

# Sostenere la ricerca: ruolo ed attività delle associazioni e sviluppi futuri

Raffaella Colombatti

*Università degli Studi di Padova*

*Componente del CD AIEOP 2021-2024*

Bologna, 3 Ottobre 2023

# XLVIII

CONGRESSO NAZIONALE

# AIEOP

**Bologna**  
**2-4 Ottobre 2023**

***Il sottoscritto Raffaella Colombatti***

*ai sensi dell'art. 3.3 sul Conflitto di Interessi, pag. 17 del Reg. Applicativo dell'Accordo Stato-Regione del 5 novembre 2009,*

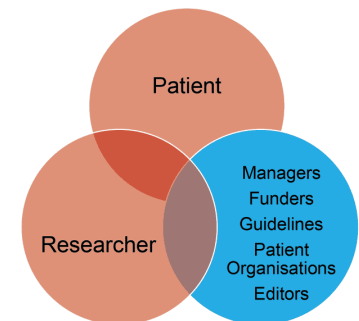
dichiara

- ❑ *che negli ultimi due anni ha avuto rapporti diretti di finanziamento con i seguenti soggetti portatori di interessi commerciali in campo sanitario:*
  - *Novartis; Addmedica; Forma Therapeutics, NovoNordisk; Global Blood Therapeutics, Pfizer; Vertex; Agios*

# Programma



- 1) Quale **RUOLO** delle associazioni e delle «persone con...»: terminologia e definizioni di un campo in espansione
- 2) Quali **ATTIVITA'**: esempi di collaborazioni tra personale sanitario-rappresentanti pazienti in attività a vari livelli che stanno influenzando l'individuazione degli obiettivi della ricerca e gli *outcomes*:
  - 1) Malattia Drepanocitica
  - 2) Patologie Cerebrali
  - 3) Osteosarcoma e tumori solidi
- 3) Numerose potenzialità per **SVILUPPI FUTURI**



1

Quale **RUOLO** delle associazioni e delle «persone con...»:  
terminologia e definizioni di un campo in espansione

**Onlus**

**Associazione di  
volontariato**

**Associazione di  
pazienti**

**e-PAG**

**Patients'  
organizzati**

- *Varietà di livelli di Competenze*
- *Eterogeneità di Obiettivi*
- *Diversità di Aspettative*
- *Possibilità di impattare in modo variegato*

**Expert patient**

**Paziente esperto**

**Rappresentante dei  
pazienti**

**Federazione di  
associazioni...**

**Rete di associazioni di  
pazienti affetti da...**





BARRIER	EXPLANATION
Lack of awareness of patient partnership	Researchers and institutional support and administrative staff lack context for what patient partnership is or how to explicitly define the role of patient partners.



BARRIER	EXPLANATION
Expectations placed on patient partners	Expectations are placed on patient partners without often considering their individual circumstances and unlike those put on other research team members.

## «Ostacoli» nella comunità medico-scientifica



BARRIER	EXPLANATION
Preconceived beliefs about the skills and abilities of patient partners	Patients have traditionally been viewed as participants in research vs. active collaborators on teams; lack of ability to see patients as having skills and experience to contribute to the research process.



BARRIER	EXPLANATION
Culture of research teams	Culture shift takes time to engage patients in ways they historically have not been; perceived culture of 'volunteerism,' lack of reward for researchers who do this.

*Richards DP, et al. Identifying potential barriers and solutions to patient partner compensation (payment) in research. Res Involv Engagem. 2022 Feb 23;8(1):7.*



CANCER  
RESEARCH  
UK

Together we are beating cancer

## Public and patient involvement (PPI)

Il coinvolgimento dei pazienti è *il processo di collaborazione con pazienti, caregiver e persone care, per disegnare, influenzare o guidare i progetti man mano che si sviluppano*

Coinvolgimento del paziente e del pubblico (PPI) significa coinvolgere attivamente pazienti, operatori sanitari, sostenitori, utenti del servizio e membri della comunità nella ricerca e nel lavoro. Le persone non sono solo partecipanti alla ricerca, ma sono **attivamente coinvolte nelle decisioni prese sulla ricerca**

Oggi è ampiamente riconosciuto che i pazienti possono e devono essere molto più coinvolti in tutti gli aspetti della ricerca, compresa la definizione delle priorità dell'agenda, la progettazione degli studi, la disseminazione e l'etica.

I pazienti apportano conoscenze e competenze uniche ai progetti che possono contribuire a migliorare la qualità della ricerca



Creare gruppi di  
«pazienti esperti»

Promuovere la partecipazione  
dei pazienti in ruoli di  
«advisory»

Incoraggiare le organizzazioni dei  
pazienti a partecipare allo  
sviluppo dei temi dei bandi IMI

