

ISTITUTO DI RICERCHE FARMACOLOGICHE «MARIO NEGRI»

FONDAZIONE PER RICERCHE ERETTA
IN ENTE MORALE CON D.P.R. 361
DEL 5 APRILE 1961 - REG. PERSONE
GIUR. PREFETTURA MILANO N. 227
CONTO CORRENTE POST. N. 58337205
COD. FISC. E PARTITA IVA
03254210150 ANAGRAFE
NAZIONALE RICERCHE
COD.G1690099

RECOGNIZED AS A TAX EXEMPT
ORGANIZATION UNDER SECTION 501
(c) (3) OF THE UNITED STATES OF
AMERICA INTERNAL REVENUE CODE
TAX I.D. No.: 98-6000957
SISTEMA QUALITA' CERTIFICATO UNI
EN ISO 9001:2000, PROGETTAZIONE ED
EROGAZIONE DI CORSI DI
FORMAZIONE SPECIALISTICA
NELL'AMBITO DELLA BIOLOGIA E
DELLA MEDICINA.

PROGETTO



Costruire un'alleanza strategica tra associazioni di pazienti & cittadini
e comunità medico scientifica

La ricerca clinica risponde ai bisogni dei pazienti? Risultati di una indagine condotta con le associazioni dei pazienti

Paola Mosconi, Cinzia Colombo, Roberto Satolli
Progetto PartecipaSalute

Dall'assistenza sanitaria all'attività di lobby, passando per la richiesta di studi clinici che rispondano alle esigenze e ai bisogni dei pazienti: è questo il percorso che alcune associazioni di pazienti stanno compiendo anche in Italia, come in altri paesi, spostando le proprie priorità da attività di servizio rivolte ai propri soci o alle persone malate a interventi di pressione politica e pubblica perché vengano trovate risposte a domande di cura inevase dalla ricerca attuale (Brit J Cancer 96: 875, 2007; Eur J Cancer 42: 2454, 2006).

Anche nell'ambito del progetto PartecipaSalute è più volte emersa questa esigenza, relativamente nuova per il panorama italiano: dall'indagine condotta su 11 federazioni in Italia (<http://www.partecipasalute.it/cms/?q=node/50>) e dagli incontri con i rappresentanti di associazioni di pazienti tenutisi durante la prima edizione del percorso di formazione organizzato dal progetto (<http://www.partecipasalute.it/cms/?q=node/50>), sono state raccolte richieste su aree considerate orfane per le malattie di interesse dalle associazioni in questione.

Nell'ambito delle attività dello Spazio PARITA (<http://www.partecipasalute.it/cms/?q=node/40>) per meglio definire ipotesi di lavoro in accordo alle priorità di ricerca identificate da pazienti e le loro rappresentanze è stata condotta un'indagine. Due i momenti di raccolta dati. Il primo tra giugno e settembre 2006 quando le associazioni di pazienti incluse nel database del sito PartecipaSalute sono state contattate con un questionario postale e successivamente sollecitate due volte. Il secondo all'inizio del 2007 quando il questionario è stato distribuito e compilato ai partecipanti alla seconda edizione del percorso di formazione di PartecipaSalute. In totale sono state contattate 147 associazioni di cittadini/pazienti.

Hanno risposto un totale di 58 associazioni distribuite al Nord (60% dei rispondenti), al Centro (27% dei rispondenti) e al Sud (12% dei rispondenti). L'organo direttivo di 24 associazioni rispondenti (41%) è composto da solo pazienti o parenti di pazienti; per altre 15 associazioni (26%) i rappresentanti dei pazienti sono la maggioranza, per altre 8 (14%) sono la metà. In 5 organi direttivi i pazienti o parenti non sono rappresentati.

I risultati sono presentati secondo la patologia/problema clinico affrontato dalle associazioni, le risposte alle domande aperte sono state riportate integralmente, l'elenco delle associazioni rispondenti è riportato in allegato.

Poche ricerche cliniche hanno risposto a quesiti rilevanti per i pazienti

Stando a quanto affermato dalle associazioni rispondenti, negli ultimi cinque anni gli studi clinici non hanno risposto a quesiti clinici rilevanti per i pazienti (44%), né hanno misurato esiti importanti (44%) per il paziente.

Alle associazioni che ritengono che la ricerca clinica recente abbia indagato quesiti clinici e misurato esiti rilevanti (rispettivamente il 34% e il 22%), è stato chiesto di specificare a quali bisogni la ricerca ha dato risposta.

Le risposte sono state raggruppate in tre gruppi distinti di problematiche, box 1, 2 e 3.

