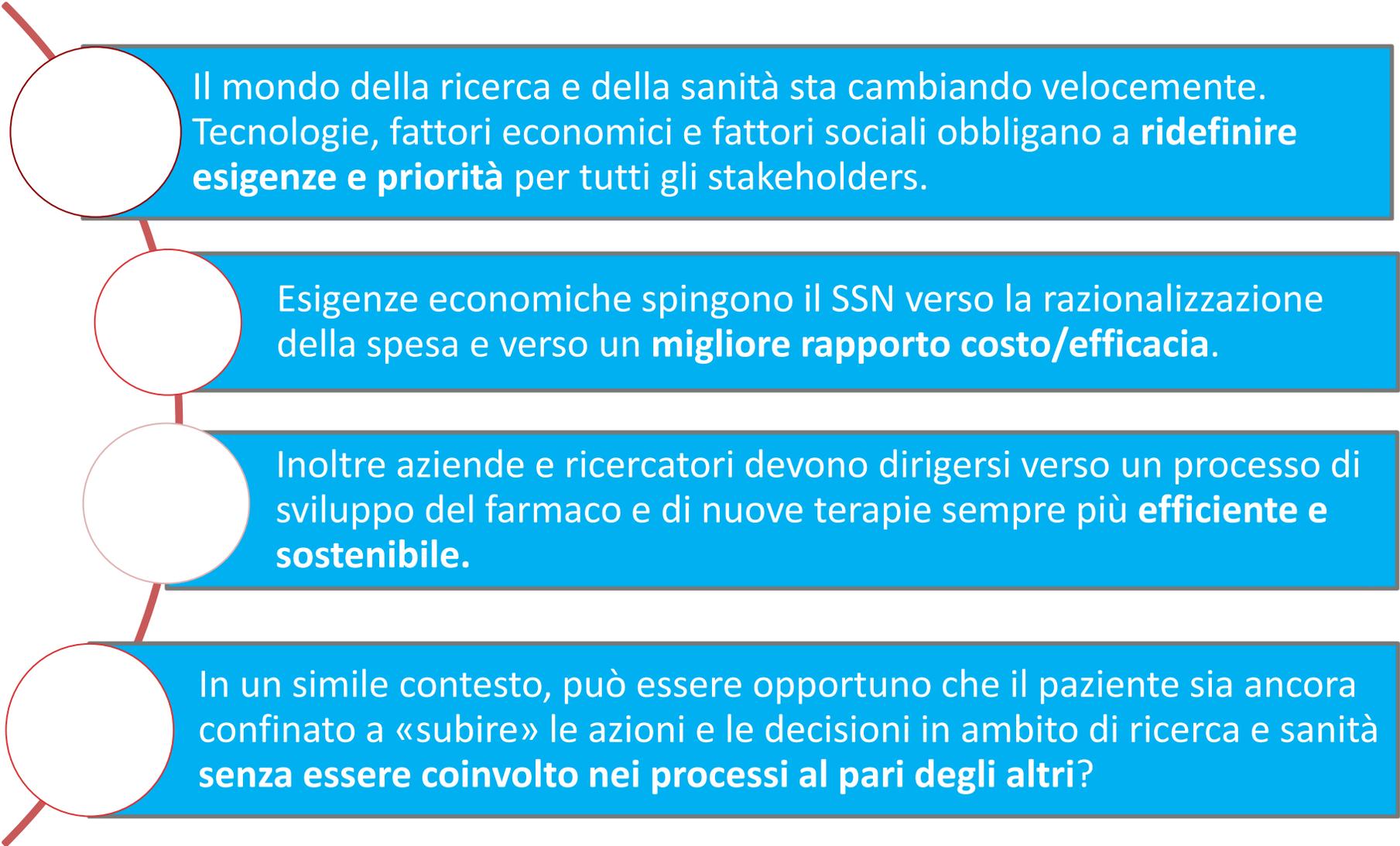
Gli organismi HTA sempre di più dovranno avvalersi dei **Pazienti Esperti**

IL PAZIENTE ESPERTO

Il termine paziente esperto è stato creato nel 1985 dal prof. David Tucket dell'Università di Cambridge. Dalla definizione iniziale si è passati attraverso diverse definizioni fino a quella più recente che considera paziente esperto chi mette le conoscenze acquisite a disposizione della comunità scientifica.

