

# Tendenze

*nuove*

Numero 1/2024



**Tendenze Salute e Sanità**

Materiali di lavoro di  
Fondazione Tendenze  
Salute e Sanità

**Paziente esperto in...  
nuove tecnologie,  
nuove conoscenze,  
nuove esperienze**

**Paziente Esperto:  
multidimensionalità e attualità  
di un concetto in un contesto  
in evoluzione**

*Passoni*  
EDITORE

---

## **Tendenze nuove**

**Rivista semestrale online**

**Issn: 2239-2378**

---

### **Direttore Responsabile**

Giuseppe Recchia

---

### **Comitato Editoriale**

Alfredo Cesario, Lucio Da Ros, Alberto Malva,  
Francesca Maria Quaglia

---

### **Comitato Scientifico**

Elio Borgonovi, Ovidio Brignoli, Sebastiano Filetti,  
Cristina Masella, Francesco Scaglione,  
Antonio G. Spagnolo, Giuseppe Turchetti,  
Mauro Zamboni

---

### **Direzione e Redazione**

Fondazione Smith Kline  
Via A. Fleming 2, 37135 Verona - Italia  
Tel. ++39 045.505199  
[www.fsk.it](http://www.fsk.it) - [info@fsk.it](mailto:info@fsk.it)

---

*Tendenze Nuove*

[www.tendenzenuove.it](http://www.tendenzenuove.it)

---

Personalità giuridica riconosciuta  
(D.P.R. 917 del 9. 9. 1982)

Registrazione al Tribunale di Bologna  
numero 7150 del 14-08-2001

---

Per le opere presenti in questo sito si sono assolti  
gli obblighi dalla normativa sul diritto d'autore  
[http://www.mulino.it/legale/dl72\\_04.htm](http://www.mulino.it/legale/dl72_04.htm)  
e sui diritti connessi

<http://www.tendenzenuove.mulino.it/main/info>

---

### **Per collaborare alla rivista**

“Tendenze nuove” pubblica articoli inviati  
alla Redazione [info@fsk.it](mailto:info@fsk.it) sia su invito  
del Comitato Editoriale che spontaneamente.  
Il contenuto degli articoli dovrà essere coerente  
con le finalità e la missione di Fondazione Smith Kline

---

### **Editore**

Passoni Editore srl  
Via Boscovich 61, 20124 Milano  
Tel. (+39) 02 2022941 - Fax (+39) 02 29513121  
[info@passonieditore.it](mailto:info@passonieditore.it)

# Tendenze *nuove*

n° 1 anno 2023

---

## Indice

- Editoriale ..... 7  
*Giuseppe Recchia, daVi DigitalMedicine  
e Fondazione Tendenze Salute Sanità Ets, Verona  
Elio Borgonovi, Università Bocconi, Milano,  
e Fondazione Tendenze Salute Sanità Ets, Verona  
Lucio Da Ros, Fondazione Tendenze Salute Sanità Ets, Verona*
- Partecipare e rappresentare ..... 10  
*Sabrina Grigolo, dottoranda all'Università di Torino, paziente esperta Eupati  
Renza Barbon Galluppi, presidente onoraria della Federazione italiana  
malattie rare (Uniamo)  
Massimo Chiamonte, presidente dell'Associazione nazionale porpora  
trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus  
Federica Pasella, vicepresidente dell'Associazione nazionale porpora  
trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus  
Giorgia Tartaglia, paziente esperta Eupati*
- Expert patient o patient expert? Definizioni per uso pratico ..... 14  
*Ornella Gonzato, fondatrice e presidente della Fondazione  
Paola Gonzato-Rete Sarcoma ETS, Udine*
- Tecnologie digitali ..... 21  
*Sabrina Grigolo, dottoranda all'Università di Torino, paziente esperta Eupati  
Renza Barbon Galluppi, presidente onoraria della Federazione italiana  
malattie rare (Uniamo)  
Massimo Chiamonte, presidente dell'Associazione nazionale porpora  
trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus  
Federica Pasella, vicepresidente dell'Associazione nazionale porpora  
trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus  
Giorgia Tartaglia, paziente esperta Eupati*

---

•	Comitati etici .....	25
	<i>Sebastiano Filetti, professore emerito di Medicina interna, Università Sapienza di Roma; vicepresidente del Comitato etico territoriale Lazio Area 3-Policlinico Gemelli</i>	
	<i>Giuseppe Recchia, daVi DigitalMedicine e Fondazione Tendenze Salute e Sanità Ets, Verona</i>	
•	Ricerca e sviluppo di farmaci .....	32
	<i>Paola Kruger, paziente esperto Eupati</i>	
•	Valutare le tecnologie sanitarie: l’Hta .....	34
	<i>Paola Arosio, giornalista</i>	
•	Come selezionare il paziente esperto .....	37
	<i>Francesca Marchiori, Gruppo Les italiano</i>	
•	<i>Participatory design</i> : metodi di partecipazione .....	41
	<i>Sabrina Grigolo, dottoranda all’Università di Torino, paziente esperta Eupati</i>	
	<i>Renza Barbon Galluppi, presidente onoraria della Federazione italiana malattie rare (Uniamo)</i>	
	<i>Massimo Chiamonte, presidente dell’Associazione nazionale porpora trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus</i>	
	<i>Federica Pasella, vicepresidente dell’Associazione nazionale porpora trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus</i>	
	<i>Ornella Gonzato, fondatrice e presidente della Fondazione Paola Gonzato ETS, Udine</i>	
•	Innovazione della terapia delle malattie croniche per il Paziente, con il Paziente .....	55
	<i>Andrea Bracci, Amministratore Delegato Polifarma Spa</i>	
•	Paziente Esperto: multidimensionalità e attualità di un concetto in un contesto in evoluzione .....	75
	<i>Ornella Gonzato, Fondazione Paola Gonzato ETS</i>	

---

## ***“Paziente esperto in...”*** **nuove tecnologie, nuove conoscenze, nuove esperienze**

---

### **Gruppo di Progetto “Paziente esperto in ....”**

- Italia Agresta, *Associazione Nazionale Persone con Malattie Reumatologiche e Rare - APMARR aps*
- Simona Barbaglia, *presidente Associazione Nazionale Pazienti Respiriamo Insieme Aps, vicepresidente Comitato Etico per la sperimentazione clinica Lombardia 4*
- Renza Barbon Galluppi, *presidente onoraria della Federazione italiana malattie rare (Uniamo)*
- Massimo Chiamonte, *presidente ANPTT Onlus*
- Sebastiano Filetti, *Professore Emerito di Medicina interna, Università Sapienza di Roma; vicepresidente del Comitato etico territoriale Lazio Area 3-Policlinico Gemelli*
- Ornella Gonzato, *Fondazione Paola Gonzato-Rete Sarcoma ETS, Udine; membro del Board dei Direttori di Sarcoma Patient Advocacy Global Network- SPAGN; co-chair di Bone Sarcoma Alliance- BSA*
- Sabrina Grigolo, *dottoranda all'Università di Torino, paziente esperta Eupati*
- Paola Kruger, *paziente esperto Eupati*
- Francesca Marchiori, *Gruppo LES italiano ODV*
- Maria Luisa Mottes, *presidente Associazione Diabetici della Provincia di Milano ODV e coordinamento Lombardia Associazioni Diabetici ODV*

- 
- Federica Pasella *Vicepresidente ANPTT Onlus*
  - Stefano Pavanello, *vicepresidente Unione Trapiantati Polmone - Padova ODV*
  - Maddalena Pelagalli, *presidente Federazione RelaCare - Relazione di cura - Malattie Immunomediate*
  - Alessandra Peres, *paziente esperto Eupati*
  - Maria Pia Sozio, *presidente AS.MA.RA ONLUS Sclerodermia ed altre Malattie Rare "Elisabetta Giuffrè"*
  - Giorgia Tartaglia, *paziente Esperto Eupati, Vice Presidente Associazione Italiana Vivere la Paraparesi Spastica Ets e Ufficio Comunicazione Coordinamento Lazio Malattie Rare CoLMaRe*
  - Andrea Tomasini, *Associazione Nazionale Persone con Malattie Reumatologiche e Rare - APMARR aps*
  - Massimo Vergnano, *esperto in comunicazione sanitaria, Mavericks Consulting*

Per Fondazione Tendenze Salute e Sanità:

- Elio Borgonovi, *CERGAS Università Bocconi, Milano e Fondazione Tendenze Salute Sanità Ets, Verona*
- Lucio Da Ros, *Fondazione Tendenze Salute Sanità Ets, Verona*
- Giuseppe Recchia, *daVi DigitalMedicine e Fondazione Tendenze Salute Sanità Ets, Verona*

A cura di

Paola Arosio, *giornalista*

**La pubblicazione e le attività di questo progetto sono state realizzate grazie a un contributo liberale non condizionante di Polifarma S.p.A.**

## Editoriale

**«Curare per prevenire.  
Curare per sanare.  
Curare per riabilitare»<sup>1</sup>.**

Alcuni anni fa, all'interno di Fondazione Smith Kline (oggi Fondazione Tendenze Salute Sanità) è stato elaborato e proposto il concetto di «paziente esperto in...»<sup>2</sup>.

Tale idea derivava dalla consapevolezza dell'evoluzione del ruolo del paziente nei confronti della propria salute e dalla necessità per alcuni assistiti di affiancare alla dimensione dell'esperienza della malattia, propria di ogni paziente, la nuova dimensione dell'*expertise*, ovvero della conoscenza, acquisita attraverso studio e ricerca.

In analogia a quanto avviene in altri settori della medicina (e non solo), tale *expertise* non può essere generalista, la conoscenza deve essere necessariamente settoriale per risultare efficace. Si tratta, in altre parole, di *expertise* in un definito ambito, applicando il quale è possibile migliorare i processi sia di assistenza, sia di ricerca di nuove soluzioni per la diagnosi e la terapia. Allo stesso modo, conta anche l'esperienza in una specifica patologia o in un numero limitato di malattie.

Fondazione Smith Kline ha approfondito questo concetto e ha aperto lo scenario a diverse aree di *expertise*:

«Con un approccio che è allo stesso tempo di carattere medico-scientifico, antropologico, sociologico, filosofico-religioso, sta emergen-

---

1. daVi DigitalMedicine e Fondazione Tendenze Salute Sanità Ets, Verona

2. Università Bocconi, Milano, e Fondazione Tendenze Salute Sanità Ets, Verona

3. Fondazione Tendenze Salute Sanità Ets, Verona

do la figura del paziente esperto, che deve avere conoscenze specifiche rispetto alla propria malattia o alla propria condizione di salute (*expertise*) e che è in grado di mettere in campo il proprio vissuto quotidiano come conseguenza dei trattamenti ai quali è sottoposto, siano essi di tipo farmacologico, chirurgico, ricostruttivo, riabilitativo (*experience*). L'insieme di conoscenze (*expertise*) e di esperienza (*experience*) può essere attribuito al paziente esperto o al *caregiver* esperto perché a diretto contatto con alcuni gruppi di pazienti (bambini, persone con disabilità intellettiva, individui con patologie degenerative o malattie croniche invalidanti che alterano la percezione della propria condizione), se queste competenze sono esplicitate e sviluppate e riconosciute in modo appropriato. Il paziente esperto ha la potenzialità di acquisire nei prossimi anni una rilevanza non dissimile da quella dell'operatore sanitario e potrà essere in grado di operare sia come soggetto attivo, responsabile di ricerca in gruppi o *network* di pazienti, sia come consulente della ricerca industriale o accademica per fornire pareri, consigli, indicazioni. Si ritiene che la presenza di «pazienti (*caregiver*) esperti in...» specifiche aree di competenza, riconoscendo l'impossibilità di essere esperti in tutto ciò che riguarda l'assistito, sia la condizione essenziale per rendere concreto il principio della centralità del paziente che è presente in molte normative (nazionali e regionali), dichiarazioni (di organismi internazionali e nazionali), documenti di organizzazioni pubbliche e private che operano nel campo della tutela della salute».

Negli ultimi anni, la salute è emersa come una delle aree maggiormente interessate dalla trasformazione digitale. Le tecnologie *digital* per la salute sono probabilmente l'abilitatore primario dell'evoluzione del paziente da un ruolo meramente passivo a un ruolo attivo, di co-pilota della propria salute.

Migliaia di dispositivi digitali sono stati realizzati e proposti al paziente, la maggior parte dei quali sviluppati solo per cogliere opportunità commerciali, senza alcuna prova di efficacia o utilità per l'assistito.

Il paziente è stato travolto da questo sviluppo digitale e si è trovato spesso impreparato - come tutti gli altri membri della comunità sociale - a comprenderlo e a gestirlo.

Dopo il primo momento, è diventata evidente la necessità di aggiornare l'*expertise* e pertanto di formare un paziente esperto in tecnologie digitali, sia per valutare le tecnologie proposte, sia per orientarne l'uso e partecipare alla loro ricerca e sviluppo.

Per questo Fondazione Tendenze Salute Sanità ed European Patients'

Academy on Therapeutic Innovation (Eupati) hanno sviluppato e realizzato, con Unitelma Sapienza Università di Roma, il corso di formazione intitolato *Paziente esperto in tecnologie digitali per la salute*<sup>3</sup>.

Fondazione Tendenze Salute Sanità, assieme al *network* di organizzazioni e associazioni di pazienti con cui collabora, propone ora un aggiornamento del concetto di “paziente esperto in...” quale risultato dell’esperienza maturata negli ultimi anni e della discussione avviata con i diversi *stakeholder*. Si tratta di una nuova *milestone* di questo percorso, la cui meta rimane costante: sviluppare le cure per migliorare la salute delle persone.

---

## Bibliografia

1. Dignitas Curae: Manifesto per la Medicina del Futuro  
Fondazione Dignitas Curae ETS; Palazzo Montecitorio, 25 gennaio 2024
2. Gruppo di Lavoro “Paziente Esperto in...” 2018-2019. Paziente esperto 3.0 - Paziente (caregiver) esperto in... *Tendenze Nuove* 2019; 2:5-17.
3. UnitelmaSapienza Università degli Studi di Roma. Corso di Formazione Paziente Esperto in Tecnologie Digitali per la Salute. [https://www.unitelmasapienza.it/wp-content/uploads/2022/06/paziente\\_esperto\\_in\\_tecnologie\\_digitali\\_per\\_la\\_salute.pdf](https://www.unitelmasapienza.it/wp-content/uploads/2022/06/paziente_esperto_in_tecnologie_digitali_per_la_salute.pdf)

## Partecipare e rappresentare

**«La salute non analizza sé stessa  
e neppure si guarda allo specchio.  
Solo noi malati sappiamo  
qualche cosa di noi stessi».**

(La coscienza di Zeno, Italo Svevo)

Era il 2002 quando Angela Coulter, *editor* di *Health Expectations*, pubblicava un editoriale facendo una serie di considerazioni sulla rappresentanza e rappresentatività dei pazienti nei sistemi sanitari non solo dell'Inghilterra, ma di tutta Europa. Erano i primi tentativi delle istituzioni di coinvolgere assistiti e cittadini nella determinazione delle priorità dei programmi nazionali riguardanti la salute.

In Italia, in realtà, già nel 1978, nella norma 833 istitutiva del servizio pubblico, si affermava che «le associazioni di volontariato possono concorrere ai fini istituzionali del Servizio sanitario nazionale nei modi e nelle forme stabiliti dalla legge». La necessità era quella di innovare le modalità di “costruire” il sistema sanitario includendo la voce dei pazienti, dei loro familiari e dei cittadini in senso più ampio, parlando con loro e ascoltandoli a tutti i livelli organizzativi e considerando questo dialogo come leva

- 
1. Dottoranda all'Università di Torino, paziente esperta Eupati
  2. Presidente onoraria della Federazione italiana malattie rare (Uniamo)
  3. Presidente dell'Associazione nazionale porpora trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus
  4. Vicepresidente dell'Associazione nazionale porpora trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus
  5. Paziente esperta Eupati

del cambiamento e del miglioramento. I programmi includevano vari meccanismi per aumentare la partecipazione diretta degli assistiti, compresa la creazione di Forum delle associazioni di pazienti, in grado di rappresentare i bisogni e le necessità della comunità.

Gradualmente il paziente ha iniziato a essere percepito come l'unico in grado di valutare congiuntamente gli aspetti oggettivi e quelli soggettivi del proprio stato di salute. A lungo considerato dai più come mero oggetto di decisioni altrui, sta sempre più diventando un soggetto attivo. Tuttavia, gli attuali processi di *engagement* e di *involvement* richiedono sempre più consapevolezza, preparazione, conoscenza degli argomenti e dell'organizzazione, al fine di contribuire effettivamente alla co-progettazione e alla co-costruzione di nuovi contenuti. Da qui la necessità di passare dal paziente *tout court* al paziente esperto. E non esperto genericamente, ma esperto in specifiche aree di competenza. Alla luce di ciò è importante distinguere in che cosa un paziente sia esperto (nei processi valutativi dei Comitati etici o nei dispositivi medici o nelle tecnologie digitali o, ancora, in ricerca e sviluppo di terapie) per definire chiaramente l'area in cui ha acquisito, attraverso formazione ed esperienze specifiche, competenze specialistiche.

Riteniamo sia questa la condizione essenziale per rendere concreto il principio della centralità del paziente, presente in molte normative, dichiarazioni, documenti inerenti alla salute. Per fare in modo che dai proclami teorici si passi all'azione concreta.

---

## Deliberare e partecipare

La partecipazione dei cittadini si sviluppa in particolare nei contesti democratici. Nelle "nuove" forme di democrazia, che tendono a superare i limiti della tradizionale democrazia rappresentativa, un posto di rilievo è stato assunto dal dibattito su democrazia deliberativa e partecipativa.

Il termine deliberazione, dall'inglese *to deliberate*, ovvero discutere, soppesare, mette al centro un confronto argomentativo tra i soggetti coinvolti, nell'ottica di ponderare le diverse opinioni, per giungere a una conclusione in base al principio del miglior argomento. In concreto, questo approccio tende a privilegiare la partecipazione di soggetti singoli piuttosto che di soggetti organizzati.

Il termine partecipazione restituisce, invece, ai cittadini una quota di potere (*empowerment*) e, quindi, una capacità decisionale e realizzativa

che, per quanto parziale e circoscritta, va oltre il semplice dibattito e confronto di opinioni. Non a caso nel 2010 l'architetto e urbanista Giancarlo Paba ha definito la partecipazione come «progettazione interattiva». Uno dei modelli sociologici più noti per rappresentare le modalità applicative della democrazia partecipativa è la scala della partecipazione elaborata dalla ricercatrice Sherry Arnstein. Il successo dei processi partecipativi si valuta dai risultati prodotti, cioè dagli atti pubblici formalizzati.

---

## Il processo di partecipazione

In ambito sanitario, partecipare significa coinvolgere i pazienti e i *care-giver* informati, consapevoli e formati nel processo decisionale, anche se talvolta la partecipazione viene intesa nel significato riduttivo di consultazione.

Il cittadino interessato al sistema sanitario, perché la sua azione sia efficace, dovrà:

1. Conoscere il contesto in cui svolgere il proprio ruolo per l'interesse generale della comunità che rappresenta.

2. Individuare l'interlocutore istituzionale che corrisponda al servizio: se si tratta di un servizio già erogato, l'interazione con l'erogatore riguarderà la sua valutazione; se si tratta, invece, di un servizio inesistente e da progettare, l'interazione si baserà su una proposta progettuale.

3. Aver preventivamente condiviso con i rappresentati il progetto, l'obiettivo, l'azione, attenzionando l'interlocutore istituzionale con il proprio valore esperienziale, quale valore aggiunto.

---

## Rappresentanza e rappresentatività

Il termine rappresentanza, disciplinato dal Codice civile (articolo 1387 e seguenti), è l'atto mediante il quale un determinato soggetto (rappresentante) agisce in sostituzione di un altro soggetto (rappresentato) nel compimento di un atto giuridico (per esempio, un contratto). Oltre alla rappresentanza legale, c'è poi la rappresentanza volontaria, che sussiste quando un soggetto decide di farsi rappresentare in un determinato contesto o in una specifica procedura.

La rappresentatività ha due dimensioni: *acting for* (agire per) e *stand for* (stare per).

“Agire per” si riferisce al modo in cui il rappresentante è autorizzato (*ex ante*) ad agire per conto del rappresentato ed è responsabile (*ex post*) nei confronti di quest’ultimo. Si parla, in questo caso, di rappresentanza procedurale. Si possono poi individuare, in questo contesto, due tipi di rappresentanza:

- autorizzata, quando i rappresentanti sono stati selezionati attraverso un meccanismo formale riconosciuto legittimamente, che conferisce loro l’autorità di agire e di rappresentare.
- responsabile, quando i rappresentanti sono stati identificati attraverso meccanismi perlopiù informali.

“Stare per” si riferisce, invece, alla composizione piuttosto che all’azione. È uno specchio, che riflette una varietà di interessi.

---

## **Servono responsabilità e trasparenza**

Nel settore dei servizi sanitari e socio-assistenziali, il tema della partecipazione, prima ancora della rappresentanza, assume una funzione particolarmente rilevante perché ha a che vedere con il nostro ruolo nella società e soprattutto con il modello di democrazia sociale che deve affiancare e sostenere la politica. Ma non è da meno il tema della responsabilità che viene riconosciuta agli enti del terzo settore e ai cittadini, che devono mostrarsi coinvolti e partecipi.

Il ruolo delle associazioni non deve essere solo consultivo e meramente formale, ma sostanziale e attivo in tutte le fasi del processo decisionale: dalla progettazione iniziale alla valutazione finale dei risultati. Un effettivo coinvolgimento non può che migliorare il rapporto tra istituzioni e cittadini, secondo i principi-guida di solidarietà, uguaglianza, sussidiarietà, trasparenza, responsabilità.

## Expert patient o patient expert? Definizioni per uso pratico

**«Non c'è nulla di più pratico  
di una buona teoria».**

(Kurt Lewin)

Nel contesto e nella lingua italiani, paziente esperto traduce le diciture anglossassoni *expert patient* e *patient expert*, che sottendono in origine concetti distinti, nonostante nel tempo il loro impiego, anche a livello europeo, risulti piuttosto indifferenziato, generando incomprensione e confusione di significato e ruolo.

È possibile equiparare le due espressioni, traducendole in italiano nei termini di «paziente esperto»? Qual è il significato di *expert* e quale la sua relazione con i termini *experience* ed *expertise*? Esiste il rischio di confondere l'esperienza del proprio vissuto con l'esperienza maturata all'interno di specifiche competenze acquisite o sviluppate sul campo? Chi è precisamente un paziente esperto? Quali sono i requisiti da soddisfare per essere riconosciuto tale? Quali sono le finalità e i livelli di attività in cui può o deve essere coinvolto? E ancora, il termine paziente a chi si riferisce esattamente? A una categoria eterogenea di *stakeholder* di cui, di volta in volta, è necessario specificare chi è interessato o chi, affetto da una specifica patologia, vive quella definita condizione di malattia? E infine, poiché in Europa l'elemento unificante delle organizzazioni dei pazienti, la maggior parte delle quali si fonda su base volontaria, è costituito da «una condizione condivisa di malattia» e non dalla condivisione di formazione/educazione/*background*, quale relazione intercorre tra paziente esperto e organizzazioni di pazienti?

---

## Expert patient

La definizione di *expert patient*, coniata nel 1985 da David Tuckett, docente all'Università di Cambridge, nel Regno Unito, qualifica con il termine *expert* il sostantivo *patient* per evidenziare il fatto che ogni paziente è esperto, in quanto sviluppa l'esperienza di vivere con la propria malattia. Secondo questa prospettiva, la relazione tra medico e paziente si concretizza nell'incontro, alla pari e con ruoli distinti, tra due esperti: da un lato il paziente, esperto della malattia (*illness*); dall'altro il medico, esperto della patologia (*disease*).

Questa definizione, che nasce e si sviluppa nel contesto della cronicità, comparso ufficialmente per la prima volta nel documento *The expert patient: a new approach to chronic disease management in the 21<sup>st</sup> century*, approvato dal Parlamento britannico nel 2001 e diventato parte integrante della programmazione del National Health Service, si fonda essenzialmente su due considerazioni:

- i pazienti con patologia cronica hanno un'esperienza della malattia che nessun professionista può avere, poiché ne sperimentano quotidianamente le difficoltà;
- l'esperienza del vivere con la malattia costituisce una risorsa non utilizzata che, qualora impiegata, potrebbe apportare beneficio sia ai pazienti, sia al sistema sanitario, sempre più gravato dal carico gestionale e finanziario delle patologie.

---

## Patient expert

Diverso è il contesto in cui si sviluppa la dicitura *patient expert*, in cui *patient* qualifica il sostantivo *expert*. Questa definizione trova, in Europa, il suo principale fondamento nei documenti dell'Agenzia europea del farmaco (*European medicines agency*, Ema) relativi al percorso, intrapreso nel 1995 e rafforzato nel 2006 con l'istituzione del *Patients and consumers working party (Pwcp)*, per lo sviluppo e la gestione delle interazioni con i propri *stakeholder*. Per ottimizzare tutti i contributi, Ema offre e supporta programmi di formazione differenziando contenuti e modalità di fruizione (video, webinar, seminari) in relazione ai diversi soggetti coinvolti. In questo contesto, lo sviluppo di competenze (*capacity building*) è strumentale al coinvolgimento

dei pazienti nei processi regolatori del farmaco. In tal caso, il concetto di paziente esperto assume una valenza ulteriore, che pare estenderne il significato. *Patient expert* è anche la definizione utilizzata dall'European patients' academy on therapeutic innovation (Eupati) per individuare coloro che «*in addition to disease-specific expertise, have the technical knowledge in R&D and/or regulatory affairs through training or experience*».