BOX 1 SUCCESSI DELLA RICERCA CLINICA SECONDO LE ASSOCIAZIONI RISPONDENTI	
Deficit alfa1-antitripsina	Screening genetico di popolazione per deficit alfa1 antitripsina, individuati soggetti portatori deficit, attuata diagnosi precoce con prevenzione di danni correlati alla patologia conclamata
Associazione generalista	Statine: utile ma con effetti collaterali letali e poco noti ai pazienti. I livelli standard (es. il colesterolo) sono stati variati al ribasso spesso solo a beneficio dei produttori dei farmaci
HIV, AIDS	Strategie terapeutiche per HIV e per HIV/HCV
Cardiologia	Collaboriamo con il 118 Brianza tramite le donazioni di defibrillatori (60 sul territorio) e 8 elettrocardiografi. I risultati riguardano la sopravvivenza alle morti improvvise e nei pazienti con attacco miocardico acuto (20-50 minuti risparmiati durante il ricovero).
Allergie infantili	Confronto tra antistaminici: migliore la levocetirizina, asma da sforzo e anti leucotrieni: copertura per 12 ore, miglioramento della compliance dopo preparazione istruzioni
Urologia	Uso di nuove molecole per la terapia del MTH evitando interventi chirurgici
Oncologia	Lo studio tamoxifen per la prevenzione dei tumori, la terapia del dolore
Oncologia	Screening citologico e mammografico: utilità verso i pazienti (per quesito clinico) e diminuzione percentuale mortalità (per esiti misurati)
Tumore del seno	Studio sull'uso del letrozolo dopo 5 anni da tamoxifene. Migliora la sopravvivenza libera da malattia soprattutto nelle donne con linfonodo positivo. Studi su terapia adiuvante
HIV, AIDS	Non come studi clinici randomizzati (a parte uscita di nuovi farmaci) ma grazie alla pressione delle associazioni a livello internazionale siamo riusciti ad avere delle corti osservazionali che seguite per molti anni hanno posto quesiti molto importanti e rilevanti su effetti collaterali, progressione della malattia, differenze di genere. A questi dovrebbero seguire studi clinici
Malformazioni anorettali	Nuovi ausili protesici utili per l'incontinenza fecale
Salute della donna	Studio su terapia ormonale sostitutiva negli USA che ne ha dimostrato la nocività per le donne
Osteoporosi	Vari studi su farmaci per valutare riduzione del numero fratture. Pochi studi epidemiologici
Diabete	Pioglitazione (farmaco ipoglicemizzante): ho risposto negativamente alla domanda sugli esiti perché la molecola è usata all'estero e ne arriva letteratura di riflesso. In Italia-Veneto non è erogata dal SSN o non è usata, si prediligono molecole "vecchie" con maggiori effetti collaterali e minore efficacia
Diabete giovanile	Sono state studiate terapie insuliniche più confacenti al controllo clinico e metabolico. Gli esiti misurati sono nel miglior compenso glicometabolico con risultati di migliore qualità di vita
Diabete giovanile	Lo studio sulla insulina ultra lenta è stato molto utile
Sclerodermia	Sono stati fatti studi sulla patogenesi della sclerodermia, quali - polimorfismi geni ace ed era, - autoanticorpi stimolanti contro i recettori del PDGF, microparticelle e danno endotelio
Parkinson	E' stata studiata la sicurezza del farmaco tolcapone inibitore delle compt dopo essere eliminato dal commercio perché procurava danni epatici anche letali
Parkinson	Studio sul gioco d'azzardo nella malattia di Parkinson: i pazienti sono stati indirizzati ad esperti ed è stata modificata la terapia
Leucemia infantile	Nel protocollo per la LAL pediatrica si è utilizzata una diagnostica molecolare avanzata per stratificare i pazienti in diversi gruppi di rischio e si è misurato un vantaggio di sopravvivenza in ogni gruppo
Insufficienza respiratoria	Attrezzature tecnologiche, farmaci (anticorpi anti IG E9, assistenza domiciliare più strutturata)

BOX 2 AREE DI RICERCA FUTURE CONSIDERATE RILEVANTI DALLE ASSOCIAZIONI RISPONDENTI

Alt cromosoma 14	Il Progetto Benetico è volto alla definizione della quantità e della sede del materiale genetico venuto meno nei pazienti e nei genitori. Legato a quello è attivo un progetto di studio clinico il cui obiettivo è quello di costruire un database dei soggetti con anomalie al cromosoma 14, attraverso un protocollo clinico e strumentale. Gli obiettivi generali sono che questa condizione rara e poco nota venga meglio studiata e conosciuta
Trapianti	Aspettiamo da tempo farmaci antigetto meno tossici e antivirali più mirati