Il paziente che ha un patrimonio unico di conoscenza della malattia, dei sintomi, degli effetti, dei farmaci disponibili, di tutto ciò che la malattia rappresenta fisicamente e psicologicamente, nel momento che diventa esperto acquisisce conoscenze che da un lato gli permettono di ridurre il suo senso di impotenza e difficoltà legati alla malattia stessa, dall'altro lo mettono nella posizione di contribuire al miglioramento delle cure, allo sviluppo di trattamenti più efficaci e più etici, alla distribuzione di informazioni comprensibili e scientificamente affidabili e quindi in sostanza alla tutela di tutti i malati, soprattutto dei malati più fragili, che non hanno la possibilità o la capacità di sostenere il carico che la malattia determina.

Il paziente esperto oggi dovrebbe/deve essere coinvolto nelle istituzioni, nei comitati etici, negli organismi regolatori, nelle associazioni di medici ed infermieri in quanto non solo in grado di comunicare allo stesso livello e con un linguaggio scientifico ma con un patrimonio di esperienza e conoscenza della malattia unico



Il mondo della ricerca e della sanità sta cambiando velocemente. Tecnologie, fattori economici e fattori sociali obbligano a **ridefinire esigenze e priorità** per tutti gli stakeholders.

Esigenze economiche spingono il SSN verso la razionalizzazione della spesa e verso un **migliore rapporto costo/efficacia**.

Inoltre aziende e ricercatori devono dirigersi verso un processo di sviluppo del farmaco e di nuove terapie sempre più **efficiente e sostenibile**.

In un simile contesto, può essere opportuno che il paziente sia ancora confinato a «subire» le azioni e le decisioni in ambito di ricerca e sanità **senza essere coinvolto nei processi al pari degli altri?**

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.



Nel 2012 nasce, da una partnership pubblico-privata, il progetto europeo **EUPATI (European Patient Academy in Therapeutic Innovation)** con lo scopo di formare i pazienti nell'ambito della Ricerca e dello Sviluppo dei farmaci. La formazione EUPATI è indipendente e trasparente, certificata, utilizza un linguaggio semplice ed è accessibile a tutti.

Il **corso Eupati** copre tutte le fasi di sviluppo del farmaco, dalla analisi del bisogno, alla identificazione delle molecole target, alla identificazione e ottimizzazione dei composti guida, ai brevetti per candidati composti, agli studi preclinici e clinici di sicurezza di Fase I su volontari sani, al CTA, agli studi di efficacia di Fase II, agli studi di conferma di Fase III, alla valutazione rischi/benefici e all'immissione in commercio AIC di un farmaco, attraverso Autorità Regolatorie, alla Farmacovigilanza e all'HTA

EUPATI ha stabilito piattaforme nazionali in vari paesi nel mondo che collaborano fra di loro per crescere delle rispettive esperienze e trovare opportunità di azioni comuni.

I programmi formativi EUPATI si realizzano su tre livelli principali: Un corso di un anno con la certificazione di Paziente Esperto EUPATI, un secondo livello di formazione per pazienti e caregiver e rappresentanti dei pazienti e cittadini attraverso la piattaforma Toolbox ed infine programmi formativi on demand per il grande pubblico.



Obiettivo Corso per Pazienti Esperti EUPATI

Le aree di intervento per i pazienti nel processo di R&S dei farmaci





il Progetto EUPATI in Italia

Nel 2013 la task force Italiana di Eupati ha costituito Eupati Italia e nel 2014 nasce l' **Accademia del Paziente Esperto EUPATI Aps**, fondata con lo scopo di diffondere il Progetto EUPATI in Italia

LA NOSTRA MISSIONE

Offrire una formazione altamente qualificata dei pazienti nell'ambito della Ricerca e Sviluppo delle Terapie Innovative, sensibilizzando le associazioni di pazienti, le aziende farmaceutiche, le istituzioni e la comunità medica e scientifica. Favorire il grande cambiamento di paradigma che deriva dalla partecipazione attiva dei pazienti nei processi di Ricerca Clinica.





PIATTAFORMA NAZIONALE EUPATI ACCADEMIA DEL PAZIENTE ESPERTO EUPATI



AZIONI

EUPATI realizza progetti multi-stakeholder in collaborazione con AIFA con lo scopo di formare pazienti e caregivers (è stato firmato con AIFA un MoU nel 2014, riconfermato nel 2019), così come sono stati sviluppati progetti sotto il patrocinio dell'Istituto Superiore di Sanità e della Farmindustria (con il supporto di molte società farmaceutiche). E' inoltre stato siglato un accordo con l'Ospedale San Raffaele di Milano per l'inserimento di un paziente esperto EUPATI (PEE) nel Comitato Etico, e con la S.I.F. (Società Italiana Farmaceutica) per attività di training e distribuzione di materiale scientifico

ATTIVITA'

EUPATI realizza Trainings e approfonditi moduli e workshops dedicati a Pazienti Esperti Eupati. Le attività sono animate dalla volontà di fare riconoscere il ruolo del Paziente Esperto Eupati e di coinvolgerlo nelle attività di R&D dei farmaci e di tutti gli organismi che entrano nel processo