In generale, si può sostenere che le attività per qualificare e riconoscere un soggetto come *patient expert* in un determinato ambito siano le seguenti:

- identificazione delle specifiche aree di *expertise* («paziente esperto in...»);
- definizione delle finalità e degli obiettivi formativi da raggiungere assieme ai requisiti da soddisfare;
- individuazione dei percorsi formativi, distinguendo tra possibili diverse opzioni - formazione formale, non-formale, informale - e identificazione degli enti autorizzati a erogare la formazione necessaria (le norme Iso 29993:2017 e Iso 21001:2018, revisioni della Iso 29990:2010 *Learning services for non formal education and training*, rappresentano lo standard internazionale di riferimento per la formazione non formale).

---

## Patient advocate

*Patient expert* non equivale a *patient advocate*, a differenza di quanto pare sottendere in Italia il Codice deontologico di Farindustria del 2023 (paragrafo 4.6): il primo indica, infatti, una qualifica strumentale a un effettivo coinvolgimento nelle attività, il secondo identifica un ruolo. Per quanto non esista una definizione univoca di *patient advocate*, vi è consenso generale nel riconoscere che rappresentanza, mobilitazione, *empowerment* siano i principi che guidano e qualificano la moderna *patient advocacy*. Secondo la classificazione di Eupati, ripresa poi da altri *stakeholder* e utilizzata in documenti rilevanti, *patient advocate* sono «coloro che hanno capacità di visione e di esperienza tali da supportare una comunità di pazienti affetti da una specifica malattia».

«Esprimere i propri bisogni, esplicitare le difficoltà e preoccupazioni, consigliare strategie di miglioramento per un coinvolgimento nei processi decisionali ed esercitare un'azione a livello politico, sociale, culturale per rispondere a quei bisogni» è la ragion d'essere della moderna azione di *pa-*

*tient advocacy* in cui i pazienti si configurano sempre più come *partner* capaci di agire, ai diversi livelli decisionali, con gli altri *stakeholder*, per trovare soluzioni adeguate alla comunità rappresentata. È proprio questo rag-  
gio d'azione, sintetizzabile nel termine *partnership*, che caratterizza, secondo alcuni autori, la fase di maturità della moderna *advocacy*, che va oltre l'«attività di sensibilizzazione dell'opinione pubblica e delle istituzioni relativamente a un determinato gruppo di patologie o pazienti» o l'attivismo con cui a lungo è stata identificata.

Certamente l'acquisizione di conoscenze e lo sviluppo di competenze in differenti aree tematiche (ricerca, organizzazione dell'assistenza, accesso ai farmaci, Hta, comunicazione...) possono potenziare anche l'azione di *advocacy*, aprendo la strada a una nuova definizione, quella di *patient advocate expert*.

---

## Patient partner

A questo punto è utile chiarire il nesso tra il concetto di paziente esperto e quello di paziente partner, che sposta il *focus* dalle competenze ed esperienze alla relazione tra gli attori coinvolti. *Partnership* indica la relazione tra individui o organizzazioni caratterizzata da collaborazione, decisioni condivise (*shared decision-making*), mutua fiducia, impegno a raggiungere obiettivi comuni. Il concetto di paziente partner richiede fondamentalmente un ripensamento della *vision*, della filosofia e degli attuali modelli di interazione tra i soggetti coinvolti nell'area della salute. Indica un cambiamento culturale nella sua totalità. La definizione del concetto e la filosofia sottostante sono riconducibili principalmente al modello sviluppato in Canada dal *Centre of excellence for partnership with patients and the public (Ceppp)* dell'Università di Montréal, la cui *mission* è quella di generare un approccio culturale nuovo nel settore della salute attraverso collaborazioni (relazioni efficaci) con pazienti e cittadini. Condizioni preliminari per una efficace *partnership* sono ancora una volta educazione e formazione, con chiara identificazione del tema o dell'area oggetto di conoscenza. Costruire un futuro di collaborazioni, aprendo alle differenti esperienze e conoscenze dei vari attori per trasformarle in valore per il sistema, è la nuova visione per una salute partecipata e responsabile, dalla dimensione più umana, in uno scenario caratterizzato da una medicina sempre più personalizzata e di precisione, ma al contempo da sistemi sanitari sempre più sofferenti per la scarsità di risorse.

In assonanza con il concetto di *patient partnership* vi è quello di *participatory approach*, termine attualmente in uso anche nell'ambito della salute per indicare un insieme di strategie e metodologie volte al coinvolgimento - nella realizzazione di un intervento (servizio o prodotto), a iniziare dalla sua co-progettazione (*co-design*) - dei destinatari (*end users*). La logica di *partnership* riguarda ogni area di interesse o intervento che abbia un impatto sui pazienti (dalla ricerca all'accesso alle nuove tecnologie, fino all'organizzazione dell'assistenza sanitaria), in particolare nei sistemi a finanziamento pubblico, in cui gli assistiti sono sia *end user* sia *stakeholder*. A monte si pone comunque la questione di chi esattamente coinvolgere nei livelli d'intervento e decisionali necessari a raggiungere gli obiettivi stabiliti. In altri termini, è necessario chiarire preliminarmente i requisiti di competenza ed esperienza, nonché di rappresentanza e rappresentatività, in seno all'eterogeneo gruppo dei pazienti. In ultima analisi, occorre focalizzare l'attenzione sui processi di formazione ed educazione (e sulla qualità dei loro erogatori) per lo sviluppo di profili idonei a co-programmare, co-progettare e co-valutare, oltre che a rappresentare, ogniqualvolta necessario, i bisogni e le criticità della comunità di riferimento.

---

## **Patient-centeredness e patient-centricity**

Infine, una breve riflessione sulle organizzazioni di pazienti, definite nei documenti dell'Ema, come «*not-for profit organisations that are patient focused, and where patients and/or carers (the latter when patients are unable to represent themselves) represent a majority of members in governing bodies*». Con riferimento a «*patient focused*», si evidenzia che *patient-centered* e *patient-centricity*, che ne costituiscono ulteriore specificazione, permettono di distinguere rispettivamente tra organizzazioni o attività “guidate” da bisogni e preferenze dei pazienti e organizzazioni “a guida” di pazienti o *caregiver*. Si tratta di una questione pragmatica, che investe, in ultima analisi, anche la definizione di *patient representative* (rappresentante dei pazienti), sollevando il quesito in merito ai requisiti di chi rappresenta le organizzazioni di pazienti (*patient-focused*). Se si accoglie, per esempio, la definizione riportata dal glossario della Food and drug administration (Fda) di *patient representative* quale «*an individual, who may or may not be part of the target population, who has direct experience with a disease or condition (e.g., a patient or caregiver) and can provide information about a patient's experience with the di-*

*sease or condition*», sorge la domanda circa l'opportunità che questo ruolo sia ricoperto da chi non è né paziente affetto da una specifica patologia, né *caregiver*. Occorrerebbe, invece, chiarire da subito se si tratti di organizzazioni *patient-centered* oppure fondate sulla *patient centricty*, considerate le rilevanti differenze a livello di conoscenze, competenze, esperienze di chi le guida e, di conseguenza, nelle strategie e capacità di realizzazione.

### In conclusione

Alla luce di quanto sopra esposto e sulla base dei seguenti tre domini di riferimento

- esperienza del vivere con la malattia (*experience*);
- competenze tecniche (*expertise* in specifiche aree tematiche);
- rappresentatività della comunità di riferimento, chiarendo se la ragion d'essere e le finalità siano improntate all'azione di *patient advocacy* o meno, si può ragionevolmente sostenere che la definizione:

- *expert patient* o *individual patient* o *lay patient* attenga al primo dominio. Non implica l'acquisizione di conoscenze e lo sviluppo di competenze tecniche fatta eccezione, eventualmente, per conoscenze (*expertise*) relative alla patologia;

- *patient expert* attenga al primo e al secondo dominio (per quanto non necessariamente al primo, dato che alcune interpretazioni "estese" includono anche i cittadini nella definizione di *patient*). Tale definizione costituisce essenzialmente una qualifica, un pre-requisito per un efficace coinvolgimento in processi e attività a diversi livelli;

- *patient representative* o *patient advocate* (a seconda della ragion d'essere e della finalità dell'organizzazione), nell'accezione europea attuale, attenga al primo e al terzo dominio, sottolineando la dimensione collettiva rispetto a quella individuale;

- *patient representative expert* o *patient advocate expert* attenga a tutti e tre i domini.

La definizione di *patient partner* sottende, invece, un approccio culturale, una visione che riguarda la relazione tra pazienti e altri *stakeholder*, prima ancora di entrare nel merito dei requisiti necessari.

Le definizioni sono strumentali a individuare chi possiede i requisiti appropriati per essere coinvolto in un preciso livello di intervento («*the right person in the room*»), avendo prima chiarito finalità e obiettivi. Lo scopo è ottimizzare e valorizzare il contributo di ciascuno degli attori, migliorando al contempo l'efficienza e l'efficacia dei processi.

Rimane, infine, aperta una riflessione su come chiamare e riconoscere coloro che, come chi scrive, possiedono un *background* professionale in area scientifica (valore legale del titolo) e in area regolatoria, sono o sono stati *caregiver* (o pazienti), hanno maturato competenze ed esperienze a livello nazionale e internazionale come *patient advocate* e hanno fondato organizzazioni di pazienti diventando a tutti gli effetti *patient representative*. Può essere questa considerata una fattispecie di formazione “informale” o piuttosto “super formale”? E qual è il valore di queste “figure” per l’ecosistema salute?

---

## Bibliografia

- Una dettagliata bibliografia si può trovare nell’articolo, al quale si rimanda per una ancor più approfondita discussione del tema, pubblicato nel medesimo numero di questa rivista
- Gonzato O, “Paziente Esperto: multidimensionalità e attualità di un concetto in un contesto in evoluzione”, *Tendenze Nuove* 2024; 1: 73-98.

## Tecnologie digitali

**«C'è vero progresso solo quando  
i vantaggi di una nuova tecnologia  
diventano per tutti».**

(Henry Ford)

Lo sviluppo delle tecnologie digitali per la salute deve essere indirizzato a soddisfare i bisogni della persona affetta da patologie e, in senso più ampio, dei suoi *caregiver*. Questo obiettivo richiede il loro coinvolgimento fin dalle fasi iniziali di progettazione dei singoli dispositivi, attraverso metodologie di partecipazione attiva in grado di rappresentare le necessità reali e non soddisfatte, rendendole protagoniste del processo di ricerca e sviluppo.

Insieme alla comunità scientifica di progettisti, ricercatori, medici, professionisti sanitari, pazienti e *caregiver* esperti nel settore sono non solo i depositari dell'esperienza della malattia, ma anche di un *expertise* specifico relativo alle modalità di realizzazione e utilizzazione delle tecnologie. Grazie alle competenze acquisite, possono contribuire al processo di *decision making*, usabilità e fruibilità del *device* o dell'algoritmo.

Oggi è sempre più diffusa l'idea che la partecipazione del paziente

- 
1. Dottoranda all'Università di Torino, paziente esperta Eupati
  2. Presidente onoraria della Federazione italiana malattie rare (Uniamo)
  3. Presidente dell'Associazione nazionale porpora trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus
  4. Vicepresidente dell'Associazione nazionale porpora trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus
  5. Paziente esperta Eupati

nella progettazione di strumenti digitali sia un fattore critico di successo. In molti casi si tratta, infatti, di tecnologie basate su applicazioni (*app*) che richiedono l'impiego dello *smartphone*, che l'assistito stesso è chiamato a utilizzare in prima persona.

---

## Il corso di formazione

Alla luce di questi presupposti, nel 2022 è stata avviata la prima edizione del corso di formazione *Paziente esperto in tecnologie digitali per la salute*, nato dalla collaborazione tra Eupati, Fondazione Tendenze Salute Sanità, Unitelma Sapienza Università di Roma.

Il programma è stato strutturato in 12 moduli, per una durata complessiva di 17 ore, e in due *workshop*, per una durata di 19 ore, cui si sono aggiunti lo studio individuale e la possibilità di partecipare a eventi proposti dai docenti. Tra i temi trattati, medicina digitale e terapie digitali; *digital self management e digital drug supports*; telemedicina; aspetti regolatori; *privacy, security*, principi etici; Fascicolo sanitario elettronico; comunicazione digitale.

Il corso, durato sei mesi e terminato nel marzo 2023, ha certificato 53 pazienti (o *caregiver*) esperti in tecnologie digitali e prodotto 39 elaborati finali realizzati dai partecipanti sotto forma di esperienze narrative o *project work*.

---

## La campagna informativa All Digital Weeks

Le All Digital Weeks rappresentano una campagna informativa annuale supportata dalla Commissione europea, che coinvolge centri formativi, biblioteche, comunità, scuole e altre organizzazioni con l'obiettivo di migliorare le competenze digitali dei cittadini. L'edizione del 2023, che si è svolta dal 17 aprile al 7 maggio, con il titolo *Enhance your digital skills*, ha coinvolto più di 90mila persone grazie ai 965 eventi organizzati in 31 Paesi con diversi focus, tra cui inclusione e coesione sociale, migrazione, processi di democratizzazione, certificazione delle competenze digitali, *cybersecurity* e sicurezza su internet, ma anche formazione dei pazienti e dei *caregiver* esperti in tecnologie digitali e cultura digitale in sanità.

In Italia le Digital Weeks sono state coordinate dagli Stati generali

dell'innovazione, che hanno promosso 66 eventi incentrati sulle competenze digitali in chiave di sostenibilità, equità, diversità, inclusione, sanità e salute pubblica. Proprio in questo contesto diversi pazienti e *caregiver* esperti in tecnologie digitali per la salute hanno potuto offrire il loro contributo. Hanno, in particolare, promosso e realizzato vari seminari. Tra questi *Il paziente e caregiver esperto in tecnologie digitali per la salute*; *Le parole per dirlo: l'avventura di raccontare il viaggio nella malattia*, attuato con il contributo di due scrittori; *Il valore della medicina partecipativa nell'era digitale: l'empowerment di persona e di comunità*. Poi si è svolto un incontro dedicato ai disturbi specifici dell'apprendimento (Dsa) dei ragazzi, che potrebbero beneficiare di strategie digitali efficaci, che sono però ancora poco diffuse e accessibili nelle scuole. E ancora, un seminario focalizzato sulle competenze digitali per la salute, dal quale è emerso che il *digital divide* colpisce nel nostro Paese non solo i pazienti, ma anche i professionisti, con ricadute su disegualianze e disequità. Per colmare il gap, alcuni progetti formativi sono già stati realizzati con ottimi risultati, ma occorre dare loro evidenza per evitare che restino iniziative locali. Infine, un incontro incentrato sulle terapie digitali, che ha presentato le prime esperienze italiane, alle quali hanno partecipato anche i pazienti esperti: il prossimo passo è affrontare le questioni della formazione e della rimborsabilità.

---

## La survey con MyDigiSkills

Durante i preparativi delle All Digital Weeks del 2023, era emersa la necessità di sensibilizzare i cittadini sull'importanza delle competenze digitali. L'innovazione in questo ambito gioca, infatti, un ruolo strategico in numerosi settori, proprio a cominciare dalla sanità, dove le tecnologie possono fare la differenza, rendendo più efficace l'erogazione dei servizi, semplificando la comunicazione tra strutture sanitarie e cittadini, ottimizzando i processi.

Per questo la Commissione europea ha proposto un sondaggio di autovalutazione del "sapere" digitale a cui ha aderito, in *partnership* con gli Stati generali dell'innovazione, l'associazione Rete Malattie Rare. Quest'ultima ha invitato a partecipare, tramite mail, 26 associazioni di patologie rare, con sedi in varie regioni italiane. Di queste, sette (27%) hanno dato un riscontro positivo manifestando non solo interesse, ma anche sottolineando la necessità di trovare risposte di sistema al problema dell'inaccessibili-

tà delle cure causato da uno scarso livello di digitalizzazione. In concreto, hanno partecipato alla survey 67 persone.

Per la rilevazione è stata utilizzata MyDigiSkills, piattaforma online gratuita creata da All Digital, la cui versione in italiano è stata curata da Repubblica Digitale, iniziativa nazionale promossa dal dipartimento per la Trasformazione digitale della Presidenza del Consiglio dei ministri per combattere il divario digitale, sostenere l'inclusione digitale, favorire l'educazione sulle tecnologie del futuro. La piattaforma offre un test suddiviso nelle cinque sezioni del Quadro europeo delle competenze digitali per la cittadinanza, noto come DigComp, ovvero: alfabetizzazione su informazioni e dati, comunicazione e collaborazione, creazione di contenuti digitali, sicurezza, risoluzione dei problemi. In totale sono previste 82 domande, che richiedono in media venti minuti per essere completate. Alcune riguardano le abilità (saper fare), altre le conoscenze, altre ancora atteggiamento e attitudini.

Alla fine i partecipanti, che hanno ottenuto un report personalizzato che sintetizza il proprio livello di competenza digitale, hanno espresso soddisfazione non solo perché hanno potuto verificare le proprie capacità, ma soprattutto perché hanno potuto visualizzare i temi ancora da approfondire per essere in grado di adeguarsi agli standard di avanzamento richiesti. I risultati sono, inoltre, stati restituiti all'associazione in forma aggregata per le cinque aree, evidenziando che la meno conosciuta è risultata la terza, ovvero la creazione di contenuti digitali.

Il programma della Commissione europea proseguirà con ulteriori sviluppi, affinché sempre più cittadini siano coinvolti nelle innovazioni digitali che li riguardano, in modo che si possa realizzare quell'*empowerment* dal basso fondamentale per i veri cambiamenti culturali e per realizzare gli obiettivi di salute orientati al bene comune. Per maggiori informazioni: [www.mydigiskills.eu/it/index.php](http://www.mydigiskills.eu/it/index.php).

---

## Bibliografia

- Grigolo S, De Leo G, Ananasso F, Recchia G, Filetti S. Digital Health literacy: necessità o requisito per la salute oggi?. *Epale Journal* 2023, 107-5.

## Comitati etici

**«L'etica è, nel senso più vasto del termine,  
un senso di responsabilità esteso  
a tutto ciò che ha vita».**

(Albert Schweitzer)

I Comitati etici sono organismi indipendenti il cui ruolo è valutare gli aspetti scientifici, legali, etici di ricerche biomediche, studi clinici, interventi assistenziali, con l'obiettivo di proteggere i diritti, la sicurezza e la salute delle persone coinvolte. Sono composti da 22 membri con diverse competenze, che devono operare in modo imparziale, adottando procedure mirate a ridurre gli eventuali conflitti di interesse.

Per quanto riguarda gli aspetti etici, i principali riferimenti includono la Dichiarazione di Helsinki e la Convenzione sui diritti dell'uomo e la biomedicina di Oviedo, in Spagna. Entrambi i documenti enfatizzano il primato del benessere della persona rispetto agli interessi della ricerca e l'importanza del consenso informato. Inoltre, per valutare le sperimentazioni di medicinali, i Comitati possono fare riferimento alle Norme di buona pratica clinica (*Good clinical practice*) e alle linee guida dell'Agenzia europea dei medicinali (European medicines agency, Ema).

I Comitati svolgono un ruolo cruciale nel garantire che le attività di ricerca siano conformi ai seguenti principi:

- rispetto della persona: i partecipanti alla ricerca devono essere

---

1. Professore emerito di Medicina interna, Università Sapienza di Roma; vicepresidente del Comitato etico territoriale Lazio Area 3-Policlinico Gemelli

2. daVi DigitalMedicine e Fondazione Tendenze Salute e Sanità Ets, Verona

trattati con dignità;

- autonomia del soggetto: i partecipanti devono essere liberi di scegliere se partecipare o meno alla ricerca;
- informazione e consenso: chi partecipa deve essere adeguatamente informato sui rischi e benefici della ricerca e deve dare il proprio consenso informato;
- minimizzazione del rischio: i rischi per i partecipanti devono essere ridotti al minimo;
- beneficio sociale: i benefici potenziali della ricerca devono superare i rischi.

---

## Valutare studi e farmaci compassionevoli

I Comitati etici si occupano anzitutto di valutare gli studi, che possono essere:

- sperimentali con farmaco in tutte le fasi, dalla 1 alla 4;
- osservazionali con o senza farmaco;
- su procedure diagnostiche o terapeutiche negli ambiti sia sperimentale, sia non sperimentale;
- su dispositivi medici negli ambiti sia sperimentale, sia non sperimentale.

Questi organismi si occupano anche di esprimere un parere favorevole o contrario all'autorizzazione all'uso compassionevole di farmaci non ancora approvati, valutando, in particolare, se il medicinale sia in grado di offrire un beneficio significativo al paziente, se i rischi siano accettabili, se il piano di trattamento sia attentamente valutato e monitorato per garantire la sicurezza degli assistiti.

---

## Questioni di *privacy* e consenso

Oltre a ciò, i Comitati valutano anche il consenso informato, la *privacy*, il trattamento dei dati.

Per quanto riguarda il consenso informato dovrebbero:

- esaminare attentamente il processo attraverso il quale i partecipanti alla ricerca forniscono il loro consenso, assicurandosi che sia volontario, informato e basato su una effettiva comprensione;

- verificare che i partecipanti ricevano informazioni complete sulla ricerca, sui suoi obiettivi, sui potenziali rischi e benefici, sulle alternative disponibili e sul proprio diritto di ritirare il consenso in qualsiasi momento;
- assicurarsi che il linguaggio utilizzato sia comprensibile per i partecipanti e che questi ultimi abbiano l'opportunità di fare domande o chiedere ulteriori chiarimenti;
- valutare se il consenso provenga da individui con capacità decisionale, eventualmente coinvolgendo tutori o rappresentanti legali nei casi di partecipanti vulnerabili o minori.

Per quanto concerne, invece, la valutazione della *privacy* dovrebbero:

- esaminare le misure adottate per garantire la *privacy* dei partecipanti, incluse anonimizzazione dei dati, crittografia delle informazioni sensibili, adozione di protocolli sicuri per la gestione dei dati stessi;
- assicurarsi che venga rispettata la riservatezza dei partecipanti durante la raccolta, la conservazione e la trasmissione dei dati, valutando se le informazioni personali siano condivise solo con persone autorizzate e nel rispetto delle leggi;
- esaminare le politiche di accesso ai dati, garantendo che siano finalizzate al solo scopo della ricerca e limitate a persone autorizzate.

Infine, per quanto riguarda la valutazione del trattamento dei dati, dovrebbero:

- assicurarsi che vengano gestiti in conformità con le normative, come il Regolamento generale sulla protezione dei dati (*General data protection regulation, Gdpr*) in Europa;
- valutare le procedure per la loro conservazione, incluse le modalità di distruzione sicura quando non saranno più necessari;
- esaminare le misure di sicurezza informatica per proteggerli dalla perdita o dal furto;
- valutare la trasparenza riguardo al loro trattamento e l'obbligo di notificare gli eventuali incidenti di sicurezza al fine di adottare misure correttive tempestive.

---

## Una legislazione elusiva

L'inclusione dei pazienti all'interno dei Comitati etici è piuttosto recente e varia ampiamente tra i diversi Paesi. In Italia è stata introdotta dalla legge 3 dell'11 gennaio 2018, che ha riformato la disciplina della sperimentazio-

ne clinica. Si tratta di un passo avanti importante, che può apportare un contributo significativo alla tutela dei diritti degli assistiti e alla promozione della ricerca etica. Tuttavia, è utile considerare alcuni potenziali problemi che potrebbero derivare da questa inclusione. Per esempio, i pazienti potrebbero sovrastimare i benefici o sottostimare i rischi della partecipazione a uno studio. Inoltre, potrebbero comprendere gli aspetti correlati alla propria condizione patologica, ma non capire il punto di vista dei pazienti affetti da altre patologie. E ancora, potrebbero non avere un'adeguata comprensione dei principi di metodologia della ricerca e di bioetica clinica rispetto ad altri membri dei Comitati. Tutto ciò potrebbe condurre a decisioni non ottimali o, caso più frequente, a una partecipazione marginale, di mera rappresentanza, ai lavori del Comitato. Per superare queste sfide, è fondamentale che i pazienti ricevano una formazione specifica.

Secondo la legislazione corrente, l'assistito che entra a fare parte del Comitato viene identificato come «un rappresentante delle associazioni di pazienti o di cittadini impegnati sui temi della salute». Oltre a lui, i Comitati devono includere «tre clinici delle discipline più rappresentative della sperimentazione clinica; un medico di medicina generale territoriale; un pediatra; un biostatistico; un farmacologo; un farmacista ospedaliero; un esperto in materia giuridica; un esperto in materia assicurativa; un medico legale; un esperto di bioetica; un rappresentante dell'area delle professioni sanitarie interessata alla sperimentazione; un esperto in dispositivi medici; un ingegnere clinico o un fisico medico; in relazione allo studio di prodotti alimentari sull'uomo, un esperto in nutrizione; in relazione allo studio di nuove procedure tecniche, diagnostiche e terapeutiche, invasive e semi-invasive, un esperto clinico del settore; in relazione agli studi di genetica, un esperto in genetica. Nei casi di valutazioni inerenti ad aree non coperte dai propri componenti, il Comitato può convocare, per specifiche consulenze, esperti esterni, individuati in appositi elenchi predisposti dalle Regioni mediante bando pubblico».

