

# Il Paziente Esperto: l'incentivo di essere genitore e caregiver

Stefano Mazzariol

Paziente Esperto EUPATI – Vice Presidente Parent Project Onlus

<https://www.eupati.eu/it/>

Da almeno un decennio il ruolo del paziente nel mondo sanitario sta subendo un'evoluzione come non aveva mai vissuto precedentemente, facendo emergere una serie di nuove figure caratterizzate da alcuni aggettivi che si accompagnano alla parola "patient", quale il patient "empowered", il patient "engaged", e "l'expert patient". Tuttavia, ragionando in maniera più estesa, tali terminologie sono correntemente riferite anche alla figura del caregiver di un soggetto minore o di un soggetto con limitazioni fisiche e/o cognitive di grado importante, con la conseguenza che la facoltà di raggiungere un certo grado di coinvolgimento in ambito sanitario non rimane limitata al solo soggetto ammalato di una qualche patologia. Ma quante di queste figure innovative hanno effettivamente raggiunto un profilo definito e una modalità di caratterizzazione individuabile in maniera univoca in ambito di ricerca e sanità?

Benché sia una discussione aperta da tempo, alcune di queste figure soffrono ancora di un profilo indefinito, ma tra queste negli ultimi anni la figura del paziente esperto ha raggiunto alcune peculiarità condivise riguardanti la sua formazione e la sua certificazione, questo probabilmente derivante dal fatto che potrebbe risultare in prospettiva la figura più utile alla comunità e ai vari stakeholder concorrenti nella ricerca in ambito sanitario.

D'altronde, mentre il paziente "engaged" e il paziente "empowered" sono in genere figure che assumono competenze ed esprimono opinioni nell'ambito di gestione della propria patologia, il paziente esperto è invece riconosciuto in maniera ormai ampiamente condivisa come una persona che, pur partendo da un'esperienza di malattia propria o di un proprio familiare, decide di affrontare un percorso di formazione intensiva e di livello tecnico importante indipendenti dalla specifica patologia, per poi mettere competenze ed esperienze a servizio della ricerca e della comunità. Il progetto europeo EUPATI (European Patients' Academy on Therapeutic Innovation) nasce proprio con la finalità di formare e di certificare in maniera tracciabile e riconosciuta alcuni pazienti e caregiver

esperti in ambito di ricerca e sviluppo di farmaci e terapie innovative, in modo da poter essere validi interlocutori ed efficaci rappresentanti dei pazienti in tutti i tavoli e nelle varie fasi di sviluppo della ricerca clinica.

La mia personale esperienza come Paziente Esperto certificato da EUPATI ha seguito proprio un percorso simile a quanto descritto, il cui primo e terribile passaggio è stata la diagnosi di una malattia genetica rara per il nostro figlio primogenito, la distrofia muscolare di Duchenne (DMD). Eravamo all'inizio del 2013, e le prime settimane trascorse dopo la diagnosi sono state un misto tra sconforto e angoscia per il futuro, ai quali si è unita via via in maniera sempre più presente la voglia di conoscere il più possibile sulla patologia, sulla sua modalità di presa in carico e sullo stato della ricerca in quel momento. Un grande aiuto ci è arrivato dall'associazione di pazienti italiana di riferimento per la distrofia di Duchenne, Parent Project Onlus, grazie alla quale abbiamo potuto avere molte informazioni tecniche sulla malattia e sullo stato delle sperimentazioni che negli ultimi anni sono giunte a diversi trial clinici sui pazienti. Grazie a una preparazione universitaria in ambito chimico e (forse) a una predisposizione personale ai temi scientifici in generale, mi sono reso conto in pochi mesi di avere la possibilità di essere di aiuto alle altre persone che dividevano un po' il mio stesso sventurato percorso, e quindi appena ho avuto la possibilità di conoscere il progetto EUPATI, che di lì a poco avrebbe avviato il primo corso europeo per Pazienti Esperti in innovazione terapeutica, ho deciso di mettermi a disposizione della comunità e del mondo della ricerca medico-sanitaria a 360 gradi, presentando la mia candidatura e venendo selezionato per far parte dei primi 50 corsisti.

