

## **Necessità da soddisfare nella comunità dei pazienti NET a livello globale: valutazione dei principali gap dal punto di vista dei pazienti, dei gruppi di supporto ai pazienti e degli operatori sanitari**

### **AUTORI:**

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.

### **Abstract**

INCA (International Neuroendocrine Cancer Alliance) rappresenta un'alleanza a livello globale di oltre 20 gruppi di supporto ai pazienti e di ricerca provenienti da 17 paesi dell'Asia, dell'Asia-Pacifico, dell'Europa e del Nord America. E' impegnata principalmente a sostenere le organizzazioni dei Paesi membri e, tramite loro, i pazienti affetti da tumori neuroendocrini (e le loro famiglie) e a farsi portavoce delle loro istanze per ottenere una diagnosi migliore, assistenza e ricerca .

Questa valutazione condotta da INCA ha messo in evidenza importanti necessità ancora insoddisfatte in diversi ambiti : nella comunicazione delle informazioni ai pazienti al momento della diagnosi; nei servizi essenziali e nell'assistenza fornita a livello multidisciplinare; nell'accesso a procedure diagnostiche e a trattamenti innovativi; ha inoltre evidenziato una mancanza di coinvolgimento dei pazienti nelle strategie di ricerca e nei trial clinici. Benché alcuni di questi gap interessino anche pazienti con altre forme di cancro, risultano particolarmente gravosi per quelli affetti da tumori neuroendocrini per diverse ragioni, incluso:

- diagnosi tardiva: come osservato di seguito, i pazienti con NET ricevono generalmente diagnosi errate per anni (e conseguenti trattamenti non appropriati). Spesso, a causa del tempo perso prima di arrivare alla diagnosi corretta, questi tumori sono già metastatizzati, il che rende il trattamento più complicato e le opzioni terapeutiche più limitate e difficili.
- I tumori neuroendocrini (NET) sono alquanto eterogenei, con diverse localizzazioni, e possono essere piuttosto indolenti, ma anche diventare improvvisamente molto aggressivi. Lo stesso tipo di tumore e la stessa sede possono rispondere in maniera molto diversa in pazienti "con caratteristiche simili".
- Malgrado alcuni recenti progressi, le opzioni terapeutiche disponibili sono tuttora limitate e non esiste cura. E benché l'individuazione precoce e l'asportazione chirurgica del NET "primitivo" di piccole dimensioni possano essere "risolutive" per alcuni pazienti, sono solo pochi i casi in cui la diagnosi viene formulata e il paziente correttamente indirizzato a un team multidisciplinare di esperti in tempi abbastanza rapidi...
- Molti altri fattori concorrono a rendere particolarmente complicata la gestione dei NET: differenti stadi e gradi della malattia influenzano la sopravvivenza così come altre complicanze come l'insufficienza tricuspide e l'ischemia intestinale, le sindromi correlate a differenti tipi di NET, ecc.

In queste condizioni, la mancanza di informazioni attendibili, di accesso agli specialisti NET ed ad un livello massimo di assistenza nonché il gap nella ricerca che impedisce di compiere progressi nelle aree più cruciali è significativa e preoccupante. Alcune di queste criticità hanno carattere globale, mentre altre possono variare a seconda del paese e del singolo sistema sanitario.

Le lacune nell'assistenza possono pregiudicare l' esito per il paziente riducendo le opportunità di trattamento e la gestione efficace della malattia. Le necessità insoddisfatte nel campo della ricerca

hanno un impatto negativo anche sulle capacità della comunità medica e scientifica di giungere a una migliore comprensione dei NET e di perfezionare, in futuro, le opzioni diagnostiche e terapeutiche.

I gruppi di supporto dei pazienti devono assumere un ruolo chiave nell'affrontare questi problemi in stretta collaborazione con la comunità medica. Questa ricerca rivela il consenso di entrambi i gruppi in merito a molte esigenze critiche e ha inoltre individuato differenze di percezione tra pazienti e operatori sanitari, mettendo in luce aree dove occorre una maggiore collaborazione.

Questa iniziativa si fonda sulla convinzione che i pazienti con NET e gli operatori sanitari devono impegnarsi a sostenersi vicendevolmente per comprendere meglio quali siano questi bisogni insoddisfatti e a collaborare per potenziare e migliorare l'accesso alle informazioni, all'assistenza, alla ricerca cui tutti i pazienti con NET hanno diritto, a prescindere da dove vivano

Questo lavoro ha carattere d'urgenza in quanto le diagnosi di NET sembrano aumentare con un ritmo significativo. Secondo lo studio più recente condotto sulle caratteristiche demografiche dei tumori endocrini, ogni anno 7 persone ogni 100.000 ricevono una diagnosi di NET. Sempre secondo lo stesso studio, nel periodo dal 1973 al 2012 l'incidenza dei NET è aumentata di quasi 7 volte<sup>i</sup>. Nonostante le cause di questo incremento non siano completamente note, la maggioranza degli esperti di NET ritiene che una maggiore conoscenza abbia favorito una diagnosi più tempestiva (precisa) negli ultimi anni e che questa tendenza (piuttosto che un aumento improvviso dell'incidenza) possa giocare un ruolo rilevante.