Si nota che molte volte le competenze vengono delineate dalla legislazione con la parola «esperto», che, secondo Treccani, quando «viene usata con funzione di sostantivo indica un perito, un tecnico o, più in generale, una persona che ha una vasta competenza in un settore». Il decreto richiede, perciò, la presenza di vari esperti (in materia giuridica, in materia assicurativa, in bioetica...), ma quando si tratta del paziente o del cittadino si parla di rappresentanza. A quali pazienti (o cittadini) si fa riferimento? Quali associazioni potrebbero essere prese in considerazione come

---

componenti di un Comitato?

Il fatto che nel nostro Paese non esista una normativa che specifichi quali pazienti devono essere coinvolti nei Comitati potrebbe avere implicazioni significative, con un'inadeguata considerazione del loro potenziale ruolo. Per esempio, un paziente che ha vissuto una malattia per un breve periodo potrebbe non avere la stessa esperienza e conoscenza di uno che l'ha sperimentata per molti anni. Inoltre, un paziente che rappresenta un'associazione di pazienti di una determinata patologia potrebbe non essere in grado di comprendere le esigenze degli assistiti con altre malattie.

In assenza di una legislazione specifica, è importante che i Comitati siano consapevoli di queste potenziali sfide e adottino misure idonee a superarle.

---

## **Ruolo del paziente nei comitati etici**

In ogni modo, il paziente può svolgere un ruolo fondamentale all'interno dei Comitati etici, offrendo la preziosa prospettiva di chi ha vissuto in prima persona la malattia. Per essere efficace in questo ruolo, il paziente dovrebbe possedere diverse competenze:

- conoscenza approfondita della propria malattia e delle esperienze dei pazienti in generale;
- familiarità con i principi e i meccanismi regolatori del Comitato;
- comprensione della Dichiarazione di Helsinki;
- abilità comunicativa e relazionale;
- capacità decisionale.

Nel Comitato il paziente è chiamato a prendere decisioni complesse, valutando i protocolli di sperimentazione clinica e i loro potenziali rischi e benefici. Le sue competenze e la sua esperienza diretta possono contribuire a garantire che la ricerca medica sia condotta in modo etico e responsabile, nel rispetto dei diritti e della dignità dei pazienti.

Per rendere la partecipazione degli assistiti realmente utile e produttiva, è fondamentale una loro formazione. Per riaffermare il loro ruolo di garanti dei diritti dei cittadini-pazienti, i Comitati dovrebbero includere pazienti esperti, che possiedano adeguate competenze, formati attraverso un corso mirato in bioetica clinica e metodologia di ricerca. Un corso di Good clinical practice (Gcp) rappresenta una valida soluzione. Pazienti di qualsiasi associazione, disponibili a partecipare all'attività di un Comitato etico, potrebbero ottenere una certificazione Gcp che comprova la loro co-

noscenza dei meccanismi dei Comitati stessi. Le associazioni di pazienti con membri in possesso di tale certificazione possono contribuire significativamente alla composizione dei Comitati.

L'inclusione di pazienti competenti/esperti offre vari benefici, sia per il processo di revisione etica delle sperimentazioni, sia per la ricerca e l'assistenza sanitaria in generale:

- Miglioramento della comunicazione e dell'informazione: i pazienti esperti possono aiutare a garantire che le informazioni fornite ai partecipanti siano comprensibili e complete, facilitando così un corretto consenso informato.

- Maggiore centralità del paziente: i pazienti esperti possono collaborare con i ricercatori per comprendere meglio le esigenze e le preferenze degli assistiti, migliorando così la qualità dei protocolli di ricerca.

- Maggiore fiducia e condivisione delle scelte tra medici e pazienti.

- Contributo alla tutela dei diritti dei partecipanti alla sperimentazione: i pazienti esperti possono contribuire a garantire che i dati dei partecipanti siano trattati in modo confidenziale e anonimo, in conformità con le leggi sulla *privacy*.

- Supporto alla sicurezza dei pazienti: i pazienti esperti possono aiutare a verificare che un paziente sia idoneo a partecipare a uno studio, riducendo così il rischio di danni.

Parallelamente, a fronte di questi vantaggi, i Comitati etici dovrebbero modificare i propri regolamenti per stabilire chiaramente l'obbligo di includere solo i pazienti esperti, dotati delle competenze e dell'esperienza necessarie per svolgere un ruolo efficace all'interno del gruppo di lavoro.

---

## **L'importanza del confronto e del dialogo**

L'inclusione dei pazienti esperti nei Comitati etici rappresenta un rilevante passaggio da una mera rappresentanza a un coinvolgimento attivo, competente e consapevole. Quest'ultimo genera un approccio più inclusivo e centrato sul paziente nella valutazione etica della ricerca biomedica. È fondamentale, tuttavia, mantenere un equilibrio tra questa inclusione e la necessità di una varietà di competenze essenziali per una valutazione completa. Promuovere un dialogo aperto tra tutti i membri, inclusi i pazienti, è la chiave per raggiungere decisioni etiche informate ed equilibrate, garantendo così il beneficio collettivo nel percorso della ricerca e della pratica medica.

---

## Bibliografia

- Regolamento (UE) n.536/2014 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 aprile 2014, sulla sperimentazione clinica di medicinali per uso umano. Gazzetta Ufficiale dell'Unione Europea, 27 maggio 2014.
- Legge 11 Gennaio 2018, n.3 “Delega al Governo in materia di sperimentazione clinica di medicinali nonché disposizioni per il riordino delle professioni sanitarie e per la dirigenza sanitaria del Ministero della salute” - Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana, Anno 159° - Numero 25, 31 Gennaio 2018.
- Decreto 8 febbraio 2013 del Ministero della Salute recante “Definizione dei criteri per la composizione e il funzionamento dei comitati etici territoriali” (13A03474) (GU Serie Generale n.96 del 24-04-2013).
- Dichiarazione di Helsinki e la Convenzione sui diritti dell’Uomo e la Biomedicina (di Oviedo).
- Grigolo S, Agresta I, Mazzariol S, van Doorne D. Il paziente, la sanità digitale e le terapie digitali. *Tendenze nuove* 2021; Numero Speciale n.01: 159-76.
- Gruppo di Lavoro “Paziente Esperto in...” 2018-2019 Paziente esperto 3.0 - Paziente (caregiver) esperto in.... 2019. *Tendenze nuove* 2019; 2: 5-17.

## Ricerca e sviluppo di farmaci

**«I farmaci non sono solo forieri di benefici.  
Impiegarli quando è davvero necessario,  
perché pasticche e sciroppi non sono beni di consumo,  
ma strumenti di salute».**

*(Fa bene o fa male?, Silvio Garattini)*

L'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) ha stabilito, con la determina del direttore generale 1839 del 6 dicembre 2019, l'inclusione dei pazienti o delle loro associazioni a supporto dei percorsi decisionali sui farmaci.

È importante, però, che l'assistito non solo metta a disposizione la propria esperienza di malattia, ma che acquisisca, attraverso una formazione specialistica, una *expertise* specifica, che lo renda il partner ideale per la collaborazione con medici, aziende farmaceutiche, istituzioni, *stakeholder*. Per esempio, potrà essere coinvolto nei Comitati etici come membro effettivo; collaborare con i ricercatori, sia in protocolli di sperimentazione dei farmaci sia in protocolli di ricerca qualitativa; partecipare a gare per l'acquisto di beni per la sanità pubblica.

Per diventare pazienti esperti in questo ambito è possibile frequentare il corso di formazione *Patient engagement in ricerca e sviluppo delle terapie innovative* di Eupati, un training di alta formazione giunto nel 2024 alla 5ª edizione, realizzato con il supporto di Aifa, dell'Istituto superiore di sanità e di Farindustria. Il corso, che si tiene da aprile a novembre 2024, è composto da sei moduli: scoperta e pianificazione dello sviluppo di medicinali; fase pre-clinica e sviluppo farmacologico; sviluppo clinico esploratorio e confermatario; studi clinici; affari regolatori, sicurezza dei medi-

cinali, farmacovigilanza e farmacoepidemiologia; principi e pratica dell'Hta. In totale sono previste 160 ore in *e-learning* e 20 in presenza. I partecipanti devono superare un test alla fine di ogni modulo per poter accedere al successivo. Al termine del percorso otterranno la certificazione di paziente esperto Eupati. Per offrire un corso sempre aggiornato, esperti e ricercatori si occupano costantemente della revisione del materiale didattico. Per chi non potesse frequentare il percorso completo, è prevista *Opzione smart*, una formula che permette la fruizione di singoli moduli, ma non consente di ottenere la certificazione finale.

## Valutare le tecnologie sanitarie: l'Hta

**«È l'esatta valutazione di tutte le variabili che consente di colpire il bersaglio».**

*(Quisquiglie di perla, Pietro Tartamella)*

Gli organismi di valutazione delle tecnologie sanitarie (*Health technology assessment, Hta*) sono organizzati in modo diverso a livello internazionale. Per questo non esiste un unico modo di coinvolgere i pazienti nel settore, ma molto dipende dal contesto politico e culturale. Il coinvolgimento dovrebbe essere il risultato della collaborazione tra l'organismo di Hta e i rappresentanti dei pazienti e dovrebbe essere in costante evoluzione alla luce dell'esperienza e dei *feedback*.

---

### Le attività che il paziente può svolgere

Gli assistiti possono essere coinvolti in varie attività, per esempio partecipare come membri di commissioni, comitati e gruppi di lavoro; identificare possibili argomenti di Hta; fissare le priorità tra i vari temi; identificare i risultati sanitari e altri fattori di impatto da affrontare; esaminare le proposte o le offerte da parte di organizzazioni o appaltatori esterni; fornire un parere a un comitato di valutazione; sottoporre prove per la valutazione delle tecnologie sanitarie; esaminare le bozze delle relazioni e delle raccomandazioni di Hta; aiutare a preparare riassunti delle relazioni di Hta in un linguaggio comprensibile per i pazienti; diffondere i risultati di Hta a politici, pazienti e altri gruppi interessati

---

## Una formazione necessaria

Per poter svolgere tutto ciò è, però, necessario comprendere il funzionamento del processo valutativo, che è piuttosto complesso. In concreto, occorre capire come funziona l'Hta, quali sono le domande che vengono poste, cosa ci si aspetta dai pazienti e quale può essere l'utilità della loro prospettiva. In quest'ottica, un'adeguata formazione risulta imprescindibile.

All'Hta è, per esempio, dedicato un modulo del corso di formazione *Patient engagement in ricerca e sviluppo delle terapie innovative* di Eupati. A livello europeo, nel 2022, per promuovere le attività dell'European Network for Health technology assessment (EuNetHta), è stato lanciato, nell'ambito del programma Eu4 Health Programme (Eu4H), un bando per la formazione sia di pazienti, sia di clinici. Sono state selezionate e finanziate due iniziative.

---

## I due progetti

Il primo progetto, coordinato da Eurordis-Rare disease Europe, è *European capacity building for patients (Eucapa)*, mirato a formare i pazienti e i loro rappresentanti nella valutazione delle tecnologie sanitarie, nell'ottica del nuovo Regolamento europeo sull'Hta numero 2282 del 2021, che diventerà pienamente applicativo nel gennaio 2025. Cominciato nel 2023, il progetto durerà due anni, concentrandosi soprattutto sulle persone che vivono con il cancro e sugli individui che necessitano di terapie avanzate. Tre i tipi di formazione offerta:

- **Introduttiva:** è rivolta alla più ampia comunità di pazienti e alle organizzazioni che necessitano di sapere di più sull'Hta per partecipare a valutazioni cliniche congiunte (*Joint clinical assessment, Jca*) e consultazioni scientifiche (*Joint scientific consultations, Jsc*). Si svolge online, dura due ore ed è composta da sette brevi moduli, a cui è possibile accedere in qualsiasi momento.

- **Rapida:** consente ai pazienti di acquisire le competenze essenziali per partecipare come pazienti esperti alle Jca e alle Jsc con breve preavviso. Si svolge online, dura otto ore.

- **Estesa:** sviluppa ulteriormente concetti, abilità, conoscenze dei due corsi precedenti. Si svolge in presenza, dura tre giorni.

Il secondo progetto, chiamato Hta4Patients, è coordinato da Eupati. Iniziato nel 2023, durerà tre anni. Prevede, in particolare, la creazione di un corso di formazione *e-learning* sul nuovo Regolamento Hta e lo sviluppo di sessioni di formazione online interattive (in cinque lingue) per preparare i partecipanti che prenderanno parte a Jca e Jsc con organismi nazionali di Hta.

## Come selezionare il paziente esperto

**«È solo quando sai quello che vuoi  
che non prendi tutto quello che passa».**

*(Il quadro mai dipinto, Massimo Bisotti)*

Dalla ricerca e sviluppo di farmaci alla stesura di linee guida, fino alla partecipazione ai Comitati etici, il paziente esperto è oggi sempre più presente in varie attività. Nella maggior parte dei casi, a ciascun paziente che collabora con un'associazione o un ente viene assegnata una sorta di identikit, che include informazioni anagrafiche, patologia, competenze correlate sia alla professionalità, sia al compito da svolgere. Un approccio, questo, che consente alle organizzazioni stesse di selezionare, al bisogno, il profilo più adatto alla specifica attività da portare a termine. Ma come vengono selezionati inizialmente questi pazienti? Con quali criteri?

---

### **I requisiti in Lombardia e Toscana**

In Italia la situazione è a macchia di leopardo. Per esempio, in Lombardia, per partecipare alla selezione per entrare a fare parte dei Comitati etici è obbligatoria l'iscrizione nell'Elenco delle associazioni di volontariato e di pazienti presenti nel registro del terzo settore, oltre a uno dei seguenti tre requisiti: appartenere a una federazione nazionale di pazienti; avere partecipato a corsi di aggiornamento che riguardano la sperimentazione clinica negli ultimi cinque anni; avere già fatto parte in precedenza di un Comitato etico. In Toscana, invece, per essere selezionati come par-

tecipanti nel percorso di acquisto dei dispositivi medici è fondamentale sia essere un paziente con una determinata patologia, sia possedere una formazione specifica certificata.

---

## Le istituzioni europee

Oltre confine, l'Agenzia europea per i medicinali (*European medicines agency*, Ema) prevede la partecipazione sia di pazienti individuati da una delle associazioni del proprio *network* (delegando pertanto a esse la selezione), sia di singoli individui a cui non sono richieste conoscenze specifiche pregresse, se non quelle basate sulla propria esperienza. In quest'ultimo caso, sarà l'Ema stessa a farsi carico di fornire supporto e materiale didattico.

L'European Network for Health technology assessment (EuNetHta) richiede, invece, che i pazienti coinvolti possiedano una «conoscenza esperienziale collettiva», per esempio derivante dalla partecipazione a un'organizzazione di pazienti. Secondo EuNetHta, possedere una formazione specifica nella ricerca scientifica o nell'Hta potrebbe facilitare la comunicazione con gli altri organismi coinvolti, rendendo così il processo più efficiente, ma non dovrebbe essere considerato un requisito necessario.

---

## Le associazioni dei pazienti

Nell'ambito delle associazioni di pazienti, possiamo prendere come esempi un paio di organizzazioni. La prima è Eular (*European league against rheumatism*, Federazione europea delle associazioni di reumatologia), che incorpora sia medici e operatori sanitari, sia pazienti e prevede la partecipazione di questi ultimi a molteplici attività. Il reclutamento implica anzitutto la compilazione di un modulo di domanda per raccogliere le prime informazioni. È poi previsto un colloquio tramite videoconferenza mirato a esplorare aspirazioni, esperienza, competenze degli assistiti. Il tutto con l'obiettivo di accertare l'adeguatezza allo specifico ruolo da svolgere. Alcuni compiti sono occasionali (per esempio, presiedere una sessione del congresso Eular), altri a lungo termine (per esempio, fare parte di un gruppo di lavoro). A ciascun ruolo è correlata una procedura di selezione, delineata nei relativi documenti. Diverso è il caso dei pazienti che partecipano alla ri-

cerca, i *patient research partner* (Prp), per i quali è essenziale una precedente esperienza in analogo ruolo. Tra le competenze desiderabili, conoscenza della lingua inglese (scritta e parlata), esperienza come Prp in progetti nazionali o internazionali (raccomandazioni, linee guida, ricerca di base), partecipazione a webinar e sessioni di condivisione delle competenze della rete Euler Prp. Nel 2023 è stato sviluppato un apposito corso biennale dedicato ai Prp, che in futuro diventerà obbligatorio. Composto da 12 moduli, tratta vari temi, tra cui epidemiologia, valutazione critica della letteratura scientifica, economia sanitaria, processo regolatorio, divulgazione.

La seconda realtà è Lupus Europe, l'organizzazione europea che riunisce le associazioni nazionali sul lupus. Sebbene disponga di alcuni principi guida, l'organizzazione non ha criteri di selezione rigorosi. Punta piuttosto a disporre di un gruppo diversificato, in termini sia di conoscenza di base, sia di esperienza di ricerca, per garantire una rappresentazione globale della comunità. In fase di reclutamento, il paziente viene in genere selezionato in base a caratteristiche personali e motivazionali che, oltre all'esperienza della patologia, includono volontà di partecipare attivamente alle attività, buone capacità di comunicazione per collegare efficacemente comunità dei pazienti e comunità scientifica, spirito collaborativo, disponibilità a partecipare a iniziative di formazione e aggiornamento organizzate sia dalla stessa associazione, sia da altre associazioni.

---

## **Mancano criteri univoci**

Dagli esempi proposti si può evidenziare che a oggi non è ancora stato definito un criterio di selezione univoco nelle diverse situazioni. Nella maggior parte dei casi, una formazione specifica pregressa viene considerata un *plus* per una collaborazione proficua, ma non è un requisito obbligatorio. Ad accomunare tutti gli esempi internazionali è, comunque, l'invito alla formazione, che può essere acquisita sia attraverso le attività formative organizzate dalle associazioni, sia tramite i corsi disponibili, come per esempio quelli di Eupati, Eurordis, Euler, Epap, Epf.

Di fatto, la formazione dei pazienti in ricerca e sviluppo dei farmaci e in Hta è avvertita sempre più come necessaria. Si ritiene che i criteri di selezione avranno un'evoluzione nel prossimo futuro, rendendo indispensabile un'adeguata formazione del paziente, prima di coinvolgerlo nelle varie attività.

Ancora poco considerata è, invece, la formazione dei medici e degli altri operatori rispetto al ruolo del paziente. In proposito, è necessario che tutti lavorino in modo sinergico per consentire una collaborazione proficua e per far sì che la presenza del paziente, da alcuni ancora vista come solo formale, diventi realmente un elemento fondamentale per la buona riuscita di progetti e attività.

---

## **Bibliografia**

- Regione Toscana, Deliberazione 702 del 20.06.2022, Allegato 1, Linee di indirizzo sul coinvolgimento del paziente esperto nel percorso di acquisto dei dispositivi medici.
  - [www.ema.europa.eu/en/partners-networks/patients-and-consumers/getting-involved](http://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/patients-and-consumers/getting-involved)
  - EUnetHta, Template for patient acting as external expert for Jsc and Jca, 04.04.2023
  - Eular Pare Volunteer Policy
  - [www.ard.bmj.com/content/annrheumdis/70/5/722.full.pdf](http://www.ard.bmj.com/content/annrheumdis/70/5/722.full.pdf)
  - [www.lupus-europe.org](http://www.lupus-europe.org)

## *Participatory design:* metodi di partecipazione

**«Solo insieme possiamo  
raggiungere ciò che ciascuno  
di noi cerca di raggiungere».**

(Karl Jaspers)

Il *design* partecipativo in sanità, noto anche come *participatory design* o *co-design*, è un approccio che coinvolge pazienti, *caregiver*, professionisti sanitari e altri operatori nel processo di progettazione di servizi, prodotti, ambienti, con l'obiettivo di creare soluzioni il più possibile efficaci e adatte alle esigenze degli utenti. Ci sono diversi approcci di *design* partecipativo utilizzati nel contesto sanitario. Di seguito ecco i principali.

---

### *After action review*

Questo procedimento è stato sviluppato in ambito militare. Si basa sulla revisione di un progetto già concluso per determinarne i fattori di successo e di insuccesso. In seguito alla riflessione, si decide quali processi mantenere e quali modificare al fine di ottimizzare le risorse.

- 
1. Dottoranda all'Università di Torino, paziente esperta Eupati
  2. Presidente onoraria della Federazione italiana malattie rare (Uniamo)
  3. Presidente dell'Associazione nazionale porpora trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus
  4. Vicepresidente dell'Associazione nazionale porpora trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus
  5. Fondatrice e presidente della Fondazione Paola Gonzato Ets

---

## ***Agreement and certainty matrix***

La matrice di accordo e certezza, ideata dal ricercatore inglese Ralph Douglas Stacey, è uno strumento visivo che si può utilizzare per aiutare i gruppi a classificare le sfide. Quattro le categorie previste: semplici, complicate, complesse, caotiche. Un problema è semplice quando può essere risolto in modo affidabile con pratiche facili da replicare, è complicato quando è necessario ideare una soluzione sofisticata che produca i risultati desiderati in modo prevedibile, è complesso quando esistono diversi modi validi per procedere ma i risultati non sono prevedibili nel dettaglio, è caotico quando il contesto è troppo turbolento per identificare un percorso da seguire. Questo metodo può aiutare a comprendere meglio il tipo di problema da affrontare e a esplorare le soluzioni più appropriate.

---

## ***Appreciative interview***

Si tratta di un metodo strutturato, creato dal manager David Cooperrider, per promuovere un cambiamento positivo all'interno di una organizzazione. È un approccio ottimistico e creativo, che genera collaborazione, fiducia, innovazione, basandosi sull'idea che le persone sono più motivate se ci si concentra sui loro punti di forza, piuttosto che sulle loro debolezze. Il processo prevede quattro fasi: identificazione dell'obiettivo, esplorazione dei successi, creazione di una visione condivisa, azione.

---

## ***Brainstorming***

Questo metodo è stato formulato per la prima volta nel 1939 dall'autore statunitense Alex Osborn e sviluppato in seguito dal teorico del management Charles Hutchison Clark. Si tratta di una tecnica che si attua in gruppo, alla presenza di un moderatore, con l'obiettivo di far emergere, in modo spontaneo e senza filtri, nuove idee creative. Solo in seguito queste ultime vengono selezionate e valutate per individuare le più interessanti.

Simile al *brainstorming* è il *brainwriting*, che però si effettua per iscritto, offrendo a tutti i membri del gruppo pari opportunità di partecipare alla discussione e di mettersi in gioco senza reticenze.

---

## ***Case study***

È un'indagine empirica che affronta un fenomeno all'interno di un contesto di vita reale. Tale metodo combina, in genere, vari strumenti di raccolta dei dati, tra cui ricerche di archivio, interviste, questionari. Di solito i dati qualitativi predominano su quelli quantitativi.

---

## ***Critical uncertainties***

Questo approccio può aiutare un gruppo eterogeneo di persone a sviluppare strategie per rispondere rapidamente a sfide future caratterizzate da criticità e incertezze. Non produce un piano da implementare, ma costruisce resilienza, intesa come la capacità di reagire anche a eventi inattesi.

---

## ***Six thinking hats***

Questa tecnica, ideata da Edward De Bono, è basata sull'applicazione del pensiero parallelo o laterale, che abbatte barriere e preconcetti. I sei cappelli, contrassegnati da colori diversi, rappresentano i vari approcci a un pensiero o a un'idea: bianco (analisi del problema), verde (idee innovative), giallo (elementi positivi), nero (elementi negativi), rosso (emozioni), blu (conclusioni). Tra i benefici del metodo, ampliare il processo creativo, riflettere su dettagli e punti di vista difficilmente rilevabili in altro modo, aumentare concentrazione e focalizzazione sull'argomento.

---

## ***Storyboard***

Lo scopo di questo metodo è rendere le riunioni utili e produttive, eliminando perdite di tempo, distrazioni, scarsa partecipazione. La tecnica consiste nel progettare e definire passo dopo passo, con l'ausilio di appositi schemi, gli elementi di micro-organizzazione necessari per raggiungere l'obiettivo: inviti strutturati, definizione dello spazio, materiali necessari, allocazione del tempo.

---

## *Ecocycle planning*

Consente di stabilire le priorità e pianificare le azioni alla presenza di tutti gli individui coinvolti nelle attività, in contrasto con il modo convenzionale di procedere a porte chiuse con un piccolo gruppo di persone. Favorisce una gestione che tutela l'ambiente, mettendo in evidenza l'impatto che le scelte possono avere nel contesto più ampio. Invita i leader a concentrarsi anche sul riciclo creativo, oltre che su crescita ed efficienza.

---

## *Expert panel*

I gruppi di esperti sono spesso utilizzati nella ricerca clinica e sui servizi sanitari. Di solito sono composti da due fasi guidate da domande, cui segue una fase di discussione. Se condotti correttamente, sono uno strumento prezioso per trovare un accordo su argomenti controversi e formulare raccomandazioni condivise. Tuttavia, sono costosi e laboriosi da condurre perché è necessario identificare gruppi rappresentativi, coordinare i programmi, organizzare le riunioni, reclutare un facilitatore esperto.

---

## *Improv prototyping*

Si tratta di un metodo indicato per risolvere problemi cronici o conflitti all'interno di un gruppo. In sostanza, i partecipanti presenteranno le criticità e le possibili soluzioni in modo divertente, attraverso l'improvvisazione teatrale. Apprendimento e miglioramento deriveranno dalla possibilità di attingere simultaneamente a tre livelli di conoscenza: esplicita, cioè quella condivisa dai partecipanti; tacita, scoperta osservando le reciproche prestazioni; latente, ovvero nuove idee che emergono e vengono sviluppate congiuntamente.

