



## **I PROMs e i PREM**

Di Stefania Piras – Paziente Esperto EUPATI

### **COSA SONO I PROM**

PRO è l'acronimo inglese che sta per Patient-reported outcome, cioè, gli esiti riferiti dal paziente, direttamente dal paziente, senza interpretazione esterna, né da parte di un medico, né di chiunque altro. Sono dati che riguardano la propria condizione di salute, basati sulla propria percezione di malattia o del trattamento utilizzato. Vengono impiegati per valutare i sintomi manifestati dal paziente, le disabilità e la qualità della vita e come questa eventualmente viene influenzata. I PROMs (Patient-reported outcome measures) sono strumenti utilizzati per raccogliere e valutare gli esiti riferiti dai pazienti.

### **COSA SONO I PREM**

I PREM (Patient-reported experience measures) sono strumenti (in genere

questionari) che misurano la percezione dei pazienti rispetto alla loro esperienza durante la ricezione delle cure. Indicano la qualità dell'assistenza ricevuta, la comunicazione e la tempestività dell'assistenza.

### **DIFFERENZA TRA PROM E PREM**

I PROM e i PREM rappresentano gli strumenti che vengono utilizzati per misurare gli esiti/esperienze dei pazienti. Si tratta in entrambi i casi principalmente di questionari standardizzati e validati. Possono avere un'applicazione generica oppure possono essere strutturati specificatamente per indagare gli esiti di una specifica patologia. I PROMs misurano i PRO che riguardano la percezione del paziente sul suo stato di salute, la disabilità e la qualità della vita correlata alla salute. Vengono quindi valutati i sintomi, il dolore, l'ansia e il grado di affaticamento. Mentre i PREMs misurano la percezione dei pazienti rispetto alla loro esperienza durante la ricezione delle cure, la qualità della comunicazione, il tempo trascorso in attesa di ricevere assistenza e la facilità nel potervi accedere.

### **UTILIZZO NELLA RICERCA CLINICA**

I PROM e i PREM sono degli strumenti fondamentali per aumentare la centralità del paziente nel percorso di cura e nella ricerca clinica.

La prospettiva del paziente costituisce un elemento chiave nella diagnosi, nel trattamento e nell'aderenza al trattamento. Il paziente fornisce informazioni che

sono indicatori unici e complementari alla comprensione dell'evoluzione del disturbo e all'eventuale efficacia del trattamento. Nei clinical trial gli esiti riferiti dai pazienti offrono informazioni importanti per la valutazione dell'efficacia di nuovi trattamenti. I PRO rilevano dati precisi, affidabili, validi e riproducibili, ovvero dati coerenti con la definizione di strumento scientifico. Le informazioni riguardanti gli esiti riferiti dai pazienti sono essenziali per una pratica clinica basata sull'evidenza.

### **Come vengono raccolti gli esiti riferiti dal paziente?**

I PRO vengono comunemente raccolti attraverso la compilazione da parte del paziente di questionari, o attraverso un'intervista diretta. I questionari e le guide per le interviste che vengono utilizzati, devono essere sottoposti a test esaustivi, per assicurare che siano validi e affidabili.

Tra i questionari generici più utilizzati negli studi clinici, c'è il questionario sulla qualità della vita EuroQol a cinque voci (EQ-5D). EQ-5D si sviluppa indagando su cinque aree della salute: capacità di movimento, cura della persona, attività abituali, dolore/ fastidio o malessere, ansia o depressione. Inoltre al paziente viene chiesto di fornire una valutazione complessiva del suo stato di salute utilizzando una scala che varia da zero (peggiore stato di salute possibile) a cento (migliore stato di salute possibile).

### **Perché è importante la raccolta dei PRO?**

È importantissimo che vengano raccolti gli esiti riferiti dai pazienti, perché forniscono il punto di vista del paziente su una malattia o su un trattamento, e come questo influenza la sua qualità di vita. Queste informazioni non potrebbero essere valutate attraverso una misurazione clinica, ma sono parimenti importanti,

tanto da poter influenzare l'aderenza al trattamento.

È fondamentale che i PRO rilevino le informazioni importanti per i pazienti, per questo è essenziale che vengano valutati accuratamente e che le domande che vengono formulate siano precise e chiare, in modo che non vengano generate risposte vaghe.