Nell'indagine INCA, il 48% dei pazienti ha riferito di aver effettuato almeno 5 o più visite dal medico prima di ricevere la diagnosi di NET<sup>ii</sup>. Per oltre la metà dei pazienti, la diagnosi di NET arriva quando la malattia è in stadio avanzato a causa di sintomi fuorvianti che portano a valutazioni errate. Il 45% dei pazienti riferisce che al primo accertamento il NET non viene riconosciuto: la diagnosi iniziale più comune è quella di disturbo digestivo, come, ad esempio, la sindrome da intestino irritabile (39%).

Gli obiettivi della valutazione INCA erano i seguenti:

- comprendere più a fondo i "bisogni insoddisfatti" secondo le percezioni dei pazienti, dei responsabili dei gruppi di pazienti e degli operatori sanitari
- stabilire sulla base delle evidenze quali siano le necessità da soddisfare per consentire così alla comunità NET globale di identificare priorità d'azioni e migliorare l'assistenza ai pazienti, offrire migliori prospettive di esiti più favorevoli
- mettere a disposizione una piattaforma di discussione con la comunità medica che possa generare uno sforzo comune nell'affrontare i bisogni insoddisfatti che sono stati identificati
- individuare le necessità da soddisfare che accomunano molti Paesi e che hanno una prospettiva globale
- individuare soluzioni per le quali il lavoro di squadra, i pazienti, i responsabili dei gruppi di supporto e gli specialisti NET possano fare la differenza, in maniera sostanziale, nella vita e nelle prospettive dei pazienti NET nel mondo.

## **RINGRAZIAMENTI**

La realizzazione di questo White Paper, unitamente ai questionari e alle interviste sui quali si basa, è stata resa possibile grazie ad un supporto garantito dalla Neuroendocrine Tumor Research Foundation, una fondazione benefica no-profit dedicata alla ricerca sui NET e al supporto dei pazienti con NET.

INCA desidera ringraziare i membri dei Comitati delle principali società mediche internazionali quali ENETS (European Neuroendocrine Tumor Society), NANETS (North American Neuroendocrine Tumor Society), APNETS (Asia-Pacific Neuroendocrine Society), CommNETs (Commonwealth Neuroendocrine Tumor Group) e JNETS (Japan Neuroendocrine Tumor Society) che gentilmente hanno messo a disposizione il proprio tempo e le proprie competenze.

## Metodologia

Nel periodo 15 febbraio – 1 marzo 2017 sono stati compilati 3 questionari utilizzando il sistema online: il primo rivolto ai pazienti e alle famiglie, il secondo agli operatori sanitari e il terzo ai responsabili di gruppi di supporto pazienti (al 69%, i responsabili di questi gruppi sono loro stessi pazienti affetti da NET). I questionari consistevano in 35 domande suddivise in quattro principali aree di indagine: informazioni, standard di cura, accesso alla diagnostica e al trattamento e ricerca. I dati raccolti nel 2014 con la prima indagine globale su pazienti NET<sup>ii</sup> sono stati usati per individuare le necessità insoddisfatte oggetto poi di valutazione nei nuovi questionari. Le domande sono state strutturate in modo da consentire il confronto.

In totale, sono stati valutati oltre 400 intervistati. Sebbene si possa pensare a un bias di selezione principalmente verso pazienti “illuminati” e professionisti sanitari dei Paesi sviluppati, questa procedura è stata comunque considerata valida al fine di raccogliere le opinioni di persone informate e coinvolte. La valutazione dei “bisogni insoddisfatti” che si ottiene in caso di partecipanti già informati e che presentano legami con la comunità NET rappresenta probabilmente una sottostima. Le organizzazioni appartenenti a INCA e i responsabili dei gruppi di pazienti hanno inoltre proposto l’indagine ai professionisti sanitari. Pertanto, gli operatori sanitari che hanno aderito al survey sono quelli che sono direttamente coinvolti nel trattamento dei NET. Le risposte ai sondaggi, pervenute da 26 Paesi, si suddividono come segue:

Questionario per i responsabili di gruppi supporto pazienti – 35 risposte

Questionario per i pazienti e le loro famiglie – 338 risposte

Questionario per operatori sanitari – 70 risposte (vedere di seguito la distribuzione delle risposte in base alle specialità)

### D2. Indichi la sua specializzazione

Opzioni di risposta	Risposte
Oncologia	<b>38.57%</b> 27
Patologia	<b>1.43%</b> 1
Radiologia	<b>1.43%</b> 1
Medicina nucleare	<b>12.86%</b> 9
Endocrinologia	<b>8.57%</b> 6
Chirurgia	<b>10.00%</b> 7
Gastroenterologia	<b>28.57%</b> 20
Infermieristica	<b>10.00%</b> 7
Pneumologia	<b>0.00%</b> 0
Altro (specificare)	<b>4.29%</b> 3
<b>Totale risposte: 70</b>	

Oltre ai questionari online, sono state condotte interviste approfondite della durata di 40-90 minuti con 10 responsabili clinici e 9 responsabili di gruppi pazienti, selezionati in modo da rappresentare, a livello globale, un importante campione trasversale dell'expertise medica e delle competenze dei pazienti. I risultati di queste interviste sono stati raccolti nella sezione Discussione di questo White Paper.