---

## *Integrated autonomy*

La maggior parte delle sfide che affrontiamo nel mondo reale non ha una risposta semplice. Soluzioni diverse possono essere ugualmente giu-

ste. Questo metodo aiuta i gruppi a passare dal pensiero dicotomico «o...o» al pensiero «entrambi». Consente di adottare una visione olistica di fronte alle sfide, promuovendo risposte e strategie non unidirezionali, ma a tutto campo. Il modello favorisce il pensiero strategico, la comprensione reciproca, la collaborazione, facendo emergere il vantaggio di essere nel contempo integrati e autonomi.

---

### ***Min specs***

In un gruppo di lavoro, si specificano solo poche semplici regole, le cose da fare e quelle da non fare per raggiungere un obiettivo. Spesso sono sufficienti da due a cinque specifiche per migliorare le prestazioni ampliando la libertà d'azione. Sulla base della loro esperienza, i partecipanti possono modellare e adattare le specifiche, lavorando insieme. Lo scopo è eliminare le regole non essenziali, che intralciano l'innovazione.

---

### ***Mindmapping***

Le mappe mentali, ideate dallo psicologo inglese Tony Buzan nella seconda metà degli anni Sessanta, sono utili per schematizzare graficamente idee e concetti. Possono essere un ottimo metodo per gestire team di lavoro, pianificare e monitorare progetti, incrementare creatività ed efficienza. Vari sondaggi rivelano che possono aumentare la produttività del 20-30%, molto più di un foglio Excel o di un documento di testo.

---

### ***Open space technology***

Si tratta di una tecnica introdotta da Harrison Owen negli anni Ottanta del secolo scorso, mirata all'esecuzione di riunioni in cui i partecipanti creano e gestiscono autonomamente l'agenda. Le sessioni possono includere da cinque a più di duemila persone. In pratica, tutti i partecipanti possono diventare relatori: non esiste un programma strutturato, né una gerarchia nell'ordine degli interventi. L'enfasi è posta sulla partecipazione collettiva in condizioni di parità.

---

## ***Purpose 2 practice***

Questo metodo fa sì che tutte le parti interessate collaborino a un'iniziativa futura. Il gruppo inizia stabilendo una dichiarazione di intenti condivisa. Gli elementi aggiuntivi, ovvero principi, partecipanti, struttura, pratiche, sono modellati in vista dell'obiettivo.

---

## ***Raci matrix***

La matrice Raci (*Responsible accountable consulted informed*) è uno strumento utilizzato per chiarire i ruoli e le responsabilità di ciascuno riguardo a compiti, obiettivi, decisioni nell'ambito di un progetto. Si tratta di un metodo ideato per promuovere la chiarezza nei flussi comunicativi e di lavoro.

---

## ***Role play***

I giochi di ruolo, concretamente declinati in brevi esercizi spontanei, offrono l'opportunità di assumere il ruolo di una persona. Quest'ultimo può essere svolto da singoli individui, in coppia o in gruppi, che possono riprodurre uno scenario di vita reale più complesso, magari stressante, non familiare, controverso, evidenziando ed esaminando i sentimenti che emergono.

---

## ***Social network webbing***

È un metodo che permette di individuare rapidamente, in un gruppo, le risorse presenti nella rete di relazioni, stabilendo anche quali passi intraprendere per attingere a tali risorse. Consente di costruire connessioni più solide e nuove, in modo inclusivo, evitando l'approccio *top-down*.

---

## ***Storytelling***

È un'efficace forma di comunicazione dalle origini antiche, che attinge alla narrazione, al racconto utilizzato per tramandare storie, me-

torie, conoscenze, tradizioni. Oggi si utilizza soprattutto per comunicare in maniera efficace e coinvolgente prodotti o servizi e per valorizzare le vicende delle persone (come accade, per esempio, nella medicina narrativa).

---

### ***Swot analysis***

L'analisi Swot è uno strumento di pianificazione strategica usato per valutare quattro aspetti, ovvero punti di forza, debolezze, opportunità, minacce, di un progetto o di una situazione in cui un individuo o un'organizzazione debba prendere una decisione per il raggiungimento di un obiettivo. Il metodo esamina i fattori sia interni sia esterni, ovvero ciò che accade all'interno e all'esterno dell'organizzazione. Consente di mettere a fuoco la posizione attuale per identificare nuove opportunità.

---

### ***Troika consulting***

Si tratta di “consulenze” brevi e veloci, in cui, in un gruppo, una persona chiede aiuto su una determinata questione e riceve immediatamente suggerimenti dagli altri partecipanti. Un *coaching peer-to-peer* semplice ed efficace, utile per affinare le abilità nel domandare supporto, imparare a formulare chiaramente i problemi, migliorare le capacità di ascolto e consulenza, costruire la fiducia attraverso il sostegno reciproco, creare le condizioni affinché emergano soluzioni nuove e creative.

---

### ***World cafè***

È un metodo semplice per dar vita a conversazioni su questioni concrete e importanti. Cerca di promuovere una cultura del dialogo partendo dall'ipotesi che le organizzazioni siano in fondo delle reti di conversazioni tra persone. L'approccio, nato nel 1995, si è progressivamente diffuso perché ha dimostrato la propria utilità nel generare informazioni e relazioni.

## *Value based healthcare*

Da alcuni anni le associazioni dei pazienti, sostenute da vari professionisti della sanità, promuovono percorsi di riconoscimento delle proprie storie a fini terapeutici. Al sapere scientifico di cui gli esperti sono rappresentanti indiscutibili si affianca sempre più il sapere esperienziale, quotidiano, caratterizzato da abilità personali, competenze acquisite sul campo, aspettative, preferenze, valori, principi etici, che costituisce la massima espressione della persona che soffre, che convive con una o più malattie, che si deve misurare ogni giorno con sistemi e organizzazioni diversi.

In questo contesto, emerge la necessità di promuovere la realizzazione di Percorsi diagnostici terapeutici assistenziali (Pdta) basati non solo sulle evidenze scientifiche, ma anche sul *value-based healthcare*, in cui il sapere esperienziale rappresentato dalle associazioni di pazienti si integra con l'*evidence-based medicine*, giungendo alla personalizzazione delle cure, soprattutto per i pazienti affetti da malattie rare o comorbilità complesse.

Il report realizzato nel 2019 dall'Expert panel on effective ways of investing in health (Exph) della Commissione europea propone una definizione di *value-based healthcare* basata su quattro pilastri:

- cure appropriate per raggiungere gli scopi personali dei pazienti (valore personale);
- raggiungimento dei migliori *outcome* possibili con le risorse disponibili (valore tecnico);
- distribuzione equa delle risorse in tutti i gruppi di pazienti (valore allocativo);
- contributo della sanità alla partecipazione sociale e alla connessione (valore sociale).

Exph raccomanda, inoltre, di supportare la ricerca e lo sviluppo di metodologie per «incoraggiare i professionisti della salute ad assumersi le responsabilità e a sentirsi responsabili del miglioramento del valore nella salute per la popolazione al fine di raggiungere la concordanza terapeutica attraverso lo *shared decision making* e il riconoscimento dell'importanza della prospettiva del paziente, dei suoi valori, delle sue preferenze promuovendo informazioni di alta qualità».

Nel report di consenso sulla *roadmap* per implementare la *value-based healthcare* in Europa della European University Hospital Alliance sono indicate importanti raccomandazioni generali. In tale documento, la *value-based healthcare* considera gli *outcome* dei pazienti al centro dei processi sanitari

collegandoli ai costi e determinandone il valore. Quest'ultimo dovrebbe essere la chiave per assicurare la sostenibilità dell'alta qualità della sanità nel futuro. Allineare i percorsi dei pazienti e focalizzarsi sugli *outcome* migliora il livello qualitativo, aumenta l'efficienza e realizza l'approccio paziente-centrico.

---

## Oltre Pdta e linee guida

La persona è portatrice *de facto* di diritti e di doveri che, nel sistema sanitario, si possono declinare in principi e in valori etici, come l'uguaglianza, l'autodeterminazione, la dignità, il rispetto. L'essere persona unica e diversa dagli altri implica la necessità di personalizzare le cure superando la logica della standardizzazione dei Pdta e delle linee guida. Questi ultimi rappresentano, infatti, orientamenti e suggerimenti che, pur basati sulle prove di efficacia, richiedono un adattamento alle preferenze e alle prospettive del paziente. Ed è questa una delle ragioni per cui coinvolgere l'assistito nella cura attraverso approcci che privilegiano lo *shared decision-making* rappresenta un valore aggiunto mirato al perseguimento del value-based healthcare.

Il paziente, dunque, non è solo esperto di una determinata materia, ma deve essere partner del cambiamento e dell'innovazione nella democrazia sanitaria. Nel sistema sanitario italiano serve un cambio di paradigma, in modo che la partecipazione dei pazienti venga "praticata" e non solo "invocata". Ancora oggi poche sono le realtà virtuose nelle quali gli assistiti partecipano alla co-progettazione e co-programmazione dei servizi attraverso azioni di sistema. Pazienti e operatori sanitari dovrebbero lavorare insieme, allo stesso tavolo, per migliorare l'intero sistema-salute.

Affinché ciò si realizzi occorrono maggiori investimenti nella formazione di pazienti e *caregiver* e, soprattutto, dei manager e dei dirigenti della sanità.

---

## Bibliografia

- Al-Samarraie H, Hurmuzan S. A review of brainstorming techniques in higher education. *Thinking Skills and creativity* 2018; 27, 78-91.
- Andersson E, Tritter J, Wilson R. Healthy democracy: the future of involvement in health and social care. Involve and NHS Centre for Involvement 2017.
- Arnetz JE, Almin I, Bergström K, et al. Active patient involvement in the

establishment of physical therapy goals: Effects on treatment outcome and quality of care. *Adv Physiother* 2004; 6: 50-6.

- Arnetz JE, Winblad U, Arnetz BB, Hoglund AT. Physicians' and nurses' perceptions of patient involvement in myocardial infarction care. *Eur J Cardiovasc Nurs* 2008; 7: 113-20. doi: 10.1016/j.ejcnurse.2007.05.005.

- Backström T, Moström Åberg M, Köping Olsson B, et al. Manager's task to support integrated autonomy at the workplace: Results from an intervention. *International Journal of Business and Management* 2013; 8: 20-31 <http://dx.doi.org/10.5539/ijbm.v8n22p20>.

- Bajaj SS, Martin AF, Stanford FC. Health-based civic engagement is a professional responsibility. *Nat Med* 2021; 27: 1661-3. <https://doi.org/10.1038/s41591-021-01523-2>.

- Bereczky T. The Impatient Patient. *Socio. hu Társadalomtudományi Szemle* 2013; (Spec 1): 1-21.

- Bonwell C C, Eison JA. Active learning: Creating excitement in the classroom. Washington, DC: The George Washington University 1991.

- Buchenau M, Fulton Suri J. Experience prototyping. In: *Proceedings of the 3rd conference on Designing interactive systems: processes, practices, methods, and techniques (DIS '00)*. 2000; pp 424-33. <https://doi.org/10.1145/347642.347802>.

- Charon R. What to do with stories: the sciences of narrative medicine. *Can Fam Physician* 2007; 53: 1265-7.

- Crowe M, Sheppard L. Mind mapping research methods. *Qual Quant* 2012; 46: 1493-1504. <https://doi.org/10.1007/s11135-011-9463-8>.

- Centor RM. To be a great physician, you must understand the whole story. *MedGenMed* 2007; 9: 59.

- Cooperrider DL, Whitney D, Stavros JM. Appreciative inquiry handbook: The first in a series of AI workbooks for leaders of change (Vol. 1). Berrett-Koehler Publishers 2003.

- De Bono E. Six Thinking Hats: The multi-million bestselling guide to running better meetings and making faster decisions. Penguin uk 2017.

- Ekmekci I, Nebati EE. Triz Methodology and Applications. *Procedia Computer Science* 2019; 158: 303-15.

- England NHS. Online library of Quality, Service Improvement and Redesign tools. Cause and Effect (Fishbone). pp 44-47. [https://www.england.nhs.uk/commissioning/wp-content/uploads/sites/44/2017/11/the\\_handbook\\_of\\_quality\\_and\\_service\\_improvement\\_tools\\_2010-2.pdf](https://www.england.nhs.uk/commissioning/wp-content/uploads/sites/44/2017/11/the_handbook_of_quality_and_service_improvement_tools_2010-2.pdf) (Last accessed: 10 June 2022)

- England NHS. Online library of Quality, Service Improvement and Re-design tools. Responsibility charting 2021; pp 28-31 england. [https://www.england.nhs.uk/commissioning/wp-content/uploads/sites/44/2017/11/the\\_handbook\\_of\\_quality\\_and\\_service\\_improvement\\_tools\\_2010-2.pdf](https://www.england.nhs.uk/commissioning/wp-content/uploads/sites/44/2017/11/the_handbook_of_quality_and_service_improvement_tools_2010-2.pdf) (Last accessed: 10 June 2022).
- Faughnan M, Murphy L. Liberating Structures for Pluriversal World-Making (2021). In: <https://dl.designresearchsociety.org/cgi/viewcontent.cgi?article=1053&context=pluriversaldesign>. Consultato il 24.08.2023.
- Greenfield S, Kaplan S, Ware Jr JE. Expanding patient involvement in care: effects on patient outcomes. *Ann Int Med* 1985; 102; 520-8.
- Gretzky W. Strategic planning and SWOT analysis. *Essentials of strategic planning in healthcare* 2010; 1: 91-108.
- Harbour E, Connick J. Role playing games and activities rules and tips. 2005; <https://www.businessballs.com/amusement-stress-relief/role-playing-and-role-play-games-process-and-tips/>.
- Hensel WA, Rasco TL. Storytelling as a method for teaching values and attitudes. *Academic Medicine* 1992; 67: 500-4.
- Hoare P, Maneeratana B, Songwadhana W, et al. Relief Models, a Multipurpose Tool for Improved Natural Resource Management The Experience of the Upper Nan Watershed Management Project in Thailand. Archived 2007-11-11 at the Wayback Machine. *ASEAN Biodiversity* 2002; 2: 11-6.
- Hurst DK, Zimmerman BJ. From Life Cycle to Ecocycle: A New Perspective on the Growth, Maturity, Destruction, and Renewal of Complex Systems. *Journal of Management Inquiry* 1994; 3: 339-54. <https://doi.org/10.1177/105649269434008>.
- Ilevbare IM, Probert D, Phaal R. A review of TRIZ, and its benefits and challenges in practice. *Technovation* 2013; 33: 30-7.
- Khan PM, Quraishi KA. Impact of RACI on delivery and outcome of software development projects. In: *2014 Fourth International Conference on Advanced Computing & Communication Technologies* 2014; 177-184.
- Khodyakov D, Hempel S, Rubenstein L, et al. Conducting Online Expert panels: a feasibility and experimental replicability study. *BMC Med Res Methodol* 2011; 11: 174. <https://doi.org/10.1186/1471-2288-11-174>.
- Junghee K, Kim YL, Jang H, et al. Living labs for health: an integrative literature review. *European Journal of Public Health* 2020; 30: 55-63. <https://doi.org/10.1093/eurpub/ckz105>.

- Lebaron J, Miller D. The potential of jigsaw role playing to promote the social construction of knowledge in an online graduate education course. *Teachers College Record* 2005; 107: 1652-74. <https://journals.sagepub.com/doi/abs/10.1111/j.1467-9620.2005.00537.x?download=true&journalCode=tcza>.
- Leinhardt S. (Ed.). (2013). *Social networks: A developing paradigm*. Elsevier
- Lowe D, Ryan R, Schonfeld L, et al. Effects of consumers and health providers working in partnership on health services planning, delivery and evaluation. *Cochrane Database Syst Rev* 2021; 9: CD013373. doi: 10.1002/14651858.CD013373.pub2.
- Martineau JT, Minyaoui A, Boivin A. Partnering with patients in healthcare research: a scoping review of ethical issues, challenges, and recommendations for practice. *BMC Med Ethics* 2020; 21: 34. doi: 10.1186/s12910-020-0460-0.
- Maruani T, Amit-Cohen I. Open space planning models: A review of approaches and methods. *Landscape and urban planning* 2007; 81: 1-13.
- Merner B, Schonfeld L, Virgona A, et al. Consumers' and health providers' views and perceptions of partnering to improve health services design, delivery and evaluation: a co-produced qualitative evidence synthesis. *Cochrane Database Syst Rev* 2023; 3: CD013274. doi: 10.1002/14651858.CD013274.pub2.
- Miller T, Reihlen M. Assessing the impact of patient-involvement healthcare strategies on patients, providers, and the healthcare system: a systematic review. *Patient Education and Counseling* 2023; 107652.
- Patient and Public Participation Policy NHS, 2017. <https://www.england.nhs.uk/publication/patient-and-public-participation-policy/>
- Rambaldi G, Callosa-Tarr J. Participatory 3-Dimensional Modelling: Guiding Principles and Applications Archived 2002-10-16 at the Wayback Machine. ASEAN Regional Center for Biodiversity Conservation (ARCBC) 2002.
- Rambaldi G, Callosa-Tarr J. Manual on Participatory 3-D Modeling for Natural Resource Management Archived 2008-05-11 at the Wayback Machine. Essentials of Protected Area Management 2000; Vol. 7; National Integrated Protected Areas Programme. European Commission, DENR, Quezon City, Philippines. ISBN 971-8986-21-9.
- Recchia V, Dodaro A, De Marco E, Zizza A. A critical look to community wisdom: Applying the World Café method to health promotion and prevention. *The International Journal of Health Planning and Management* 2022; 37: 220-242; Fouché C, Light G. An Invitation to Dialogue: 'The

World Café' In Social Work Research. *Qualitative Social Work* 2011; 10: 28-48. <https://doi.org/10.1177/1473325010376016>.

- Sahlsten MJ, Larsson IE, Sjostrom B, Plos KA. An analysis of the concept of patient participation. *Nurs Forum* 2008; 43: 2-11. doi: 10.1111/j.1744-6198.2008.00090.x.

- Savransky SD. Engineering of creativity: Introduction to TRIZ methodology of inventive problem solving. *CRC press* 2000.

- Shearer AW. Critical uncertainties in time: an experiment in method. *Foresight* 2013; 15: 89-105. <https://doi.org/10.1108/14636681311321103>.

- Smith LM. 8: An Evolving Logic of Participant Observation, Educational Ethnography, and Other Case Studies. *Review of Research in Education*; 1978; 6: 316-77. doi:10.3102/0091732x006001316; Yin RK. Enhancing the quality of case studies in health services research. *Health services research* 1999; 34(5 Pt 2): 1209.

- Souliotis K, Peppou LE, Agapidaki E, et al. Health democracy in Europe: Cancer patient organization participation in health policy. *Health Expect* 2018; 21: 474-84. doi: 10.1111/hex.12638.

- Souliotis K, Peppou LE, Agapidaki E, Tzavara C. Health Democracy Index: Development and Validation of a Self-Reported Instrument for Measuring Patient Participation in Health Policy. *Front. Public Health* 2018; 6: 194. doi: 10.3389/fpubh.2018.00194.

- Sundstrom SM, Angeler DG, Bell J, et al. Panarchy theory for convergence. *Sustain Sci* 2023; 18: 1667-82. <https://doi.org/10.1007/s11625-023-01299-z>.

- Vahdat S, Hamzehgardeshi L, Hessam S, Hamzehgardeshi Z. Patient involvement in health care decision making: a review. *Iran Red Crescent Med J* 2014; 16: e12454. doi: 10.5812/ircmj.12454.

- Van Aken JE. On the design of design processes in architecture and engineering: technological rules and the principle of minimal specification. Eindhoven Centre for Innovation Studies, The Netherlands, Working Paper 2003; 3: 1-3.

- van der Lelie C. The value of storyboards in the product design process. *Pers Ubiquit Comput* 2006; 10: 159-62. <https://doi.org/10.1007/s00779-005-0026-7>.

- van Wijngaarden JD, Scholten GR, van Wijk KP. Strategic analysis for health care organizations: the suitability of the SWOT-analysis. *The International journal of health planning and management* 2012; 27: 34-49.

- Walker J, Andrews S, Grewcock D, Halligan A. Life in the slow lane:

making hospitals safer, slowly but surely". *J R Soc Med* 2012; 105: 283-7.

- Wilson C. Brainstorming and beyond: a user-centered design method. Newnes. 2013.

- Zimmerman B. Ralph Stacey's agreement & certainty matrix. Schulich School of Business, York University, Toronto, Canada. 2001. Available on <https://www.nccmt.ca/uploads/media/media/0001/03/219b71c0f7ff72221e90bd4b6b7c537466c18301.pdf>

## **Innovazione della terapia delle malattie croniche *per il Paziente, con il Paziente***

Il Piano Nazionale Cronicità - Aggiornamento 2024 descrive le malattie croniche come principale causa di morti premature evitabili e disabilità e di compromissione della sostenibilità dei sistemi sanitari e la prosperità sociale<sup>1</sup>.

Si tratta di una emergenza sanitaria e sociale, che va affrontata e gestita con nuovi strumenti e nuovi metodi. La convergenza tra biologia e software offre oggi nuove opportunità di contrasto alle malattie croniche, nuove opzioni di salute per i pazienti, nuove opportunità di sviluppo per il Paese.

*Patient Monitoring*<sup>2</sup> basati su sensori per monitorare la glicemia, *Digital Therapeutics*<sup>2</sup> per trattare l'insonnia cronica, *Care Supports*<sup>2</sup> per la autogestione dell'ipertensione arteriosa, *Digital Drug Supports*<sup>2</sup> per ottimizzare l'attività del farmaco sono alcune delle tecnologie digitali per la salute in grado non solo di migliorare gli esiti clinici della malattia, ma di abilitare lo sviluppo di un nuovo modello di assistenza in cui il paziente si trova realmente al centro della cura.

Si tratta di una trasformazione digitale della salute e della assistenza, già in atto da alcuni anni, che oggi esce da laboratori e centri di ricerca per entrare nella vita quotidiana di operatori e pazienti.

Una trasformazione abilitata dalle tecnologie digitali, prime tra tutte le tecnologie *patient-facing*, rivolte al paziente. Troppo spesso citato come slogan, paziente al centro rappresenta la nuova realtà della salute digitale.

È la mano del paziente che tiene in mano il telefono con la App di terapia digitale o che indossa il braccialetto per misurare la pressione arteriosa, un paziente che riceve e scambia informazioni sulla propria malattia, consapevole della propria salute, della propria malattia e della necessità di cambiare i propri comportamenti e stile di vita. Un paziente inserito in un contesto di sanità nella quale i dati che genera sono tutelati anche quando sono resi disponibili al medico per orientare e nel personalizzare la terapia ed al-

la ricerca per trovare nuove soluzioni di salute.

Polifarma, impresa farmaceutica italiana con una storia di oltre 100 anni e una vocazione per l'innovazione, ha aggiornato nel 2022 la propria Ricerca e Sviluppo verso lo sviluppo di terapie bio-digitali, attraverso la collaborazione aperta con parti portatrici di specifiche esperienze in grado di completare le competenze aziendali, secondo l'approccio della *Open Innovation*. La nostra ricerca e sviluppo di nuovi prodotti è guidata da contesto nel quale il prodotto sarà utilizzato. *Paziente al centro* pertanto non deve rimanere uno slogan e neppure essere limitato alla sola assistenza, ma deve essere al centro anche della ricerca e dello sviluppo. Un paziente che sia formato e conosca le nuove tecnologie digitali per la salute, che interpreti i bisogni degli altri pazienti, che sia in grado di dialogare con medici, infermieri, ingegneri, farmacisti ed altri membri del team di ricerca...

*...un paziente esperto in tecnologie digitali per la salute.*

Dopo aver sostenuto la realizzazione del 1<sup>o</sup> Corso *UnitelmaSapienza Università di Roma per la formazione per il Paziente Esperto in Tecnologie Digitali per la Salute*<sup>3</sup>, Polifarma ha sostenuto - con un contributo liberale non condizionante - le attività del progetto "*Paziente esperto in...nuove tecnologie, nuove conoscenze, nuove esperienze*", che ora vedono la pubblicazione dei risultati.

Si tratta dell'inizio di un percorso, che deve portare un numero sempre più grande di pazienti a formarsi come esperti, per portare competenza ed esperienza nelle commissioni di valutazione delle nuove tecnologie digitali per la salute, nei comitati etici, nei team di ricerca e sviluppo di terapie bio-digitali delle imprese farmaceutiche.

Senza questa partecipazione e questo contributo, le nuove opportunità di contrasto alle malattie croniche potrebbero non essere pienamente realizzate.

Siamo orgogliosi di essere con i primi, in questa nuova frontiera della innovazione terapeutica.