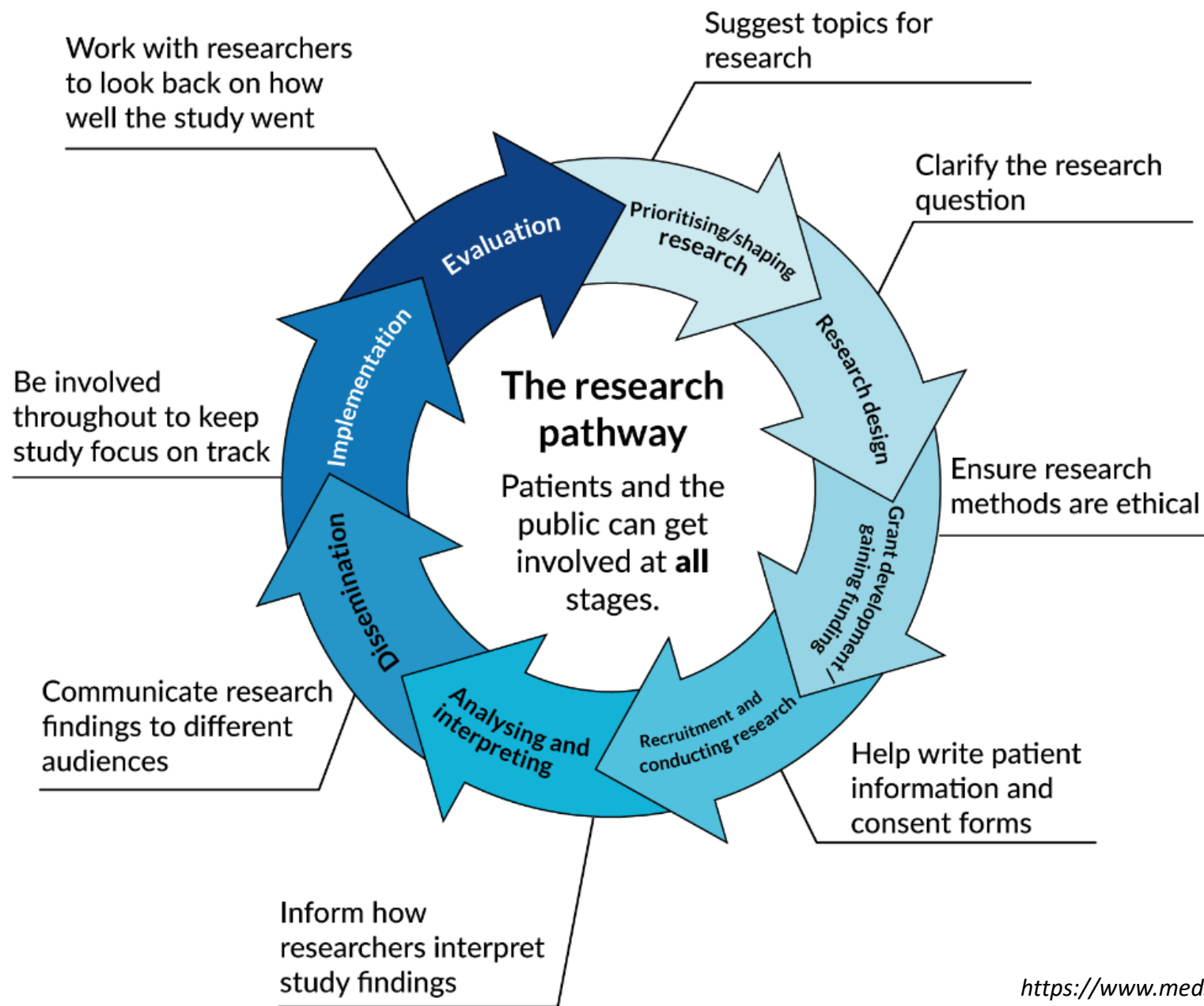


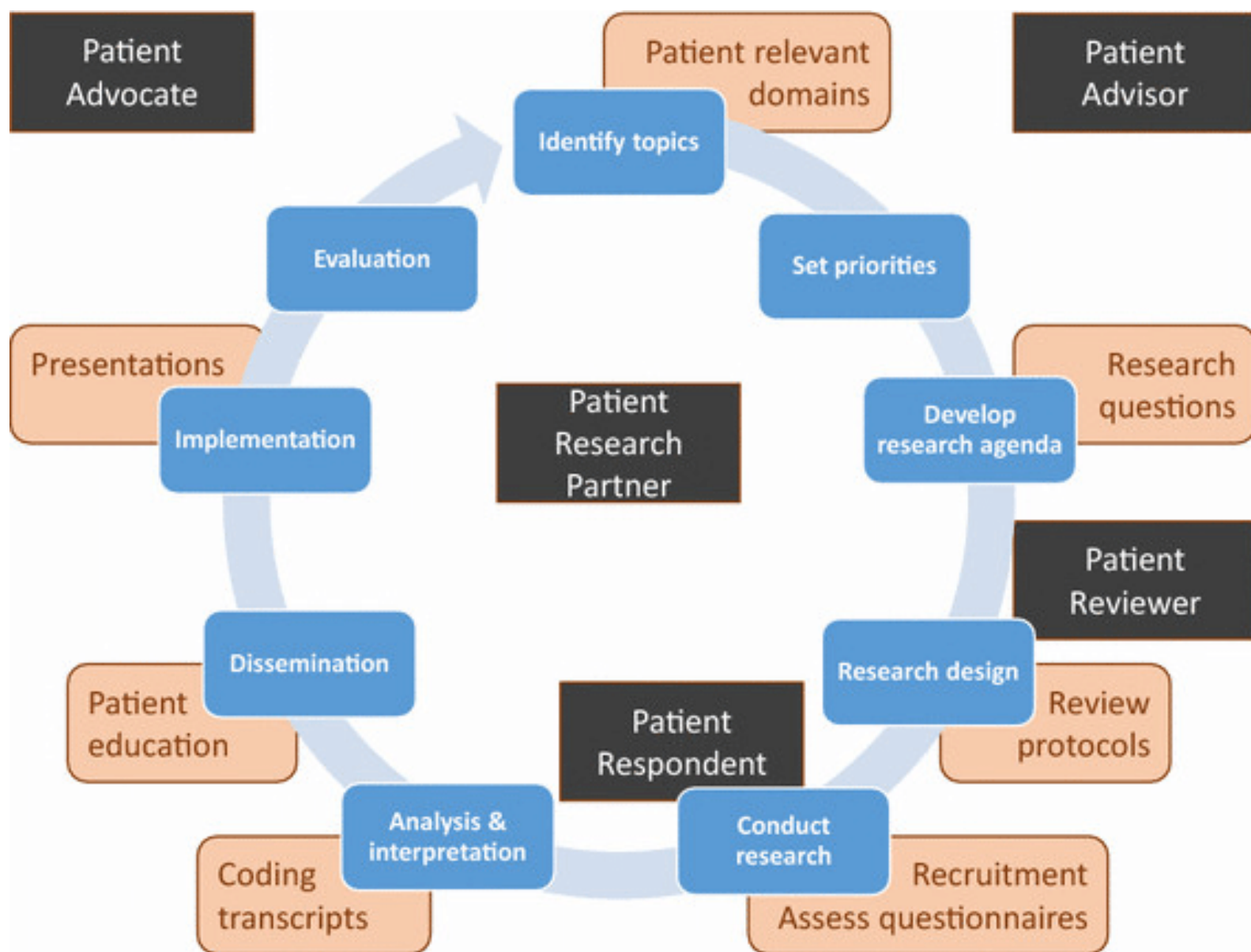
Promuovere la partecipazione  
dei pazienti nella ricerca  
medica

