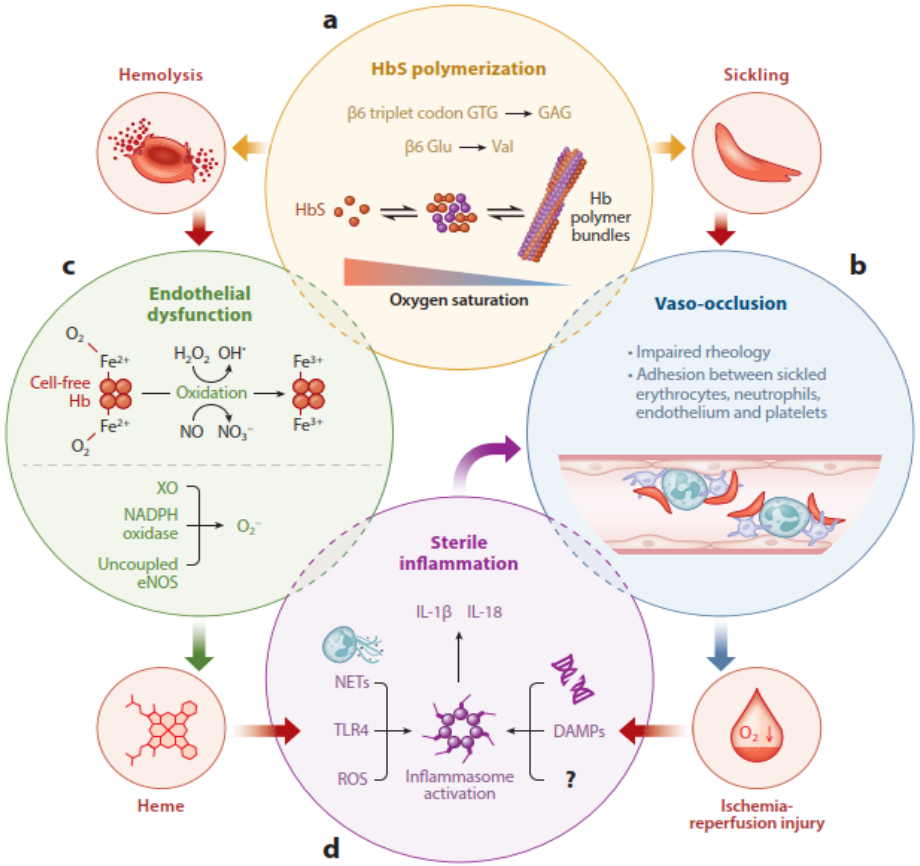
CONGRESSO NAZIONALE AIEOP
ROMA, 22-24 Settembre 2025
CENTRO CONGRESSI UNIVERSITÀ CATTOLICA DEL SACRO CUORE