BOX 3 ALCUNI MOTIVI DI IMPOSSIBILITÀ E INCAPACITÀ DI RISPONDERE ALLA DOMANDA

Tumore del seno	Non siamo in grado di rispondere alle domande perché non siamo mai state coinvolte in ricerche cliniche né informate sugli esiti di eventuali ricerche effettuate nell'AUSL di Rimini
Diabete	L'associazione non è in grado di rispondere perché non è a conoscenza delle ricerche cliniche in corso nell'area pneumologica
Urologia	Le ricerche cliniche che vengono effettuate in malati neuropatici necessitano ormai di studi multicentrici, di casistiche molto ampie e di fondi rilevanti. Tutto ciò esula dalle capacità di risposta della nostra associazione che inoltre essendo una onlus, è limitata ad attività che abbiano un'immediata utilità nei confronti dei pazienti.
Deficit ormone crescita	Non abbiamo avuto ricerche cliniche, non possiamo rispondere (o non ne siamo a conoscenza)

Aree orfane che necessitano di ricerca

Secondo il 59% delle associazioni rispondenti esistono aree della malattia di interesse che non vengono considerate dalla ricerca clinica. Le aree orfane più frequentemente indicate riguardano aspetti psicosociali e di assistenza, seguono i dati epidemiologici e i fattori di rischio e solo al terzo posto vengono aspetti legati alla terapia, in particolare ai farmaci. Sono state inoltre identificate anche aree di ricerca in generale.

TERAPIA

Deficit alfa1-antitripsina	Ricerca su terapia sostitutiva, alternativa di sintesi e non da donatori; fruibilità della terapia; ricerca su divisione dei polimeri
Mal genetiche neurofibroma	La ricerca sui farmaci "orfani". La nostra associazione si interessa delle neurofibromatosi che, come è noto, sono affezioni genetiche rare
Associazione generalista	Il farmaco pediatrico: identificare meglio l'azione terapeutica e gli effetti collaterali
HIV, AIDS	Mancano studi specifici fin dalle prime fasi di ricerca su pazienti con infezione HIV/HCV (epatite C). I farmaci in commercio non sono testati su questo tipo di pazienti. In Italia il 65% delle persone sieropositive sono coinfecte con epatite.
Sclerodermia	Bambini
Oncologia	Fase dello studio/cause del danno
Parkinson	Fase di ricerca sulle cause della malattia di Parkinson, ricerca di farmaci neuroprotettivi e di prevenzione e cura

EPIDEMIOLOGIA/FATTORI DI RISCHIO

HIV, AIDS	Coinfetti (TBC +HIV), HIV e cardiovascolare, HIV e invecchiamento
Psoriasi, vitiligine	Mancano semplicemente studi, esistono solo statistiche
Tumore prostata	Mancano studi sul significato prognostico di indici umorali e di dati istopatologici in modo da orientare medico-paziente sulla scelta delle opzioni terapeutiche
Tumore del seno	Meccanismi regolatori rapporto tumore/ospite; fattori di rischio (menarca precoce), rischio genetico
Malattie anorettali	No studi su motilità intestinale, problema importante per paz e su genetica
Salute della donna	Differenza fra donne ad alto e basso rischio
Osteoporosi	Reale impatto epidemiologico soprattutto nel nostro paese; osteoporosi giovanile; valutazione costi dopo fratture. Sono esempi, l'elenco è lungo.

Diabete	Forme della malattia nella fase iniziale, quando ci sono scompensi dei valori glicemici ma non si comprende bene come comportarsi o realmente come leggere/intervenire sullo scompenso in modo da allontanare nel tempo l'insorgenza del male e dunque l'intervento farmacologico
Diabete giovanile	Mancanza di studi sufficienti sull'uomo e sull'ambiente per scoprire la causa dell'insorgenza della malattia diabetica
AIDS	Anziani e donne
Leucemie infantili	Esistono sottogruppi generici rari di LAL pediatriche che sono ora accumulati da protocolli clinici internazionali
Mal neuromuscoloscheletriche	Studi clinici sulla storia naturale delle malattie neuromuscolari
Deficit della crescita	Persone adulte con sindrome di Turner
Talassemia	Studi sul meccanismo di infezioni contratte che si rivelano letali
Malattie rare	Farmaci curativi, prevenzione, monitoraggio
Malattie rare	Studi epidemiologici
Associazione generalista	Studio sulla reale efficacia degli screening di massa, studio sulle remissioni di carcinomi metastatici che non hanno avuto spiegazioni

