

Il Patient Report Outcome Measure e il Patient Report Experience Measure.

Un esempio nella vita della persona affetta da Parkinson

Sabrina Grigolo¹, Patrizia Iovane², Alessandra Veronese³

¹ Paziente Esperta EUPATI, Dottoranda Dipartimento Scienze Psicologiche, Antropologiche e dell'Educazione, Università degli Studi di Torino. Autore per corrispondenza: sabrina.grigolo@unito.it

² Operatore socio-sanitario.

³ Paziente Esperta EUPATI Italia, Biologa, Master in Comunicazione Scientifica, Università di Milano

RIASSUNTO

L'invecchiamento della popolazione e l'aumento delle malattie croniche e degenerative, unite alla sempre crescente enfasi posta sull'*empowerment* del paziente, renderanno ancora più importante la necessità di individuare le metriche sull'esperienza del paziente. I Patient Report Experience Measure e i Patient Report Outcome Measure rappresentano degli strumenti che misurano l'esperienza del paziente nei processi di ricerca e sviluppo, nella cura.

La necessità di far luce sulle evidenze internazionali di rilevazione del sapere esperienziale del paziente e del caregiver ha permesso di individuare alcune metriche già in uso nella pratica clinica.

Parole chiave: empowerment del paziente, patient engagement, patient report outcome, patient report experience.

ABSTRACT

The aging of the population and the increase in chronic and degenerative diseases, combined with the emphasis on patient empowerment, will make it necessary to identify patient experience metrics even more important. PREMs and PROMs represent tools that measure the patient's experience in research and development processes and in care plan.

The need to identify the international evidence of the patient's and caregiver's experiential knowledge has made it possible to define some metrics already in use in clinical practice.

Keywords: empowerment of the patient, patient engagement, patient report outcome, patient report experience.

L'invecchiamento della popolazione e l'aumento delle malattie croniche e degenerative, unite alla sempre crescente enfasi posta sull'*empowerment* del paziente, renderanno ancora più importante la necessità di individuare le metriche sull'esperienza del paziente. I *Patient Report Experience Measure* (PREM) misurano, infatti, le percezioni dei pazienti e dei caregiver, concentrandosi sul processo di cura e su come esso sia in grado di influenzare la loro esperienza. Ad esempio "Il paziente ha aspettato molto tempo per il trattamento?" oppure "Il paziente ha ritenuto di essere coinvolto nel processo decisionale?" oppure "Il paziente ha avuto modo di porre domande al medico prescrittore?".

Un'esperienza di cura positiva del paziente dovrebbe essere considerata un *outcome* importante che va a completare altre misure della qualità. Esiste, infatti, una correlazione stretta tra esperienza del paziente nel processo di cura (PREM) e gli esiti (PROM).

Molte iniziative di PREM sono state intraprese nei decenni scorsi su modello dell'Istituto *Picker*¹ nel Regno Unito e del *Consumer Assessment of Healthcare Providers and Systems* (CAHPS) negli Stati Uniti. Nel 1987 l'Istituto *Picker* ha sviluppato i principi di *Patient Centered Care*, che è diventato un *framework* utilizzato a livello internazionale per supportare una cura di alta qualità centrata sui pazienti. Nel 2002, ha

progettato e istituito il primo programma nazionale di indagine del *National Health Service* (NHS) in Inghilterra per valutare l'esperienza del paziente. L'iniziativa CAHPS è stata avviata nel 1995 dalla AHRQ americana, con questionari standardizzati che misurano l'esperienza del paziente.

Il *Patient Report Outcome Measure* e il *Patient Report Experience Measure* rappresentano due sistemi di valutazione degli outcome e dell'esperienza vissuta del paziente e del caregiver.

Studi recenti hanno dimostrato che esiste una discrepanza tra la percezione dell'evento avverso dei pazienti e dei professionisti sanitari (Addario, 2019): i medici tendono a sottostimare quanto riportato dal paziente (Di Maio, 2016).

A partire dalla seconda metà degli anni 2000, il servizio Sanitario Inglese ha iniziato a raccogliere indicatori descritti dai pazienti e dai caregiver principalmente per scopi di valutazione della qualità delle cure erogate e di valutazione della performance dei sistemi sanitari. Questi possono essere classificati, come indicato nel Report OECD del 2017, in indicatori di:

- esito riferiti dai pazienti => PROM
- esperienza di cura => PREM

Su mandato dei Ministri della Sanità dell'area OECD, l'OECD stessa lancia nel

2017 una iniziativa innovativa chiamata "PaRIS"² (*Patient-Reported Indicators Surveys*) finalizzata al raggiungimento di due obiettivi:

1. il monitoraggio internazionale degli indicatori di patient-reported nelle aree dove già esistono. Gli Stati Membri dell'area OCSE collaborano per sviluppare gli indicatori in tre aree: sostituzione di anca e ginocchio, nel cancro del seno e nelle cure mentali;
2. sviluppo di una survey internazionale sugli outcome e sull'esperienza dei pazienti con patologie croniche che sono trattati nelle cure primarie o in un setting ambulatoriale.