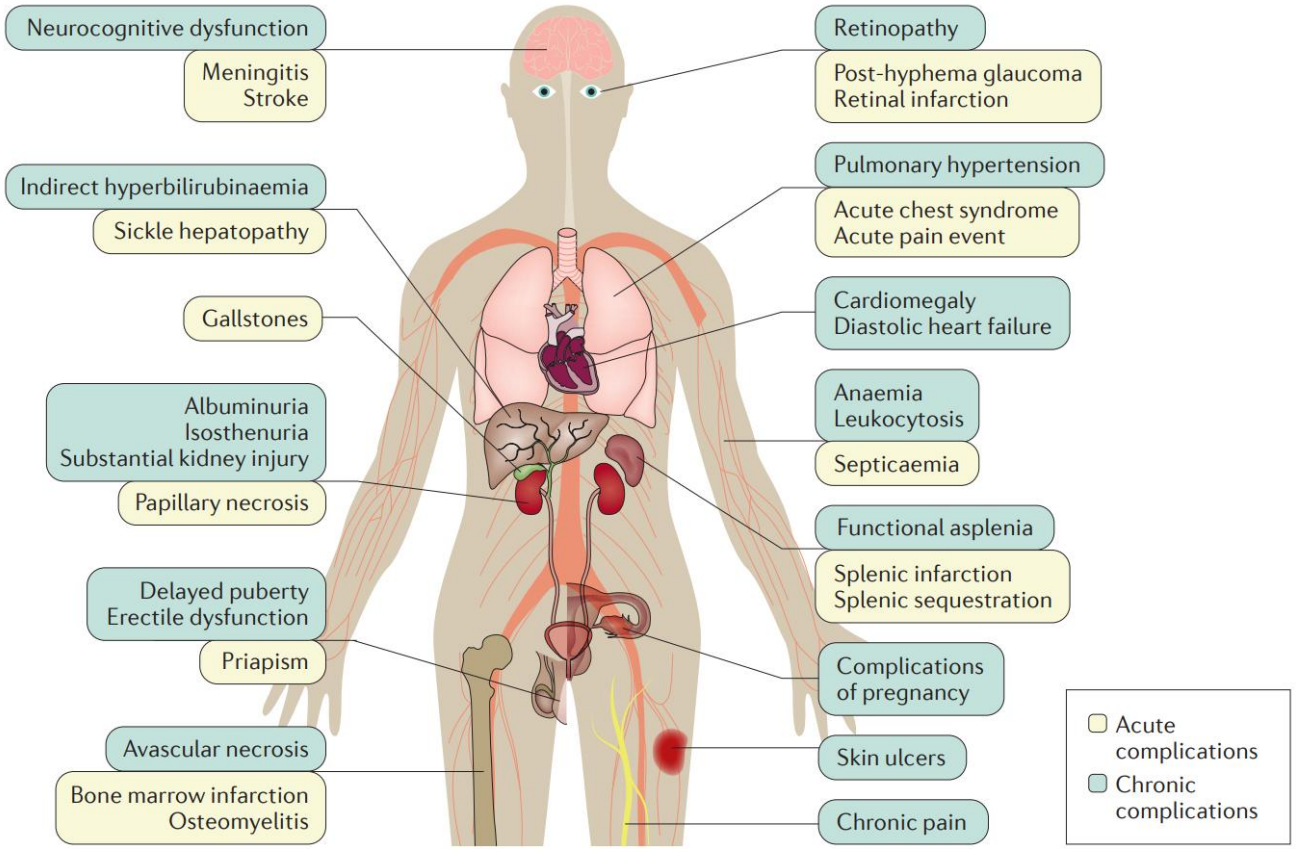
IMPATTO DEL TELEFONO DI RICERCA DEDICATO NEI TRIAL CLINICI PEDIATRICI PER LA DREPANOCITOSI: UNO STUDIO PILOTA MONOCENTRICO MULTIMETODO PER PROMUOVERE L'ARRUOLAMENTO E LA RETENTION DEI PAZIENTI

E. Mezzalira(1), M. Bonel(2), M.P. Boaro(2), G. Reggiani(1), S. Sorbara(1), C. Bellucco(2), L. Cosma(2), P. De Vecchi(2), A. Mastria(2), V. Viviani(2), G. Bisogno(1|2), A. Paratella(2), R. Colombatti(1|2)

Affiliazioni:
1) Dipartimento Salute Donna e Bambino, Università di Padova; 2) UOC Oncoematologia Pediatrica, Azienda Ospedale-Università Padova

Introduzione (1)





Drepanocitosi: malattia genetica, rara con fisiopatologia complessa

Drepanocitosi: complicanze acute e croniche
Cardini della terapia standard: idrossiurea, trasfusioni di emazie, trapianto di midollo ematopoietico
Nuovi farmaci in sperimentazione per ripondere ad unmet needs