Il corso è durato 14 mesi, da ottobre 2014 a dicembre 2015, è stato svolto interamente in lingua inglese e modalità e-learning con l'aggiunta di due incontri face-to-face di 4 giorni a Barcellona per approfondimenti e simulazioni pratiche. È stato suddiviso in 6 moduli che partono da cosa sia

un farmaco e come avvenga una discovery, fino a tutta la parte pre-clinica, gli studi clinici, i percorsi regolatori e un modulo intero dedicato ai principi di HTA. Ciascun modulo prevedeva un esame finale che andava superato con un minimo stabilito di risposte esatte, altrimenti non era consentito l'accesso agli esami dei moduli successivi. Il materiale di studio è stato realizzato negli anni precedenti da un consorzio di tutti gli stakeholder coinvolti nel percorso di ricerca e sviluppo dei farmaci: associazioni di pazienti, accademia, industria ed enti regolatori, il tutto a garanzia di obiettività e di completezza degli argomenti trattati e del materiale didattico su cui effettuare la formazione. Le finalità del progetto EUPATI sono quelle di dare a pazienti e caregiver la preparazione utile a poter interagire a tutti i livelli della ricerca e degli aspetti regolatori, consentendo di acquisire una serie di competenze che possono essere certificate dal titolo ottenuto a fine corso, riconosciuto da una serie di istituzioni in ambito europeo.

In Italia il progetto è rappresentato e promosso dalla Accademia dei Pazienti Onlus, un organismo nato per fare formazione a tutti i livelli secondo la filosofia di EUPATI e per promuovere l'effettivo ingaggio dei pazienti esperti, cercando di definire regole e linee guida condivise.

Aver raggiunto la certificazione come Paziente Esperto mi ha dato gli strumenti per incrementare ancora di più il mio impegno all'interno dell'associazione di pazienti di cui faccio parte, fino al punto di ricevere l'incarico di vicepresidente della stessa e di referente per l'area scientifica nel consiglio direttivo. Ma contemporaneamente mi ha permesso di iniziare un nuovo percorso, molto più ampio rispetto all'impegno legato alla singola patologia di mio figlio, e già dai primi mesi dopo la fine del corso ho avuto la possibilità di mettere in pratica conoscenze ed esperienze in diverse occasioni e in ambiti di patologie molto differenti tra loro, malgrado io mi ritenga comunque ancora "fresco" nel mondo della ricerca medico-scientifica.

Giunto ora a un paio d'anni dalla fine del corso, sono davvero molto entusiasta di aver avuto la possibilità di partecipare at-

tivamente ad advisory board in ambito di sperimentazione clinica, ad alcuni investigators' meeting su trial in corso; inoltre sono stato invitato alla revisione di alcuni protocolli di sperimentazioni cliniche, di questionari sulla qualità di vita, e ad altre attività sempre comunque correlate alla ricerca clinica.

In tutte queste situazioni in cui mi sono trovato, ho spesso riflettuto su un aspetto importante: la mia rappresentanza in quelle attività era finalizzata a processi che avrebbero riguardato pazienti terzi, che magari non ho mai conosciuto né conoscerò, affetti dalle patologie più diversificate, croniche, rare o di altra natura, e per poter esprimere al meglio il mio operato come paziente esperto era assolutamente necessario uscire dalla visione soggettiva, per cercare di prendere le migliori decisioni in maniera "esterna", quasi come se io fossi in quel momento un "caregiver" dei pazienti destinatari dell'attività in corso, con la necessità di trovare il miglior equilibrio possibile tra la tutela degli individui e l'opportunità di avanzamento della ricerca in questione.

In questa particolare necessità, ho sentito come un forte fattore facilitante l'essere già partito come paziente esperto in qualità di caregiver, cioè in qualità di persona che in ambito sanitario deve valutare e prendere decisioni per il proprio figlio, con l'unico obiettivo di potergli riservare la migliore situazione possibile nel bi-

lancio tra il rischio e il beneficio. La distrofia di Duchenne è una patologia molto complessa, che coinvolge diversi ambiti nel percorso di presa in carico dei bambini e dei ragazzi affetti da questa patologia. Per esempio, noi genitori di bambini con DMD ci troviamo spesso davanti alla necessità di fare delle valutazioni sulla terapia corticosteroidea, sui benefici (indiscussi) che porta ai bambini dal punto di vista funzionale e sulle sue complicanze dovute agli effetti secondari (ben noti). Ma anche molti altri ambiti richiedono attente valutazioni nel corso della vita dei giovani pazienti con DMD, e non sono limitate ai soli farmaci. In più occasioni mi sono trovato a fare dei bilanci assieme ai clinici e agli operatori che hanno in carico mio figlio tra benefici e conseguenze di eventuali decisioni sulla terapia in corso o sulle altre modalità riabilitative o di presa in carico. Recentemente mi sono anche trovato davanti all'opportunità di far partecipare mio figlio allo screening per un trial clinico sulla sua patologia, e questo potrebbe capitare ancora in futuro, dato che (fortunatamente) per la distrofia di Duchenne il numero di sperimentazioni sui pazienti è in rapido aumento.