Il PREM può orientare e suggerire modifiche alla pratica clinica necessarie al miglioramento della qualità delle cure erogate. Prendere in considerazione la "voce del paziente" nella progettazione dei sistemi sanitari può aiutare nell'erogazione di un'assistenza sanitaria che sia più rispondente alle vere esigenze dei pazienti e delle comunità. Un esempio di PREM può essere "se il paziente ritenga di essere adeguatamente coinvolto in decisioni importanti circa il suo processo di cura" mentre un esempio di PROM può essere se il paziente è libero dal dolore/ha un livello di dolore sopportabile dopo una operazione chirurgica.

Ben più complesso, invece, risulta essere il PROM in quanto non si limita a raccogliere informazioni sulla vita del paziente ma fornisce dati importanti sul livello di raggiungimento degli outcome clinici. Il processo di coinvolgimento dei pazienti nella costruzione dei PROM risulta, quindi, particolarmente importante perché è il paziente che può valutare la qualità della vita in termini di outcome qualitativi. Uno studio del 2019 propone una checklist per il coinvolgimento dei pazienti, in qualità di partner e non di end user, quando si inizia a progettare lo sviluppo di un PROM (Fig. 1).

In questi ultimi anni, anche in Italia sta maturando la figura del Paziente Esperto (PE), un paziente o caregiver con esperienza di vita specifica in una patologia di elevato impatto sociale, che può contribuire ad elaborare un percorso conoscitivo ed esperienziale al fine di migliorare sia l'accesso alle cure che l'esito delle cure stesse.

Creato nel 1985 dal prof. David Tucket dell'Università di Cambridge, il termine "*paziente esperto*", che all'inizio riconosceva i pazienti solo come esperti delle proprie patologie, successivamente si è evoluto fino ad indicare "chi mette le conoscenze acquisite attraverso l'esperienza diretta della patologia a disposizione *della comunità scientifica, dei pazienti, di altri che possono trarne vantaggio o beneficio*". Il termine "paziente esperto" è apparso per la prima

volta in un rapporto presentato al parlamento britannico nel 1999 come "iniziativa per i cittadini per aiutare loro ad affrontare le malattie croniche". Il rapporto suggerisce che programmi per pazienti esperti nel Regno Unito dovrebbero essere basati sulla

capacità di "sviluppare la fiducia e la motivazione dei pazienti affetti da una malattia cronica, a utilizzare le proprie capacità e conoscenze ad assumere un controllo efficace sulla vita "(Cordier, 2014).

Identificare i pazienti partner potenziali con un livello di competenza e di esperienza necessario. Questo potrebbe includere:

- pazienti partner con una esperienza di malattia rilevante per consigliare sul modello di malattia e appropriatezza delle misure nel PRO
- pazienti esperti, pazienti advocate o advocate ricercatori preparati sull'uso dei PRO nel clinical trial
- pazienti advocate o leader advocate di ricerca che possono consigliare sugli scopi e sulla gestione del progetto

Chiarire gli scopi e le attività del progetto dei PRO in un linguaggio adatto a coloro che non hanno una preparazione scientifica:

- sviluppo di sintesi laiche degli scopi del progetto
- scrivere chiaramente la descrizione delle attività per i pazienti partner coinvolti e gli input a ciascuna fase del progetto
- delineare in modo chiaro le tempistiche e i punti di interazione, indicando l'impegno in termini di tempo richiesto dai partner dei pazienti

Avere strutture di governance chiare che include il paziente partner dall'inizio:

- assicurarsi che eventuali comitati consultivi o comitati direttivi abbiano pazienti partner come membri
- le riunioni decisionali hanno riservare del tempo per ottenere approfondimenti, feedback e indicazioni dai pazienti partner
- costruire in tempo utile prima delle riunioni per garantire la risposta a qualsiasi domanda posta dai partner dei pazienti sui documenti o sulle pre-letture per la riunione

Figura 1. Checklist per coinvolgere i pazienti partner quando si inizia un progetto di sviluppo dei PRO (Addario, 2019)

Esempi di PROM generici relativi alla qualità della vita ³

EQ-5D è una misura generica di esito della salute ed è applicabile a una vasta gamma di condizioni di salute e trattamenti, individuando 243 possibili “stati di salute”. Con questo questionario i pazienti descrivono il proprio stato di salute su cinque dimensioni: 1. mobilità, 2. auto-cura, 3. attività abituale, 4. dolore/disagio, 5. ansia/depressione.

Per ognuna delle dimensioni è scelto un livello di gravità da 1 a 3: nessun problema, problema moderato o problema grave. Il questionario EQ-5D genera quindi un indice EQ-5D che è un profilo sanitario che può essere trasformato in un indice globale di salute con un valore totale ponderato per la qualità della vita percepita, e rappresentando quindi una generale descrizione della salute del paziente e, inoltre, confrontare come questo stato di salute è percepito dalla popolazione generale.

Short Form 36 (SF-36)

L'indagine breve sulla salute o Short-form 36 comprende otto dimensioni della salute: il funzionamento fisico, il dolore fisico, le limitazioni al ruolo dovute ai problemi di salute fisica, le limitazioni al ruolo dovute a problemi personali o emotivi, il benessere emotivo, il funzionamento sociale, energia/stanchezza e percezione della salute in generale.