PSICOSOCIALE/ASSISTENZA	
Associazione generalista	L' incontinenza urinaria è un tabù e le donne non vogliono mai "apparire"
Sclerosi laterale amiotrofica	Assistenza domiciliare
Allergie infantili	Coinvolgimento del paziente pediatrico
Urologia	Certamente, se si analizza la complessità clinica delle nefropatie, si possono individuare aree di ricerca carenti, ma la ricerca mondiale è così estesa ed accessibile che le capacità e le possibilità di un clinico di poterla seguire integralmente sono assolutamente inadeguate. Ritengo che associazioni come la nostra dovrebbero piuttosto favorire il benessere sociale ed il recupero fisico a domicilio dei pazienti piuttosto che occuparsene sotto il profilo strettamente scientifico
Oncologia	Studi clinici su anziani e mirati a migliorare la qualità della vita
Psichiatria	Pazienti psichiatrici non consenzienti non compliance che non sono seguiti
Malati terminali	Controllo del dolore nella fase terminale
Oncologia	Diagnosi precoce nelle persone anziane e superiori a 40 anni. Pazienti in fase avanzata di malattia (studi sul controllo del dolore o su terapia di supporto)
Ass Educazione Demografica	Salute anziani, solitudine degli anziani e delle donne
Diabete	Anziani, disabili
Insufficienza respiratoria	Le strutture assistenziali sono distribuite a macchia di leopardo in Italia, non vi è omogeneizzazione assistenziale neppure nella stessa regione

RICERCA IN GENERALE	
Alterazione cromosoma 14	Manca qualsiasi tipo di studio rispetto a questa malattia genetica rara
Parkinson	Pazienti con rischio di cadute: protocolli ortopedici sensibilizzati sull'argomento ecc.
Paraplegia	Le aree della lesione midollare

Gli studi indipendenti sono rari

La domanda sul rapporto tra ricerca finanziata dall'industria farmaceutica o di ausili medici e ricerca - con fondi pubblici o privati - condotta in modo indipendente, in cui i ricercatori siano autonomi nel disegno, nella conduzione dello studio e nell'analisi e pubblicazione dei dati, è risultata poco comprensibile, come suggerisce il basso numero di risposte (18). Questo dato può essere indicativo anche della poca conoscenza e informazione da parte dei membri delle associazioni riguardo alle fonti di finanziamento e agli sponsor dell'associazione a cui appartengono. Tra i 18 rispondenti, 11 hanno dichiarato che nella loro malattia di interesse prevale la ricerca finanziata dall'industria, 7 che prevalgono gli studi indipendenti, 6 non conoscono quale tipo di finanziamento prevalga. Infine 6 associazioni dichiarano di non sapere quale percentuale di studi indipendenti e di studi for profit vengano condotti per la loro malattia di interesse.

Grande disponibilità a lavorare con clinici e ricercatori per definire priorità di ricerca...

E' considerato fattibile da 41 associazioni rispondenti lavorare insieme ai ricercatori per scegliere quali priorità di ricerca seguire nel disegno degli studi clinici, soprattutto per poter rispondere ai bisogni dei pazienti e per migliorarne la qualità della vita. Di seguito sono riportati tutti motivi indicati dalle associazioni sull'opportunità di collaborare insieme a clinici e ricercatori, in grassetto alcune tra le più significative.