Promuovere la  
formazione dei pazienti

Incoraggiare le organizzazioni  
dei pazienti a diventare  
partner dei progetti

Condividere le «best practices» sul  
coinvolgimento dei pazienti nei progetti  
di ricerca







### About the Society.

The International Society for Quality of Life Research (ISOQOL) is a global community of researchers, clinicians, health care professionals, industry professionals, consultants, and patient research partners advancing health related quality of life research (HRQL).

Together, we are creating a future in which patient perspective is integral to health research, care and policy.

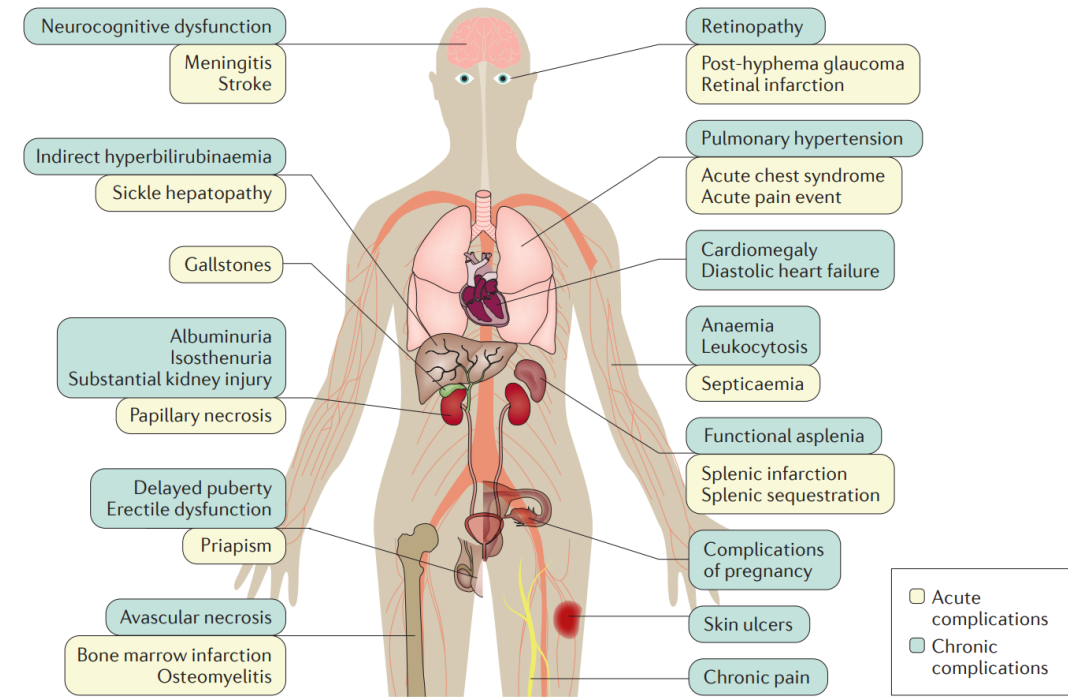
## 2

Quali **ATTIVITA'**: esempi di collaborazioni tra personale sanitario-rappresentanti pazienti in attività a vari livelli che stanno influenzando l'individuazione degli obiettivi della ricerca e gli *outcomes*:

- 1) Malattia Drepanocitica
- 2) Patologie Cerebrali
- 3) Osteosarcoma e tumori solidi

# Malattia Drepanocitica

- Malattia genetica dell'emoglobina
- Mutazione genica puntiforme
- Patofisiologia complessa:
  - Vaso-Occlusione
  - Anemia Emolitica Cronica
  - Vasculopatia
  - Ipercoagulabilità
  - Infiammazione



- **Crisi Dolorose Acute** sono la prima causa di Ricovero (media 1-2 ricoveri/aa)
- Iniziano a partire dai 6 mesi di vita
- Peggiorano con l'età
- Alti tassi di ospedalizzazione sono correlate a ridotta sopravvivenza
- Fino a due anni fa unico farmaco idrossiurea; unica terapia curativa: trapianto di midollo



# *Physician - Patient JOURNEY 2019 →....*

CHE COSA VOGLIONO I PAZIENTI?

QUALI SONO GLI ASPETTI PIU' IMPORTANTI DA  
AFFRONTARE E I PROBLEMI DA RISOLVERE SECONDO LE  
PERSONE AFFETTE DA MALATTIA DREPANOCITICA?