Hematopoietic Stem Cell Transplantation / ***gene therapy***

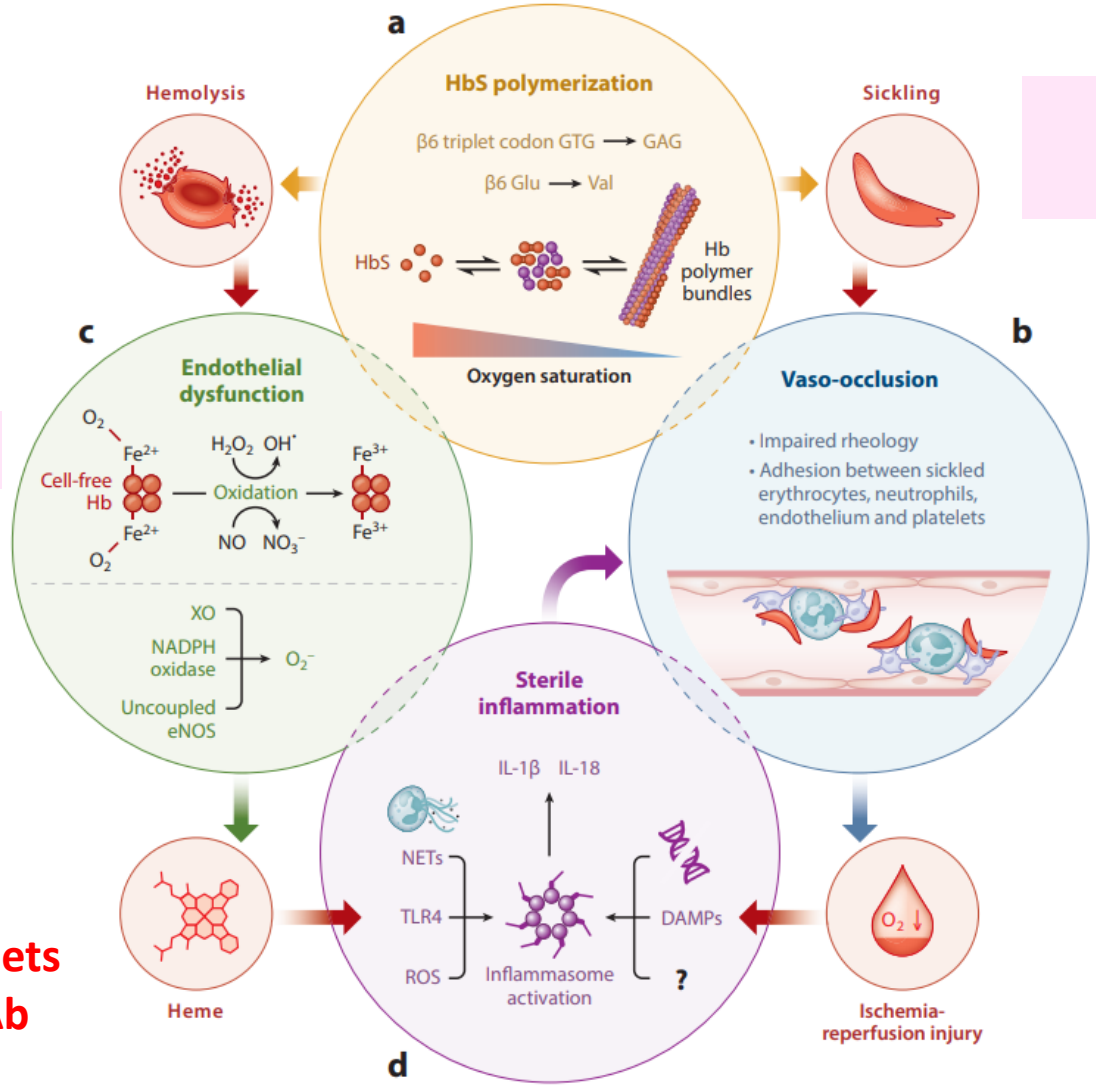
osivelotor / mitapivat / etavopivat

Hydroxyurea / ***mitapivat / etavopivat/Tebapivat***

chronic transfusion regimen

L-glutamine

Hydroxyurea / ***decitabine-tetrahydrouridine/ Inclacumab***



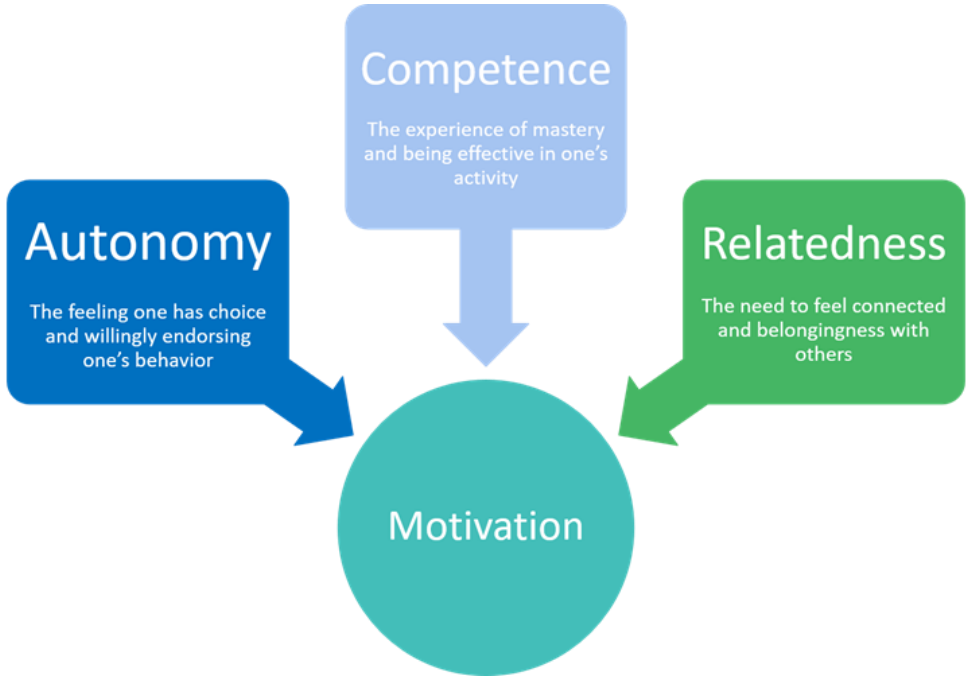
canakinumab/haemopexin

- **Prasugrel, Tecagrelor, antiplatelets**
- **Crizanlizumab, Anti P selectin Ab**
- **Voxelotor, HbS polim inhibitor**
- **Etavopivat: PK activator**
- **Ndec: HbF inducer**

Sundd P et al. *Annu Rev Pathol*. 2019;14:263-292. Kato GJ. *Nat Rev Dis Primers*. 2018;4:18010.

Introduzione (2)

- La *retention* nei trial clinici resta una sfida, soprattutto nelle malattie croniche come la Drepanocitosi.
- Le strategie classiche (incentivi, reminder, comunicazioni standard) hanno efficacia limitata.
- Secondo la *Self-Determination Theory*(Ryan & Deci) la motivazione intrinseca viene sostenuta da autonomia, competenza, relazionalità.



Ipotesi di ricerca: L'uso di un telefono dedicato, gestito dal team di ricerca può favorire motivazione e quindi rafforzare la *retention* nei clinical trials.

Materiali e Metodi:

Disegno di studio **multi-metodo:**

1. **Questionario sviluppato con coordinatori esperti in trial clinici**. Sviluppo questionario guidato da revisione della letteratura e utilizzo *Self-Determination Theory*. Le domande andavano ad indagare il **possibile ruolo dello smartphone nel promuovere i domini di autonomia, competenza e relazionalità dei partecipanti ai trial clinici**.

Validazione di facciata del survey e **test pilota** con due partecipanti.

Somministrazione questionario a pazienti e genitori attualmente coinvolti in trial clinici presso un centro italiano.

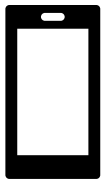
2. **Analisi retrospettiva dei dati di comunicazione** (periodo2022-2024) registrati **tramite il telefono di ricerca**.
Dati analizzati: registri di chiamate, messaggi di testo e vocali dal telefono di ricerca.