Gli otto punteggi scalari sono le somme ponderate delle domande nelle rispettive sezioni. Ogni scala viene poi trasformata direttamente in un punteggio da 0 a 100. Un punteggio pari a zero equivale alla massima disabilità e un punteggio di 100 equivale a nessuna disabilità. I punteggi delle otto scale sono riassunti in una componente fisica e una mentale su cui viene pesata la scala. Il SF-36 è il PROM generico più comunemente usato nelle sperimentazioni cliniche. Richiede la licenza per l'utilizzo.

SF-12

SF-12 è una misura generica degli esiti di salute, composta da 12 elementi derivanti dal punteggio a 36 elementi. Fornisce due punteggi riepilogativi: la componente fisica (Physical Component Summary o PCS) e la componente mentale (Mental Component Summary o MCS), che vanno da 0 a 100. Richiede la licenza per l'utilizzo.

Veterans Rand 12-item survey (VR-12) e 36-item survey (VR-36) sono analoghi ai precedenti ma disponibili gratuitamente.

Crosswalk algorithms

Uno studio del 2016 ha valutato con successo un approccio probabilistico di mappatura sui punteggi di utilità EQ-5D basati sulle risposte SF-12 utilizzando reti bayesiane. Tale approccio di mappatura consente agli algoritmi crosswalk di convertire le risposte SF-12 ai punteggi dell'indice EQ-5D, e quindi, in buona sostanza, consentendo confronti tra i diversi strumenti.

A questi strumenti, si affiancheranno strumenti di rilevazione del *burden* del *caregiver* al fine di misurare il carico emotivo-affettivo e di lavoro a cui sono sottoposti.

Negli ultimi anni, diversi ricercatori stanno sperimentando nuove modalità per sostenere il paziente nelle decisioni e nelle scelte importanti per la propria salute. Le Terapie digitali (TDx) rappresentano l'ultima innovazione per la salute e il selfcare del paziente.

LE DIGITAL HEALTH TECHNOLOGIES

NICE ha pubblicato nel 2019 gli standard da applicare alle Digital Health Technologies. La struttura che propongono è interessante in quanto permette di classificare le tecnologie ad oggi disponibili sul mercato e in uso nella pratica sanitaria.

