

全球 NET 患者群体中未被满足的需求：从患者、患者陪护和 NET 医疗专业人士的角度评估主要缺口

投稿者：

Bouvier, C; Caplin, M; Conroy, S; Davies, P; Dureja, S; Falconi, M; Ferolla, P; Fisher, G; Goldstein, G; Hicks, R; Hollander, R; Kolarova, T; Lawrence, B; Leyden, S; Majima, Y; Metz, D; O’ Toole, D; Ruzniewski, P; Wiedenmann, B.

摘要：

国际神经内分泌癌症联盟（INCA）是一个全球性的联盟，包含 20 个患者支持和研究小组。它们位于 17 个国家，包括亚洲、亚太地区、欧洲和北美。它的工作重点是支持各国的成员组织，通过这些组织为神经内分泌癌症患者（及其家庭）提供支持，同时代表他们对改善诊断、关怀和研究发出倡议。

INCA 进行的评估确认了在诊断期间向患者提供信息、基本服务和多学科关怀、获得创新诊疗以及研究策略和临床试验中缺少患者参与方面重要的、未被满足的需求。尽管对患有其他种类癌症的患者来说，部分缺口的存在很正常，但对神经内分泌癌症患者而言，这些缺口确实格外令人烦恼，原因包括：

- 晚期诊断：如以下提及的，NET 患者一般会连续数年被误诊（并时常无法接受适当的治疗）。一旦确诊，他们的肿瘤通常已经出现转移，这让治疗更具挑战性，而且限制了治疗选项，加大了难度。
- 神经内分泌癌症（NETs）具有很高的异质性。它们会在很多部位发病。它们很不活跃，但也极具侵略性。在“相似”患者身上，同样的肿瘤类型和发病部位会出现不同的反应。
- 尽管最近取得了一些进展，治疗选项仍然有限且无法治愈。尽管对有些患者而言，通过早期侦测和外科手术移除小型“原发性”NET 是有效果的，但很少有患者能被及早确认并获得专业多学科团队的适当治疗……
- 还有很多其他因素也让 NET 的管理变得颇具挑战性：不同的阶段和等级会影响存活情况，各种并发症，例如类癌性心脏病和缺血性肠病，不同 NET 类型的相关综合症等。

鉴于这些情况，在可靠信息、获得 NET 专业人士的意见和最先进的护理以及推动重要研究方面的缺口是巨大的，而且令人担忧。这些问题中，有些是全球性的，而有些则会根据不同的国家和医疗系统的情况而有所不同。

由此造成的护理缺陷会减少对疾病给予有效治疗和管理的时机，对患者预后造成更不必要的影响。研究中未被满足的需求也会对医疗和科学团体的能力造成负面影响，阻碍他们更好地了解 NETs，不利于实现拥有更好诊疗选项的未来。

患者支持和倡导小组的作用很关键。他们会与医疗团体合作，解决这些问题。研究显示各小组对众多关键需求存在共识，同时也识别患者与医疗专业认识在视角方面的差异，从而照亮了仍需加大合作的领域。

该倡议的前提是 NET 患者和医疗专业人士能共享深度承诺，相互支持，更好地了解这些未被满足的需求，合作巩固并改善获取信息、患者关怀和研究的途径。这是所有 NET 患者都理应获得的，无论他们身在何处。

这项工作十分紧迫：被确诊患有 NET 的患者人数似乎正在快速上升。针对神经内分泌肿瘤患者人口分布的最新研究发现，每年，每 10 万人中就有 7 人被诊断出患有 NETs。该研究还发现，从 1973 年到 2012 年，NETs 的发病率增加了 7 倍ⁱ。尽管上升的原因尚未被完全知晓，但大多数 NET 专家认为，近年，人们的认知度有所提高，从而能够做出及早（更好的）诊断，而且这一趋势（而非发病率的突然提升）可能会起到重要的作用。

在 INCA 的调研中，48% 的患者表示自己在就医 5 次或 5 次以上后才内诊断为患有 NETⁱⁱ。由于误导性的症状而导致的误诊，超过半数 NET 患者是在疾病已经发展的情况下被确诊的。45% 的患者表示在初次就诊时并未被诊断为患有 NET，而最常见的初次诊断是消化障碍，例如应激性结肠综合征（39%）。

INCA 的评估目标是：

- 代表患者、患者小组领袖和医疗专业人士，提高对未被满足的需求的了解。
- 在未被满足的需求的基础上建立证据，让全球的 NETs 群体能识别行动优先级，改善对患者的关怀，实现健康结果得到改善的更好前景。
- 提供与医疗团体讨论的平台，让大家合作应对那些确认的、未被满足的需求。
- 识别在很多国家常见且具有全球性的、未被满足的需求。
- 识别团队解决方案，让患者、倡导者和 NET 专家能为全球各地的 NET 患者在生活和前景上带来不同。