---

## Bibliografia

1. Ministero della Salute. Piano Nazionale Cronicità - Aggiornamento 2024. Bozza del 13 giugno 2024
2. Digital Therapeutic Alliance. Guidance to Industry - Classification of Digital Health Technologies. 2023
3. UnitelmaSapienza. Certificati in Italia i primi Pazienti Esperti in Tecnologie Digitali per la Salute <https://www.unitelmasapienza.it/news/unitelmasapienza-certifica-in-italia-i-primi-42-pazienti-esperti-in-tecnologie-digitali-per-la-salute/>

---

# Appendice

---

## 1. Le testimonianze dei pazienti

**Massimo Chiamonte**, *presidente dell'Associazione nazionale porpora trombotica trombocitopenica-sindrome di Moschowitz onlus*

La porpora trombotica trombocitopenica acquisita è una patologia autoimmune del sangue, descritta per la prima volta nel 1924 da Eli Moschcowitz e caratterizzata dalla formazione di piccoli accumuli spontanei di sangue (microtrombi) all'interno di un vaso sanguigno, in cui restano "intrapolate" le piastrine. Si tratta di una malattia rara, che conta circa tre casi per milione di adulti all'anno, con maggiore incidenza nel sesso femminile. Proprio il fatto che sia una sindrome non comune spiega la scarsità di studi randomizzati, con conseguente variabilità delle pratiche cliniche.

### **Le prime linee guida nazionali**

Nel maggio 2020 è giunta alla nostra associazione la richiesta di individuare un paziente da nominare nel *panel* di esperti per la stesura delle prime linee guida nazionali relative alla malattia. Un documento importantissimo per due motivi. Il primo è che, vista la mancanza di raccomandazioni cliniche italiane, gli operatori sanitari hanno sempre proceduto - anche per stilare i pochissimi Percorsi diagnostico terapeutici assistenziali (Pdta) - facendo riferimento a quelle di altri Paesi. Il secondo è che negli ultimi vent'anni ci sono state varie novità terapeutiche che migliorano il trattamento, riducendo del 90% la mortalità e che meritano pertanto di essere valutate e inserite nelle linee di indirizzo. La scelta del rappresentante dei malati è stata compiuta tenendo conto dell'esperienza acquisita (anzianità di malattia) e della formazione. Sono così stato incaricato io, che avevo da poco terminato vari corsi di aggiornamento, tra cui *Patient & Volunteer Management*, *Introduction to the Patient Safety*, Paziente esperto Eupati. Ho accettato il compito con senso di responsabilità verso la comunità che rappresentavo, cercando di svolgere il mio ruolo al meglio.

---

### Un lavoro durato dieci mesi

I lavori sono cominciati con un primo incontro online, a causa della pandemia, in cui sono stati presentati il programma e il metodo da seguire per la stesura del testo. Secondo un processo definito nel manuale *Adapte* e conforme al *Grade-Adolopment*, sono state prese in considerazione linee guida già esistenti, ovvero quelle prodotte dall'*International Society for Thrombosis and Haemostasis* nel 2020, un documento di ottima qualità metodologica secondo *Agree II*. In base all'importanza, allo scopo e alla trasferibilità nel contesto prescrittivo italiano, il panel ha selezionato cinque quesiti. Dopo la discussione, sono state adottate o adattate le cinque rispettive raccomandazioni, integrate da dieci indicazioni di Buona pratica clinica per migliorarne la fruibilità. Al termine del lavoro di redazione, durato dieci mesi, le linee guida sono state pubblicate a settembre 2021 sull'apposito sito gestito dall'Istituto superiore di sanità (Iss). Tra i benefici attesi dall'implementazione di tali raccomandazioni vi sono maggiore uniformità e migliore qualità dell'assistenza ai pazienti.

### Essere parte del sistema

A pubblicazione avvenuta, mi sono sentito soddisfatto. Avevo iniziato il percorso con vari obiettivi, a livello sia di competenze e conoscenze, sia di crescita personale. Per quanto riguarda il primo aspetto, desideravo approfondire il tema del percorso di cura e far conoscere meglio agli specialisti le aspettative della comunità che rappresentavo. Per quanto concerne il secondo aspetto, volevo mettermi in gioco e confrontarmi con le sfide del settore. Ho partecipato al *panel* alla pari, il mio ruolo è stato considerato importante quanto quello degli altri membri. Mi sono sentito veramente parte del sistema. Ed è stato gratificante.

### Il malato come portatore di conoscenza

Pare che un concetto importante per il prossimo futuro sia quello di partecipazione dei pazienti. Di questo tema si parla in vari documenti (dagli atti di indirizzo ministeriali alle deliberazioni regionali passando per i Piani nazionali di cronicità e malattie rare), ma di fatto rimane spesso una dichiarazione d'intenti. Ogni giorno, infatti, le persone affette da una patologia si misurano con atteggiamenti degli amministratori tesi a sminuire la partecipazione attiva, sostituendola forzatamente con prese d'atto passive.

Per fortuna i tempi stanno cambiando: ora sempre più pazienti non solo si informano, ma si formano, diventando pazienti esperti, figure che devono essere formalmente riconosciute nel proprio ruolo di rappresentanza. Coinvolgere il paziente o l'associazione di riferimento di una determinata patologia è l'unico modo per avere una visione completa della condizione che il malato affronta quotidianamente. Siamo portatori di una conoscenza, unica e privilegiata, dell'impatto della malattia sulla qualità di vita, così come lo siamo dei risultati dei trattamenti terapeutici a cui ci sottoponiamo.

---

**Renza Barbon Galluppi**, *presidente onoraria della Federazione italiana malattie rare (Uniamo)*

Per mia figlia Laura, 36 anni, tutto è cominciato alla nascita con un falso negativo di una malattia metabolica (scoperta poi all'età di 10 anni), seguita dalla diagnosi di una malattia ultra-rara *de-novo* (a 31 anni). Da qui un impegno trentennale a cercare di individuare una causa, ma soprattutto di soddisfare bisogni assistenziali e sociali complessi, correlati agli effetti della patologia. Mi sono trovata di fronte a un sistema sanitario, socio-sanitario e sociale che non accoglieva la mia necessità di conoscenza, di confronto, di aiuto. Ho cercato così di lavorare per promuovere nuove azioni di sistema che rispondessero alla complessità di patologie croniche rare o rarissime.

### **La difficoltà dell'impegno federativo**

Nel 1999 ho trovato supporto nella Federazione italiana malattie rare (Uniamo), in cui mi sono impegnata dapprima come socia volontaria, fino a esserne presidente dal 2005 al 2015. Ho cercato di dare alla federazione un'impronta costruttiva, facendo dei nostri bisogni la nostra forza di comunità.

I primi anni sono stati molto difficili. A differenza di ciò che avviene in Europa, dove nel 1997, a Parigi, è stata costituita Eurordis, l'organizzazione europea delle associazioni di malattie rare, capace già da allora di interloquire con le istituzioni, ho riscontrato molto di-

---

sinteresse nei confronti dell'impegno federativo da parte delle associazioni italiane di malattie rare, in quanto impegno di comunità e di "secondo livello".

### **Oltre il farmaco**

Le prime associazioni di malattie rare sono nate a partire da una specifica patologia e su impulso dei medici, allo scopo di raccogliere fondi da dedicare allo staff di cura. Ancora oggi il loro maggiore impegno riguarda la ricerca scientifica e molto meno l'accessibilità alle terapie e al sistema che le eroga. Il bisogno di cura viene inteso come bisogno del farmaco *ad hoc*. Eppure il farmaco è sì uno strumento di cura, ma non è la sola cura. Per affermare questo paradigma è necessaria la formazione.

### **La formazione di Uniamo**

In Italia la federazione Uniamo ha sviluppato, grazie ai molteplici cofinanziamenti del ministero del Lavoro e dell'Agenzia nazionale per i servizi sanitari regionali (Agenas), progetti formativi e iniziative di comunità. Nel 2017 ho promosso, con l'impresa sociale Uniamo-Goldin, un corso di formazione sull'Hta che ha permesso ai partecipanti, sia pazienti sia *caregiver*, di acquisire competenze specifiche per partecipare al processo di *health technology assessment*. Nel 2018 ho realizzato un'offerta formativa riguardante le malattie rare: la Season School Rare Disease, con l'obiettivo di offrire ai partecipanti gli strumenti basilari per riconoscere i propri interessi e saperli poi indirizzare a favore della comunità. Una scuola di base paragonabile alle scuole elementari e medie, cui può seguire la formazione di Eupati e di Eurordis, paragonabili a una scuola superiore. Passaggi necessari per accedere all'università (corso Unitelma in tecnologie digitali e varie offerte formative universitarie).

---

**Giorgia Tartaglia**, *paziente esperta Eupati*

Mia figlia è affetta da una patologia rara. Un'esperienza traumatica dal punto di vista emotivo, sia per l'improvvisa insorgenza della malat-

---

tia, sia per l'assenza di un supporto al momento della diagnosi. Improvvisamente le certezze si sono tramutate in incertezze e ciò che era facile diventava difficile. In quanto madre e *caregiver* ero determinata ad agire, ma occorreva trasformare questa volontà da semplice determinazione ad azioni di successo. Un percorso, lungo e graduale, che procede per tappe con un unico focus: l'acquisizione di conoscenze per tutelare i propri cari nel contesto sanitario, che ha regole e *asset* definiti e che si basa su normative che rendono la *governance* e le attività correlate articolate e complesse.

### **L'esperienza allo sportello delle malattie rare**

Tra le varie attività che ho svolto durante il percorso, ricordo quella di volontaria allo sportello delle malattie rare del Policlinico Umberto I di Roma, preceduta da un apposito corso di formazione. Proprio la mia esperienza mi ha fatto comprendere l'importanza di fornire, contestualmente alla diagnosi, un servizio di ascolto dotato di personale preparato per svolgere una prima accoglienza. Questa attività, che ritengo molto importante, ben si colloca all'interno della cosiddetta umanizzazione delle cure, che caratterizza molti ambiti del sistema salute.

### **Il curriculum esperienziale**

La formazione, per le attività di sportello e non solo, è sempre fondamentale, in quanto permette la conoscenza di tutti gli strumenti necessari per svolgere nel miglior modo possibile l'incarico. È con questa convinzione che nel 2019 ho partecipato al corso Eupati, un percorso formativo importante su vari temi, tra cui genetica, epigenetica, genomica, biobanche, medicina personalizzata, studi clinici, marcatori biologici, comitati etici.

Oggi, dopo molti anni di "apprendistato", ricopro dal 2019 il ruolo di segretaria generale di Euro Hsp, federazione di associazioni nazionali della paraplegia spastica ereditaria, e vicepresidente dell'Associazione italiana Vivere la paraparesi spastica ereditaria. A caratterizzare il mio percorso di "consapevolezza" sono state tutte le attività pratiche e teoriche (corsi di formazione, ma anche convegni, *meeting*, seminari) che hanno via via formato il mio *curriculum* esperienziale, che oggi mi permette di affrontare con maggior competenza la malattia di mia figlia, generando maggiore serenità per tutta la famiglia.

---

## 2. Glossario per il paziente esperto

Versione italiana, ampliata e aggiornata, del documento *Patient-Focused Drug Development Glossary* pubblicato dalla Food & Drug Administration, a cura di Giuseppe Recchia e Sebastiano Filetti

### **Nota**

Per ciascuna voce viene riportato il termine italiano con il corrispondente termine inglese tra parentesi.

Per alcune voci viene riportato il termine inglese, con una possibile traduzione italiana, quando tale termine (per uso consolidato o difficoltà di una tradizione universalmente accettata) sia da preferire a quello italiano.

### **Alfabetizzazione (*Literacy*)**

La capacità di una persona di leggere, scrivere, parlare, calcolare, risolvere problemi al livello necessario per: operare sul lavoro e nella società; raggiungere i propri obiettivi; sviluppare le proprie conoscenze e potenzialità.

### **Alfabetizzazione sanitaria (*Health literacy*)**

Il grado di capacità degli individui di ottenere, elaborare, comprendere le informazioni e i servizi sanitari di base necessari per prendere decisioni appropriate in materia di salute. L'alfabetizzazione sanitaria include anche le competenze numeriche - come calcolare i livelli di colesterolo e di zucchero nel sangue, misurare le dosi dei farmaci, capire le etichette degli alimenti - e la conoscenza degli argomenti sanitari.

### **Applicazioni per la salute e il benessere (*Health and wellness app*)**

Soluzioni sanitarie digitali rivolte a persone o a pazienti che acquisiscono, memorizzano e talvolta trasmettono dati generali sulla salute, indipendentemente da una specifica malattia, e che offrono indicazioni non cliniche sul benessere e su uno stile di vita sano.

### **Attributo (*Attribute*)**

Un attributo è una caratteristica di un prodotto medico - come l'efficacia, la sicurezza, le modalità di somministrazione, la durata dell'effetto o la durata d'uso - che può influire sulle considerazioni relative al rapporto tra beneficio e rischio.

---

### **Beneficio (*Benefit*)**

I benefici sono gli effetti favorevoli di un prodotto medico, che includono il beneficio clinico (si veda la definizione di seguito). Possono anche comprendere caratteristiche importanti, come la convenienza (per esempio, un regime di dosaggio o una via di somministrazione più agevole), che può portare a una maggiore *compliance* del paziente, o riguardare persone diverse dal paziente.

[Fonte: *Linee guida della Conferenza internazionale sull'armonizzazione*]

### **Beneficio clinico (*Clinical benefit*)**

Effetto positivo clinicamente significativo di un intervento, per esempio sul modo in cui un individuo si sente, funziona o sopravvive.

[Fonte: *Risorsa Best - Biomarkers, Endpoints and Other Tools*]

### **Biomarcatore (*Biomarker*)**

Una caratteristica definita che viene misurata come indicatore di processi biologici normali, di processi patogenetici o di risposte a un'esposizione o a un intervento, compresi quelli terapeutici. Le caratteristiche molecolari, istologiche, radiografiche, fisiologiche sono tipi di biomarcatori. Un biomarcatore non è una valutazione di come un individuo si sente, funziona o sopravvive.

[Fonte: *Risorsa Best - Biomarkers, Endpoints and Other Tools*]

### **Bisogno medico non soddisfatto (*Unmet medical need*)**

Condizione il cui trattamento non è adeguatamente soddisfatto dalla terapia disponibile. Un bisogno medico insoddisfatto comprende un bisogno immediato per una popolazione definita (per esempio, curare una condizione grave senza trattamento o con un trattamento limitato) o un bisogno a lungo termine per la società (per esempio, affrontare lo sviluppo della resistenza ai farmaci antibatterici).

[Fonte: *Fda Guidance on Expedited Programs for Serious Conditions*]

### **Caregiver (Assistente nella cura di una persona non autosufficiente o autonoma)**

Persona che supporta un paziente nelle attività quotidiane, nell'assistenza sanitaria o in qualsiasi altro compito che non è in grado di svolgere da solo a causa di una malattia o di una disabilità. Si tratta di una figura in grado di comprendere le esigenze del paziente in materia di salute.

Può avere o meno autorità decisionale per l'assistito e non è l'operatore sanitario del paziente.

---

### **Impatto del trattamento (*Treatment burden*)**

Si riferisce all'impatto di uno specifico trattamento o regime terapeutico che ha un effetto negativo sulla salute, sul funzionamento o sul benessere generale del paziente. Il carico del trattamento include (ma non si limita a): effetti collaterali, disagio, incertezza sui risultati, dosaggio e via di somministrazione, requisiti e impatti finanziari.

### **Concetto (*Concept*)**

In un contesto regolatorio, il concetto (detto anche concetto di interesse) è l'aspetto dello stato clinico, biologico, fisico o funzionale di un individuo o dell'esperienza che la valutazione intende catturare (o riflettere).

*[Fonte: Risorsa Best - Biomarkers, Endpoints and Other Tools]*

### **Contributi del paziente (*Patient input*)**

Informazioni che catturano le esperienze, le prospettive, le esigenze e le priorità dei pazienti.

### **Contributi forniti dai pazienti (*Patient-provided input*)**

Dati sull'esperienza del paziente o altre informazioni che provengono direttamente dagli assistiti.

### **Dati sull'esperienza del paziente (*Patient experience data*)**

Definiti nel Titolo III, sezione 3001 del 21<sup>st</sup> Century Cures Act, come modificato dalla sezione 605 del Fda Reauthorization Act del 2017, comprendono i dati raccolti da qualsiasi persona e destinati a fornire informazioni sulle esperienze dei pazienti con una malattia o una condizione di salute. Tali dati possono fotografare le prospettive, le esigenze, le priorità dei pazienti relative a (ma non solo): i sintomi della loro patologia e la storia naturale; l'impatto della malattia sul loro funzionamento e sulla qualità di vita; la loro esperienza con i trattamenti; le indicazioni su quali esiti sono importanti per loro; le preferenze per gli esiti e i trattamenti; l'importanza di ogni questione definita dai pazienti stessi.

### **Diagnostici digitali (*Digital diagnostics*)**

Strumenti digitali validati per il rilevamento e la caratterizzazione della malattia, la misurazione dello stato di patologia, la risposta al trattamento, la progressione o la recidiva.

---

### **Effetto del trattamento (*Treatment effect*)**

L'entità del cambiamento di una malattia o condizione, di un sintomo o di una funzione che deriva da un intervento medico (rispetto a chi non riceve l'intervento o a chi riceve un intervento diverso).

### **Endpoint (Esito al tempo di valutazione)**

È una variabile definita con precisione, che riflette un risultato di interesse e che viene analizzata statisticamente per rispondere a un particolare quesito di ricerca. La definizione di *endpoint* specifica di solito il tipo di valutazioni effettuate, la tempistica di tali valutazioni, gli strumenti utilizzati ed eventualmente altri dettagli, se applicabili, come il modo in cui devono essere combinate più valutazioni all'interno di un individuo.

[Fonte: *Risorsa Best - Biomarkers, Endpoints and Other Tools*]

### **Endpoint sostitutivo (*Surrogate endpoint*)**

Un tipo di *endpoint* utilizzato negli studi clinici come sostituto di una misura diretta di come un paziente si sente, funziona o sopravvive. Un *endpoint* surrogato non misura il beneficio clinico di interesse primario in sé e per sé, ma predice tale beneficio o danno sulla base di evidenze epidemiologiche, terapeutiche, fisiopatologiche o di altre evidenze scientifiche. Dal punto di vista normativo statunitense, gli *endpoint* surrogati e i potenziali *endpoint* surrogati possono essere caratterizzati dal livello di convalida clinica, distinguendosi in: *endpoint* surrogati convalidati, *endpoint* surrogati ragionevolmente probabili, *endpoint* surrogati candidati.

[Fonte: *Risorsa Best - Biomarkers, Endpoints and Other Tools*]

### **Esito centrato sul paziente (*Patient-centered outcome*)**

Un esito importante per la sopravvivenza, il funzionamento, le sensazioni dei pazienti, come identificato o affermato dagli assistiti stessi o giudicato nel migliore interesse dei malati da parte degli erogatori di servizi sanitari o dei *caregiver* quando i pazienti non possono riferire per sé stessi.

[Fonte: *Plenaria International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research Ispor, 2013*]

### **Esito clinico (*Clinical outcome*)**

Un risultato che descrive o riflette come un individuo si sente, funziona o sopravvive.

[Fonte: *Risorsa Best - Biomarkers, Endpoints and Other Tools*]

---

### **Esito del trattamento (*Treatment outcome*)**

I benefici o i danni per un paziente che riceve un intervento. L'impatto sulla salute, sulla funzione o sul benessere di un paziente - o su un suo indicatore clinico - che si presume derivi da un intervento.

[Fonte: *Patient-Centered Outcomes Research Institute, Pcori*]

### **Esito della prestazione (*Performance outcome*)**

Una misurazione basata su uno o più compiti standardizzati eseguiti da un paziente, somministrati e valutati da una persona adeguatamente formata o completati autonomamente. Le *performance* richiedono la collaborazione e la motivazione dell'assistito. Tra queste vi sono la misurazione della velocità di deambulazione (per esempio, il test del cammino), la valutazione della memoria (per esempio, il test di richiamo delle parole) o altri test cognitivi (per esempio, il test di sostituzione dei simboli delle cifre).

[Fonte: *Risorsa Best - Biomarkers, Endpoints and Other Tools*]

### **Esito riferito dal clinico (*Clinician-reported outcome*)**

È una misurazione basata su un *report* di un operatore sanitario qualificato, dopo l'osservazione delle condizioni di salute di un paziente. La maggior parte delle misure comporta un giudizio clinico o un'interpretazione dei segni osservabili, dei comportamenti o di altre manifestazioni relative a una malattia o a una condizione. Le misure non possono valutare direttamente sintomi noti solo al paziente (per esempio, l'intensità del dolore).

[Fonte: *Risorsa Best - Biomarkers, Endpoints and Other Tools*]

### **Esito riferito dal paziente (*Patient-reported outcome*)**

Si tratta di una misurazione basata su quanto viene riferito direttamente dal paziente (ovvero dal soggetto dello studio) sul proprio stato di salute, senza interpretazione della risposta da parte di un medico o di altri. Un *Patient-reported outcome* può essere misurato mediante un'autovalutazione o un'intervista, a condizione che l'intervistatore registri solo la risposta dell'assistito. I sintomi o altri aspetti non osservabili e noti al paziente (per esempio, la gravità del dolore o la nausea) possono essere misurati solo con misure *Patient-reported outcome*. Queste ultime possono valutare il punto di vista del paziente su attività osservabili anche da altri.

[Fonte: *Risorsa Best - Biomarkers, Endpoints and Other Tools*]

---

### **Esito riferito dall'osservatore (*Observer-reported outcome*)**

È una misurazione basata sulla segnalazione da parte di una persona diversa dal paziente o dal professionista sanitario che riguarda segni, eventi o comportamenti osservabili relativi alle condizioni di salute di un assistito. In genere, gli *Observer-reported outcome* sono riferiti da un genitore, da un *caregiver* o da qualcuno che osserva il malato nella vita quotidiana e sono particolarmente utili per coloro che non sono in grado di riferire da soli (per esempio, i neonati o le persone con disabilità cognitive). Questo tipo di misura non include il giudizio o l'interpretazione medica.

[Fonte: *Risorsa Best - Biomarkers, Endpoints and Other Tools*]

### **Fit-for-purpose (Adatto allo scopo)**

Conclusione sul fatto che il livello di convalida associato a uno strumento di sviluppo di un prodotto medico è sufficiente a giustificare la sua destinazione d'uso.

[Fonte: *Risorsa Best - Biomarkers, Endpoints and Other Tools*]

### **Focalizzato sul paziente o centrato sul paziente (*Patient-focused o patient-centered*)**

Significa garantire che le esperienze, le prospettive, le esigenze e le priorità dei pazienti siano incorporate in modo significativo nelle decisioni e nelle attività relative alla loro salute e al loro benessere.

### **Generalizzabilità (*Generalizability*)**

La misura in cui i risultati dello studio possono essere estesi in modo affidabile alla popolazione target di interesse.

### **Informazioni sulle preferenze del paziente (*Patient preference information*)**

Valutazioni sulla desiderabilità o accettabilità, da parte del paziente, di alternative specifiche o di una scelta tra esiti o altri attributi che differenziano gli interventi sanitari. I metodi per generare le *Patient preference information* possono essere qualitativi, quantitativi o misti.

[Fonte: *Fda Guidance on Patient preference information for medical devices*]

### **Medicina digitale (*Digital medicine*)**

Il sottoinsieme della salute digitale (*Digital health*) comprendente le tecnologie digitali per la salute che determinano un effetto sugli esiti clinici o sul processo terapeutico.

---

### **Metodi di ricerca qualitativa (*Qualitative research methods*)**

Metodi associati alla raccolta, all'analisi, all'interpretazione e alla presentazione di informazioni narrative (per esempio, racconti verbali o scritti di esperienze, osservazioni ed eventi). Possono anche includere osservazioni dirette (per esempio, comunicazione non verbale e comportamenti).

### **Metodi di ricerca quantitativi (*Quantitative research methods*)**

Metodi associati alla raccolta, all'analisi, all'interpretazione e alla presentazione di informazioni numeriche.

### **Metodologicamente valido (*Methodologically sound*)**

Garanzia che i metodi e i processi utilizzati per ottenere e analizzare i dati relativi all'esperienza del paziente siano rigorosi e solidi e aderiscano a principi scientificamente consolidati e alle migliori pratiche. Le prove generate da processi metodologicamente validi aumentano la fiducia che i risultati possano essere attendibili, interpretati e supportati dagli usi normativi previsti.

### **Monitoraggio del paziente (*Patient monitoring*)**

Soluzioni per la salute digitale rivolte al paziente, destinate a monitorare dati che possono essere utilizzati per gestire una specifica malattia, condizione medica o esito di salute mediante l'interpretazione di un professionista della sanità.

### ***Patient advocate* (Sostenitore/difensore degli interessi dei pazienti)**

Un individuo o un gruppo di individui, che possono o meno far parte della popolazione target di pazienti, che ha un ruolo nella promozione di un interesse o di una causa per influenzare le politiche relative alla salute o all'assistenza sanitaria dei pazienti.

### ***Patient engagement* (Coinvolgimento attivo dei pazienti)**

Attività che coinvolgono i pazienti interessati a condividere le loro esperienze, prospettive, esigenze, priorità con l'obiettivo di dare il proprio contributo alla salute pubblica. Tali attività possono includere testimonianze alle riunioni, invio di documenti alle istituzioni, interazioni attraverso i *social media*.

**Paziente (*Patient*)**

Qualsiasi individuo affetto o a rischio di una specifica condizione di salute, indipendentemente dal fatto che attualmente riceva o meno una terapia per prevenire o trattare tale condizione. I pazienti sono le persone che sperimentano direttamente i benefici e i danni associati ai prodotti medici.