*Collaborazione per maggior aderenza ai bisogni • Si, perché avviene già • Migliorare la qualità della vita della persona colpita • Ricerca dei bisogni e delle priorità • L'unione fa la forza e trova le possibili soluzioni • Lavoriamo in comune per obiettivi condivisi • **Utilizzando la nostra esperienza riteniamo di poter esprimere opinioni utili allo scopo** • L'unica ricerca avviata è troppo viziata dall'interesse delle aziende farmaceutiche • Tutte le nostre ricerche, progetti e le relative proprietà sono sempre stati definiti in collaborazione con clinici e ricercatori specialisti • **Portatori di quelli che sono i reali bisogni dei pazienti per stabilire un miglioramento della qualità della vita con ricadute anche a carico del care giver** • Riteniamo sia compito dei suddetti clinici e/o ricercatori stabilire le priorità del loro lavoro. Disponibili però in caso di richieste precise • Per migliorare obiettivi e programmi • Ricerca su farmaci ausiliari sia alla terapia dialitica che alle complicanze della terapia antirigetto per il trapianto • Credo che la ricerca non stia godendo di un parere positivo da parte della cittadinanza e delle associazioni, credo che molti finanziatori, industria, fondazioni, stiano capendo l'importanza del coinvolgimento dei pazienti per trovare appoggio • Crediamo che il paziente abbia molto da dire • Siamo assistiti da un Comitato di Consulenti Scientifici • E' fondamentale la partecipazione dei diversi attori • La nostra associazione non ha rapporti con industrie farmaceutiche e neanche con singoli ricercatori degli istituti pubblici • E' necessario semplificare il foglietto illustrativo, troppo complesso per chi lo legge, e produrre confezioni monodose in base alla terapia • E' possibile individuare ciò che serve ricercare per la salute delle donne • **Riteniamo possibile collaborare per sollecitare ricerche di interesse per i pazienti (entro certi limiti). Certamente no per fissare le priorità** • Manca il personale specializzato nelle ricerche • Siamo in contatto con i familiari dei malati mentali che possono descrivere lo stato sia della situazione dell'assistenza al malato sia di altri dati inerenti la malattia mentale del congiunto. Per quanto riguarda i volontari, occorre soprattutto avere serie intenzioni di collaborazione • **Si possono indicare priorità che portino ad una chiarificazione sui filoni di ricerca clinica** • Mancanza di competenze specifiche nel settore della ricerca clinica • Troppa eterogeneità • **Molti anni di attività hanno permesso di raccogliere importanti dati e informazioni** • Per rendere ai nostri più facile il metodo di cura e far sì che la loro vita sia sempre più facile compatibilmente con la loro malattia • Siamo in contatto con l'intero mondo scientifico che si occupa del neuroblastoma • La voce dei malati è indispensabile per capire ed orientare la ricerca • La priorità è la ricerca della causa e della cura (non dei sintomi) della malattia, ma noi ci occupiamo esclusivamente del sociale • E' importante/essenziale fare informazione corretta all'utenza nonché ai medici di base onde evitare trattamenti inadeguati e il classico fai da te (automedicazione) • **I bisogni dei pazienti spesso non coincidono con gli interessi e/o le necessità dei clinici** • Abbiamo medici e associazioni scientifiche fra i nostri soci • Non abbiamo rapporti diretti con i ricercatori e allo stato attuale i farmaci utilizzati sono già definiti • Per diversi fattori le priorità non sono solo stabilite dai bisogni dei pazienti • Abbiamo un comitato scientifico con cui si definiscono le priorità da perseguire sulla ricerca • E' il guadagno dell'industria farmaceutica a stabilire le priorità delle ricerche cliniche, anche i clinici e i ricercatori specialisti spesso dipendono da questo obiettivo • **I bisogni dei pazienti non sono solo farmacologici ma riguardano anche gli ausili (es. microinfusori) e andrebbero valutati anche gli aspetti della qualità della vita.** Questi aspetti emergono dalla conoscenza dei reali problemi, anche non ospedalieri, dei pazienti*

... ma poco frequente la partecipazione a gruppi di lavoro con questi obiettivi

Tra le associazioni che ritengono fattibile partecipare a un gruppo di lavoro con clinici e ricercatori, poche sono quelle che lo fanno realmente. Sono infatti 14 (25%) le associazioni che affermano di partecipare a gruppi che discutano le priorità della ricerca clinica per le malattie di interesse. Di seguito è riportato il ruolo delle associazioni che hanno dichiarato di partecipare a gruppi di lavoro per definire priorità di ricerca.

Deficit di alfa1-antitripsina	Gruppo Identificazione Deficit Alfa1 AT, membro attivo del gruppo
Diabete	Gruppo di studio diabete e attività fisica, organizzazione logistica
Tumore del seno	Progetto Ricerca e Innovazione Emilia Romagna, come rappresentanti delle donne operate al seno e per conoscere le loro opinioni e perplessità
Tumore del seno	Comunicazione sulla prevenzione e diagnosi precoce fasce a disagio sociale, immigrate e indigenti
Oncologia	Comitato scientifico insieme al consiglio di amministrazione dell'associazione
Allergie infantili	European Responsibility Society, sostegno servizio allergo pneumologia ped
HIV, AIDS	In Italia no! Partecipiamo a network europei
Paraplegia	Siamo nel progetto di ricerca Ambrosetti
Associazione generalista	Accedere ad informazioni utili e meglio difendere i diritti dei consumatori