致谢

神经内分泌肿瘤研究基金会是一家非营利性的慈善基金会，致力于进行 NET 研究并为 NET 患者提供支持。感谢该基金会的赞助，使得本白皮书以及在此基础上进行的调研和访谈得以完成。

INCA 感谢关键国际医疗协会的委员会成员拨冗提供专业建议：ENETS（欧洲神经内分泌肿瘤协会）、NANETS（北美神经内分泌肿瘤协会）、APNETS（亚太神经内分泌肿瘤协会）、CommNETs（联邦神经内分泌肿瘤小组）和 JNETS（日本神经内分泌肿瘤协会）。

方法论

在 2017 年 2 月 15 日到 2017 年 3 月 1 日期间，我们通过在线调研工具完成了 3 次调研；1 次是面向患者和家庭，第 2 次面向医疗专业人士，第 3 次面向患者倡导或支持小组的领袖（69%的患者领袖本身就是 NETs 患者）。调研有 35 个问题，涵盖 4 个关键的调查领域；信息、关怀标准、获得诊疗的途径和研究。调研使用了首个 2014 年全球 NETs 患者调研中的数据ⁱ，以对调研探讨的未被满足的需求的识别提供支持。问题的设计使人们可以将它们进行对比。

调研共获得了 400 名受访者的回复。这可能会对来自发达国家的“有知识的”患者和医疗专业人士造成选择性偏差，但为了从有知识且参与其中的回答者那里获得观点，这并未被考虑在内。这些患者已经获得了更多信息且与 NET 群体联系更加紧密，在这个层面来说，由此对“未被满足的需求”进行的评估可能会被低估了。该调研通过 INCA 成员组织和患者小组领袖被分发到医疗专业人士手中。就现在的状态来看，参与进来的医疗专业人士可被视为是那些直接参与 NET 治疗的人。调研收到了来自 26 个国家的回复，情况如下：

患者倡导/领袖调研——35 条回复

患者和家庭调研——338 条回复

医疗专业认识调研——70 条回复（参见以下的专家分布情况）

Q2: 你有哪些医疗专业知识?

回答选项	回复者
肿瘤学	38.57% 27
病理学	1.43% 1
放射学	1.43% 1
核医学	12.86% 9
内分泌学	8.57% 6
外科学	10.00% 7
肠胃病学	28.57% 20
护士	10.00% 7
胸腔科医师	0.00% 0
其他（请注明）	4.29% 3
回复者人数总计：70	

除了在线调研，我们还对 10 名临床领袖和 9 名患者倡导者进行了长达 40 到 90 分钟的深度访谈。我们将他们挑选出来，作为全球范围内医疗和患者专业知识的一个广阔横截面的代表。这些访谈的结构已被用来为本白皮书中的讨论部分提供信息。

参加本次调研的患者共体验过 19 种不同类型的 NET，其中以胰腺肿瘤最为常见。超过 25% 的患者被诊断出患有这种肿瘤。

2/3 参加调研的患者的年龄都超过 50 岁，约 1/3 的被诊断患有 NETS 的患者，他们的年龄在 50 多岁左右。

Q5: 你的年龄是多少?

回答选项	回复者
18 岁以下	0.90% 3
18-29	3.59% 12
30-39	9.28% 31
40-49	17.07% 57
50-59	30.54% 102
60-69	27.54% 92
70 岁及以上	11.08% 37
总计	334