**Peso della malattia (*Disease burden*)**

L'impatto, diretto e indiretto, della malattia del paziente, che determina un effetto negativo sulla sua salute, sul suo funzionamento e sul suo benessere generale. Il peso della malattia comprende (ma non si limita a): l'impatto fisico e fisiologico della patologia e dei suoi sintomi; le comorbidità; gli effetti emotivi e psicologici della malattia, della sua gestione o della prognosi; l'impatto sociale; gli effetti sulle relazioni; l'impatto sulla capacità di prendersi cura di sé e degli altri; l'impatto temporale e finanziario della malattia e della sua gestione; l'impatto sulla famiglia del paziente.

**Piano di analisi dei dati (*Data analysis plan*)**

Una scaletta sulle modalità con cui i dati saranno analizzati e valutati e con cui saranno presentati. Si dovrebbe definire un piano di analisi dei dati al momento della progettazione di uno studio di ricerca (cioè prima dell'inizio della raccolta dei dati stessi). Tra le altre cose, il piano di analisi deve descrivere: i dati da raccogliere; le analisi da condurre per raggiungere gli obiettivi della ricerca, comprese le ipotesi richieste da tali analisi; le procedure di pulizia e gestione dei dati; le trasformazioni dei dati, se applicabili; il modo in cui i risultati dello studio saranno presentati (per esempio, grafici, tabelle).

**Piano di gestione dei dati (*Data management plan*)**

Un documento scritto che descrive: i dati che si prevede di acquisire o generare nel corso dello studio; come si intende gestire, descrivere, analizzare e archiviare tali dati; quali meccanismi si utilizzeranno al termine dello studio per conservare e condividere i dati.

[Fonte: *Stanford University Libraries*]

**Partner del paziente (*Patient partner*)**

Un singolo paziente, un *caregiver* o un gruppo di difesa dei pazienti che coinvolge altri *stakeholder* per garantire che i desideri, le esigenze, le preferenze degli assistiti siano rappresentati nelle attività relative allo sviluppo e alla valutazione dei prodotti medici.

---

### **Popolazione target (*Target population*)**

È definita anche popolazione target di pazienti, popolazione sottostante o popolazione prevista. Costituisce il gruppo di individui (pazienti) su cui si vuole fare un'inferenza.

### **Preferenza del caregiver (*Caregiver preference*)**

Una dichiarazione sulla desiderabilità o accettabilità da parte dei caregiver di interventi sanitari alternativi.

### **Preferenza del paziente (*Patient preference*)**

Una dichiarazione sulla desiderabilità o accettabilità da parte del paziente nei confronti di alternative specifiche o di una scelta tra esiti o altri attributi che differenziano gli interventi sanitari.

*[Fonte: Fda Guidance on Patient preference information for medical devices]*

### **Prospettiva del paziente (*Patient perspective*)**

Dati sull'esperienza del paziente che riguardano specificamente atteggiamenti o punti di vista sulla loro condizione o sulla gestione della stessa. Le prospettive del paziente possono includere percezioni, obiettivi, priorità, preoccupazioni, opinioni e preferenze.

### **Protocollo di ricerca (*Research protocol*)**

Un documento che descrive il contesto, il rationale, gli obiettivi, il disegno, la metodologia, le considerazioni statistiche e l'organizzazione di un progetto di ricerca clinica. Il protocollo di ricerca guida lo studio e le relative raccolta e analisi dei dati in modo produttivo e standardizzato.

### **Rappresentante del paziente (*Patient representative*)**

Un individuo, che può o meno far parte della popolazione di riferimento, che ha un'esperienza diretta di una malattia o di una condizione (per esempio, un paziente o un *caregiver*) e può fornire informazioni sull'esperienza dell'assistito con la specifica malattia o condizione.

### **Rappresentatività (*Representativeness*)**

Fiducia nel fatto che il campione da cui viene generata una prova sia sufficientemente simile alla popolazione di riferimento. Nel contesto dei dati sull'esperienza del paziente, la rappresentatività comprende la misura

in cui le esperienze, le prospettive, i bisogni, le priorità del campione sono sufficientemente simili a quelli della popolazione di pazienti prevista.

### **Real world data (Dati del mondo reale)**

Dati relativi allo stato di salute del paziente o all'erogazione dell'assistenza sanitaria raccolti di routine da una varietà di fonti.

*[Fonte: Fda Guidance on Use of Real-World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Medical Devices]*

### **Real world evidence (Prove del mondo reale)**

Prove cliniche relative all'uso e ai potenziali benefici o rischi di un prodotto medico derivate dall'analisi di dati reali.

*[Fonte: Fda Guidance on Use of Real-World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Medical Devices]*

### **Ricerca con metodi misti (Mixed methods research)**

Ricerca che utilizza metodi qualitativi e quantitativi (si vedano le definizioni di metodi di ricerca qualitativi e quantitativi).

### **Rilevanza clinica (Clinical relevance)**

La misura in cui un *endpoint* è in grado di catturare e quantificare un aspetto relativo a un potenziale beneficio (miglioramento delle sensazioni, delle funzioni o della sopravvivenza del paziente) importante dal punto di vista clinico e dal punto di vista del paziente.

### **Rischio (Risk)**

I rischi sono eventi avversi e altri effetti sfavorevoli associati a un prodotto medico. Includono le interazioni farmacologiche, i rischi identificati nei dati non clinici, i rischi per le persone diverse dal paziente (per esempio, il feto o gli operatori che preparano e somministrano il prodotto), i rischi basati sulla classe farmacologica o sulla conoscenza attuale del prodotto. Possono essere presi in considerazione anche fattori quali il potenziale uso improprio, l'abuso o la diversione del prodotto.

*[Fonte: Linee guida della Conferenza internazionale sull'armonizzazione]*

### **Salute digitale (Digital health)**

L'insieme delle tecnologie digitali per la salute rivolte a imprese, aziende sanitarie, operatori sanitari, consumatori e pazienti.

---

### **Scienza del contributo del paziente (*Science of patient input*)**

Metodi e approcci per ottenere, analizzare, utilizzare sistematicamente le informazioni che catturano le esperienze, le prospettive, le esigenze, le priorità dei pazienti a sostegno dello sviluppo e della valutazione dei prodotti medici.

### **Segnalatore (*Reporter*)**

Negli studi, il segnalatore è l'individuo, il gruppo di individui o l'entità che fornisce i dati sull'esperienza del paziente. I segnalatori possono essere pazienti, genitori, partner, assistenti, medici o altri operatori sanitari. La selezione di un segnalatore appropriato in un determinato studio dipenderà dalla definizione della popolazione target di pazienti. Se si può ragionevolmente ritenere che un paziente della popolazione target sia in grado di auto-segnalare in modo affidabile, ci si può aspettare che egli stesso sia l'informatore in quello studio di ricerca.

### **Social media**

Strumenti basati sul web utilizzati per la comunicazione mediata dal computer. I social media possono includere i seguenti strumenti: blog, microblog, siti di *social networking*, siti di *networking* professionale, siti di *networking* tematico, wiki, mashup, siti di filtraggio collaborativo, siti di condivisione dei media e altri.

### **Sottogruppo (*Subgroup*)**

Un sottoinsieme della popolazione o del campione di studio definito da specifiche caratteristiche. Per esempio, i sottogruppi demografici sono comunemente definiti in base al sesso, alla razza e all'età dei soggetti.

### **Supporti digitali per cure (*Care supports*)**

Soluzioni digitali per la salute rivolte al paziente e destinate a supportare la gestione autonoma di una specifica condizione medica diagnosticata attraverso risorse educative, raccomandazioni o promemoria.

### **Sviluppo del farmaco incentrato sul paziente (*Patient-focused drug development*)**

Indicato anche come sviluppo di prodotti medici incentrato sul paziente, è un approccio sistematico che aiuta a garantire che le esperienze, le prospettive, le esigenze e le priorità dei pazienti siano catturate e incor-

porate in modo significativo nello sviluppo e nella valutazione dei prodotti medici durante l'intero ciclo di vita del prodotto.

### **Tecnologie digitali per la salute (*Digital health technologies*)**

Software, sia come file sia inserito in dispositivi fisici, destinato a essere utilizzato per finalità di salute. Nella *Guidance to Industry 2023* le tecnologie digitali per la salute sono distribuite in otto categorie, sulla base della loro funzione primaria, e raggruppate in tre domini (aziende, operatori sanitari, pazienti) sulla base della loro destinazione primaria.

### **Tecnologie digitali per la salute non rivolte al paziente (*Not Patient-facing Digital health technologies*)**

Dispositivi digitali per la salute destinati a essere utilizzati dalle aziende farmaceutiche, dalle aziende sanitarie e dal medico. Il paziente può eventualmente accedere a tali tecnologie come utente, ma non le può gestire. Nella *Guidance to Industry 2023* comprendono le prime tre delle otto categorie nelle quali sono distribuite tali tecnologie.

### **Tecnologie digitali per la salute rivolte al paziente (*Patient-facing Digital health technologies*)**

Dispositivi digitali per la salute destinati a essere utilizzati dal paziente. Nella *Guidance to Industry 2023* comprendono cinque delle otto categorie nelle quali sono distribuite tali tecnologie: applicazioni per il benessere e la salute, monitoraggio del paziente, supporti digitali alle cure, diagnostici digitali, terapie digitali.

### **Terapie digitali (*Digital therapeutics*)**

Soluzioni digitali per la salute progettate per trattare o alleviare una malattia, un disturbo, una condizione o una lesione, generando e fornendo un intervento medico che ha un impatto terapeutico positivo dimostrabile sulla salute del paziente.

### **Tolleranza al rischio (*Risk tolerance*)**

Il grado in cui un paziente accetterebbe un aumento della probabilità o della gravità di un danno in cambio di uno specifico beneficio atteso.

[Fonte: Report del progetto Patient Centered Benefit-Risk del Medical Device Innovation Consortium]

---

### **Trade-off (Scambio)**

La misura in cui una variazione del livello di uno o più attributi di un prodotto medico è compensata da una variazione di uno o più altri attributi di quel prodotto.

*[Fonte: Report del progetto Patient Centered Benefit-Risk del Medical Device Innovation Consortium]*

### **Valutazione rischio-beneficio (Benefit-risk assessment)**

Valutazione dei benefici e dei rischi documentati di un prodotto medico e giudizio sulla superiorità dei benefici attesi rispetto ai rischi potenziali associati all'uso previsto.

### **Valutazione dell'esito clinico (Clinical outcome assessment)**

La valutazione di un esito clinico può essere effettuata attraverso il rapporto di un medico, di un paziente, di un osservatore non clinico o attraverso una valutazione basata sulle prestazioni. Esistono quattro tipi di *Clinical outcome assessment*: esiti riferiti dal paziente, esiti riferiti dal clinico, esiti riferiti dall'osservatore, esiti di prestazione.

*[Fonte: Risorsa Best - Biomarkers, Endpoints and Other Tools]*

# Paziente Esperto: multidimensionalità e attualità di un concetto in un contesto in evoluzione

---

## Introduzione

Nel contesto e nella lingua italiana, “*paziente esperto*” traduce le diciture anglossassoni “*expert patient*” e “*patient expert*”, che sottendono, in origine, concetti distinti, nonostante nel tempo il loro utilizzo, anche a livello europeo, risulti piuttosto indifferente, generando incomprensione e confusione di significato e ruolo.

È possibile equiparare le due espressioni in oggetto, traducendole in italiano nei termini di “*paziente esperto*”?

Qual è esattamente il significato di “*expert*” e quale la sua relazione con i termini “*experience*” e “*expertise*”? Esiste il rischio di confondere il concetto di “*esperienza del proprio vissuto*” con quello di esperienza maturata all’interno di specifiche competenze acquisite e/o sviluppate sul campo (*learning by doing*)? Chi è precisamente un “*paziente esperto*”? Quali i requisiti da soddisfare per esser riconosciuto tale? Quali le finalità e i livelli di attività in cui il “*paziente esperto*” può/deve esser coinvolto? E ancora il termine “*paziente*” a chi si riferisce esattamente? A una categoria eterogenea di stakeholder di cui, di volta in volta, è necessario specificare CHI esattamente è interessato o esclusivamente a chi, affetto da una specifica patologia, vive quella definita condizione di malattia?

Ed infine, poiché in Europa l’elemento unificante delle organizzazioni pazienti, la maggior parte delle quali si fonda su base volontaria, è costituito da “una condizione condivisa di malattia” e non dalla condivisione di

formazione/educazione/background, quale relazione intercorre tra “*patient expert*” e le organizzazioni di pazienti?

Il presente lavoro mira a stimolare una riflessione di contesto e a ridurre possibili incomprensioni, attraverso un’analisi delle definizioni di “*expert patient*” e “*patient expert*” assieme a una riflessione sulle loro relazioni con i concetti di “*patient advocate*” e “*patient partner*”, in uno scenario in evoluzione, caratterizzato dalla presenza di differenti stakeholder con differenti “*drivers*”.

L’analisi della terminologia privilegia la dimensione regolatoria, laddove applicabile, per due motivi principali:

1. la definizione di “*patient expert*” nasce nell’area regolatoria di sviluppo e autorizzazione di un prodotto medicinale;

2. il contesto regolatorio stabilisce per definizione *regole ufficiali*, a partire dalla terminologia (*standard*) allo scopo di dare univocità interpretativa e supportare al meglio i diversi attori, facilitando le interazioni comunicative.

Chiarire qui la terminologia in uso, con la consapevolezza della complessità del tema, ha finalità esclusivamente operative, allo scopo di:

- trovare una base comune e condivisa, riducendo il più possibile ambiguità interpretative, a beneficio sia dei “Pazienti” sia delle loro relazioni con altri stakeholder;

- supportare i diversi stakeholder dell’ecosistema salute a individuare CHI coinvolgere, migliorando efficacia e efficienza dei processi di “*patient engagement/ involvement/participation*”, troppo spesso dichiarati sul piano formale ma ancora distanti nella pratica, sia nell’area della ricerca sia in quella dell’organizzazione dell’assistenza sanitaria e dell’accesso a nuove tecnologie.

---

## 1. “*Expert patient*” e “*patient expert*”: differenze concettuali e applicative

La definizione di “**expert patient**”, attribuita a Tuckett (1985), qualifica con il termine “*expert*” il sostantivo “*patient*”, a evidenziare il fatto che ogni paziente è “esperto” in quanto sviluppa/possiede l’esperienza del vivere con la propria malattia (*illness*). Secondo tale prospettiva, la relazione tra medico e paziente si concretizza nell’incontro - alla pari e con ruoli distinti- tra due “esperti”: da un lato il paziente, detentore dell’esperienza del vivere con la malattia (*illness*), dall’altro il medico, esperto della patologia (*disease*)<sup>(1,2)</sup>.

La definizione di “*expert patient*” nasce e si sviluppa nel contesto della

cronicità, comparando ufficialmente per la prima volta nel documento ‘*The Expert Patient: a new approach to chronic disease management in the 21st century*’, approvato dal Parlamento britannico nel 2001 e divenuto parte integrante della programmazione del National Health Service (NHS)<sup>(3,4)</sup>. Essa si fonda su due considerazioni di base:

1. i pazienti con patologia cronica hanno un’esperienza/conoscenza della malattia (*illness*) che nessun professionista può avere, poiché sperimentano quotidianamente le difficoltà;

2. l’esperienza e la conoscenza del vivere con la malattia (*illness*) costituisce una risorsa non utilizzata che invece, qualora fosse impiegata, potrebbe apportare beneficio:

- ai pazienti, per esercitare un controllo attivo *-self-management-* sulla malattia, contenendone l’impatto negativo sulla vita quotidiana,
- ai professionisti per costruire, sulla base di una migliore e maggior informazione della vita dei pazienti, programmi di co-gestione più appropriati alle loro reali esigenze,
- al sistema sanitario, sempre più gravato dal carico gestionale e finanziario di tali patologie<sup>(5,6,7)</sup>.

Diverso è l’ambiente di sviluppo della dicitura “*patient expert*”, in cui “*patient*” qualifica il sostantivo “*expert*”, e che, in Europa, ha il suo principale fondamento nei documenti dell’Agenzia Europea del Farmaco (EMA) relativi al percorso, intrapreso nel 1995 e rafforzato nel 2006 con l’istituzione del “*Patients and Consumers Working Party (PWCP)*”, per lo sviluppo e la gestione delle interazioni con i propri stakeholder<sup>(8)</sup>. Tra questi documenti, si richiamano brevemente i seguenti due:

1. “*Engagement Framework: EMA and patients, consumers and their organizations*” (EMA/649909/2021), documento del 2022 che stabilisce obiettivi e metodologie per gestire le interazioni tra EMA e il Gruppo di stakeholder costituito da “Pazienti, consumatori e loro organizzazioni”<sup>(9)</sup>. Emerge subito che si tratta di un gruppo eterogeneo, di cui fanno parte sia organizzazioni sia singoli individui, coinvolti a differenti livelli e in relazione al tipo di attività previste. Ad esempio, le interazioni potrebbero richiedere la presenza di pazienti nella veste di **rappresentanti** delle rispettive Organizzazioni di appartenenza, oppure di rappresentanti dei Comitati Scientifici EMA (COMP, CAT, PDCO, PRAC<sup>1</sup>) quali membri

---

<sup>1</sup> COMP: Committee for Orphan Medicinal Products; CAT: Committee for Advanced Therapies; PDCO: Pediatric Committee; PRAC: Pharmacovigilance and Risk Assessment Committee

effettivi, oppure anche di “**esperti individuali**” (“*patients as individual experts*”). La specificazione delle tipologie di attività chiarisce che il coinvolgimento di pazienti quali “esperti individuali” riguarda esclusivamente attività “prodotto specifiche”, inerenti al processo di valutazione di uno specifico prodotto medicinale (procedure di Scientific/Protocol Advice e di revisione della documentazione)<sup>(7,10)</sup>. In questo ultimo caso, la finalità è precisamente quella di includere la prospettiva di chi, vivendo quotidianamente la condizione di malattia, può fornire input, **a titolo assolutamente personale**, per la valutazione di un farmaco e del suo utilizzo. Terminologia e concetti sottostanti coincidono qui con la definizione di “*expert patient*”. Tuttavia, “*Register as patient expert*” (e non *expert patient*) è la denominazione utilizzata per il database EMA finalizzato a raccogliere i nominativi dei pazienti interessati a interagire con l’Agenzia<sup>(7,11,12)</sup> per quanto tutti i documenti ad esso correlati ribadiscano che il potenziale contributo dei pazienti come esperti si fonda esclusivamente sull’esperienza di vita reale e non necessita in alcun modo di background nell’area medica o regolatoria<sup>(13)</sup>. Un recentissimo case-study relativo al valore generato dall’inclusione dei pazienti proprio nelle procedure di Scientific Advice di EMA (attività “prodotto specifica”) ha fornito evidenza, con dati raccolti in un periodo di 4 anni, dal 2017 al 2020, che “*patients fill an important gap by providing real-life experience of the conditions and their treatments*”, sottolineando nuovamente che per la selezione dei pazienti coinvolti nelle attività di Scientific Advice “*having followed a training course on medicines’ development is beneficial but not a prerequisite for involvement*”<sup>(14)</sup>. Compete infatti a EMA fornir loro il supporto informativo/educazionale strumentale- ovvero le “competenze” necessarie- per la piena partecipazione alle attività stabilite.

2. “*Patients and Healthcare Professionals Training strategy for patients and consumers involved in EMA activities (EMA/664931/2014 Rev. 1)*” è il documento che definisce e approfondisce la strategia dell’EMA per la formazione/training di due specifici gruppi di stakeholder, tra cui quello dei “Pazienti”. Con la finalità di ottimizzare tutti i possibili contributi, EMA offre e supporta programmi di formazione/training differenziando contenuti e modalità (video, webinar, seminari, informative, ecc.) in relazione ai diversi soggetti coinvolti nelle diverse tipologie di attività. In tale contesto, lo sviluppo di competenze si configura completamente strumentale **all’effettivo coinvolgimento** dei pazienti nei processi regolatori del farmaco<sup>15</sup>. In sintesi, il concetto di “*paziente esperto*” pur rimanendo centrato sul “*chi*

*possiede esperienza di cosa significhi vivere con una specifica condizione di malattia*” tende ad assumere, attraverso lo sviluppo di conoscenze/competenze in una precisa area - in questo caso quella regolatoria del farmaco - una valenza ulteriore che ne estende il significato. Accanto a “expert patient” compare così la terminologia “patient expert”<sup>(7,12)</sup>.

“*Patient expert*” è la definizione utilizzata anche da EUPATI (European Patients’ Academy on Therapeutic Innovation) in seno al progetto formativo/educativo avviato con IMI (Innovative Medicines Initiative) nel 2012, finalizzato a sviluppare conoscenze e competenze idonee per un coinvolgimento attivo (engagement) dei pazienti lungo l’intero ciclo di vita di un farmaco, dalla fase di ricerca e sviluppo alle fasi di sperimentazione non-clinica e clinica, dai processi regolatori per l’autorizzazione alla farmacovigilanza e all’ Health Technology Assessment (HTA)<sup>(16,17)</sup>. In particolare, secondo le definizioni elaborate da EUPATI<sup>2</sup> “*Patient Experts*” sono coloro che “**in addition to disease-specific expertise, have the technical knowledge in R&D and/or regulatory affairs through training or experience**”<sup>(18)</sup>. La qualifica di “paziente esperto” viene riconosciuta con il rilascio di una certificazione al completamento di un percorso formativo/educazionale (formazione non formale ovvero che non rilascia certificati a valore legale) - *EUPATI Patient Expert Training*- rivolto sia a pazienti e loro rappresentanti sia **a chiunque (cittadino)** possa esser interessato, andando oltre il concetto stesso di “patient”<sup>(19,20,7)</sup>. Il titolo di “*patient expert*” si configura come prerequisito per un coinvolgimento efficace ed efficiente in specifici ambiti di intervento/aree tematiche, come emerge dagli stessi documenti sviluppati da EUPATI (“*There are four separate guidance documents covering patient involvement in: Pharmaceutical industry-led medicines R&D, Ethics committees, Regulatory authorities, Health technology assessment (HTA)*”<sup>(21)</sup>.

In termini generali, si può quindi sostenere che:

- identificare precisamente le aree di “expertise” (“paziente esperto in ...”<sup>(22,23)</sup>)
- specificare le finalità e gli obiettivi di conoscenza/competenza/esperienza da raggiungere (obiettivi formativi) e i requisiti da soddisfare in ingresso

---

<sup>2</sup> EUPATI, muovendo dalla constatazione che il termine “pazienti” è spesso utilizzato in modo generico e impreciso, inidoneo a cogliere le differenze di input e di esperienza richieste ai differenti soggetti raggruppati sotto una medesima “etichetta”, chiarisce la terminologia utilizzata nei propri documenti riguardante i potenziali ruoli dei pazienti, identificando i seguenti: individual patients, carers, patient advocates, patient organization representatives, patient experts.

- individuare i percorsi formativi, distinguendo tra diverse possibili opzioni - formazione formale, non-formale, informale- e identificare gli enti autorizzati/accreditati a erogare la formazione necessaria (le norme ISO 29993: 2017 e ISO 21001: 2018, revisioni della ISO 29990: 2010 “*Learning services for non formal education and training*”, sono lo standard internazionale di riferimento per la formazione non formale <sup>(24,25,26)</sup>)

siano “*conditio sine qua non*” per poter qualificare e riconoscere un soggetto come “*patient expert*” in un determinato ambito di competenza.

La definizione di EUPATI di “*patient expert*” - distinta da quella di “*individual patient/lay patient*” - è stata ripresa, integralmente o lievemente modificata, mantenendo invariato il significato, da altri Stakeholder e compare in alcuni importanti documenti. Tra di essi, val la pena di citare:

- il documento (2021) “Principles of successful Patient involvement in CANCER research (Berlin Declaration- EU against cancer- Initiative of the Trio Presidency of the EU council Germany, Portugal, Slovenia)”<sup>(27)</sup> - relativo al coinvolgimento (involvement) dei pazienti nel contesto della ricerca oncologica- che riporta esattamente la definizione di cui sopra (“Patient experts” coloro che, in aggiunta alla conoscenza della patologia (disease), possiedono/hanno acquisito “conoscenze tecniche” relative ai processi di Ricerca e Sviluppo (R&D) e/o dell’area regolatoria).

- il documento “Recommendations for patient organisations and patient advocates on their involvement in collaborative research projects” elaborato da Patvocates per Rising Tide Foundation con la finalità di sviluppare un approccio innovativo per il concreto coinvolgimento dei pazienti nella ricerca (“*Patient Experts*” have both *disease-specific expertise and knowledge in research and/or drug regulatory affairs through training or experience*. For example, EUPATI provide training for patient experts in the research and development of medicines.” Il documento ribadisce la necessità di chiarire che sebbene i “**lay patients**”, ovvero coloro che sono privi di qualsiasi esperienza nella ricerca, possano fornire input validi, un coinvolgimento efficace richiede spesso “qualcosa in più della propria personale esperienza (con la malattia)” (**requires more than just personal experience**). E questo qualcosa in più trova espressione nei seguenti termini: “**Wider community insights and/or technical training may be additionally needed**”, chiamando in causa i concetti di **competenze tecniche e/o di rappresentatività della comunità di riferimento**.<sup>(28)</sup>

## 2. Patient advocate e patient advocate expert

Alla luce di quanto sopra riportato, è utile esplicitare che “*patient expert*” non equivale a “*patient advocate*”<sup>(7)</sup>. Sempre con riferimento in Europa alla classificazione EUPATI “*patient advocates*” sono “*coloro che hanno capacità di visione e di esperienza tali da supportare una comunità di pazienti affetti da una specifica malattia*”<sup>(18)</sup> mentre “*persona o gruppo di persone, che possono o meno far parte di una specifica popolazione/comunità pazienti, che ha/hanno un ruolo nel promuovere una causa influenzando sulle politiche a beneficio della salute dei pazienti cui si riferiscono*” è la definizione di “*patient advocate*” riportata nel Glossario FDA “*Patient-Focused Drug Development Glossary Standardized nomenclature and terminologies related to patient-focused medical product development (2018)*”<sup>(29)</sup>. Secondo questa prospettiva, appare più evidente anche la ragione per cui “*non tutti i pazienti sono advocates e non tutti gli advocates sono pazienti*”<sup>(30)</sup>.

