

“PROs in Oncologia”

Prefazione

Il paziente al centro della strategia di AIOM

La partecipazione al workshop sui PROs (Patient-Reported Outcomes) in Oncologia ha rappresentato un importante momento di crescita culturale nell’ambito della valutazione dei percorsi di sviluppo, registrazione e impiego dei presidi terapeutici e, in particolare, dei nuovi farmaci.

La prima considerazione che mi sento di fare è la necessità di una maggiore diffusione dei concetti espressi nella riunione a partire dall’educazione dei clinici a questi aspetti.

La maggior parte dei clinici ha scarsa conoscenza di queste problematiche nella fase di sviluppo dei farmaci, anche se, nella realtà, è a contatto tutti i giorni, nella normale pratica clinica, con quanto riportato dai pazienti in termini di tolleranza al trattamento e della richiesta di preservare una corretta qualità di vita a fronte dei possibili benefici di una terapia.

Il termine PROs è un termine per lo più sconosciuto. Al momento dell’invito a questi lavori il mio primo pensiero è stato “cosa sono i PROs, e dove sono i CONs”. Mi rendo conto che questo potrebbe anche essere un mio limite culturale ma ritengo però che la maggior parte dei colleghi oncologi non associ, con immediatezza, il termine PROs alle sensazioni dei pazienti e alle loro reazioni agli effetti dei trattamenti.

Il primo problema è quindi di semantica. Occorre diffondere il significato di PROs affinché venga correttamente interpretato quando riportato nella letteratura.

La seconda considerazione riguarda il rapporto tra le informazioni raccolte normalmente dai clinici e quanto realmente sperimen-

tato dai pazienti. Spesso il clinico è orientato a riferirsi a risultati oggettivi, sia in termini di beneficio sia in termini di effetti collaterali. Il vissuto del paziente può invece essere differente, riportando anche modificazioni dello stato psicologico che influiscono sulla tollerabilità al trattamento.

Da diversi anni ci siamo abituati a considerare, soprattutto nell'ambito delle sperimentazioni cliniche, elementi di qualità della vita raccolti attraverso questionari validati, su cui, però, molti di noi conservano perplessità ritenendo tali strumenti troppo influenzati da uno stato d'animo puntiforme del paziente. Conosciamo tutti che la rilevazione della qualità della vita effettuata in uno stesso paziente in momenti diversi possa risultare influenzata da eventi esterni. Un paziente che abbia appena ricevuto una comunicazione di risultato favorevole o sfavorevole riporterà diversamente i propri stati d'animo e anche il proprio "sentire" in termine di stanchezza, stato di depressione, ecc., rispetto a quanto avrebbe riportato prima di conoscere il risultato del trattamento che sta effettuando. Questo limite di rilevazione ci ha sempre portato a sottostimare il ruolo del riferito dal paziente rispetto a quello che riteniamo, a volte a torto, come importante, vale a dire gli endpoints tradizionali di intervallo libero da progressione e di sopravvivenza e il grado di tossicità obiettivabile. La recente disponibilità di farmaci a bersaglio molecolare ci ha però insegnato che una tossicità di grado 3 limitata nel tempo possa essere meglio tollerata di una tossicità di grado 1 di tipo cronico, proprio a causa di un differente impatto sulla qualità della vita del paziente. Abbiamo conosciuto come tossicità assolutamente non preoccupanti dal punto di vista clinico, ad esempio la tossicità cutanea, possano essere meno tollerate di tossicità a rischio della vita quali la neutropenia febbrile, la tossicità renale, ecc. Si rende quindi necessario un cambio di impostazione nella valutazione della efficacia e tollerabilità globale del trattamento che prenda maggiormente in considerazione il vissuto dei pazienti.

La terza considerazione riguarda il ruolo che i PROs dovrebbero avere nella fase iniziale di sviluppo delle molecole. Già dal 2006 la FDA ha rilasciato delle linee guida per l'impiego dei PROs nella fase di registrazione, ma a questo non è corrisposto un adeguato aumento della loro diffusione. La considerazione delle aziende produttrici nei confronti di questi sistemi di misura è comunque stata molto superiore a quanto ci si potrebbe aspettare e i PROs vengono valutati nelle fasi ini-

ziali delle sperimentazioni. Ciò è però ancora limitato in campo oncologico, dove solo recentemente si stanno implementando sistemi validati di misurazione di quanto riferito dal paziente.

Al workshop erano presenti, oltre ad AIOM e ai clinici esperti in questo argomento, alcune associazioni di pazienti e in particolare FAVO. AIOM ritiene che la collaborazione con le associazioni dei pazienti debba divenire sempre più continuativa e abbracciare tutti gli aspetti della fase di cura e di tutto il vissuto della malattia. Il compito di una società scientifica è infatti quello di collaborare con tutte le associazioni di pazienti al fine di diffondere cultura nei clinici, nei pazienti e nella società civile. Pertanto l'idea di recepire, tradurre in lingua italiana e validare i “PRO-CTC AEs” di alcune sperimentazioni internazionali quale strumento per meglio misurare il vissuto del paziente non può che trovarci concordi e siamo pertanto più che disposti a cercare di ottenere questo risultato attraverso una collaborazione tra AIOM, FAVO e Fondazione Smith Kline. Ovviamente la diffusione di tale strumento potrà avvenire dapprima solo per i protocolli di ricerca, ma potrà essere lo stimolo per una maggiore attenzione a queste problematiche anche nella normale pratica clinica.