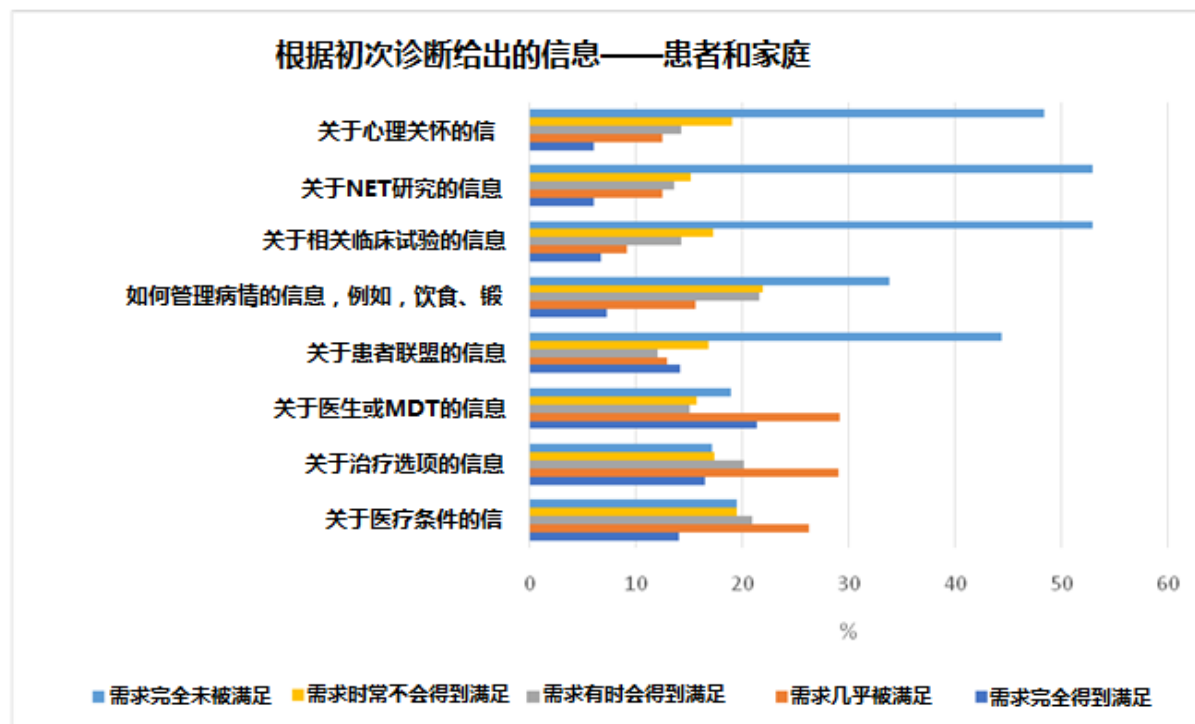
Q6: 在你首次被确诊患有 NET 时, 你的年龄是多少?

回答选项	回复者
18 岁以下	3.57% 12
18-29	7.14% 24
30-39	10.71% 36
40-49	22.92% 77
50-59	33.04% 111
60-69	19.64% 66
70 岁及以上	2.98% 10
总计	336

结果

信息方面未被满足的需求

在有关医疗条件、治疗选项和医生或多学科团队的核心信息方面，患者在诊断时获得的信息完整度存在很大变数。



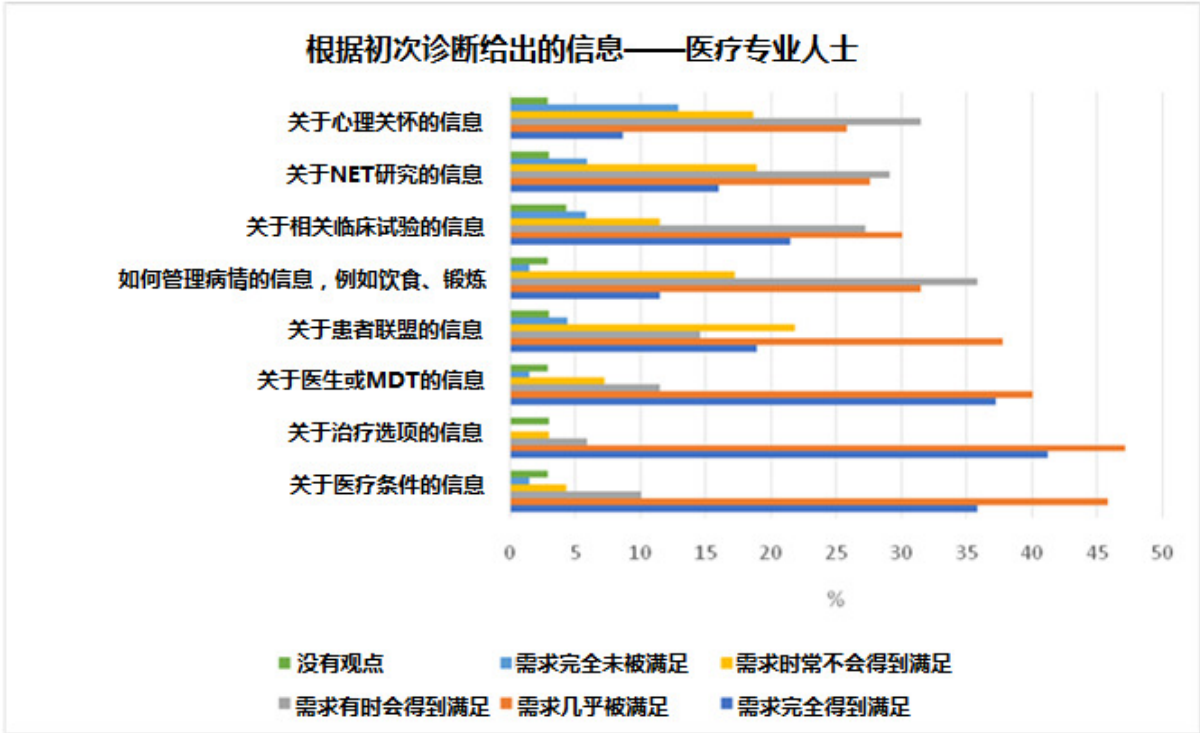
该调研突出了若干领域，其中患者在诊断时对信息的需求并未得到满足：

- 有关相关临床试验的信息（53%）
- 有关 NETs 研究的信息（53%）
- 有关心理关怀的信息（48%）
- 指向患者协会（44%）
- 如何管理病情的建议，例如，饮食和锻炼，症状控制（34%）