Va tuttavia osservato che non esiste una definizione univoca di “*patient advocate*”: in assenza di una tutela del titolo, diversamente da quanto avviene in qualsiasi ambito professionale, chiunque può definirsi tale. Pertanto non sorprende che sotto una medesima etichetta siano inclusi concetti assai diversi tra loro. Negli USA, “*patient advocate*” viene utilizzato talvolta come sinonimo di “*patient navigator*”, ovvero di chi supporta il paziente, dal punto di vista organizzativo/gestionale, nel percorso attraverso le strutture sanitarie<sup>(31,32)</sup>. In Europa, talvolta è confuso/equiparato con “*patient activist*”; altre volte sostituito con “*patient representative*”<sup>(33)</sup> o, in alcuni casi, con “*expert patient*” in modo da eliminare, con quest’ultima definizione, ogni possibile connotazione di dissenso/rivendicazione o di *class action* contro lo *status quo* ma aumentando l’ambiguità (“*for some patient advocates are individuals or groups who are adversarial in their interactions with industry or regulators. To avoid misunderstanding, this document will use expert patient and patient groups to describe individuals and organizations who are working to advance treatment development.*”)<sup>(34)</sup>.

Il termine “*advocacy*” deriva dal latino “*ad vocare*” letteralmente “chiamare a sé; chiamare in aiuto qualcuno”. Nonostante le molteplici definizioni e modelli sviluppatasi nel tempo vi è consenso generale nel considerare che il concetto di “*advocacy*” implichi sempre il coinvolgimento di “*una persona che rappresenta un’altra/una persona che chiede/perora per*

*conto di un'altra*" o ancor meglio "*agisce per conto di chi è vulnerabile e lo richiede*"<sup>(35,36,37,38,39)</sup>. Ne consegue che chiunque abbia interesse può svolgere attività di "advocacy" a beneficio di un paziente. Se non si può disconoscere che i professionisti sanitari agiscano come "advocates" per i propri pazienti, non si può neanche non riconoscere che vi siano aspetti dell'"advocacy" in cui i pazienti/loro organizzazioni possono apportare un contributo che nessuna altra Parte possiede, ovvero la prospettiva unica di chi vive sulla propria pelle una patologia/condizione di salute<sup>(30,40)</sup>. Emerge qui anche una differenza sostanziale tra il concetto di "*health advocacy*", come azione esercitata non direttamente da pazienti e finalizzata ad apportare beneficio a livello del singolo, e quello di moderna "*patient advocacy*", in cui sono i pazienti/loro gruppi e rappresentanti ad agire, far sentire la propria "voce", cercare soluzioni capaci di consentire/migliorare l'accesso ai trattamenti a beneficio della comunità di riferimento<sup>(41,7)</sup>. "**Making a difference**", sintetizza la visione strategica delle Organizzazioni di patient advocates che agiscono per influire sulle decisioni a livello politico-istituzionale- e a tutti i livelli necessari- allo scopo di ridurre iniquità d'accesso a farmaci e trattamenti, assicurando il rispetto dei diritti dei pazienti con una specifica patologia/condizione di salute.

Storicamente, sono stati i pazienti con HIV/AIDS a creare negli anni '80 un "movimento" che si batteva per un cambiamento dello *status quo* a beneficio della comunità dei pazienti, influenzando le istituzioni per accelerare la ricerca e l'accesso ai farmaci, dando vita al più grande network al mondo di studi clinici sulla malattia e ponendo così le basi di un modello di "*advocacy*" a cui altre comunità di pazienti si sono successivamente ispirate. Negli anni '90, sempre negli USA si afferma l'azione di "*advocacy*" della comunità "*breast cancer*" il cui raggio d'intervento si estende dall'influenza sulle istituzioni al coinvolgimento concreto nella ricerca, con l'avvio del Breast Cancer Research Program gestito dall'US Department of Defence<sup>(42,43,44,45)</sup>.

**"Esprimere i propri bisogni, esplicitare le difficoltà/preoccupazioni, consigliare strategie di miglioramento per un coinvolgimento nei processi decisionali ed esercitare un'azione a livello politico, sociale, culturale per rispondere a quei bisogni"** è la ragion d'essere della moderna azione di "patient advocacy", sintetizzata nel principio di "empowerment", inteso in senso collettivo, che assieme a "rappresentanza e mobilitazione" ne costituiscono le fondamenta<sup>(46)</sup>. Si delinea così uno spazio d'intervento più ampio e un ruolo diverso rispetto a quello attribuito a un'azione di "advocacy".

cacy” descritta a lungo semplicemente come “*attività di sensibilizzazione dell’opinione pubblica e delle istituzioni relativamente a un determinato gruppo di patologie/pazienti*”<sup>(47)</sup>. Alcuni Autori identificano anzi quest’ultima tipologia di attività come una delle fasi - solitamente iniziale - del percorso evolutivo di un’azione di “*advocacy*” matura e moderna, il cui obiettivo è influire a tutti i livelli decisionali necessari, ponendosi come partner in un contesto d’interazione efficace tra differenti stakeholder, per trovare assieme soluzioni/risposte adeguate<sup>(48)</sup>. Si tratta di un raggio d’azione che va oltre ogni “*attivismo*” - laddove questo sia identificato come azione di difesa di diritti, di “*class action*” in contrapposizione allo “*status quo*” - per diventare più propriamente “*partnership*”, ovvero capacità di agire con gli altri stakeholder, interni ed esterni al sistema, per rimuovere gli ostacoli che impediscono o limitano l’accesso ai migliori trattamenti possibili nel rispetto dei propri diritti<sup>(7,48)</sup>.

**L’acquisizione di conoscenze e lo sviluppo di competenze nelle diverse possibili aree d’intervento** (ricerca, organizzazione dell’assistenza, accesso ai farmaci, HTA, ecc.) si possono configurare anche in questo ambito come **strumentali all’efficacia dell’azione di advocacy che tuttavia ha un campo d’azione ben più ampio**. In altri termini, esse costituiscono condizione necessaria ma non sufficiente, differenziando concettualmente, oltre che nella terminologia, “*patient advocate*” da “*patient expert*”, aprendo piuttosto la strada a una nuova definizione, quella di “**patient advocate expert**”<sup>(49)</sup> - specificando l’area di competenza/“esperto in ...” - che include la dimensione di competenze tecniche come fattore strumentale e aggiuntivo per una maggior efficacia dell’azione di advocacy in specifici ambiti.

Questo chiarimento è funzionale anche per una riflessione critica - e auspicabilmente una loro modifica - su alcuni elementi di ambiguità presenti nel nuovo Codice Deontologico Italiano di Farmindustria del 2023, che, nella sezione relativa ai rapporti tra aziende farmaceutiche e pazienti/loro organizzazioni, inserisce i “*pazienti esperti*” (“Rapporti tra le Aziende Farmaceutiche, le Associazioni dei Pazienti e i Pazienti esperti” punto 4.6), come tipologia di soggetti, distinta e aggiuntiva. Sono “*pazienti esperti*” quei “*pazienti che, oltre ad avere conoscenza diretta della patologia, sono dotati di specifica competenza ed esperienza in aspetti connessi alla ricerca e sviluppo dei farmaci, alle attività regolatorie o in attività di advocacy intesa quale capacità di promuovere e supportare le cause e le necessità di una pluralità di pazienti. Tali competenze dovranno essere effettive e documentabili e potranno essere corredate da certificazioni o attestati rilasciati a seguito*”

di partecipazione a corsi e programmi formativi realizzati da terze parti qualificate ed indipendenti<sup>(50)</sup>.

Infine merita soffermarsi sul fatto che, così come “*non tutti i pazienti sono advocates e non tutti gli advocates sono pazienti*”, **non tutte le organizzazioni di pazienti sono organizzazioni che svolgono attività di advocacy**<sup>(50)</sup>. Solitamente, la maggior parte agisce erogando un insieme di servizi utili a supportare la comunità di riferimento senza per questo voler intervenire a livelli decisionali in sedi istituzionali e/o influire sull’agenda politica. In questo caso “**patient representative**” e “**patient representative expert**” - specificando l’area di competenza (“esperto in...”) - potrebbe essere la terminologia più appropriata da utilizzare per indicare rispettivamente: i) l’appartenenza a un’organizzazione di pazienti, di cui si rappresentano bisogni/aspettative e ii) l’(avvenuta) acquisizione di conoscenze/competenze in precise aree, agendo per conto e in rappresentanza dell’interesse dell’organizzazione a cui si appartiene e non a titolo individuale.

In Italia, il recente caso sollevato dalla delibera della Regione Toscana (Del. 702 del 20/06/2022) “Linee di indirizzo sul coinvolgimento del paziente esperto nel percorso di acquisto di dispositivi medici” porta in primo piano la questione della dimensione individuale verso quella collettiva del “*paziente esperto*”, ovvero della relazione tra la figura individuale “formata” attraverso uno specifico percorso e la sua capacità di rappresentare o meno istanze associative. La Delibera definisce il “paziente esperto (PE)” come:

- “*paziente non solo esperto della propria malattia ma che ha anche una conoscenza che può esser definita accademica della patologia e delle modalità con le quali questa viene prevenuta, diagnosticata e trattata*”
- “*persona con patologia cronica oppure oncologica oppure rara (o caregiver) che oltre all’esperienza di malattia abbia acquisito una formazione tecnica riguardo ad argomenti inerenti lo sviluppo di farmaci o dispositivi medici, erogata da un ente formatore riconosciuto. Il PE deve avere una certificazione che qualifichi il suo percorso di formazione*”
- “*figura che ha acquisito negli ultimi anni una rilevanza assimilabile a quella dell’operatore sanitario, in grado di operare sia come soggetto attivo, responsabile di ricerca in gruppi o network di pazienti, sia come consulente della ricerca industriale o accademica per fornire pareri o consigli*”<sup>(51)</sup>.

A seguito della reazione di un gruppo di associazioni che sottolineavano, in una “Lettera aperta al Presidente della Regione Toscana, Assessore Sanità e Direzione Generale ESTAR”<sup>(52)</sup>, tutta le loro perplessità ri-

spetto a una delibera da cui emergeva una figura di PE indipendente dai contesti associativi, la risposta dell'assessore alla Sanità chiariva che *“la scelta della Regione Toscana è una scelta che vuole coinvolgere di più e non escludere le associazioni dei pazienti... Il “paziente esperto” non deve esser visto come una figura di paziente quale è nominato/indicato... Concludendo, l'intento della delibera è quello di far rappresentare le Associazioni dei pazienti dal “paziente esperto” intendendo con questo termine una persona affetta da malattia o caregiver che abbia anche una formazione specifica nel settore di farmaci e DM, potenziando e rendendo ancor più strutturale e concreta la possibilità per le Associazioni di incidere sulle scelte che riguardano i pazienti”*<sup>(53)</sup>.

---

### 3. Da “patient expert” a “patient partner”

Nel recente Glossario della Food&Drug Administration- FDA (“Patient-Focused Drug Development Glossary Standardized nomenclature and terminologies related to patient-focused medical product development (2018)”) <sup>(29)</sup> che accompagna le 4 Guide elaborate in seno al Patient-focused drug development (PFDD), Programma FDA sviluppato in accordo con il “21st Century Cures Act and the FDA Reauthorization Act of 2017” <sup>(54)</sup> con l’obiettivo di “incorporare” la voce dei pazienti nello sviluppo e valutazione dei farmaci, è assente la definizione di “*patient expert*”, mentre per la prima volta compare quella di “**patient partner**”: *An individual patient, caregiver or patient advocacy group that engages other stakeholders to ensure the patients’ wants, needs and preferences are represented in activities related to medical product development and evaluation.*”

In Europa, EMA ha elaborato un recentissimo documento che, muovendo dalla necessità di includere la prospettiva dei “pazienti”, sia nei processi regolatori di valutazione di un farmaco sia in quelli del suo sviluppo industriale, pone le basi per lo sviluppo di successive Linee Guida ICH. La finalità è quella di definire un approccio metodologico robusto e armonizzato, capace di strutturare gli input/contributi forniti dai pazienti per informare al meglio i processi decisionali a diversi livelli, incluso quello della valutazione economica delle tecnologie (HTA). Il documento non è accompagnato da un glossario; fa riferimento genericamente a “pazienti e loro caregiver quali **partner**” di autorità regolatorie e di produttori farmaceutici; tuttavia, evidenzia che il crescente sviluppo di azioni di “*advocacy e engagement*” dei

pazienti ha generato un contesto ricco ma ancora complesso a cui far riferimento per incorporare la prospettiva dei pazienti, rendendo così più che mai critico lo sviluppo di un approccio metodologico<sup>(55)</sup>.

Una prima riflessione è d'obbligo. Muovere concettualmente da una definizione di “*patient expert*” a una di “**patient partner**” significa fondamentalmente portare l'attenzione sulla **relazione** che intercorre tra i soggetti.

“**Partnership**” indica la dimensione della **relazione** tra individui o organizzazioni caratterizzata da collaborazione, decisioni condivise (*shared decision-making*), mutua fiducia e impegno a raggiungere obiettivi di interesse comune. Il concetto di “*patient partner*” richiede pertanto di ripensare gli attuali **modelli di relazione/interazione tra i soggetti coinvolti nell'area della salute, dalla ricerca all'organizzazione dell'assistenza sanitaria. Richiede un cambiamento culturale nella sua totalità**, tenendo presente che il coinvolgimento dei pazienti come *partner* non può essere strumentale a mettere la spunta in una casella (*ticking the box*) che ne conferma solo la presenza formale nè riguardare principalmente interventi/attività a basso impatto/basso ritorno per i pazienti<sup>(56,57)</sup>.

La definizione del concetto e della filosofia sottostante a “*patient partner*” è riconducibile principalmente al modello sviluppato in Canada- Università di Montreal, dal “*Centre of Excellence for Partnership with Patients and the Public (CEPPP)*” la cui mission è quella di generare un approccio culturale nuovo nell'area della salute attraverso collaborazioni (relazioni efficaci) con pazienti e cittadini. (“*Our Mission: To make collaborating with patients and the public a science, a culture and the new standard to improve the health of all and the (health) experience of each.*”)<sup>(58)</sup>. “**Co-build, co-lead, co-innovate in partnership**” sono le azioni per trasformare l'approccio tradizionale in cui i pazienti sono considerati essenzialmente nel loro ruolo di “partecipanti”, ovvero soggetti su cui condurre studi clinici, oppure in quello di utenti/fruitori/consumatori (a seconda del tipo di sistema sanitario in essere) di servizi sanitari, mentre restano fondamentalmente esclusi dalle corrispettive scelte di progettazione, erogazione e valutazione. Come specificato da CEPP “...*patients can be more active in research, care, governance and medical education through meaningful collaboration with the team, referred to as patient engagement/partnership. In this context, patients become partners in the project and can actively participate in governance, health priority setting, research question development and knowledge transfer, all to ensure that investments in the healthcare ecosystem are better aligned with the interests and priorities of patients and their families.*”<sup>(59)</sup>

**Condizioni preliminari per un efficace partnership sono educazione e formazione, con chiara identificazione del tema/area oggetto di sviluppo delle conoscenze.** Questo vale non solo per i pazienti ma anche per i ricercatori (“*Training curriculum to train researchers and patient partners on the basic concepts and steps to build an effective patient partnership relationship*”) in una bi-direzionalità di approccio per un mutuo apprendimento strumentale alla realizzazione di partnership effettive<sup>(60)</sup>. Costruire un futuro di collaborazioni, aprendo alle differenti esperienze e conoscenze dei diversi attori per includerle e trasformarle in valore per il sistema, è la visione nuova per una salute partecipata e responsabile, dalla dimensione più umana in uno scenario di medicina sempre più di precisione e personalizzata ma al contempo in sistemi sanitari sempre più sofferenti per la scarsità delle risorse.

In assonanza con il concetto di “*patient partnership*”, vi è quello di “*participatory approaches*”, terminologia attualmente in uso anche nell’area della salute per indicare un insieme di filosofie, strategie, metodologie volte al coinvolgimento, lungo l’intero processo di realizzazione di un intervento (servizio/prodotto), a iniziare dalla sua co-progettazione (*co-design*), di coloro che ne sono i destinatari (*end users*)<sup>(61,62)</sup>. Il coinvolgimento di *end users* nello sviluppo di prodotti e servizi ha una lunga tradizione nel settore business con lo scopo di rendere i prodotti più idonei a soddisfare bisogni e attese dei consumatori, aumentandone in ultima istanza la fedeltà d’acquisto.

Se la definizione “*participatory approaches*” sottende un concetto ampio applicabile a diverse aree/settori di attività, la “*patient partnerships*” si delinea più precisamente come un’applicazione del concetto e sue metodologie all’area della salute identificando nei pazienti gli “*end users*” da coinvolgere per migliorare processi e risultati. “*The science of patient input*”, ad esempio, è la denominazione, nata negli USA alcuni anni fa, per identificare un nuovo campo del sapere la cui finalità è quella di sviluppare metodologie rigorose al fine di integrare al meglio la prospettiva, i bisogni, le priorità (*patient input*) dei pazienti nel continuum della ricerca, sia relativa al farmaco sia ai dispositivi medici e in generale a nuove tecnologie biomediche e bioingegneristiche in seno a collaborazioni multistakeholder (organizzazioni pazienti, industria, accademia, enti filantropici, agenzie regolatorie)<sup>(63)</sup>.

In modo analogo, “*Early HTA*” è un nuovo approccio culturale e metodologico che si sta sviluppando nell’area dell’HTA. Se l’HTA risponde fondamentalmente al quesito relativo alla decisione su quali tecnologie sanitarie allocare al meglio le risorse scarse del sistema (“*Is it worth it?*”), l’“*early HTA*” risponde alla domanda di come estrarre il maggior valore

per i pazienti dall'impiego delle risorse disponibili (“*How to get best value for patients out of the available money?*”)<sup>(64,65,66,67,68,69)</sup>. In questo senso, l'*early HTA* considera strategico includere fin dall'inizio, in un dialogo multistakeholder, gli *input* dei pazienti, per comprendere al meglio i loro bisogni, preferenze e feedback e soprattutto formulare “*the right questions*”, i quesiti giusti a cui dar risposta, puntando a ridurre il grado d'incertezza che accompagna lo sviluppo di una nuova tecnologia.

La logica di “partnership” non riguarda tuttavia solo l'area della ricerca o dell'accesso alle nuove tecnologie ma è applicabile a ogni area di interesse/intervento che abbia impatto sui pazienti, a partire dall'organizzazione dell'assistenza sanitaria, in particolare nei sistemi sanitari a finanziamento pubblico, in cui i pazienti sono sia “*end users*” sia “*stakeholders*”. Anche in questo caso si pone a monte una questione di definizione di **CHI** esattamente coinvolgere in relazione ai livelli d'intervento e decisionali necessari a raggiungere obiettivi stabiliti, in un'area che si estende dall'identificazione e prioritizzazione dei bisogni alla programmazione e valutazione dei servizi sanitari. Ciò, in ultima istanza, richiede di focalizzare l'attenzione sui requisiti di competenza/esperienza ma anche, laddove necessario, di rappresentanza/rappresentatività in seno all'eterogeneità del gruppo “Pazienti” nonché sui processi di formazione/educazione - e affidabilità dei loro erogatori - per lo sviluppo di profili idonei a co-programmare, co-progettare e co-valutare oltre che a rappresentare, ogni qualvolta necessario, i bisogni e le criticità della comunità di riferimento.

Muovendo dalla considerazione che la “partnership” tra fornitori di servizi sanitari (sia clinici sia manager) e consumatori è elemento essenziale per la programmazione, erogazione e valutazione dei servizi, e più in generale per un'organizzazione dell'assistenza centrata sulla persona (*person centered-care*), una recentissima review pubblicata su Cochrane Library indaga sul come le due parti attrici vedono e percepiscono il rapporto di “partnership”<sup>(70)</sup>. Lo scopo è quello di individuare sia i fattori limitanti per poter intervenire sia i punti di forza per delineare i principi di “best practice”. Lo squilibrio di potere tra le parti, generato da 5 diverse categorie di fattori - tra cui il contesto politico, le modalità di coinvolgimento dei consumatori, le dinamiche di svolgimento del processo (modalità di gestione di riunioni e di presa di decisioni) - è il tratto che emerge e che costituisce l'ostacolo da rimuovere per realizzare un'effettiva partnership. La percezione dei consumatori di non partecipare realmente, ma di essere coinvolti solo formalmente in rapporti di partnership, di non incidere nei proces-

si decisionali, di sentirsi frustrati e “intimiditi” dall’uso di un linguaggio tecnico dei professionisti, di mancanza di rispetto e valorizzazione del proprio contributo esperienziale sono tutti elementi di criticità che devono essere rimossi e che indicano la necessità di un cambiamento culturale per un mutuo rispetto e valorizzazione. La formazione/educazione sia dei consumatori sia dei professionisti sanitari si configura ancora una volta essenziale per una partnership che non sia solo di forma (“*ticking the box*”), pena una diseconomia in un contesto di risorse già scarse.

Il concetto di “*patient partnership*” merita un’ulteriore riflessione per le assonanze che presenta anche con quei modelli di “*open innovation*” propri di settori e contesti caratterizzati da elevata innovazione. “Open innovation” nel mondo business si riferisce a un insieme di differenti modelli, ciascuno con proprie strategie e caratteristiche, ma con un elemento comune, quello dell’apertura a “stimoli esterni” attraverso collaborazioni multistakeholder, capaci di creare un ambiente dinamico in cui conoscenze/competenze/esperienze dei diversi stakeholder/player concorrono a generare nuove idee e a trasformarle in possibili soluzioni, attraverso processi di co-progettazione e co-realizzazione. In altri termini sono modelli di interazione tra attori diversi per poter affrontare sfide nuove, spesso ad elevato grado di complessità, **accelerando l’innovazione**.

L’area della rarità, con riferimento sia alle malattie rare sia ai tumori rari, con i suoi *unmet* e *high-unmet needs* offre, ad esempio, più di altre un terreno fertile per lo sviluppo di nuovi modelli caratterizzati da innovazione e strette collaborazioni multistakeholder. Negli USA sono stati sviluppati modelli in cui i pazienti/le loro organizzazioni sono andati ben oltre il “coinvolgimento” in progetti di ricerca, agendo come soggetti imprenditoriali capaci di indirizzare e guidare la ricerca (“*patient-driven research*”) <sup>(71,72)</sup>, per accelerare quell’innovazione necessaria a trovare soluzioni terapeutiche nuove a problemi complessi e/o a bisogni di scarso interesse commerciale a causa della scarsità dei numeri.

Nella prospettiva di innovazione di modelli si colloca anche il framework dell’EMA (STAMP) finalizzato a facilitare iniziative multistakeholder e collaborazioni pubblico-privato nell’area degli “*unmet needs*”, supportando organizzazioni non-profit (definite “*champion*”) che abbiano interesse, ma non le necessarie competenze, per avviare processi di “*drug repurposing*”, strategia volta a identificare nuovi usi di medicinali già autorizzati - e fuori brevetto- per indicazioni terapeutiche diverse da quelle originarie<sup>(73,7)</sup>.

In aggiunta, in questo scenario di innovazione di modelli di relazione

tra le parti, vale la pena citare l'art 72 del Reg EU 536/2014, relativo alla "co-sponsorizzazione", che stabilisce che "una sperimentazione clinica può avere uno o più promotori", lasciando aperta la possibilità che uno di questi possa essere costituito anche da "Pazienti".<sup>(74)</sup>

#### 4. Paziente, caregiver, cittadino: dimensione individuale e collettiva

Un altro punto su cui val la pena infine soffermarsi, con riferimento alla definizione di "*patient expert/paziente esperto*", oggetto centrale di questo lavoro, è il termine "**patient**" che qualifica "expert". I programmi di training EUPATI per "patient expert" - che non si focalizzano su alcuna specifica malattia/area terapeutica ma su processi comuni relativi allo sviluppo e autorizzazione di un farmaco - sono rivolti non solo a pazienti o loro rappresentanti, ma anche a **chiunque abbia interesse** ad acquisire conoscenze/competenze nei temi di cui sopra. Questo genera ulteriore confusione rispetto a una definizione di "*patient expert*" che in origine esplicita che la conoscenza tecnica è sempre "*in addition to disease-specific expertise*".