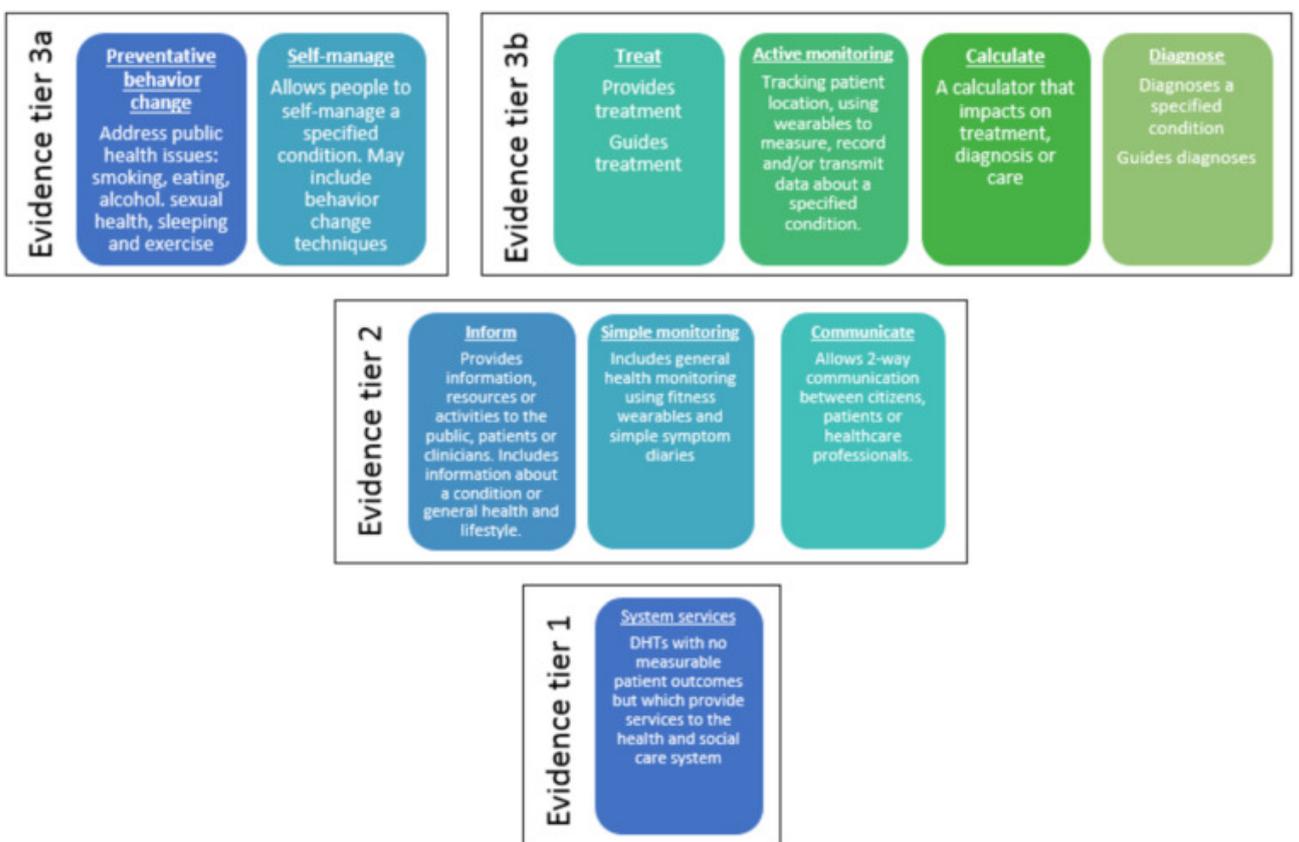


Figura 2. X DHT classificati per le funzioni e stratificati sulla base dei livelli delle evidenze (NICE, 2019)

Gli standard offrono una guida che può aiutare anche il paziente nell'identificare la tipologia di app e di strumento indicato, e, soprattutto, il diverso livello di rischio delle DHTs. Quando utilizziamo un device, infatti, occorre porsi una serie di domande che ci

dovrebbero permettere di acquisirlo con consapevolezza e non superficialità. Ad esempio: chi utilizza il DHT è una persona che potenzialmente è vulnerabile come i bambini oppure gli adulti a rischio? Quanto serie possono essere le conseguenze se il

DHT fallisce nel realizzare quanto descritto? Il DHT è usato con un supporto di personale sanitario qualificato e con esperienza? Il DHT include algoritmi di learning machine o di intelligenza artificiale? Il rischio finanziario o organizzativo del DHT atteso è molto alto?

Quali sono le DHT utilizzabili dalla persona affetta da Parkinson e dal suo caregiver?

Limitiamoci a considerare solo gli strumenti che migliorano il livello di autonomia attraverso il monitoraggio a distanza e le terapie cognitivo-comportamentali basate brain-based. Per il principio di Hebb del 1949, le esperienze significative, ripetute, emozionanti costruiscono strutture cognitive sempre via via più stabili (Trincherò, 2015). Le ricerche degli ultimi decenni hanno infatti sottolineato la plasticità del cervello umano lungo l'intero arco della vita sottoponendolo a una serie di cambiamenti determinati da ciò che si apprende. Tali cambiamenti possono essere alla base di un incremento dell' "intelligenza", ossia della capacità di rispondere in modo efficace ed efficiente a determinati stimoli che richiedono l'interpretazione di una situazione e la presa di decisione, l'azione conseguente, la riflessione sulle proprie interpretazioni ed azioni e il loro cambiamento quando necessario (Trincherò, 2013).

In letteratura troviamo diversi esempi di utilizzo dei DHT come strumento per il miglioramento della condizione di autonomia della persona affetta da una patologia neurodegenerativa.

Studi recenti hanno rilevato i benefici significativi dell'attività fisica sulla salute e sull'autonomia delle persone con Parkinson, anche se richiedono un importante impegno da parte del paziente nel seguire i programmi di esercizio fisico. Il *videocoaching* è stato utilizzato per integrare un intervento comportamentale basato su Internet e sul Social Cognitive Theory, come approccio per aumentare la comprensione e la padronanza dei materiali, incoraggiando il supporto nel cambio di comportamento (Ellis, 2013).

Uno studio americano del 2016 sull'uso delle tecnologie nella malattia di Parkinson, consiglia che le tecnologie dovrebbero essere 1) sviluppate come piattaforme aperte e integrate con i sistemi di cartelle cliniche elettroniche, 2) adatte all'acquisizione di dati dei fenomeni motori e non motori e 3) integrati nei sistemi di erogazione del trattamento (Espay, 2016).

Un interessante protocollo americano pubblicato recentemente valuterà l'usabilità, la fattibilità e la validità della versione digitale del test *Action Research Arm* utilizzando il sistema Bi-Manu-Trainer come piattaforma e come algoritmo. Il Bi-Manu-Trainer (BMT)

è un esempio di un sistema Virtual Reality terapeutico per l'allenamento degli arti superiori nella riabilitazione. Fornisce tre modalità di feedback (acustico, visivo e sensoriale) per facilitare l'adattamento delle prestazioni e offre l'opportunità di eseguire attività di movimento dell'arto superiore con diverse opzioni di gioco sullo schermo del computer. Il dispositivo è stato sviluppato appositamente per i movimenti di braccia, mani e dita. Permette di rilevare e visualizzare anche piccoli cambiamenti di movimento (Behrendt, 2018).

Un ambito operativo di interesse clinico di applicazione delle DTH è l'aderenza alla terapia. Infatti, la non aderenza al trattamento porta a esiti di trattamento non ottimali, spesso fatali, e a costi enormi per l'economia. Ciò è particolarmente importante nella malattia di Parkinson per la natura progressiva del processo degenerativo. Il personale sanitario ha un tempo di consultazione limitato con i pazienti il che rende difficile la comprensione completa da parte degli stessi pazienti sulla terapia, sul cambiamento dello stile di vita etc. La rapida crescita delle tecnologie digitali offre l'opportunità di migliorare l'aderenza e la qualità del processo decisionale durante la consultazione. Spesso, infatti, accade che in vista della visita da effettuare, il paziente si presenti dal medico subito dopo aver assunto

i farmaci, impedendo una corretta valutazione dello stato generale di salute. Se il medico, invece, avesse la possibilità di esaminare un tracciato oggettivo delle attività del paziente nell'ultima settimana, ma anche delle ultime 24 ore, potrebbe ricavarne un quadro complessivo ben diverso, che registra ad esempio fluttuazioni motorie lunghe ed invalidanti.