此外，仅有 16% 的患者表示，自己在诊断时对治疗选项的信息需求完全得到满足。

寻找额外信息的第一站就是患者协会网站，70% 的受访者都在使用它们。通过这些网站，62% 的患者感觉他们的需求全部或几乎得到了满足。医疗专业网站，例如 ENETS（欧洲神经内分泌肿瘤协会）和 NANETS（北美神经内分泌肿瘤协会）也被广泛使用，49% 的受访者表示正在使用这些网站，而只有刚过半数的患者认为这些资源全部或几乎满足了自己的需求。

医疗专业人士对提供信息的看法与各类别患者对此的看法有明显不同。例如，几乎 90% 的医疗专业人士受访者认为自己能完全或几乎满足患者有关治疗选项的信息需求（只有超过 36% 的患者这样认为）。然而，这是在诊断的时候，而且人们会看到患者对于在关怀期间提供的信息会做出更积极的回应。



对‘对于病我的病情和治疗选项，我被告知了我所需要的全部信息和解释说明’的响应：

	需求全部得到满足	需求几乎得到满足	需求有时会得到满足	需求时常不会得到满足	需求完全没有得到满足	没有选项
患者领袖	0%	24%	38%	29%	6%	3%
患者与家庭	16%	34%	26%	12%	9%	3%

Q11: 你找到或请求获得的信息是否很好地满足了你的需求?

	我的需求完全得到满足	我的需求几乎被满足	我的需求有时会得到满足	我的需求时常未被满足	我的需求完全未被满足	不适用于我	总计	加权平均值
医疗专业人士网站（例如，ENETS，NANETS，一家医院的网站）	11.97% 34	32.04% 91	31.96% 90	5.99% 17	5.63% 16	12.68% 36	284	0.44
医疗专业人士或治疗医院——印刷信息	10.11% 27	17.98% 48	22.85% 61	13.86% 37	15.36% 41	19.85% 53	267	-0.08
患者联盟网站	19.44% 56	42.01% 121	19.79% 57	6.60% 19	2.43% 7	9.72% 28	288	0.77
患者联盟——印刷信息	18.36% 47	30.86% 79	17.19% 44	3.13% 8	4.69% 12	25.78% 66	256	0.74

在关怀标准上未被满足的需求

当询问患者领袖对如何看待‘我居住地的医疗体系为促进了一个面向患者的适当的关怀标准’时，41%的受访者同意它基本上或完全满足了患者的需求。然而，23.5%的受访者的回答为‘有时候’，超过32%的患者领袖认为并未达到面向 NET 患者的适当的关怀标准（21%表示经常无法达到，12%的受访者表示完全没有满足）。

在多个重要领域，患者领袖对由医疗提供者向患者提供的支持感到顾虑。最重要的点始终是：

- 65%的人相信，需要支持，以通过饮食、管理和症状控制来管理病情这一点完全没有被满足（12%）或经常未被满足（53%）
- 76%的患者表示，心理关怀上的续期或是经常未被满足（38%），或是完全未被满足（38%）
- 对被确诊患者的心理健康条件的治疗经常未被满足（44%），或是完全未被满足（27%）

参加调研的 94%的患者领袖表示在自己感兴趣的区域中存在多学科团队（MDTs），70%的医疗专业人士表示 MDTs 提供了关怀（另有 20%的人表示有时会提供）。然而，仅有 66%的患者表示自己的关怀得到了多学科团队的管理。对于那些得到多学科团队管理的患者，患者与 MDT 之间最常见的接触频率为每 6 个月一次。

Q14: 除了特定的 NET 治疗, 你认为在以下需求方面, 医疗提供方对患者健康的支持有多好?