EMA utilizza i termini "**Patients, Consumers and their Organizations**" evidenziando immediatamente tre tipologie di soggetti - distinguendo un **livello individuale e uno collettivo** - incluse nel gruppo eterogeneo di stakeholder con cui interagisce, precisando che:

1. "**individual patients or carers** are people *with experience of living with a particular condition who are interested in engaging with EMA*";
2. "**patient organisations** are defined as not-for profit organisations that are *patient focused*, and where *patients and/or carers (the latter when patients are unable to represent themselves) represent a majority of members in governing bodies*".<sup>(9)</sup>

Con riferimento alla caratteristica di "**patient focused**" delle "organizzazioni di pazienti", merita evidenziare che "**patient-centered**" e "**patient-centric**", che ne costituiscono ulteriore specificazione, permettono di distinguere rispettivamente tra organizzazioni/attività "guidate" da bisogni e preferenze dei pazienti (**patient-centered**) e organizzazioni "a guida" di pazienti/caregiver (**patient-centric**).<sup>(75)</sup> Non si tratta di una questione "accademica" ma pragmatica che investe in ultima analisi anche la definizione di "*patient representative*" (rappresentante dei pazienti) sollevando il quesito in merito ai requisiti di CHI rappresenta/guida organizzazioni pazienti (*pa-*

*tient-focused*). Se si accoglie ad esempio la definizione riportata dal Glossario della Food&Drug Administration - FDA “Patient-Focused Drug Development Glossary Standardized nomenclature and terminologies related to patient-focused medical product development (2018)<sup>(29)</sup> di “*Patient representative*” quale “*An individual, who may or may not be part of the target population, who has direct experience with a disease or condition (e.g., a patient or caregiver) and can provide information about a patient’s experience with the disease or condition*” sorge la domanda circa la coerenza e l’opportunità che questo ruolo sia ricoperto da CHI **non** è paziente affetto da una specifica patologia né carer (familiare) di paziente, evitando di chiarire se si tratti di organizzazioni “*patient-centered*” o fondate sulla “*patient centricty*” con differenze rilevanti nel background di conoscenze, competenze, esperienze di chi le guida e conseguentemente nelle strategie e capacità di realizzazione.

Nell’area oncologica italiana, ad esempio, questa distinzione concettuale e sostanziale trova spazio, seppur con terminologia diversa, anche nel recente documento AGENAS “Il ruolo delle associazioni di volontariato, di malati e di attivismo civico nelle reti oncologiche”, in cui si evidenzia l’opportunità di “*marcare la differenza tra associazioni di volontariato e associazioni di pazienti*” al fine di valorizzare le differenze “*nel mondo fortemente plurale del non profit*”. Le Organizzazioni di malati sono definite come “*organizzazioni che rappresentano e sostengono i bisogni dei pazienti e dei caregiver con riferimento a una specifica patologia... Enti che prevedono espressamente nell’atto costitutivo o statuto l’assenza di fini di lucro, la democraticità della struttura e l’elettività delle cariche associative, i cui organi di amministrazione o indirizzo debbano esser composti, per espressa previsione statutaria, in maggioranza da malati di cancro, lungosopravvivenenti, ex malati. Tale definizione è costitutiva di una specifica categoria di enti non profit caratterizzata non tanto dalla presenza di malati tra gli associati quanto dalla loro partecipazione agli organi di amministrazione e indirizzo o comunque nelle sedi dove si definiscono le linee programmatiche dell’ente...*<sup>(76)</sup>.”

Oltre ai “pazienti” in senso stretto, il gruppo di stakeholder “Pazienti” individuato da EMA include anche i “Consumers”, in ultima istanza i “cittadini” e loro organizzazioni, definite quali “*not-for profit organisations that defend and promote the general interests of European consumers - citizens as purchasers or users of goods and services.*<sup>(9)</sup>”

L’individuazione di un gruppo di stakeholder così eterogeneo, che si estende dal paziente, al caregiver al cittadino, sia nella dimensione individuale sia collettiva, trova riscontro anche nella definizione iniziale di “Pu-

*blic Involvement*” adottata dal National Institute for Health Research (NIHR), dove “public” si riferisce a “patients, service users, survivors, carers and family members”, sostituita poi da “Patient and Public Involvement (PPI)” a distinguere tra “patient” in senso stretto e il più generico “public”<sup>(77)</sup>. NIHR fornisce programmi di training per sviluppare le conoscenze necessarie per il coinvolgimento nella ricerca sanitaria e sociale a chiunque abbia interesse, inteso quale insieme di pazienti, pazienti potenziali, caregiver, utenti di servizi, cittadini<sup>(78)</sup>.

La distinzione tra il coinvolgimento dei “cittadini” e dei “pazienti” in senso stretto, emerge anche nel contesto italiano. Con specifico riferimento all’area oncologica, il Documento di revisione delle Reti Oncologiche del 2019, che riconosce ufficialmente le Associazioni oncologiche quali articolazioni funzionali delle Reti, distingue tra “**attivismo civico**” - definito come “*pluralità di forme con cui i cittadini si uniscono, mobilitano risorse e agiscono nelle politiche pubbliche, esercitando poteri e responsabilità al fine di tutelare diritti...*” e “**coinvolgimento istituzionale**” - descritto come “**coinvolgimento attivo di pazienti/familiari e cittadini rispetto alla propria salute e alle scelte conseguenti nella programmazione, progettazione, erogazione, valutazione dei servizi**” - che prevede “la partecipazione ai livelli rappresentativi e direzionali..” per le associazioni dei pazienti oncologici<sup>(79)</sup>. Non si tratta di sinonimi: il coinvolgimento istituzionale rappresenta di fatto l’evoluzione dell’attivismo civico, grazie al livello di maturità e preparazione tecnica raggiunto in questo caso dall’associazionismo oncologico, a partire dal Piano Oncologico Nazionale (PON) del 2011<sup>(80)</sup> e rafforzato nel PON 2023-27 in cui si auspica l’integrazione dell’associazionismo oncologico in un “*progetto globale*”<sup>(81)</sup>.

“**Coinvolgimento attivo**” - riferito alla dimensione collettiva- è il termine utilizzato nel Codice del Terzo Settore (D.Lgs117/2017), che, all’art 55, specifica “*le amministrazioni pubbliche, nell’esercizio delle proprie funzioni di programmazione e organizzazione a livello territoriale degli interventi e dei servizi..., assicurano il coinvolgimento attivo degli enti del Terzo settore, attraverso forme di co-programmazione e co-progettazione e accreditamento...*”<sup>(82)</sup>. L’accreditamento degli ETS in generale, e in particolare nell’area oncologica dove, come sopra riportato, si va differenziando tra *organizzazioni di volontariato e organizzazioni di pazienti*, porterà sempre più l’attenzione sulla dimensione collettiva (organizzazione) piuttosto che su quella individuale. Tuttavia, conoscenze/competenze/formazione/esperienze dei singoli non potranno non essere questioni centrali,

come lo sono per qualsiasi organizzazione in ogni settore di attività per misurarne performance e impatto. A maggior ragione quando si tratta di svolgere attività di co-progettazione con i diversi stakeholder dell'ecosistema salute.

---

## 5. Conclusioni

La non univocità della terminologia in uso sottolinea l'esistenza di un dibattito assolutamente aperto in un contesto in evoluzione.

Alla luce di quanto sopra esposto e utilizzando come riferimento i seguenti tre domini:

- esperienza del vivere con la malattia (*experience*)
- competenze tecniche (*expertise* in specifiche aree tematiche sia nella ricerca sia nell'organizzazione dell'assistenza)
- rappresentatività della "comunità di riferimento", chiarendo se la ragion d'essere e le finalità costitutive siano improntate all'azione di advocacy o meno, distinguendo così rispettivamente tra "Organizzazioni di pazienti" e "Organizzazioni di patient advocates"

si può ragionevolmente sostenere che attualmente la definizione (in inglese, per evitare le ambiguità di cui nella trattazione):

- "*expert patient*" o "*individual patient*" o "*lay patient*" attiene al primo dominio ed evidenzia il fatto che ogni paziente è in grado di offrire la propria esperienza e prospettiva. Non viene richiesta alcuna competenza tecnica, fatta eccezione per l'eventuale acquisizione di conoscenze specifiche (*expertise*) sulla patologia;
- "*patient expert*" attiene al primo e al secondo dominio- per quanto non necessariamente il primo, dato che alcune interpretazioni "estese" includono anche i "cittadini" nella definizione di "patient". Tale definizione costituisce essenzialmente una qualifica, un pre-requisito per un efficace coinvolgimento in processi e attività a diversi livelli;
- *patient representative* o *patient advocate* (a seconda della ragion d'essere e finalità costitutiva dell'organizzazione), nell'accezione europea attuale, attengono al primo e al terzo, sottolineando la dimensione "collettiva" rispetto a quella "individuale";
- *patient representative expert* o *patient advocate expert* attengono a tutti e tre i domini.

La definizione di “*patient partner*” sottende invece più propriamente un approccio culturale, una filosofia e una visione che riguardano la dimensione della relazione tra “Pazienti” e altri stakeholder, prima ancora di entrare nel merito dell’eterogeneità dei componenti del gruppo “Pazienti” e dei requisiti necessari per un loro coinvolgimento efficace. Sistemi di incentivazione o sanzione potrebbero accelerare questo percorso culturale, come si sta già sperimentando in alcuni contesti, sia negli USA sia in Europa.

Le definizioni si configurano strumentali per poter individuare CHI possiede i requisiti appropriati per esser coinvolto in un preciso livello di intervento (“*the right person in the room*”), avendo prima individuato e chiarito finalità, obiettivi tra le parti coinvolte. La finalità è **ottimizzare e valorizzare** il contributo di ciascuno degli attori, migliorando al contempo l’efficienza e l’efficacia dei processi sottostanti.

Rimane infine del tutto aperta una riflessione su come denominare/riconoscere coloro che, come chi scrive, possiedono un background professionale in area scientifica/life science (valore legale del titolo) nonché in area regolatoria, sono/sono stati caregiver (o sono pazienti), hanno maturato competenze ed esperienze - a livello nazionale e internazionale- come *patient advocate* e/o hanno fondato organizzazioni di pazienti diventando a tutti gli effetti “*patient representative*”. Può esser questa considerata una fattispecie di “formazione informale” o piuttosto “*super formale*”? E quale il valore di queste “*figure*” nell’ecosistema salute?

---

## Bibliografia

1. Tuckett D, Boulton M, Olsen C, Williams A. 1985: Meetings between experts: an approach to sharing ideas in medical consultations. London: Tavistock.
2. The Expert Patient-a Welcome Way Forward  
<https://www.cmf.org.uk/resources/publications/content/?context=article&id=1061>.
3. The Expert Patient: a new approach to chronic disease management in the 21st century. Department of Health, 2001. PDF available online at <http://www.dh.gov.uk>.
4. White Paper, Saving Lives: Our Healthier Nation <https://www.gov.uk/government/publications/saving-lives-our-healthier-nation>.

5. Newman S, Steed L, Mulligan K. Self-management interventions for chronic illness. *Lancet* 2004; 364: 1523-37.
6. Barlow J, Wright C, Sheasby J, et al. Self-management approaches for people with chronic conditions: a review. *Patient Educ Couns* 2002; 48: 177-87.
7. Gonzato O. Dal paziente esperto al patient advocate; dal patient engagement al patient involvement. Evoluzione di concetti in uno scenario multistakeholder. *Tendenze Nuove* 2022; 1: 67 - 88. <https://www.tendenze-nuove.it/2022/12/13/dal-paziente-esperto-al-patient-advocate-dal-patient-engagement-al-patient-involvement-evoluzione-di-concetti-in-uno-scenari/>
8. European Medicines Agency stakeholder relations management framework (EMA/48651/2016) <https://www.ema.europa.eu/en/committees/working-parties-other-groups/chmp/patients-consumers-working-party>.
9. Engagement Framework: EMA and patients, consumers and their organizations (EMA/649909/2021), <https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/patients-consumers#activities-of-patients-and-consumers-section>.
10. How the European Medicines Agency interacts with patients and consumers. Presentation - How the EMA interacts with patients and consumers (europa.eu)
11. Getting involved <https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/patients-consumers/getting-involved>.
12. Involvement in EMA activities: registration for interested individuals; <https://fmapps.ema.europa.eu/stakeholders/signup.php>.
13. Stakeholders and Communication Division EMA individual experts' stakeholder database: patients and consumers- Frequently asked questions, [https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/ema-individual-experts-stakeholder-database-patients-consumers-frequently-asked-questions\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/ema-individual-experts-stakeholder-database-patients-consumers-frequently-asked-questions_en.pdf).
14. Murphy A, Bere N, Vamvakas S, Mavris M. The Added Value of Patient Engagement in Early Dialogue at EMA: Scientific Advice as a Case Study. *Front Med* 2022; 8: 811855. <https://doi.org/10.3389/fmed.2021.811855>
15. Patients and Healthcare Professionals Training strategy for patients and consumers involved in EMA activities (11 November 2014 EMA/664931/2014 Rev. 1).
16. <https://eupati.eu/about-us/10-years-of-eupati/>
17. European Patients' Academy on Therapeutic Innovation (EUPATI); <https://eupati.eu/projects/>

18. Warner K, See W, Haerry D, et al. EUPATI Guidance for Patient Involvement in Medicines Research and Development (R&D); Guidance for Pharmaceutical Industry-Led Medicines R&D. *Front Med* 2018; 5: 270.

19. EUPATI Patient Expert Training Programme <https://learning.eupati.eu/mod/page/view.php?id=438>

20. EUPATI Patient Expert Training Programme Guidelines 2023 - 2024 [https://learning.eupati.eu/pluginfile.php/2789/mod\\_resource/content/3/PETP%20Guidelines%202023-2024.pdf](https://learning.eupati.eu/pluginfile.php/2789/mod_resource/content/3/PETP%20Guidelines%202023-2024.pdf)

21. EUPATI: Overarching principles for patient involvement throughout the medicines research and development process <https://toolbox.eupati.eu/resources/guidance-for-patient-involvement-in-hta/>

22. Gruppo di Lavoro “Paziente esperto 2017”; Documento di posizione; Fondazione Smith Kline

23. Gruppo di Lavoro “Paziente esperto in...” 2018/2019. Paziente esperto 3.0 – Paziente (caregiver) esperto in... *Tendenze nuove* 2019; 2: 5-17. <https://www.tendenzenuove.it/2019/09/14/paziente-esperto-3-0-paziente-caregiver-esperto-in/>

24. ISO 29990:2010 Learning services for non-formal education and training - Basic requirements for service providers.

25. ISO 29993:2017 Learning services outside formal education - Service requirements.

26. ISO 21001:2018 Educational organizations - Management systems for educational organizations - Requirements with guidance for use.

27. Principles of successful Patient involvement in CANCER research (Berlin Declaration- EU against cancer- Initiative of the Trio Presidency of the EU council Germany, Portugal, Slovenia; [https://www.bmbf.de/SharedDocs/Downloads/en/210907-unite-against-cancer.pdf?\\_\\_blob=publicationFile&v=2](https://www.bmbf.de/SharedDocs/Downloads/en/210907-unite-against-cancer.pdf?__blob=publicationFile&v=2)

28. Recommendations for patient organisations and patient advocates on their involvement in collaborative research projects. Version 1.8 (8 July 2021). The document has been produced by Patvocates for Rising Tide Foundation.

29. “Patient-Focused Drug Development Glossary Standardized nomenclature and terminologies related to patient-focused medical product development (2018); <https://www.fda.gov/drugs/development-approval-process-drugs/patient-focused-drug-development-glossary>

30. Wilson R. The challenge of sarcomas: the patient advocacy group perspective. *Clin Sarcoma Res* 2019; 9: 11. doi.org/10.1186/s13569-019-0121-6.

31. <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/patient-advocate>
32. <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/patient-navigator>
33. Wassersug R. Being a Patient Representative Is More Work Than Being a Patient Advocate-Done Right, It Is Also Likely to Be More Effective. *Curr Oncol* 2021; 28: 1017-9. <https://doi.org/10.3390/curroncol28020099>
34. <https://engage.diaglobal.org/PatientEngagementConsiderationsGuide.html>
35. Baldwin MA. Patient advocacy: a concept analysis. *Nursing Stand* 2003; 17: 33-9.
36. Meleis AI. Theoretical nursing development and progress (3rd ed.). Lippincot- Raven, Philadelphia. 1997
37. Copp LA. The nurse as advocate for vulnerable persons. *J Adv Nurs* 1986; 1: 255-63.
38. Bawden R. Lindsay E. Patient Empowerment: a general practice perspective. *Br J Community Nurs* 2007; 12: S28-30.
39. Gonzalez AR. Patient Advocacy History. Evolution and Impact on Health. *JOJ Pub Health* 2018; 3: 555615. JOJPH.MS.ID.555615.
40. Gonzato O, Schuster K. The role of patient advocates and sarcoma community initiatives in musculoskeletal oncology. Moving towards evidence-based advocacy to empower evidence-based medicine. *J Cancer Policy* 2023; 36: 100413; <https://doi.org/10.1016/j.jcpo.2023.100413>
41. Farrer L, Marinetti C, Kuipers Cavaco Y, Costongs C. Advocacy for Health Equity: A Synthesis Review. *Milbank Q* 2015; 93: 392-437.
42. Anderson M., Manganiello M. Back to basics: HIV/AIDS Advocacy as a Model for Catalyzing Change. (FasterCures, Washington, DC, 2011). <https://milkeninstitute.org/report/back-basics-hivaids-advocacy-model-catalyzing-change>
43. Collyar D. How Have Patient Advocates in the United States Benefited Cancer Research? *Nat Rev Cancer* 2005; 5: 73-8.
44. Cohen SM. Having a seat at the breast cancer research table: breaking down the barriers between advocates and scientists. *Judges and Lawyers Breast Cancer Alert* 3, 2 (1999).
45. US Department of Defense. Department of Defense congressionally directed medical research programs Fact Sheet. Department of Defense breast cancer research program. <https://cdmrp.health.mil/bcrp/>

**46.** European Patient Forum- The added value of patient organizations Dorota Sienkiewicz, Corine van Lingen Editors: Nicola Bedlington, Camille Bullot, Kaisa Immonen Published: November 2017

**47.** Bodini R, Marvisi M, Andreoli C, et al. Evoluzione dei ruoli del paziente nella ricerca e nella terapia farmacologica. Patient engagement, patient input, expert patient. *GIHTAD* 2018; 11: 4.

**48.** Wong-Rieger D. Moving from patient Advocacy to Partnership: A Long and Bumpy Road. *Patient* 2017; 10: 271-276. doi: 10.1007/s40271-017-0216-1.

**49.** Ryl B. The difference between patients and patient advocates-12/52 Jul.20,2022 <https://www.mpneurope.org/post/12-52-the-difference-between-patients-and-patient-advocates>

**50.** Codice Deontologico Farindustria, 12 aprile 2023; <https://www.farindustria.it/app/uploads/2018/06/2023-APRILE-12.pdf>

**51.** Delibera Regione Toscana 702 del 20 giugno 2022; <https://www.nbst.it/1405-delibera-n-702-del-20-giugno-2022.html>

**52.** Lettera aperta al Presidente della Regione Toscana, Assessore Sanità e Direzione Generale ESTAR; 27 giugno 2022.

**53.** Lettera aperta alle Associazioni dei pazienti; <https://www.quotidianosanita.it/allegati/allegato1656934532.pdf>; 1 luglio 2022.

**54.** 21st Century Cures Act; <https://www.congress.gov/114/plaws/publ255/PLAW-114publ255.pdf>

**55.** ICH reflection paper - proposed ICH guideline work to advance Patient Focused Drug Development (PFDD), - Committee for Medicinal Products for Human Use- EMA/CHMP/ICH/338534/2021.

**56.** Gonzato O. Patients as partners to address unmet needs in sarcoma; ESMO, Lugano 2023; <https://dailyreporter.esmo.org/esmo-sarcoma-and-rare-cancers-congress-2023/opinion/patients-as-partners-to-address-unmet-needs-in-sarcoma>

**57.** Jackson T, et al. Patient and public involvement in research: from tokenistic box ticking to valued team members. *BMC Med* 2020; 18: 79 <https://doi.org/10.1186/s12916-020-01544-7>

**58.** Centre of Excellence for Partnership with Patients and the Public; <https://ceppp.ca/en/about-us/>

**59.** Co-build, co-lead, co-innovate in partnership; CEPP; <https://ceppp.ca/en/patient-and-public-partnership-platform/>

**60.** CEPP; <https://ceppp.ca/en/resources/>

**61.** Leask CF, Sandlund M, Skelton DA, et al. Framework, principles

and recommendations for utilising participatory methodologies in the co-creation and evaluation of public health interventions. *Res Involv Engagem* 2019; 5: 2 <https://doi.org/10.1186/s40900-018-0136-9>

62. Teal G, McAra M, Riddell J, et al. Integrating and producing evidence through participatory design. *CoDesign* 2023; 19: 110-27 <https://doi.org/10.1080/15710882.2022.2096906>

63. Anderson M, McCleary KK. On the path to a science of patient input Patient Engagement. *Sci Transl Med* 2016; 8: 336ps11. <https://www.science.org/doi/10.1126/scitranslmed.aaf6730>

64. Cutti AG, Lettieri E, Verni G. Health Technology Assessment as Theoretical Framework to Assess Lower-Limb Prosthetics-Issues and Opportunities from an International Perspective. *Journal of Prosthetics and Orthotics* 2019; 31: P55-P73. doi: 10.1097/JPO.0000000000000235

65. O'Rourke B, Oortwijn W, Schuller T; International Joint Task Group. The new definition of health technology assessment: A milestone in international collaboration. *Int J Technol Assess Health Care* 2020; 36: 187-90.

66. Lehoux P, Miller FA, Daudelin G, Denis JL. Providing value to new health technology: The early contribution of entrepreneurs, investors, and regulatory agencies. *Int J Health Policy Manag* 2017; 6: 509-18.

67. World Health Organization, Health technology assessment –Definitions. Available at: [www.who.int/health-technologyassessment/about/Defining/en/](http://www.who.int/health-technologyassessment/about/Defining/en/)

68. Campbell B, Campbell M, Dobson L, et al. Assessing the value of innovative medical devices and diagnostics: The importance of clear and relevant claims of benefit. *Int J Technol Assess Health Care* 2018; 34: 419–24.

69. Tummers M, Kværner K, Sampietro-Colom L, et al. On the integration of early health technology assessment in the innovation process: reflections from five stakeholders. *Int J Technol Assess in Health Care* 2020; 36: 481-5. <https://doi.org/10.1017/S0266462320000756>

70. Merner B, Schonfeld L, Virgona A, et al. Consumers' and health providers' views and perceptions of partnering to improve health services design, delivery and evaluation: a co-produced qualitative evidence synthesis. *Cochrane Database Syst Rev* 2023; 3: CD013274. <https://doi.org/10.1002/14651858.CD013274.pub2>

71. Dockser MA. To make progress in rare cancers, patients must lead the way. *J Clin Oncol* 2009; 27: 2575-7.

72. Gonzato O, Gronchi A. The evolving role of patient advocates in rare cancers: opportunities and challenges. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res* 2019; 19: 1-3. <https://doi.org/10.1080/14737167.2019.1526083>.

**73.** STAMP Working Group- Proposal for a framework to support not-for-profit organisations in drug repurposing. [https://health.ec.europa.eu/system/files/2019-04/stamp\\_11\\_47\\_2\\_en\\_0.pdf](https://health.ec.europa.eu/system/files/2019-04/stamp_11_47_2_en_0.pdf)

**74.** Regulation (EU) No 536/2014 of the European Parliament and of the Council of 16 April 2014 on clinical trials on medicinal products for human use, OJ L 158, 27.5.2014, p. 1-76, Annex I.

**75.** Scher DL. How patient-centric care differs from patient-centered care. The Digital Health Corner. <https://davidleescher.wordpress.com/2012/03/03/how-patient-centric-care-differs-from-patient-centered-care-2/>

**76.** Il ruolo delle Associazioni di volontariato, di malati e di attivismo civico nelle reti oncologiche. AGENAS; [https://www.agenas.gov.it/images/agenas/RETI/rete\\_oncologica/Accreditamento\\_Associazioni\\_Rete\\_Oncologica\\_18.04.2023.pdf](https://www.agenas.gov.it/images/agenas/RETI/rete_oncologica/Accreditamento_Associazioni_Rete_Oncologica_18.04.2023.pdf)

**77.** <https://www.nihr.ac.uk/documents/ppi-patient-and-public-involvement-resources-for-applicants-to-nihr-research-programmes/23437>

**78.** <https://www.learningforinvolvement.org.uk>

**79.** Atto n. 59/CSR -17/04/19 «Revisione delle Linee Guida organizzative e delle raccomandazioni per la Rete Oncologica che integra l'attività ospedaliera per acuti e post acuti con l'attività territoriale». <https://www.statoregioni.it/media/1614/p-2-csr-atti-rep-n-59-17apr2019.pdf>

**80.** Piano Oncologico Nazionale 2011.

**81.** Piano Oncologico Nazionale 2023.

**82.** Decreto Legislativo 3 luglio 2017, n. 117. Codice del Terzo settore.





**Tendenze Salute e Sanità**

*Fondazione Tendenze Salute e Sanità*, già *Fondazione Smith Kline*, è iscritta al Registro Unico Nazionale del Terzo Settore dall'agosto 2023. Nella sua veste di aggregatore di competenze, esperienze e conoscenze, la Fondazione da sempre si pone come punto di riferimento e incubatore di progettualità per Operatori sanitari, Pazienti e Istituzioni, allo scopo di offrire contributi originali nel complesso panorama della sanità. Dall'inizio degli anni Duemila ha avviato le iniziative nell'area della Prevenzione, riconosciuta essere un imprescindibile pilastro del "sistema salute" italiano. La Fondazione ha più recentemente intrapreso ulteriori nuovi progetti per stimolare la ricerca e la sanità del nostro paese lungo un percorso di trasformazione digitale, destinato a rappresentare un profondo cambiamento organizzativo, tecnologico e culturale con importanti implicazioni etiche e sociali.