**European  
Reference  
Network**

for rare or low prevalence  
complex diseases



**Network**  
Hematological  
Diseases (ERN EuroBloodNet)

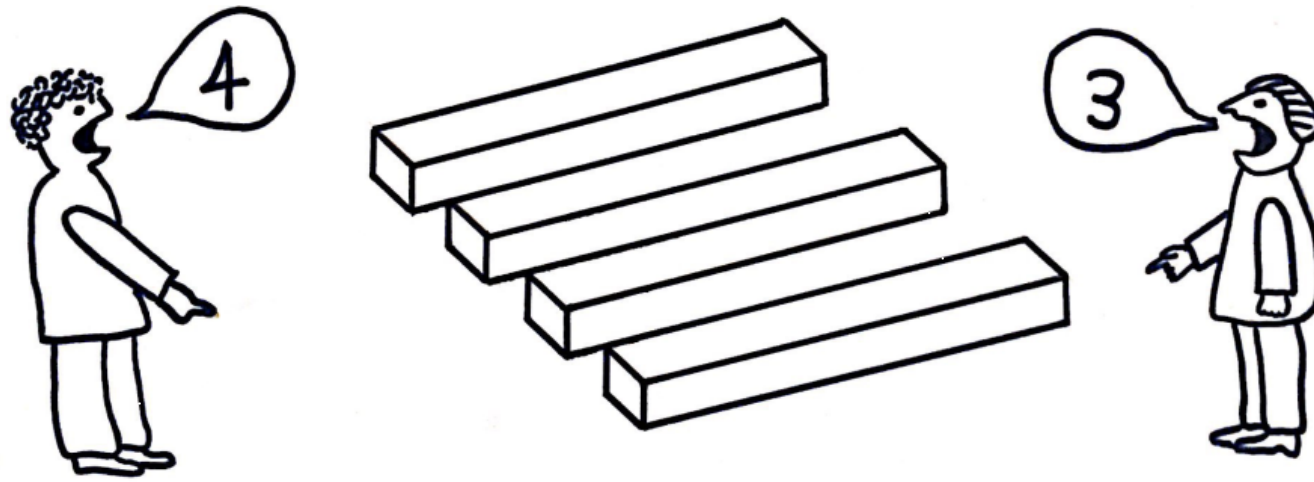


**British Society for  
Haematology**  
Listening • Learning • Leading



**ASCAT**  
Annual Academy For  
Sickle Cell And  
Thalassaemia  
Conference

# Patients provide a different viewpoint

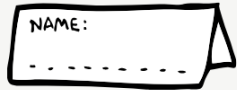


# Other Instruments

## SCD TOP TEN RESEARCH TOPICS

Lived experience and the SCD research agenda

### METHODOLOGY FOR A PRIORITY SETTING WORKSHOP WITH SCD PATIENTS AND CARERS, ASCAT 2019



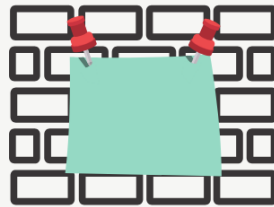
Step **One**: introductions



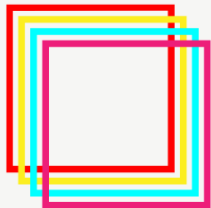
Step **Two**: Presentation:  
What is PPI and why does it matter?



Step **Three**: Have a think.  
What questions would you like research to answer?  
What problems do you have that you would like research to fix? Then write your thoughts on a post-it note



Step **Four**: put your post it notes on "the wall"



Step **Five**: we organise the ideas into 'themes'



Step **Six**: we discuss and agree research topics for each theme



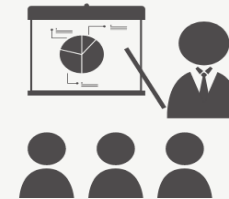
Step **Seven**: You are given "100 million dollars" (in 10 post-it notes!)



Step **Eight**: You have to decide which research topics will get your 100 million



Step **Nine**: We tally up and reveal the Top 10



Step **Ten**:  
Prepare and present your work to the conference delegates



**And finally**: Celebrate! And group debrief.

## Prevention / management

- Organ damage
- Stroke
- Bone damage
- Vision
- Haemolysis
- Ulcers

HOW DO WE PREVENT  
COMPLICATIONS IN SCD?

HOW DO WE  
MANAGE  
COMPLICATIONS?

## Variability in conditions

HOW DO WE EXPLAIN  
INDIVIDUAL VARIABILITY?

HOW DO WE TREAT SCD  
INDIVIDUALLY?

## Blood

Transfusion

Donation  
venous a

What are sim  
that can imp

How do we keep  
transfusion ef

How can we win  
blood donation

## Pregnancy

Vanessa

# SCD TOP TEN RESEARCH TOPICS

Lived experience and the SCD research agenda

- 
- 1 How can we find a universally available cure for sickle cell disease?
  - 2 How can we improve quality of life for people living with sickle cell disease?
  - 3 What are the implications of sickle cell disease for work and education? How do we advise people, employers and schools?
  - 4 How do we manage acute pain to prevent hospitalisation?
  - 5 How does staff diversity or lack of diversity affect the way patients experience racism, discrimination and stigma?
  - 6 How do we harness the political agendas to improve care for sickle cell disease?
  - 7 How can we optimise pregnancy for mother and baby in sickle cell disease?
  - 8 What complementary therapies work in sickle cell disease, including CBD oil and cannabis?
  - 9 How do we manage chronic pain?
  - 10 What is the impact of a comprehensive care team on outcomes for people living with sickle cell disease?



ERN-EuroBloodNet  
The European Reference Network on Rare Hematological Diseases

# *Physician - Patient JOURNEY 2019 → 2023 → ....*

**Sickle cell disease: embedding patient participation into an international conference can transform the role of lived experience**





# SWAY was an international survey that assessed the impact of SCD on the daily life of patients

## Focus on the patient voice

All patients were aged  $\geq 6$  years



## Multi-country, cross-sectional survey\*

16 countries



**2145 patients**



**365 HCPs**



Completed between April and October 2019

## Six categories of questions



Demographics



Disease impact



Patient–HCP  
relationship



Symptoms



Management



Need for a caregiver

## Some questions used a 7-point Likert scale



'Not at all'  
'Not severe'  
'Very dissatisfied'  
'Strongly disagree'