	需求完全得到满足	需求几乎被满足	需求有时会得到满足	需求时常未被满足	需求完全未被满足	不知道	总计	加权平均值
心理关怀	2.94% 1	5.88% 2	8.82% 3	38.24% 13	38.24% 13	5.88% 2	34	-1.09
关于如何管理病情的信息, 例如, 饮食、锻炼、症状控制	5.88% 2	11.76% 4	11.76% 4	52.94% 18	11.76% 4	5.88% 2	34	-0.56
诊断精神健康状况	2.94% 1	0.00% 0	11.76% 4	41.18% 14	35.29% 12	8.82% 3	34	-1.16
对确诊的精神情况进行治疗	2.94% 1	2.94% 1	8.82% 3	44.12% 15	26.47% 9	14.71% 5	34	-1.03
通过持续的工作和/或教育提供支持	3.13% 1	12.50% 4	12.50% 4	34.38% 11	25.00% 8	12.50% 4	32	-0.75
疼痛治疗	5.88% 2	41.18% 14	32.35% 11	8.82% 3	0.00% 0	11.76% 4	34	0.50
个人护理/卫生	2.94% 1	5.88% 2	32.35% 11	29.41% 10	0.00% 0	29.41% 10	34	-0.25
姑息护理	5.88% 2	35.29% 12	17.65% 6	23.53% 8	0.00% 0	17.65% 6	34	0.29

Q19: 你与自己的多学科团队中成员的接触频率是多少?

回答选项	回复者
每周	4.08% 10
每月	25.31% 62
每 3 个月	22.45% 55
每 6 个月	31.84% 78
每年 1 次	11.02% 27
不定期	5.31% 13
总计	245

在接受多学科团队关怀的患者中，对患者与医疗专业人士之间适当和定期的联系的需求基本上或完全得到了满足。

回答者	需求全部得到满足	需求几乎得到满足	需求有时会得到满足	需求时常不会得到满足	需求完全没有得到满足	没有选项
患者领袖	9%	41%	26%	15%	3%	6%
患者与家庭	28%	38%	16%	8%	6%	4%
医疗专业人士	20%	53%	9%	15%	3%	0%

仅有 50% 的患者表示，自己的需求，即在涉及关怀的各项决定中，自己与医疗团队成为真正的合作伙伴，几乎或完全得到了满足。

在获得诊疗方面未被满足的需求

患者获取创新技术是一个长期的问题。该调研证实了一个想法，即获取途径中最大的挑战之一就是镓-68-DOTATATE/DOTATOC PET/CT 扫描。

是否无法提供适当的诊断技术?

	是	否	不知道
患者领袖/倡导者	54%	37%	9%
患者与家庭	24%	44%	32%
医疗专业人士	59%	35%	6%

对回答“是”的人，获取途径中的前3大挑战是：

	1	2	3
患者领袖	镓 -68-Dotatate PET/CT 扫描 (85%)	FDG PET (10%)	MIBG & CT (10%)
患者与家庭	镓 -68-Dotatate PET/CT 扫描 (73%)	FDG PET (23%)	MIBG (18%)
医疗专业人士	镓 -68-Dotatate PET/CT 扫描 (86%)	FDG PET (36%)	MIBG (23%)

是否无法提供适当的治疗？

	是	否	不知道
患者领袖	63%	31%	6%
患者与家庭	24%	44%	32%
医疗专业人士	65%	32%	3%

对回答“是”的人，获取途径中的前3大挑战是：

	1	2	3
患者领袖	PRRT (95%)	基因检测/精准用药 (33%)	移植 (10%)
患者与家庭	PRRT (42%)	基因检测/精准用药 (25%)	外科手术 (19%)
医疗专业人士	PRRT (77%)	移植 (44%)	基因检测/精准用药 (29%)

在全部患者中，近半数（48%）为了接受治疗或向 NETs 专家咨询，他们的出行里程超过了 300 公里/186 英里。有证据显示，遥远的路程对 NET 患者的总体存活情况存在不利影响ⁱⁱⁱ。

研究方面未被满足的需求

患者与医疗专业人士在研究方面有不同优先事项。“更早、更准确的诊断”是患者领袖、患者和家庭的第一要务，但对医疗专业人士而言，这一项被排在第 3 位。为改善当前治疗情况以及测试新疗法的临床试验是医疗专业人士的第一要务，但这对患者和家庭而言，这仅排在第 5 位。

所有的小组都高度重视对改善生活质量和控制症状的研究。

每个小组都被要求对以下研究领域的优先级进行排序，其中 1 是最重要的，7 是最不重要的。

优先研究领域	患者领袖	患者与家庭	医疗专业人士
对肿瘤的形成与生长原因有基本的科学认识，这是发现治愈方法的道路	4	2	5
专注于存活更长时间的基本或转化研究	5	4	4
专注于改善生活质量的研究：控制/管理症状	3	3	2
准确、微创的疾病监测	7	6	6
更早、更准确的诊断	1	1	3
改善现有疗法并测试新疗法的临床试验	2	5	1
发展全国性和国际性的 NET 患者登记机构	6	7	7

人们都认为患者并未充分参与到研究设计中。

患者是否充分参与到研究设计中？

	是	否	没有选项
患者领袖	3%	82%	15%
患者与家庭	10%	53%	37%
医疗专业人士	23%	57%	20%

向每个小组提问，他们认为患者参与研究的首要领域是什么。

对患者领袖：

1. 将NET癌症研究与其他主要形式的癌症研究摆在同等地位
2. 改善现有疗法并测试新疗法的临床试验
3. 对一项研究倡议的结果做出诠释，确保患者能理解公布的结果