Metriche: **frequenza e tipologia comunicazioni, iniziatore della comunicazione, aderenza al protocollo.**

Analisi dei dati:

- Statistiche descrittive per dati quantitativi
- Analisi tematica per dati qualitativi

Risultati, Dati quantitativi:



Comunicazioni totali tra il team di ricerca e **20 partecipanti** a 5 trial clinici attivi sulla **drepanocitosi** nel periodo Novembre 2022-Dicembre 2024:

- ✓ 131 chiamate (53 tradizionali, 78 WhatsApp)
- ✓ 1.202 messaggi di testo
- ✓ 56 messaggi vocali

Metriche

- ➢ Media: **80 messaggi per partecipante** in due anni
- ➢ Pattern di utilizzo: **contatti principalmente mensili**, maggioranza chiamate avviate dai partecipanti.
- ➢ Retention: nessun dropout nei partecipanti alla survey

Risultati, Percezione dei partecipanti (1):

7 partecipanti (4 pazienti e 3 genitori, età 14–49 anni) hanno completato il questionario. Tutti hanno valutato positivamente l'introduzione del telefono dedicato.

- **Utilità complessiva**: l'85,7% lo ha ritenuto utile o molto utile per la gestione della partecipazione, in particolare per **appuntamenti e informazioni legate al trial**. Il 71,4% lo ha indicato come strumento prezioso per organizzare le visite e contattare rapidamente i professionisti sanitari.
- **Impatto pratico**: il 100% ha dichiarato che il telefono ha permesso di evitare problemi concreti, come ritardi, appuntamenti saltati o dubbi clinici non risolti.

Risultati, Percezione dei partecipanti (2):

- **Difficoltà riscontrate**: la maggioranza (57,1%) non ha segnalato ostacoli. Alcuni hanno menzionato barriere linguistiche, orari limitati di reperibilità e risposte tardive (14,3% ciascuno), considerati comunque aspetti marginali.
- **Benefici aggiuntivi**: oltre all'organizzazione pratica, l'85,7% ha sottolineato un miglioramento nella comprensione del trial. I partecipanti hanno apprezzato promemoria, materiali educativi e feedback immediati, anche se con frequenza variabile.
- **Coinvolgimento con il team**: il 28,6% ha riferito un aumento delle interazioni con il gruppo di ricerca, percepito come un segnale di maggiore vicinanza e supporto.
- **Soddisfazione complessiva**: tutti i partecipanti (100%) raccomanderebbero l'uso del telefono in futuri studi clinici.

Dicussione e implicazioni pratiche

L’utilizzo dello Smartphone di ricerca supporta i principi della Teoria dell'Autodeterminazione e tende ad influire positivamente sulla motivazione dei partecipanti:

- **Autonomia**: Permette maggiore controllo su partecipazione e comunicazione
- **Competenza:** Consente Accesso a informazioni e supporto immediato
- **Relazionalità**: Favorisce Comunicazione frequente con il Team di Ricerca

Implicazioni pratiche

1. Possibilità di Implementazione in altri trial clinici
2. Potenziale riduzione dei tassi di abbandono
3. Miglioramento della comprensione e aderenza al protocollo

- Limitazioni: Campione ridotto per il sondaggio
- Ricerche future: Valutare l'efficacia a lungo termine

Conclusione

- L’utilizzo dello *smartphone* di ricerca mostra potenziale nell’influenzare positivamente engagement e *retention nei trial clinici in una malattia ematologica rara e cronica come la Drepanocitosi*
- Ampliamento della ricerca è in corso di pianificazione

Ringraziamenti

Si ringrazia tutto il personale attivo nel coordinamento e svolgimento dei trial clinici per la Drepanocitosi

- **Study Coordinators**: Alessandra Paratella, Martina Bonel, Silvia Sorbara
- **Data Managers**: Roberta Trapanese, Giorgia Ghirardo
- **Infermieri di ricerca-trial clinici**: Andrea Mastria, Laura Cosma, Paola De Vecchi, Chiara Bellucco, Vanessa Viviani, Giulia Niero
- **Laboratorio**: Maddalena Martella, Mirco D'Agnolo
- **Referente sociale e Psicologa**: Elisabeth Maran, Maria Elisa Delle Fave
- **Project Coordinator:** Elisabetta Mezzalira
- **Medici Pediatri:** Maria Paola Boaro, Giulia Reggiani
- **Trial PI:** Raffaella Colombatti

Domande: elisabetta.mezzalira@unipd.it

Grazie a voi per l’attenzione!

Domande: elisabetta.mezzalira@unipd.it