Le tecnologie sanitarie mobili come i sensori indossabili e smartphone mirano a misurare parametri della salute in modo più preciso e obiettivo. Essi generano informazioni mediche rilevanti dall'ambiente di vita reale e, come tale, migliori mettendo in evidenza la compromissione correlata alla malattia delle attività della vita quotidiana (Klucken, 2018).

Questi risultati dimostrano la fattibilità dei biomarcatori digitali basati su smartphone e indicano che le tecnologie dei sensori smartphone forniscono dati affidabili, validi, clinicamente significativi e altamente sensibili nella malattia di Parkinson (Cedarbaum, 2019).

Non ci sono ancora sufficienti evidenze che le DTH migliorino efficacemente gli outcome dei pazienti con Parkinson. Si può dedurre, però, che, agendo indirettamente sul monitoraggio dei dati e sui continui feedback, si inducano continue correzioni nei comportamenti e, quindi, un cambiamento

nel comportamento. Ulteriori studi sono necessari per confermare le ipotesi di partenza. Le DHT sono in continua espansione così come i protocolli di validazione dell'efficacia clinica e non solo di fattibilità tecnologica.

Quindi, come può orientarsi il paziente di Parkinson (PD) davanti all'offerta così variegata del panorama DHT? Nel mosaico di informazioni che vengono aggiornate continuamente, come può contribuire a sanare lo scollamento tra le potenzialità delle DHT esistenti e la realtà fruita sul territorio? Come può il paziente fare sentire la propria voce per poter accedere in tempo utile a terapie digitali e innovative che facilitino la diagnosi, completino la cura standard, migliorino la qualità di vita?

Uno studio pubblicato nel Settembre 2019 dal Critical Path Institute, Parkinson's Consortium (Cedarbaum, 2019), e nato dalla collaborazione pre-competitiva tra aziende pubbliche, private ed enti regolatori come EMA ed FDA, ha dimostrato che pazienti ed enti regolatori svolgono un ruolo chiave nello sviluppo e nel rilascio di tecnologie efficienti a prescindere dall'ambito in cui vengono impiegate, sia esso ad esempio il monitoraggio della progressione della malattia o il percorso riabilitativo.

Dal confronto tra le parti, sono emersi commenti rilevanti che le autorità regolatorie hanno così sintetizzato:

1. È fondamentale sedersi allo stesso tavolo nelle fasi iniziali di progettazione di studi clinici e tecnologie digitali
2. È importante stabilire dei parametri che valutino sintomi motori, non-motori e legati all'umore
3. È cruciale incorporare la prospettiva del paziente, di come funziona e si sente durante un colloquio o quando risponde ad un questionario di qualità della vita per poter comparare questi dati con le misure digitali. Inoltre, è ragionevole pensare che si ottengano maggiori benefici includendo i soggetti in questo processo di valutazione delle DHT sin dai primi stadi di progressione della malattia.
4. È necessario raccogliere ed eventualmente adeguare la normativa riguardante l'acquisizione di dati digitali sulla salute di individui malati ma anche di quelli sani, che operano come confronto.

Da questo stesso lavoro sono scaturiti tre aspetti tecnici che dovranno essere considerati nella stesura degli studi clinici con terapie digitali:

1. il fattore paziente: l'aderenza nella raccolta dei dati da remoto, le differenze degli ambienti e degli stili di vita dei pazienti sulla variabilità delle misurazioni
2. il fattore qualità dei dati: l'accesso ai dati originali, l'effetto degli aggiornamenti di

software e hardware, la gestione dei dati mancanti, la trasparenza degli algoritmi.

3. il metodo di analisi dei dati: la necessità di comparatori per valutare nuove misurazioni.

Sulla base di queste considerazioni, la voce del paziente e del caregiver PD dovranno assumere in futuro un ruolo determinante nella ricerca di DHT che esprimano un'efficacia quantificabile e che incontrino i reali bisogni dei pazienti.

In una malattia in cui l'esperienza di vita varia di giorno in giorno e di ora in ora, con fluttuazioni motorie e non-motorie praticamente continue anche quando il paziente viene considerato stabile, la speranza che le DHT migliorino la gestione quotidiana della malattia diventa la sfida più eterogenea della ricerca.

Bisogna riconoscere, infatti, che attualmente più in altri Paesi che in Italia, si stanno ottenendo ottimi risultati nell'applicazione di DHT per diagnosticare precocemente il Parkinson, risparmiando ai Sistemi Sanitari tutti i costi di gestione delle attività per giungere alla diagnosi. Diagnosi che ancora oggi spesso arriva per esclusione, dopo un iter che dura mesi o anni.