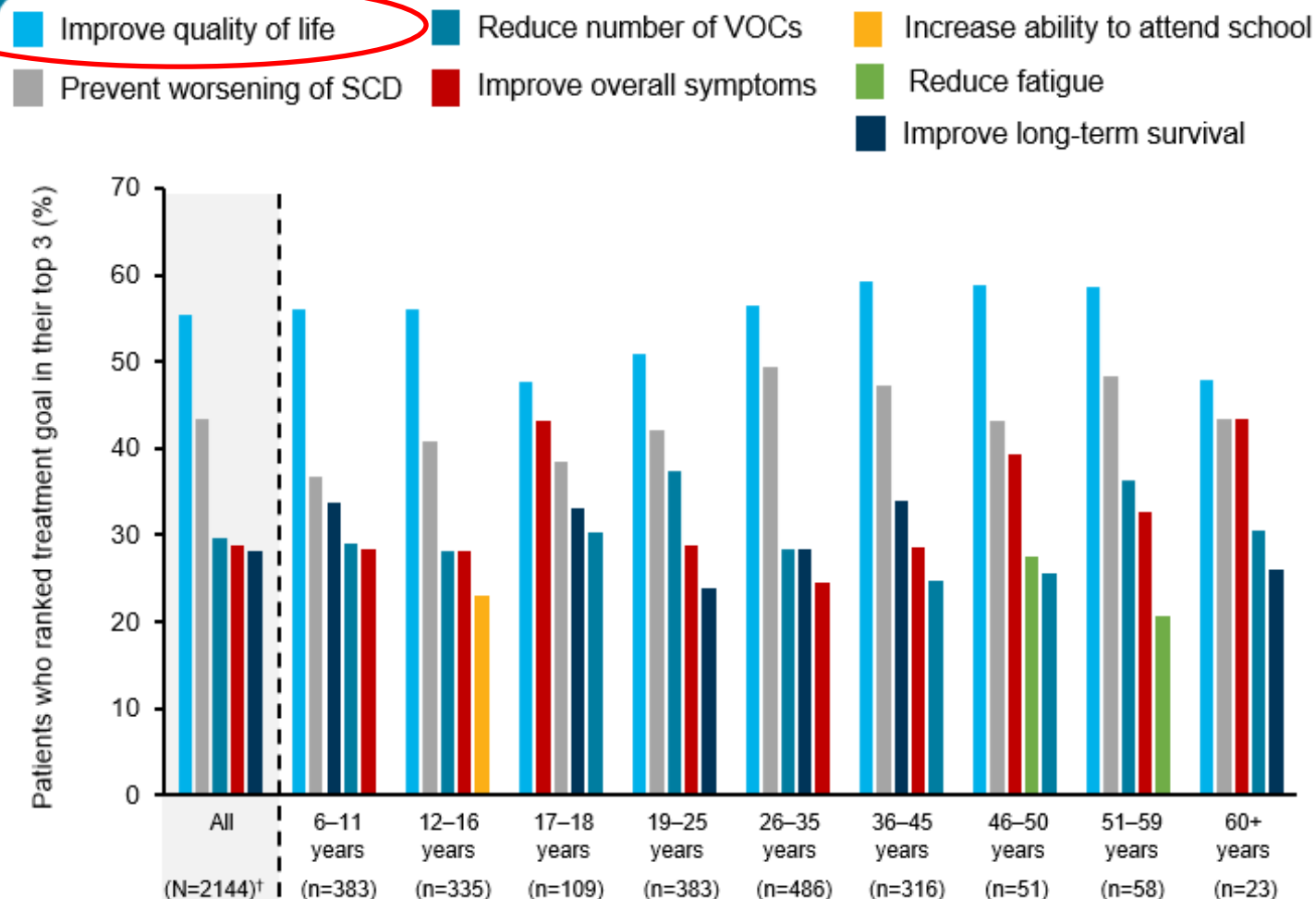
Scores of 5–7 were deemed to  
indicate 'high impact', 'high severity',  
'high satisfaction' or  
'strong agreement' depending  
on how the scale was defined

'A great deal'  
'Worst imaginable'  
'Very satisfied'  
'Strongly agree'

\*Developed by international SCD medical experts and patient advocacy groups, in collaboration with Novartis  
HCP, healthcare professional; SCD, sickle cell disease; SWAY, Sickle Cell World Assessment Survey (SWAY)  
Osunkwo I *et al.* American Journal of Haematology, 2021 Apr 1;96(4):404-417

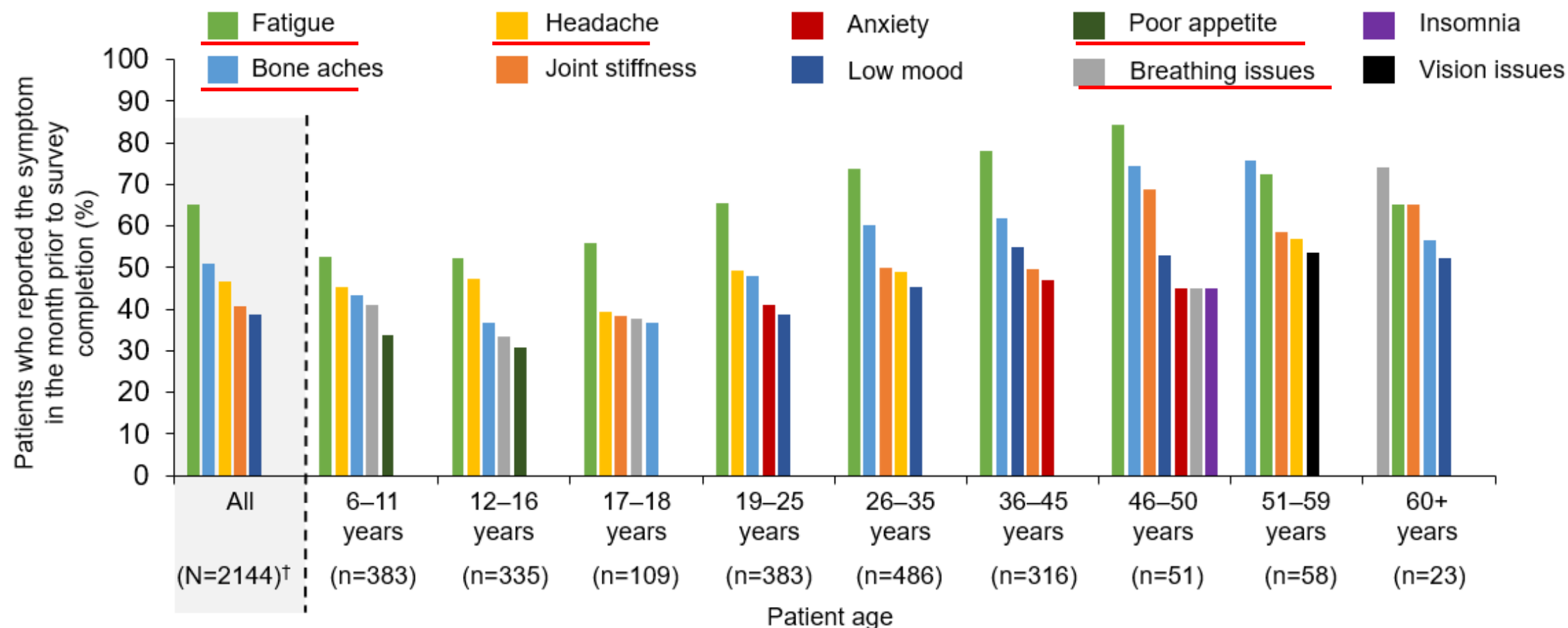
**Improving quality of life was consistently ranked the most important treatment goal\* across all age groups†**