Diabete	Ruolo di finanziatori autonomi e proprietari di brevetto di progetto di ricerca sul diabete eseguito presso l'Istituto di Ricerca Bambin Gesù di Roma
Osteoporosi	Il ruolo è un ruolo attivo: gruppo di studio: direzione programmazione ministero della salute e gruppo di studio: AIFA, ISS e associazioni pazienti
Neuroblastoma	Finanziatori
Insufficienza respiratoria	Siamo presenti nella formulazione delle linee guida sia sull'assistenza domiciliare regionale che nella BPCO
Malattia rare	Comitato tecnico scientifico

Occorrono competenze specifiche per lavorare in gruppi di lavoro misti

Così la pensano la maggior parte delle associazioni rispondenti (83%), che sostengono la necessità di acquisire competenze specifiche per poter collaborare a gruppi di lavoro composti da medici e ricercatori. Non sempre queste competenze sono però presenti: è il 60% delle associazioni che sostengono di avere al proprio interno persone (non medici) con competenze adeguate per partecipare in modo paritario a gruppi di lavoro sui temi della priorità della ricerca. Quasi tutte le associazioni che hanno risposto (53 associazioni) sono interessate a partecipare a gruppi di lavoro con diversi tipi di esperti per elaborare protocolli clinici che rispondano a quesiti rilevanti, con finanziamenti non condizionati.

Proposte per studi di ricerca futuri

Alla domanda: "Ci sono argomenti o aree di intervento relativi alla malattia di cui vi occupate che vorreste fossero oggetto di ricerca e diventassero quesiti di studi clinici?", la quasi totalità delle associazioni rispondenti (76%) ha risposto affermativamente, 11 associazioni però non rispondono a questa domanda. Nella tabella sotto sono riportate tutte le risposte riportate sul questionario.

QUESITI SPECIFICI	
HIV, AIDS	Farmacologia, interazioni di farmaci, strategie terapeutiche
Diabete	Rapporto fra attività fisica (quantità, qualità) praticata e complicanze croniche in diabetici insulino dipendenti
Psoriasi e vitiligine	Prurito
Alterazione cromosoma 14	Segni e sintomi clinici della sindrome
Sclerosi laterale amiotrofica	Assistenza domiciliare
Allergie infantili	Valutazione efficacia dei cortisonici nei bambini asmatici
Urologia	Nuove tecniche di dialisi che riducano l'utilizzo di un centro ambulatoriale
HIV, AIDS	Avere degli studi paralleli alle fasi di registrazione che individuassero l'effetto del farmaco A (non ancora registrato) su persone coinfette. Oggi i farmaci arrivano sul mercato senza dati sulla tossicità delle persone con epatite
Trapianti	Sulle infezioni virali, in particolare virus C per il quale, a tutt'oggi, non esiste una cura veramente efficace
Neurofibromatosi	L'ereditarietà nell'affezione genetica delle neurofibromatosi
Malattie anorettali	Genetica di queste malformazioni, farmaci sulla motilità intestinale
Oncologia	Valutazione efficacia dei cortisonici nei bambini asmatici
Tumore del seno	Fattori prognostici e predittivi dei picchi di recidiva
Salute della donna	Studi sulla sterilità con criteri rigorosi, e sul cancro della mammella
AssEducazione Demografica	Contracezione di emergenza, aborto chimico
Tumore prostata	Significato prognostico di indici biologici
Urologia	Epidemiologia delle malattie renali nell'ambito della popolazione extracomunitaria molto numerosa residente a Torino; frequenza della positività degli anticorpi anti-fosfolipidi nell'ipertensione essenziale e l'opportunità di trattamento steroideo della glomerulonefrite a depositi mesangiali di IgA con contrazione funzionale
Deficit della crescita	Potenzialità in una eventuale terapia nella sindrome di Ehlers-Danlos
Associazione generalista	Sopravvivenza a lungo termine nel carcinoma mammario localmente avanzato

PREVENZIONE	
Associazione generalista	Malattie da inquinamento atmosferico
Tumore colon retto	Prevenzione cancro del colon retto
Incontinenti e somatizzati	Prevenzione, trapianto o ricostruzione di intestino o vescica, conseguenze psicologiche di una stomia
Trapianti	Prevenzione delle patologie che conducono a trapianti d'organo (in particolare cuore, fegato e rene)

Cardiologia	Scopo dell'associazione è combattere le malattie cardiovascolari. Grossa attività di formazione per le scuole e gli insegnanti a tutti i livelli.
Malattie rare	Prevenzione
Reumatologia	Importanza dell'economia articolare come prevenzione del danno articolare e della disabilità