Criteri di selezione e requisiti per l'ammissione al Corso AdPEE

Il corso è totalmente gratuito per Pazienti e Caregiver, con una forte motivazione personale

- ✓ La partecipazione è a numero chiuso, previa compilazione di un questionario di ammissione - inviato a seguito di una manifestazione di interesse - ed un colloquio con il board AdPEE.
- ✓ Si richiede la frequenza obbligatoria (minimo 80% di presenza)
- ✓ Al termine del Corso viene rilasciato un Attestato di Partecipazione





PAZIENTE ESPERTO EUPATI

POSSIBILI RUOLI E COINVOLGIMENTO

- Ricerche focalizzate sui bisogni dei pazienti
- Creazione di protocolli (criteri di inclusione, hard and soft endpoints)
- Aumentare la qualità del consenso informato
- Facilitare recruitment and evitare ingiustificate perdite
- Aumentare aderenza dei pazienti ai trattamenti nei trial clinici e nella vita reale
- Aiutare a raccogliere preferenze ed esperienze dei pazienti per dati di processo
- Fornire il punto di vista del paziente negli HTA per nuovi strumenti o farmaci
- Partecipare alle decisioni degli organismi regolatori
- Qualunque attività inerente le fasi di sviluppo del farmaco, pre e post clinica





Some numbers about AdPEE

Network

- 4 Institutional Partners
- 69 Patients Associations
- 14 Supporting companies
- 10 Accademia
- 3 Research center
- 3 Media partner
- 6 Altri partner

Training

- 91 PEE graduated and 36 nearly graduated students
 - 8 mini-courses
 - 7 webinar
 - 2 workshop
 - 20 face to face training courses
- EUPATI IT

Social

- 2845 followers
- 532 Newsletter subscribers



Contact

team@accademiadeipazienti.it

FB @EUPATI.Italia

Twitter @EUPATI_IT

IG @eupati.it

Youtube: Comitato Onlus Accademia dei Pazienti

#WEUPATI

www.accademiadeipazienti.org





<https://www.youtube.com/watch?v=HfzpuDJkzU>



PAZIENTI ATTUALMENTE COINVOLTI NEI PROCESSI

Ogni anno, l'EMA pubblica un rapporto annuale sul coinvolgimento dei pazienti nelle attività dell'agenzia

Nel Consiglio di Amministrazione (Management Board) dell'**EMA** siedono due rappresentanti delle organizzazioni dei pazienti. Inoltre, i rappresentanti dei pazienti sono membri ufficiali in quattro comitati :

COMP (Comitato per i medicinali orfani)

CAT (Comitato per le terapie avanzate)

PDCO (Comitato pediatrico)

PRAC (Comitato di valutazione dei rischi per la farmacovigilanza)

Data la mancanza di disposizioni specifiche nella normativa in vigore, attualmente l'EMA sta valutando la possibilità di rafforzare il coinvolgimento dei pazienti nel **CHMP** (Comitato per i prodotti medicinali ad uso umano). Anche se non sono presenti membri in rappresentanza dei pazienti, il CHMP consulta le organizzazioni di pazienti in casi specifici, se necessario.

Nel 2015 è stata avviata una fase pilota per coinvolgere i rappresentanti dei pazienti nelle attività del CHMP, invitandoli ad assistere alle spiegazioni orali relativamente a uno specifico prodotto durante le sedute plenarie, qualora il loro coinvolgimento potesse apportare un valore aggiunto al dibattito sul rapporto benefici-rischi

Uno dei principali campi di coinvolgimento dei pazienti sono i **Comitati Etici**

ETICA

L'etica è quella parte della filosofia che si occupa dei comportamenti umani. L'etica è il frutto dei valori e degli interessi umani e per questa ragione inevitabilmente entra nel campo di ciò che giusto e sbagliato, di ciò che è "buono" e ciò che è "cattivo". Parlare di etica non è facile, nella storia l'uomo ha sempre cercato di stabilire cosa era giusto da un punto di vista morale ma questo cambia in maniera importante in periodi storici differenti e in differenti culture

Forse il primo libro di raccolta di principi morali è il Codice di Hammurabi (1776 AC), uno degli ultimi è la Dichiarazione dei Diritti Universali (1948), ovviamente il contenuto di queste due liste di principi universali è completamente diverso. Anche se entrambe precisano che la loro "indiscutibile" validità viene da Dio (dagli Dei) E' comunque alquanto probabile che Dio non sia parte attiva del discorso!!!