- Other treatment goals ranked as most important across age groups consistently included:
  - Preventing worsening of SCD
  - Reducing the number of VOCs
  - Improving overall symptoms



\*Patients were asked to select their 'top three' treatment goals from a list selected by the steering committee; †One patient did not report their age. For the full list of treatment goals included in the survey, please visit the supplementary slides on the QR code.

## The top 5 most commonly reported symptoms\* varied with age

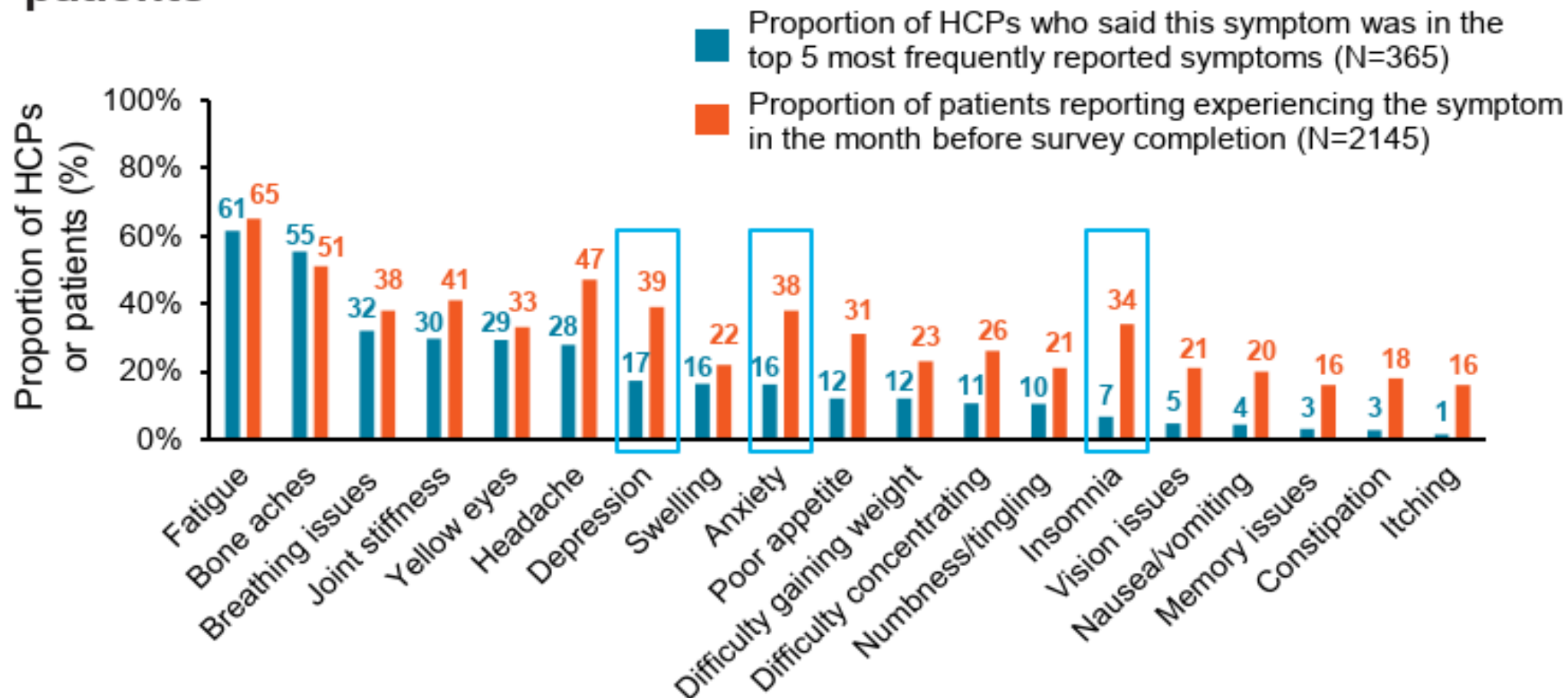


\*Reported in the month preceding the SWAY survey. The list of symptoms was selected by the steering committee and VOCs (defined as 'severe pain crises') and chronic pain were assessed separately; <sup>†</sup>One patient did not report their age

For the full list of symptoms included in the survey and the patient-reported symptom prevalence by age group, please visit the supplementary slides on the QR code

Poster presented at the 2020 ASH Annual Meeting & Exposition, held virtually on 5–8 December 2020

**Figure 1. Frequent SCD symptoms\* as reported by HCPs and patients<sup>†,5</sup>**



\*Acute and chronic pain were assessed separately so are not shown here; <sup>†</sup>HCP and patient surveys were independent and unmatched, so comparisons are descriptive

# A Phase 2/3, Double-Blind, Randomized, Placebo-Controlled, Multicenter Study of Mitapivat in Patients With Sickle Cell Disease

- Obiettivi primari:
  - Aumento dell'emoglobina come  $\geq 1.0$  g/dL rispetto al basale dopo 10-12 settimane
  - Eventi avversi
- Obiettivi secondari:
  - Miglioramento dell'emoglobina e dei parametri di emolisi MA ANCHE:  
Patient-Reported Outcomes Measurement Information System® (PROMIS)  
Fatigue 13a Short Form (SF) score
  - Crisi dolorose

# Il “volontario/ advocate specializzato”

Anita GRANERO  
Presidente/Volontaria  
oscarsangelsitalia@gmail.com  
331-4619556



## Un nuovo membro del team multidisciplinare in un progetto innovativo di collaborazione tra volontari specializzati, advocacy ed equipe sanitarie

26

Una presenza costante nel “percorso di cura del paziente”:  
dal Pronto Soccorso alla fine della riabilitazione, fino alle cure palliative.