Q30: 患者参与到研究的特定方面有多重要？

	非常重要	比较重要	不是很重要	完全不重要	没有观点	总计	加权平均值
NETs 领域的总体策略和研究资助方向	38.24% 13	52.94% 18	8.82% 3	0.00% 0	0.00% 0	34	1.21
特定研究倡议的设计	35.29% 12	50.00% 17	14.71% 5	0.00% 0	0.00% 0	34	1.06
对研究倡议的结果做出解释，确保患者能看懂公布的结果	67.65% 23	29.41% 10	2.94% 1	0.00% 0	0.00% 0	34	1.62
为研究设定优先级	45.45% 15	39.39% 13	12.12% 4	0.00% 0	3.03% 1	33	1.22
将 NET 癌症研究与其他主要形式的癌症研究摆在同等地位	73.53% 25	26.47% 9	0.00% 0	0.00% 0	0.00% 0	34	1.74
进行临床试验以改善现有疗法并测试新疗法	73.53% 25	26.47% 9	0.00% 0	0.00% 0	0.00% 0	34	1.74

对患者和家庭：

1. 改善现有疗法并测试新疗法的临床试验
2. 将NET癌症研究与其他主要形式的癌症研究摆在同等地位
3. 对一项研究倡议的结果做出诠释，确保患者能理解公布的结果

Q31：患者参与到研究的特定方面有多重要？

	非常重要	比较重要	不是很重要	完全不重要	没有观点	总计	加权平均值
NETs 领域的总体策略和研究资助方向	52.57% 174	29.91% 99	4.83% 16	2.11% 7	10.57% 35	331	1.41
特定研究倡议的设计	46.48% 152	34.56% 113	7.34% 24	0.92% 3	10.70% 35	327	1.33
对研究倡议的结果做出解释，确保患者能看懂公布的结果	64.85% 214	25.45% 84	2.12% 7	0.30% 1	7.27% 24	330	1.64
为研究设定优先级	50.00% 164	34.76% 114	5.79% 19	0.61% 2	8.84% 29	328	1.40
将 NET 癌症研究与其他主要形式的癌症研究摆在同等地位	74.10% 246	18.67% 62	1.81% 6	0.00% 0	5.42% 18	332	1.75
进行临床试验以改善现有疗法并测试新疗法	73.64% 243	20.91% 69	0.61% 2	0.00% 0	4.85% 16	330	1.76

对医疗专业人士：

1. 将NET癌症研究与其他主要形式的癌症研究摆在同等地位
2. 进行临床试验以改善现有疗法并测试新疗法
3. NETs领域的总体策略和研究资助方向

Q25：患者参与到研究的特定方面有多重要？

	非常重要	比较重要	不是很重要	完全不重要	没有观点	总计	加权平均值
NETs 领域的总体策略和研究资助方向	34.29% 24	55.71% 39	7.14% 5	0.00% 0	2.86% 2	70	1.21
特定研究倡议的设计	27.54% 19	52.17% 36	15.94% 11	0.00% 0	4.35% 3	69	0.95
对研究倡议的结果做出解释，确保患者能看懂公布的结果	26.09% 18	49.28% 34	21.74% 15	0.00% 0	2.90% 2	69	0.82
为研究设定优先级	27.54% 19	56.52% 39	11.59% 8	0.00% 0	4.35% 0	69	1.05
将 NET 癌症研究与其他主要形式的癌症研究摆在同等地位	49.28% 34	44.93% 31	2.90% 2	0.00% 0	2.90% 2	69	1.45
进行临床试验以改善现有疗法并测试新疗法	36.23% 25	53.62% 37	7.25% 5	0.00% 0	2.90% 2	69	1.22

讨论

信息方面未被满足的需求

用当地语言表述的、事实准确且易于理解的优质信息对刚被确诊为患有 NETs 的患者来说尤为重要。获得充分信息的患者会在关怀中扮演更积极的角色。此外，能更好地理解病情、症状以及可用的治疗选项以及参与决策能为他们的精神和情绪健康提供更好的支持。

该调研突出了若干领域，其中在诊断时，患者对信息的需求未被满足，例如相关的临床试验、NET 研究、心理关怀以及如何管理病情的建议。患者发现难以获得以当地语言撰写，且与自己医疗护理体系相关的可信的信息。对大多数患者而言，患者支持和倡导群体在提供这些信息方面填补了缺口。调研发现，大多数患者（62%）相信，由患者支持小组提供的信息基本或完全满足了自己的需求。各方应合作制定各种颁发，以最优的方式提供并确保患者能理解，并保留有关自己病情和关怀的重要信息。INCA 相信应提供政府资助以支持这项工作，要承认患者支持小组正在发挥的重要作用。