... E ANCORA

Deficit di alfa1-antitripsina	Polimerizzazione a livello epatico e polmonare, modifica del difetto genetico, farmaco sostitutivo di sintesi
Incontinenza	Donne ed anziani
Parkinson	Fisioterapia e metodi di controllo oggettivo dei risultati
Tumore del seno	Ricerca su incidenza e motivo insorgenza del linfedema. Monitoraggio dei nuovi rimedi e confronto con i precedenti. Informazione dei dati rilevati alle associazioni perché possano svolgere un efficace lavoro di supporto informativo
Tumore del seno	Qualità della vita del paziente oncologico
Oncologia	Diagnosi precoce, terapia del dolore e cure palliative
Oncologia	Qualità della vita del lungodegente oncologico, cause del cancro
Oncologia	Cure oncologiche, per esempio, e studio sulle cellule tumorali
Malati terminali deceduti	Sostegno psico-farmacologico familiari/conoscenti malati terminali o
Paraplegia	I temi della lesione midollare sono stati per anni ignorati!
Diabete farmacogenetica	Genetica della BPCO, meccanismi delle riacutizzazioni,
Diabete	Diabete senile, diabete e rischio cardiovascolare
Diabete	Neuropatia diabetica e controllo glicemico in continuo e terapia insulinica
Diabete	I bisogni dei pazienti: non solo farmacologici ma anche gli ausili (es. microinfusori) e andrebbe valutata anche la qualità della vita. Questi aspetti emergono dalla conoscenza dei reali problemi, anche non ospedalieri, dei pazienti
Diabete giovanile	Causa e risoluzione della malattia diabetica
Psichiatria	Quali farmaci verranno assunti e loro esito. Questione sociale: come, dove vive il malato psichiatrico
Osteoporosi	Non vorremmo che la ricerca fosse solo farmacologia. Ad esempio è indispensabile costituire un Registro Nazionale sulle fratture da osteoporosi, ma per questo tipo di ricerche non si trovano mai i fondi
Sclerodermia	Patogenesi e terapia della sclerodermia
Parkinson	Cause, neuroprotezione, cura e guarigione
Disturbi d'ansia	Farmacovigilanza sugli effetti terapeutici ed effetti indesiderati dei trattamenti a medio/lungo termine con ansiolitici e antidepressivi
Malattie neuromuscolari	Impiego di studi clinici
Insufficienza respiratoria	La sopravvivenza dell'insufficienza respiratoria in ventilazione non invasiva, la cooperazione multidisciplinare nella gestione a domicilio del paziente IRC
Malattie rare	La ricerca su lacrime artificiali e curative o gel del cavo orale, censimento della patologia a livello nazionale, prevenzione, monitoraggio

Note per la discussione

I dati raccolti con questa indagine dimostrano la disponibilità delle associazioni di pazienti e cittadini a collaborare sui temi della ricerca.

L'argomento trattato dal questionario era complesso, questo spiega in generale la limitata risposta alla nostra richiesta e in particolare i frequenti casi di non risposta per le singole domande. Alla luce delle esperienze di formazione fatte con le associazioni in questi anni, si può senz'altro affermare che è inusuale la discussione di questi argomenti e che lo stimolo che ne deriva spinge le associazioni ad avere un ruolo sempre più attivo e partecipativo e a realizzare che possono dare un contributo anche su temi che abitualmente non rientrano nei compiti delle associazioni.

La varietà di risposte corrisponde all'eterogeneità del gruppo di associazioni rispondenti, eterogeneità sia di problematiche da affrontare sia di esperienza maturata. Tuttavia tutte le associazioni partecipanti esprimono fortemente i bisogni dei pazienti e richiamano spesso la

necessità di essere più vicini al malato non solo per i bisogni medici ma anche per gli aspetti psico-sociali.

Questi risultati, che smentiscono l'idea che i pazienti e loro rappresentanze richiedano soprattutto nuove terapie e in generale "tecnologia" e in particolare farmaci, sono in linea con i risultati di uno studio recente condotto nel Regno Unito (Br J Cancer 96: 875, 2007) riguardo alle priorità espresse da un gruppo di pazienti facenti parte di unità oncologiche: la maggior parte delle priorità indicate riguardano infatti aspetti pratici di gestione della malattia, fattori psicosociali ed emotivi. Per la ricerca clinica si evidenzia uno scollamento tra l'agenda dei ricercatori, dei finanziatori e i bisogni dei pazienti e dei loro rappresentanti. In generale la ricerca epidemiologia, la ricerca valutativa e sulla qualità della vita non sono nell'agenda delle priorità dei decisori creando così un debito di informazione che si traduce in difficoltà e problemi reali per i pazienti.