### Competenze

- Tumori del Sistema Neurologico Centrale
- Trauma cranici gravi
- Cure Palliative Pediatriche
- QoL Quality of Life
- Patient and caregivers Advocacy a livello nazionale ed internazionale

### Il «valore aggiunto» dei volontari

- Presenza quotidiana e costante
- Ruolo di «prima mediazione»
- Ruolo di ascolto
- Presenza in situazioni di crisi e urgenza
- Portatori di una visione esterna
- Miglioramento del livello di informazione
- Miglioramento del QoL

### Le nostre innovazioni

- **volontari presenti quotidianamente** nei reparti specializzati nell'accompagnamento e sostegno delle famiglie dei bambini e ragazzi ricoverati, affetti da patologie complesse e/o in situazioni di urgenza
- **«volontario di guardia»** la notte e i weekend a disposizione delle equipe sanitarie di Neurologia, Neurochirurgia, Neuro-Oncologia, Rianimazione e Cure Palliative Pediatriche per i casi di urgenza
- **«volontario specializzato in Cure Palliative»**: volontari formati specificatamente nell'accompagnamento delle famiglie con bambini o ragazzi in Cure Palliative o Fin di Vita a disposizione del personale sanitario 24h/24h, 7/7

### ... A costo zero!

OSCAR'S ANGELS Italia esiste esclusivamente grazie al volontariato e alle donazioni.

Il supporto che offriamo alle famiglie e agli ospedali pediatrici è **TOTALMENTE GRATUITO.**

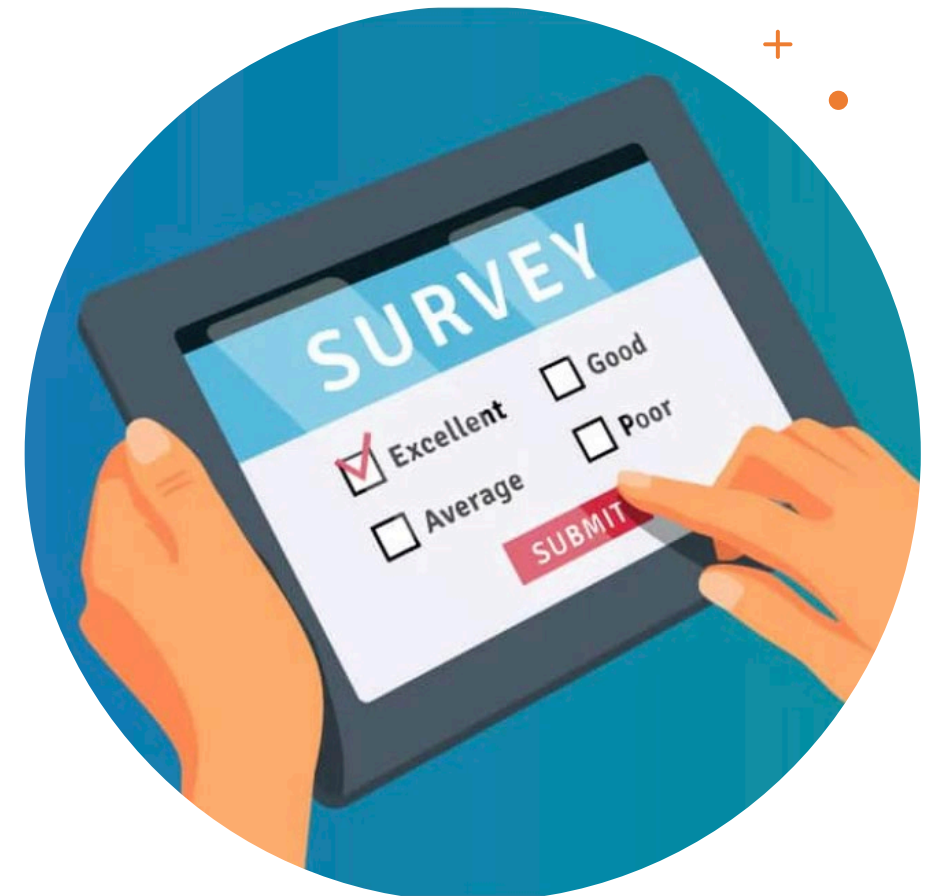




## SURVEY 2023/2024

### Ospedale Bambino Gesù di Roma

- Indagine qualitativa progettata per caratterizzare meglio l'impatto della presenza in ospedale del team di volontari/advocates dell'associazione Oscar Angels Italia sia sulle famiglie dei pazienti che sui team sanitari.
- I temi si concentrano sull'empatia, la comunicazione, la fiducia, la privacy e l'utilità.
- Questi risultati aiuteranno l'associazione Oscar's Angels Italia a promuovere su scala nazionale ed internazionale simili programmi di supporto basati sulla compassione e l'empatia e a capire meglio l'impatto del lavoro svolto presso l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù
- I risultati saranno presentati in vari congressi internazionali come modello di **PSP Patient Support Program**





**The FOSTER consortium (Fight Osteosarcoma Through European Research)** proposes to connect multidisciplinary and patient/parent advocate expertise, at a Pan-European level to improve biological, translational and clinical research on osteosarcoma, to ultimately improve survival.