Si può diagnosticare più precocemente la malattia? Una diagnosi precoce può arrestare il declino fisico e psichico?

Come pazienti/caregiver Parkinson, allora dobbiamo chiederci cosa possiamo fare per favorire l'introduzione o adozione di specifiche DHT sin dai primi accertamenti diagnostici, affinché i clinici possano essere supportati nell'inquadrare la malattia partendo da sintomi base, quali espressioni facciali, postura, irrigidimento muscolare.

È intuitivo, inoltre, che l'adozione di DHT specifiche per il PD potrebbero portare benefici anche ai Centri Parkinson dislocati sul territorio. Centri dove spesso non c'è uniformità di trattamento, né di controlli, né di percorsi riabilitativi. Centri dove la scarsità di risorse e personale mette a dura prova la sussistenza dei servizi stessi. Centri in cui la fisioterapia, la terapia occupazionale o una dieta mirata spesso non vengono presi in considerazione.

Certo, in Italia la situazione non è ovunque così drammatica, ma resta decisamente molto distante dall'ideale.

Come pazienti esperti della patologia (in seguito approfondiremo meglio questo concetto), quindi, pur riconoscendo il valore e l'intensità dell'impegno speso per sviluppare le DHT, in prospettiva ci auguriamo che almeno alcune di esse vengano diffuse e diventino parte integrante della cura per migliorare la vita di tutti i pazienti PD e di chi li assiste.

All'ultimo Congresso Nazionale della Società Italiana di Neurologia (12-15 Ottobre

2019) è stato chiaramente portato all'attenzione il fatto che solo 4 Regioni Italiane su 20 hanno adottato Percorsi Diagnostico Terapeutico Assistenziali (PDTA) per la malattia di Parkinson. I PDTA sono interventi complessi basati sulle migliori evidenze scientifiche e caratterizzati dall'organizzazione del processo di assistenza per gruppi specifici di pazienti, attraverso il coordinamento e l'attuazione di attività consequenziali standardizzate da parte di un team multidisciplinare.

Poiché la complessità di un sistema come quello sanitario può creare condizioni favorevoli la variabilità, i difetti di congruità, di continuità e di scarsa integrazione nella cura, a maggior ragione nelle malattie neurodegenerative progressive è fondamentale adottare percorsi di cura che siano metodologicamente standardizzati e che migliorino l'operatività di tutte le strutture definendo gli obiettivi singoli e comuni, i ruoli di ciascuno, i tempi di intervento, gli ambiti di intervento e i compiti degli operatori.

Se in tutte le Regioni Italiane fosse in uso un PDTA, inoltre, si potrebbe confrontare in maniera oggettiva sia quanto differiscono i modelli organizzativi assistenziali rispetto al percorso scelto, sia quali sono le differenze diagnostiche o l'impatto economico della scelta di diversi PDTA.

In particolare, per il PD, i percorsi integrati di cura, salvo rarissime isole felici, sono carenti a livello locale, dove mancano i livelli minimi di assistenza a fronte di una crescita di numerosità dei casi, di abbassamento dell'età di insorgenza della malattia, di rischio clinico elevato.

Il percorso che dal medico di medicina generale porta al centro Parkinson, soprattutto all'inizio è lungo, tortuoso e può condurre in realtà ad ambulatori virtuali in cui l'assistenza al paziente consiste in 30 minuti di visita semestrale. Visita che, per quanto approfondita, non può consentire la corretta conoscenza e gestione della malattia a livello del singolo, della comunità, della rete familiare,

In questo senso potrebbe sicuramente aiutare l'ascolto attivo dei pazienti esperti della patologia durante la stesura dei PDTA, affinché questi possano prevedere l'inserimento delle terapie digitali, di provata efficacia, che consentano ad esempio diagnosi precoci e precise o la prescrizione di programmi riabilitativi utilizzabili in remoto, riducendo la fisioterapia in clinica.

Non possiamo negare che sul tema della Digital Health il nostro Paese sembra arretrato rispetto ad altri Paesi Europei, e sia presente un vuoto legislativo sull'argomento. Nonostante questo, proprio il valore potenziale e l'evoluzione continua della me-

dicina digitale dovrebbe richiedere un cambio di passo che promuova la valutazione costante dei reali effetti prodotti da tali tecnologie sugli esiti di salute e sanitari. Dovrebbe incentivare la ricerca di indicatori che misurino l'effettivo aumento dell'efficienza dei processi sanitari e la riduzione complessiva dei costi della sanità.

Realizzare tali obiettivi implica un'azione di informazione e formazione di operatori, stakeholder e pazienti e un cambio di atteggiamento complessivo.

Talvolta, come comunità di pazienti, si ha la percezione che l'attuazione di piani d'azione lungimiranti si scontri con una macchina burocratica troppo complessa o che si debba interloquire con un sistema decisionale carente di conoscenza o apprezzamento delle DHT.

Tuttavia, siamo consapevoli che la comprensione e l'accettazione del contributo di pazienti preparati possa aiutare a sdoganare le prime terapie digitali anche per il Parkinson, dato che in letteratura si ritrovano già alcuni strumenti efficaci che si possono adottare, sensibilizzando i diversi attori del processo: personale medico, pazienti, economi.