尽管对医疗专业人士的调研对患者反应的信息最薄弱的领域普遍表示认同，但他们对于在诊断时满足需求的方式持有比患者更为积极的态度。医疗专业人士要对这种视角的差异有更多的认识，从而对患者在此时对信息的需求更加敏感。该调研还表明，医疗专业人士可以做更多工作，将患者推荐到当地能提供支持的患者组织。

INCA 和全国性的患者组织会与医疗团体合作，能在列出诊断时那些预期未被满足中发挥重要作用。医疗专业人士和患者领袖能合作填补这个信息缺口。

在关怀标准上未被满足的需求

该调研发现，在支持治疗的整合、‘呵护式’关怀上存在大量未被满足的需求。特别的，这是心理关怀以及针对饮食、锻炼和症状控制的一般生活方式建议上的一个顾虑。像这样的缺陷可以通过包容性多学科团队（MDT）得到成功弥补。

当 MDT 提供关怀时，患者报告了他们关怀中重要方面的多项优势。在一项对 NETs 患者的全球调研中，改善出现在^{iv}：

- 症状控制
- 渴望在关怀路径中成为积极的合作伙伴
- 整体健康
- 对自己病情的了解

INCA 调研发现，MDTs 广泛‘存在’，但很多患者仍然无法获得他们的治疗，即使在存在 MDTs 的国家也是如此。关键专业人士，特别是“一线”专家——肠胃病学、肿瘤学和肺病学——对 MDT 关怀的优势的认知会有助于促进向 MDT 的转诊路径。

一些 NET MDTs 在关怀标准上取得进步，将一名 NET 专科护士纳入其中。该护士能花更多的时间进行讨论，而且能熟练地向患者解释复杂的医学概念。对 NETs 患者的调研^v突出了专科护士对精神健康以及在关怀路径中支持患者的重要性。对于 NETs 专科护士对治疗结果和专注于患者的关怀所带来的价值，人们还没有给予充分的认识。在那些护士可实现专科化的国家，应通过医疗教育系统和适当预算对 NETs 护士给予鼓励，将他们招募到 MDTs。

在 MDTs 和 NET 患者支持小组之间显然有实现更多合作的机会。MDTs 应认识到自己本地小组的活动，从而能将他们“指派”给适当的患者。的确，在社区联络以及相互推荐患者方面，患者支持小组可被视为 MDT 的延伸。

他们要成为 MDTs 的全国性和全球性的倡导组织，作为向 NETs 患者提供关怀的基本模型。人们已经取得进步，特别是在欧洲，ENETS 对 NET 卓越中心进行了认证。要真正嵌入治疗路径中，必须在全球的支付和保险体系中纳入对这种关键概念的认可与支持。根据各个国家和医疗体系，患者的路径也会有所变

化。需要为 NET 构建一个清晰的路径，要由全国性的医疗体系进行指引和支持，从而让所有患者（包括位于一国边远地区的患者）都能获得专科中心的关怀。

在获得诊疗方面未被满足的需求

可以理解，医疗专业认识和患者都急于获得新的治疗方法，以及刚刚适应 NETs 的疗法。信息的可见性以及各国医疗专业人士与患者之间的交换让获得治疗上的不平等变得更加明显，因此也更具争议性。

该调研发现，获得诊断的过程中最大的挑战之一就是镓-68-DOTATATE/DOTATOC PET/CT 扫描。目前为止，肽受体放射性核素治疗（PRRT）被视为最常见的未被满足的治疗需求。在所有开展调研的国家中，诊断和成像技术以及治疗上未被满足的需求普遍存在，而且所有 NETs 患者能平等或者这些资源也是一个主要挑战。在那些 PRRT 可及性已经有所进步的国家中，例如日本、澳大利亚和新西兰，患者联盟的宣传活动一直都十分重要。

在拥有正式医疗技术评估流程的国家，即使患者报告的结果和社会经济数据对这一情况变得更加重要，人们也没有按照惯例，将咨询患者代表作为该流程的一部分，以决定获得途径和资助。面向创新技术的评估与批准系统通常要求将新疗法或诊断方法与现有标准进行比较。这更像是一种划分的，而非“全部关怀”的方法，而且并没有考虑有关关怀的这些决定会如何影响患者的生活质量。从副作用的角度看，这尤为重要。

INCA 相信，NETs 患者组织与医疗团体的全球合作会产生更大影响，这对发展一个具有说服力的论据而言更是如此：技术能为给予关怀提供更好、更有效的支持。患者和医疗领袖需要共同倡导，支持让所有人都获得适当的治疗。