With 296 members from across 19 countries, and 8 work packages from biology to late-effects, FOSTER consortium wants to:

- to implement a *strategic research plan agenda* with regular meetings where knowledge sharing can be freely developed;
- to pursue the aim of *gaining a comprehensive overview of current osteosarcoma biology knowledge and trial situation*, and thus tackle the current gaps and remaining challenges in osteosarcoma.



In Foster si sta cercando di inserire un membro dei parents/patients in ogni Work Package scientifico, ma mancano «pazienti esperti»

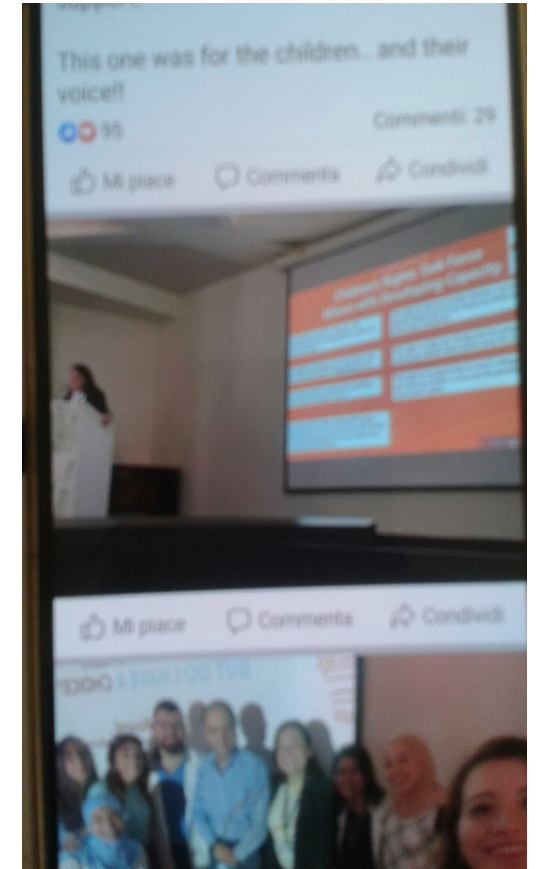
Il nuovo protocollo di prima linea europeo a cui si sta lavorando prevederà un random nella terapia di mantenimento con cabozantinib vs nulla (risultato deciso dopo discussione insieme con rappresentanti pazienti)



**I HAVE A VOICE.....  
BUT DO I HAVE A CHOICE?**

### **Diritti dei bambini:**

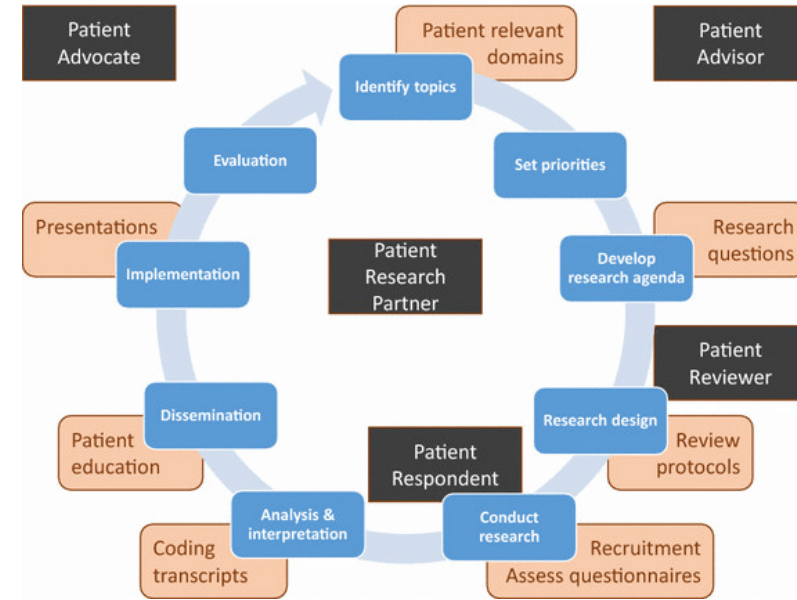
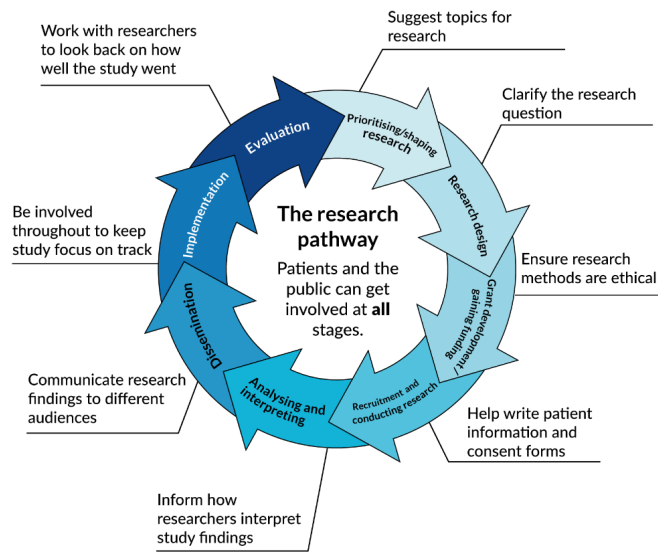
Che cosa pensano bambini ed adolescenti della loro malattia e delle cure che ricevono?



3

Numerose potenzialità per **SVILUPPI FUTURI**

# 1. Consapevolezza – Responsabilità – Indipendenza collaborativa



2. Ampliamento di prospettiva da parte della comunità medico-scientifica in Italia

3. «Perdere tempo» in momenti di riflessione, condivisione e tavoli di discussione comuni → essere voce credibile per stakeholders e istituzioni; aumentare i finanziamenti e le cure



# Conclusioni

- Nuova era per collaborazioni tra associazioni/comunità medico-scientifica
- Collaborazione in ambiti variegati
- Necessità di crescita culturale da entrambe le parti
- Maggior necessità di «tavoli» di discussione comuni
- Opportunità di investimento e sinergie
- Contesto nazionale e internazionale per alcuni aspetti non favorevole alla ricerca