In sostanza, se oggi impediamo ai pazienti di indossare uno smart-watch con app validate per diagnosticare sintomi indicatori di PD, è come se negassimo a un paziente con

sospette alterazioni cardiologiche di monitorarsi con l'Holter.

Per questo potrebbe essere utile iniziare l'uso delle terapie digitali con l'analisi dei bisogni già espressi dai malati, ma attualmente insoddisfatti, come appunto diagnosi più precise e precoci.

Secondo una recente ricerca condotta dall'ente benefico Parkinson nel Regno Unito, su un campione di 2000 persone con PD, per il 26% era stata inizialmente escluso il Parkinson e circa la metà di loro sono stati trattati per una condizione diversa.

Lo studio, inoltre, ha anche evidenziato che le donne avevano maggiori probabilità di essere mal diagnosticate rispetto agli uomini.

Poiché vi sono degli strumenti già validati che riducono sensibilmente i tempi di attesa, bisognerebbe valutare l'eticità di lasciare queste persone nel limbo, mentre vedono peggiorare il loro stato di salute fino a perdere l'autonomia o la possibilità di vivere una vita sociale accettabile.

Da alcuni anni sono disponibili strumenti di provata efficacia ben noti soprattutto alle comunità di pazienti anglofoni che, per questo motivo, possono accedervi più facilmente: si tratta di app specifiche per il Parkinson che, con l'approvazione del paziente, tramite diversi componenti dello smartphone quali microfono, telecamera,

touch screen, accelerometro catturano in ambiente non clinico dati sui sintomi motori, generando valori di severità del PD che correlano fortemente con quelli dei test motori standard somministrati dai medici.

Queste app, inoltre, registrando i dati 24h su 24 e durante il weekend, sono in grado di consegnare al medico un quadro completo e preciso della situazione motoria e non-motoria del paziente

Un articolo pubblicato su JAMA nel luglio 2018, sull'uso di Smartphones e Machine Learning per quantificare la severità del Parkinson, ha dimostrato inoltre che con uno smartphone si possono catturare fluttuazioni intra-giornaliere di un sintomo, correlarle con le scale standard attualmente utilizzate per la diagnosi, e individuare la risposta alla terapia dopaminergica.

Il risultato del punteggio ottenuto raccogliendo dati da remoto sull'equilibrio, il tipo di camminata, la voce, la digitazione sul dispositivo e al tempo di reazione (6168 tipi di accertamenti ricavati da 129 soggetti) ha dimostrato ancora una volta che non solo i risultati sono sovrapponibili a quelli raccolti in clinica, ma che le misure raccolte "nel mondo reale" possono migliorare le cure ricevute e consentire una valutazione ancor più oggettiva delle nuove terapie.

Il Journal of Parkinson Disease nel Novembre 2019 ha pubblicato l'articolo intitolato "A New Home-Based App to Better Monitor

Parkinson's Disease Motor Symptoms (Ratti, 2019) che ha valutato un'app per tablet, in grado di incorporare una nuova scala analogica visiva per la valutazione della mobilità globale (m-VAS) e la Scales for Outcome in Parkinson Assessment Diary Card (m-SCOPA-DC).

Ai pazienti è stato chiesto di utilizzare l'app per registrare i loro sintomi quattro volte al giorno per due settimane in momenti specifici della giornata, per stimare la loro capacità motoria momentanea percepita per quanto riguarda i movimenti involontari, la destrezza della mano, la deambulazione e il cambio di posizione.

Per quasi il 43% dei pazienti è stata rilevata una discrepanza tra il punteggio totale m-SCOPA-DC e MDS-UDPDRS. Ulteriori analisi hanno indicato che i pazienti con disaccordo più elevato erano quelli che tendevano ad avere una malattia più avanzata, maggiore affaticamento o peggiore qualità del sonno. E' chiaro quindi che, nonostante molto ci sia ancora da fare su questa ed altre app, in un approccio prospettico esse consentiranno una migliore valutazione clinica dei sintomi soggettivi dei pazienti e, quindi, una migliore gestione della malattia. Di fatto, l'importanza di ricevere informazioni corrette e oggettive sullo stato di salute del paziente PD è uno dei aspetti critici per i clinici. Spesso il malato ha una percezione delle proprie performance che non

corrisponde al reale. Eventuali testimonianze del caregiver in questo senso raramente vengono considerate, portando il clinico a decisioni basate su informazioni incomplete.

Ecco che allora i risultati oggettivi raccolti da dispositivi digitali sarebbero di estremo aiuto al medico per individuare la terapia migliore per le reali condizioni di salute del malato.

Questo potrebbe emergere grazie all'ascolto attivo di pazienti/caregiver esperti che riescono a portare ai tavoli tecnici l'esperienza di vita e di problematiche legate alla patologia raramente espresse al medico durante le visite di controllo per motivi facilmente immaginabili.

Si pensi, per esempio, a quali vantaggi di sicurezza ed economici si sarebbero ottenuti se nelle fasi precoci di sviluppo clinico di farmaci anti-Parkinson d'elezione fossero stati raccolti dati dal caregiver in merito ai comportamenti ossessivo compulsivi, l'ipersessualità, il gioco d'azzardo, la mancanza di analisi del rischio. Ecco che questo monitoraggio inclusivo del caregiver può essere facilitato dall'uso di app specifiche, che in tempo reale e in maniera discreta fungono da campanello d'allarme per il clinico che segue il paziente.