Anche ai tempi nostri i valori in cui la maggior parte delle persone crede possono collidere gli uni con gli altri: per esempio può succedere che la libertà individuale possa essere in contrasto con il principio di eguaglianza.

Per le ragioni spiegate sopra **l'etica** è un argomento difficile di per sé ma diventa veramente sensibile quando si parla di **politiche sanitarie, trattamenti medici, clinical trials** ecc...

Ecco alcuni dei dei maggiori problemi etici nel campo medico:

- Dove investire denaro per sviluppare nuovi farmaci e trattamenti medici. L' Organizzazione Mondiale della Salute stima che il 90% delle risorse relative alla ricerca e alle cure mediche sia speso per malattie che causano meno del 10% della sofferenza globale!
- Come garantire che ogni persona nella sua Nazione riceva un servizio di qualità senza affrontare costi eccessivi e fare in modo che i costi del Sistema Sanitario siano distribuiti differentemente tra persone con livelli di reddito diversi.
- Come garantire che in ogni Sistema Sanitario Nazionale le risorse siano allocate al fine di assicurare che i principi di eguaglianza ed equità (imparzialità). In casi particolari (es. risorse limitate) il rispetto del principio di eguaglianza potrebbe determinare una iniqua distribuzione delle risorse. Come già accennato l'HTA aiuta organismi nazionali, regionali e locali in tutte le decisioni critiche come fissare il prezzo di un farmaco, valutare i rimborsi, fare valutazioni di rischio/beneficio, capire i costi di progetti di miglioramento ecc...

- Prima del COVID in Europa le decisioni dei pazienti di non aderire ai trattamenti medici era stimato costare 125 miliardi di Euro e la morte di 200.000 persone ogni anno. Con il COVID questi numeri sono drammaticamente aumentati e una nuova importante questione etica è nata: quanto la decisione dei NO VAX ha impattato/impatta (permettendo a nuove varianti del virus di nascere e circolare) la salute delle persone che invece hanno deciso di vaccinarsi? dall'altro lato, è giusto la decisione di imporre la vaccinazione a tutti?
- Come garantire che gli interessi umani siano sempre anteposti agli interessi economici e scientifici. **Comitati Etici** (gruppi indipendenti di clinici, scienziati avvocati, esperti vari e possibilmente sempre più pazienti) hanno la responsabilità di controllare tutte le fasi dello sviluppo di un farmaco, di supervisionare le ricerche mediche che coinvolgono persone, di garantire che tutti i pazienti siano curati nel miglior modo possibile. I Comitati Etici devono sempre seguire le linee guida definite dalla Associazione Medica Mondiale (Dichiarazione di Helsinki del 1964), del Consiglio per le Organizzazioni Internazionali delle Scienze Mediche e dell'UNESCO

Il Paziente Esperto è colui che consapevolmente riesce ad estrarre dalla propria esperienza di salute, quel valore di conoscenza utile per l'orientamento delle scelte decisionali ed organizzative sia in ambito di assistenza, sia di ricerca sia di responsabilità sociale e quindi in tutti quei campi che riguardano l'etica"

Nonostante l'Italia sia tuttora ai primi posti tra i mercati europei e mondiali, **il paese è ancora al trentaduesimo posto per quanto riguarda gli investimenti di ricerca e sviluppo**. Le attività di ricerca in Italia sono troppo frammentate e sarebbe utile che gli investimenti – oltre ad aumentare per quantità – fossero diversamente e meglio governati.

La **Legge di bilancio 2022** incrementa il Fondo sanitario nazionale di 2 miliardi l'anno per tre anni, per potenziare gli interventi delle Regioni e delle Province autonome in diversi settori, tra i quali la preparazione e la risposta a una pandemia influenzale, la proroga dei rapporti di lavoro flessibile e la stabilizzazione del personale del ruolo sanitario, il potenziamento dell'assistenza territoriale e lo snellimento delle liste di attesa. Viene inoltre autorizzata l'ulteriore spesa per i contratti di formazione specialistica dei medici di 194 milioni di euro per il 2022, 319 milioni di euro per il 2023, 347 milioni di euro per il 2024, 425 milioni di euro per il 2025, 517 milioni di euro per il 2026 e 543 milioni di euro dal 2027. Il finanziamento del programma pluriennale di interventi in materia di ristrutturazione edilizia e di ammodernamento tecnologico del patrimonio sanitario pubblico viene incrementato di ulteriori 2 miliardi di euro. Viene istituito un fondo per i test di next-generation sequencing con una dotazione pari a 5 milioni di euro per ciascuno degli anni 2022 e 2023 destinato al potenziamento di test di profilazione genomica dei tumori dei quali è riconosciuta evidenza e appropriatezza.

GRAZIE PER LA
VOSTRA ATTENZIONE!