È importante partire dall'area che si vuole valutare, l'oggetto della valutazione, concetto/costrutto del PRO. Nella classificazione dei PRO sono compresi tutti quegli aspetti dell'esistenza umana che influenzano e/o sono influenzati dalle condizioni di salute. Come una sintomatologia legata ad un disturbo, un'alterazione funzionale mostrata per misurare la gravità di una condizione di salute o ancora degli aspetti ambientali e spirituali.

Una volta individuato e stabilito il concetto, vengono selezionate le voci, che sono domande relative al concetto, volte a comprendere le sue variazioni. Ad esempio, nel caso di pazienti affetti da una malattia cronico ostruttiva polmonare, gli sperimentatori che esaminano la risposta ad una terapia, possono riconoscere che i pazienti possono avere maggiori difficoltà ad eseguire attività al mattino. Di conseguenza il concetto che si decide di valutare è l'impatto e l'entità dei sintomi mattutini e la capacità di eseguire delle attività in quella fase della giornata. In questo caso le voci che verrebbero prese in considerazione per rilevare questo concetto, possono essere domande come:

Questa mattina si è lavato completamente (doccia, bagno) o si è lavato solo la faccia?

Si è vestito questa mattina?

Si è mosso per casa nelle prime ore del mattino, dopo aver assunto il medicinale?

Le risposte che il paziente potrebbe dare sono:

Si, l'ho fatto da solo

Si, ma ho avuto bisogno d'aiuto

No, non ero in grado di farlo

No, non l'ho fatto per altre ragioni

Possono poi seguire altre domande che vanno ad identificare quanto sia stato difficile eseguire quell'attività.

### **Quali sono i principali concetti valutati nei PRO?**

I concetti principali valutati nei PRO:

·Qualità della vita correlata alla salute (Health-related Quality of life HRQoI)

È uno dei più importanti PRO. È multidimensionale, costituisce la valutazione del paziente su una condizione di salute e il suo trattamento e l'influenza che ha sulla propria vita quotidiana, includendo: funzione fisica, funzione psicologica, funzione sociale, funzione emotiva, funzione del ruolo, benessere, vitalità, cura di se stessi, stato di salute, ecc.

·Funzionamento fisico

Limitazioni fisiche e restrizioni dell'attività, includendo: cura di se stesso, deambulazione, mobilità, sonno, sesso, disabilità.

·Stato psicologico

Influsso positivo o negativo e funzione cognitiva, includendo: collera, prontezza, autostima, sensazione di benessere, angoscia, capacità di affrontare la situazione.

·Segni e sintomi

Racconto di sintomi fisici e psicologici o di sensazioni non osservabili direttamente, includendo: energia e affaticamento, nausea, irritabilità.

·Funzionamento a livello sociale

Limitazioni nel lavoro o a scuola, partecipazione in comunità

.

·Aderenza al trattamento

Racconti o osservazioni sull'uso attuale dei trattamenti.

·Utilità

Utilità o efficacia, si intende la capacità (percepita) di qualcosa di soddisfare bisogni o desideri

È sempre più riconosciuta anche dai pazienti stessi, la necessità di aiutare a identificare e sviluppare i concetti. Infatti, il paziente può svolgere diversi ruoli nello sviluppo di un PRO.

Offrire una prospettiva utile a identificare degli aspetti essenziali che impattano sulla qualità della vita.

Agevolare gli sperimentatori a focalizzare meglio la scelta dei PROs più idonei per il gruppo di pazienti in studio.

## **PROMs e PREMs elettronici**

I PROMs elettronici sono misure ottenute con dispositivi e strumenti digitali.

Ci sono diverse modalità di somministrazione dei PROMs, la classica intervista, il questionario cartaceo e ora grazie alle nuove tecnologie mobili possono essere utilizzati smartphone e tablet.

I PROMs e PREMs elettronici risultano essere un'ottima modalità per tale somministrazione, soprattutto per una maggiore capacità di raggiungere e reclutare campioni specifici (es. persone con caratteristiche rare nella popolazione generale). Consente una maggiore standardizzazione del processo di raccolta dei dati e quindi una maggiore riproducibilità. Anche se vi sono alcuni potenziali problemi, come il rischio di bias di selezione, nel caso di persone con difficoltà di accesso alle nuove tecnologie e anche di avere un elevato tasso di non risposte nella fase di follow up.