Detto questo, si tratta infine dell'adozione di nuove terapie innovative che per diven-

tare d'uso comune, richiedono una preparazione diversa sia degli operatori che del paziente ma che, con il supporto di pazienti esperti che divulgano e fanno formazione anche a livello di pazienti e familiari possono diventare un valore aggiunto per tutta la comunità.

Va sottolineato, infatti, che la maggior parte di queste applicazioni sono state sviluppate e continuano a migliorare grazie al contributo volontario dei pazienti e, sempre grazie a loro, si possono raggiungere livelli di caratterizzazione clinico-patologica sempre più sofisticati che favoriscono la personalizzazione e la riuscita della cura facendo leva proprio sul coinvolgimento dei pazienti in sottogruppi meglio delineati (per età, per predominanza di sintomi, per risposta alla cura), così come richiede la variabilità intrinseca di questa patologia.

Come PE, infine, per contribuire allo sviluppo delle terapie digitali dobbiamo continuare a stimolare riflessioni in merito all'utilizzo delle stesse DHT secondo criteri di:

- affidabilità, ad esempio per una gestione autonoma della malattia;
- sicurezza rispetto al trattamento dei dati personali e sensibili. Solo come esempio ricordiamo i dispositivi di tele-monitoraggio domestico che in alcune circostanze devono essere attivati quando si dismettono i dispositivi indossabili

- intuitività dell'interfaccia e dell'utilizzo
- usabilità del dispositivo, prevedendone l'accesso attraverso diverse modalità che siano compatibili con le fluttuazioni motorie del paziente, oppure prediligendo raccolte attive o passive di dati secondo le circostanze, ma con il minimo impatto possibile sulla qualità di vita di pazienti e familiari.

Per ottenere tutto questo, è indispensabile la presenza allo stesso tavolo di tutti i partner che si occupano di Parkinson, nessuno escluso.

BIBLIOGRAFIA

- Addario B., Geissler J., et al, Including the patient voice in the development and implementation of patient-reported outcomes in cancer clinical trials, *Health Expectations* 2019;00:1-11
- Behrendt F, Schuster C. Using an interactive virtual environment to integrate a digital Action Research Arm Test, motor imagery and action observation to assess and improve upper limb motor function in patients with neuromuscular impairments: a usability and feasibility study protocol, *BMJ Open* 2018
- Cedarbaum J., Taylor K., Hill D., Alexander R., Luo Y., Rubens R., Zach N., et al, Enabling efficient use of digital health technologies to support Parkinson's disease drug development through precompetitive collaboration [abstract]. *Mov Disord.* 2019; 34 (suppl 2)
- Cordier JF, The expert patient: towards a novel definition. *Eur Respir J* 2014; 44: 853–857
- Di Maio M, Basch E, Bryce J, Perrone F. Patient-reported outcomes in the evaluation of toxicity of anticancer treatments. *Nat Rev Clin Oncol* 2016; 13: 319-25
- Ellis T., Motl RW., Physical Activity Behavior Change in Persons With Neurologic Disorders: Overview and Examples From Parkinson Disease and Multiple Sclerosis, *JNPT Volume 37, June 2013*
- Espay AJ., Bonato P. et al, Technology in Parkinson disease: Challenges and Opportunities, *Mov Disord* . 2016 September ; 31(9): 1272–1282
- Klucken J., Kruger R., Schmitte P., Bloem B., Management of Parkinson's Disease 20 Years from Now: Towards Digital Health Pathways *Journal of Parkinson's Disease* 8 (2018) S85–S94
- Lipsmeier F., Kirsten I. Taylor, et al., Evaluation of Smartphone-Based Testing to Generate Exploratory Outcome Measures in a Phase 1 Parkinson's Disease Clinical Trial, *Movement Disorders*, Vol. 33, No. 8, 2018
- National Institute for Health and Care Excellence, Evidence standards framework for digital health technologies, March 2019

Ratti L., Faraci F., Hackethal S., et al A New Prospective, Home-Based Monitoring of Motor Symptoms in Parkinson's Disease, *Journal of Parkinson's Disease*, Volume 9, Issue 4 (October 2019)

Trincherò R., Per una didattica brain-based: costruire la learning readiness attraverso la pratica deliberata, *Form@re*, 2015, Num.3, Vol. 15, pag. 52-66.

Riferimenti in nota

¹ Consultare le sezioni specifiche <https://www.picker.org/tools-resources/>

² Consultare il progetto su www.oecd.org/health/paris.htm

³ Gori D., Il ruolo degli indicatori patient reported (PROMs) per la promozione della qualità dell'assistenza: il caso di studio della chirurgia del CA prostatico. Tesi di Dottorato di Ricerca in Scienze Mediche Generali e Scienze dei Servizi, Supervisore Maria Pia Fantini, Alma Mater Studiorum – Università degli Studi di Bolognam Ciclo XXX, Anno Accademico 2017-2018.