研究和临床试验中未被满足的需求

调研发现，人们对于让患者更多地参与 NETs 研究议程存在争论。对患者和患者领袖而言，他们确定的优先领域是：

- 进行临床试验以改善现有疗法并测试新疗法，
- 将 NET 癌症研究与其他主要形式的癌症研究摆在同等地位，
- 对一项研究倡议的结果做出诠释，确保患者能理解公布的结果。
- 医疗专业人士还在列表中加上了整体策略与研究资助方向。

这些发现为患者联盟与医疗团体的合作构建了明确的基础，让双方能让患者在个人、策略和倡导层面更多地参与进来。

在研究优先级和策略方面，提供研究资金的一方（政府或研究机构）或是研究人员都没有按照惯例咨询患者。参与规划和研究的医疗专业人士之间的讨论就相当复杂了，这要求具备专门的神经内分泌肿瘤医疗知识。然而，可以通过亲自咨询促成直接的患者参与，特别是在选择研究优先级以及向患者群体介绍研究进度方面。

在本次调研中，当在不同研究类型之间选择时，患者认为研究需求比及早、准确的 NETs 诊断更重要，排在后面的是为了解和控制肿瘤的基本研究。另一方面，医疗专业人士认为临床试验是最重要的，接下来是改善生活质量的研究和控制症状，他们将基础研究排在了更靠后的位置。携手合作，探索这些差异的原因，以及如何在研究策略中对此加以解决才能更好的满足需求。差异与重叠的部分会成为这些团体之间丰富的交流资源，从而打造强大的联盟，确定并为能够推动进步和改善全球患者生活的研究议程寻找支持。

患者乐于了解在潜在参与方面与他们相关的临床试验，也乐于了解未来可能会获得的新的以及改进过的治疗方法。关于临床试验的信息要比以往都更容易获得，例如在美国（clinicaltrials.gov）和欧盟（欧盟临床试验登记处），但患者却难以理解这些信息。

INCA 相信，患者更多的参与会获得更多的好处，例如：

- 更好地了解患者的优先事项以及他们对 NETs 研究的预期
- 思考自己作为一名患者参与到研究中的感受——希望、恐惧、对自己生活的影响
- 用通俗易懂的语言，改善对研究、临床试验及其结果的宣传和理解
- 向潜在资助者就资助 NETs 研究需求实现更有效的倡导：政府、非营利组织和个人捐助者
- 在患者群体中提升大家对重要临床试验的认知，从而提升参与度，确保患者获得正在发展中的疗法的各种信息。

患者与临床领袖展开合作，让患者更多地参与到设定研究优先级的过程中，并倡导更多的研究资助，这十分重要。

小结与后续步骤

尽管这份多方面的评估聚焦在一份从信息充分、充分参与的患者和 NET 临床医生中提取的样本上，但它仍然指向了满足患者信息需求的主要缺口，确保他们能获得最高标准的关怀，促进他们参与到研究中。对没有直接参与到患者小组和专科 NET 中心的患者和临床医生而言，这些缺口可能会更大。

即便如此，该评估为患者和、倡导者和临床领袖清楚地指出了重大机遇，让他们携手合作，填补缺口，改善日益增多的被确诊患有 NETs 的患者的生活和视角。总而言之，要对众多优先事项的需求立即予以关注并采取协调行动予以解决：

- ✓ 患者小组领袖和 NET 关怀者需要合作，以“填补信息缺口”，这包括相互推荐，以确保及时向患者及其家庭提供有效、可靠的信息。
- ✓ 需要合作以获得对 NET 研究的更多支持（相较于更为常见的癌症所获得的支持）并让患者参与到研究优先级/临床试验的倡导与设计。
- ✓ 要共同倡导一个获得关怀的全球标准，包括面向全球 NET 患者的最新技术和诊断/治疗工具。
- ✓ 需要进行更多全球合作，确保患者了解并参与到临床试验中。
- ✓ 在医疗专业人士中提高认知，进行专科教育，促成有效诊断，实现更好的治疗结果。
- ✓ 要更好地认识到 MDT 关怀在众多关键专业人士中的优势，特别是“一线”专家，还有认识到 NET 护士的角色。
- ✓ 要为患者小组获得资源/资助，以提供支持和信息，这能让患者在治疗过程中成为积极的合作伙伴。

ⁱ JAMA Oncology, April 2017, "Trends in the Incidence, Prevalence, and Survival Outcomes in Patients With Neuroendocrine Tumors in the United States"

ⁱⁱ INCA Novartis Global NET Patient Survey

ⁱⁱⁱ Journal of Internal Medicine, 2017, "Clinical profile and treatment outcomes of advanced neuroendocrine tumours in rural and regional patients: a retrospective study from a regional cancer centre in North Queensland, Australia"

^{iv} INCA Novartis Global NET Patient Survey

^v INCA Novartis Global NET Patient Survey & NET Patient Foundation Patient Experience Survey