ALLEGATO ELENCO DELLE ASSOCIAZIONI RISPONDENTI

- 1 ACISTOM Associazione Cesenate Incontinenti e Atomizzati, Cesena FC
- 2 ADOCM Crisalide Associazione Donne Operate di Carcinoma Mammario, Rimini
- 3 AFADOC Associazione Famiglie di Soggetti con Deficit Ormone Crescita, Vicenza
- 4 AID Associazione Italiana Difesa Interessi dei Diabetici, Roma
- 5 AIED Associazione Italiana per l'Educazione Demografica, Roma
- 6 AILS Associazione Italiana Lotta alla Sclerodermia, Milano
- 7 AIMAC Associazione Italiana Malati di Cancro, parenti e amici, Roma
- 8 AIMAR Associazione Italiana Malformazioni Anorettali, Roma
- 9 AISLA Associazione Italiana Sclerosi Laterale Amiotrofica, Novara
- 10 AISTOM Associazione Italiana Atomizzati, Bari
- 11 ALIR Associazione per la Lotta contro l'Insufficienza Respiratoria, Cittadella PD
- 12 ALOMAR Associazione Lombarda Malati Reumatici, Milano
- 13 ALPI Associazione per le Allergie e Pneumopatie Infantili, Udine
- 14 ANF Associazione Neuro Fibromatosi, Parma
- 15 ANGOLO Associazione Nazionale Guariti O Lungoviventi Oncologici, Aviano PN
- 16 ANIMASS Associazione Italiana Malati Sindrome di Sjogren, Verona
- 17 ANTO Associazione Nazionale Trapiantati Organi, Brescia
- 18 APM Parkinson Lombardia, Milano
- 19 ARAP Associazione per la Riforma dell'Assistenza Pediatrica, Roma
- 20 ASA Associazione Solidarietà AIDS, Milano
- 21 ASNPV Associazione Nazionale Tutela del Malato di Psoriasi e Vitiligine, Milano
- 22 Associazione per l' Aiuto ai Giovani Diabetici Lombardia, Milano
- 23 Associazione Amico Rene Servizio Dialisi, Torino
- 24 Associazione Brianza per il Cuore, Monza MI
- 25 Associazione Diabetici della Provincia di Milano, Milano
- 26 Associazione Diabetici Conegliano Veneto, Conegliano TV
- 27 Associazione Italiana Lotta al Neuroblastoma NB, Genova
- 28 Associazione Italiana Pazienti con BroncoPneumopatia Ostruttiva BPCO, Milano
- 29 Associazione Malati di Reni, Roma
- 30 Associazione Maria Bianchi Assistenza ai Malati Terminali, Suzzara MN
- 31 Associazione Nazionale ALFA1-AT, Sarezzo BS
- 32 Associazione Nazionale Italiana Atleti Diabetici ANIAD, Napoli
- 33 Associazione Nazionale Trapiantati di Fegato G. Gozzetti, Bologna
- 34 Associazione RING14 Ricerca Malattie Neurogenetiche Rare, Reggio Emilia
- 35 Associazione Talassemici e Drepanolitici Lombardi, Milano
- 36 Attivecomeprima Onlus, Milano
- 37 Centro Studi Malattie Neuromuscolari CMN, S. Donato MI
- 38 CODACONS Nord Italia, Milano
- 39 Comitato Maria Letizia Verga, Monza MI
- 40 EUROPA UOMO Italia, Milano
- 41 FAIP Federazione Associazioni Italiane Para Tetraplegici, Perugia
- 42 Federazione Italiana Diabete Giovanile FIDG, Selargius CA
- 43 Federazione Italiana Incontinenti FINCO, Bari
- 44 Federconsumatori, Milano
- 45 Fe.Ve.Di. Federazione Veneta Diabetici, San Fior TV
- 46 Fondo Edo Tempia, Biella
- 47 Gruppo Parkinson Italia GPC, Carpi MO
- 48 Lega Italiana Osteoporosi LIOS, Milano
- 49 Lega Italiana per la Lotta contro i Tumori, Napoli
- 50 LIDAP Lega Italiana contro i Disturbi d'Ansia, Agorafobia, Panico, Parma
- 51 LILA Lega Italiana per la Lotta contro l'AIDS Sede Nazionale, Torino
- 52 Movimento dei Cittadini, Verona
- 53 NADIR HIV Treatment Group, Roma
- 54 Progetto AUSL BO, Laboratorio dei Cittadini per la Salute, Bologna
- 55 Progetto ALICE Associazione per la Lotta alla SEU, Carnate MI
- 56 SERENA a Palermo Associazione di Volontariato, Palermo
- 57 Unione Parkinsoniani, Parma
- 58 Vita di Donna, Roma