In tutte queste situazioni esiste un fattore chiave importante, che è la necessità di decidere non per sé, ma per un'altra persona (che tra l'altro fa parte di una popolazione speciale in ambito di ricerca clinica) che si vuole prima di tutto tutelare, ma allo stes-

so tempo alla quale si desidera dare il meglio per la gestione della sua patologia. Nel valutare ogni caso specifico ho sempre cercato di uscire dal normale coinvolgimento emotivo di un padre e di attenermi all'oggettività dei dati, al razionale scientifico, al rapporto tra rischi (o i disagi) ragionevolmente prevedibili e i possibili benefici, nonché alle linee guida e agli studi più recenti. Tutte caratteristiche che reputo fondamentali affinché un rappresentante dei pazienti possa essere efficace in tutti gli ambiti di ricerca.

In conclusione, in base alla (seppur ancora relativamente breve) esperienza che ho avuto fino ad oggi nello svolgere le attività come paziente esperto, ritengo che l'essere il papà di un bambino affetto da una patologia grave e complessa, e quindi tecnicamente il caregiver di un paziente facente parte di una "special population", sia stato per me un fattore di grande aiuto. Più in generale è stato un significativo valore aggiunto nello svolgimento del ruolo di rappresentante in vece di pazienti terzi, destinatari delle decisioni legate ai processi in cui ero coinvolto, nonché un fattore facilitante nel cercare di esulare dalle valutazioni soggettive e di attenermi a una maggiore scientificità nel fornire pareri in tutte le specifiche situazioni in cui è stata richiesta la mia attività come Paziente Esperto EUPATI.

✉ [s.mazzariol@parentproject.org](mailto:s.mazzariol@parentproject.org)



## Salute: Studio UE, meno abbienti invecchiano 7 anni prima

AGI - Roma, 27 marzo - Una ricerca su scala mondiale, che include paesi ad alto e a basso reddito

I ricercatori di Lifepath hanno analizzato i dati di 109.107 uomini e donne di età compresa fra i 45 e i 90 anni, provenienti da Europa (inclusa l'Italia), America Latina, Africa, Asia e Stati Uniti. Per valutare le condizioni fisiche dei partecipanti gli studiosi hanno usato la velocità di camminata, che è un buon indicatore delle probabilità di ricovero ospedaliero e di declino cognitivo. Per valutare le condizioni socioeconomiche hanno usato le informazioni raccolte sull'ultima attività lavorativa svolta al momento dell'ingresso nello studio. "Un altro risultato rilevante è stata la differenza fra paesi ad alto e a medio-basso reddito, con i primi che mostravano una perdita maggiore in termini di anni trascorsi in buone condizioni fisiche", dice Paolo Vineis, professore all'Imperial College London e coordinatore di Lifepath. "Ciò potrebbe essere dovuto a differenze regionali nella distribuzione sociale dei principali fattori di rischio, come la scarsa attività fisica, l'obesità e il diabete".

Un nuovo approccio alle politiche sanitarie: le attuali politiche sanitarie globali hanno come obiettivi una serie di fattori di rischio noti per la salute, come il fumo o la scarsa attività fisica. L'impatto negativo di questi elementi viene in genere valutato usando parametri come la mortalità, mentre indicatori più ampi di benessere come la funzionalità fisica hanno finora ricevuto meno attenzioni. "Non volevamo limitare la nostra analisi alla lunghezza della vita", dice Mika Kivimaki, professore all'University College London. "Valutando la qualità dell'invecchiamento e il benessere funzionale delle persone puntiamo a fornire basi scientifiche solide per politiche sanitarie più ampie, capaci di affrontare non solo i classici fattori di rischio ma anche le disuguaglianze di salute". Lifepath è un progetto fondato dall'Unione Europea, con lo scopo di fornire dati aggiornati, significativi e innovativi sulla relazione fra disuguaglianze sociali e disuguaglianze di salute. Dati sui quali potranno basarsi le future strategie politiche per il miglioramento del benessere della popolazione. Gli esperti di Lifepath hanno sviluppato un approccio di ricerca originale, che combina scienze sociali, biologia e analisi di *big data*, usando coorti di popolazioni già esistenti e innovative tecniche di analisi biologica.