Nel complesso, tra i pazienti partecipanti, l'indagine ha fotografato 19 differenti tipi di NET, quelli più comuni sono risultati i tumori pancreatici, diagnosticati in oltre il 25% dei pazienti.

Due terzi dei pazienti interpellati avevano un'età superiore ai 50 anni, e in circa un terzo dei casi la diagnosi di NET è giunta nella quinta decade di vita.

#### **D5. Indichi la sua età.**

<b>Opzioni di risposta</b>	<b>Risposte</b>	
<18 anni	<b>0.90%</b>	3
18-29	<b>3.59%</b>	12
30-39	<b>9.28%</b>	31
40-49	<b>17.07%</b>	57
50-59	<b>30.54%</b>	102
60-69	<b>27.54%</b>	92
≥70 anni	<b>11.08%</b>	37
<b>Totale</b>		<b>334</b>

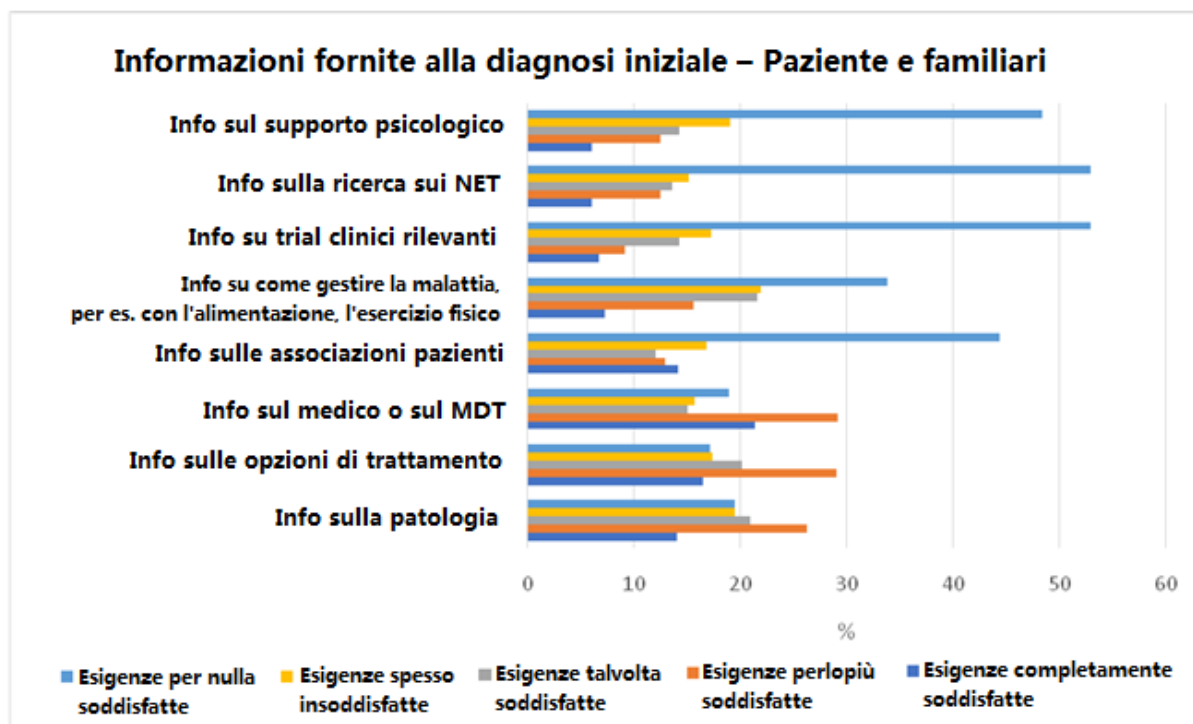
**D6. Indichi la sua età alla prima diagnosi di NET.**

<b>Opzioni di risposta</b>	<b>Risposte</b>	
<18 anni	<b>3.57%</b>	12
18-29	<b>7.14%</b>	24
30-39	<b>10.71%</b>	36
40-49	<b>22.92%</b>	77
50-59	<b>33.04%</b>	111
60-69	<b>19.64%</b>	66
≥70 anni	<b>2.98%</b>	10
<b>Totale</b>		<b>336</b>

## RISULTATI

### Necessità da soddisfare nella comunicazione di informazioni

La completezza delle informazioni ricevute dai pazienti al momento della diagnosi risulta essere molto variabile per quanto riguarda i dettagli essenziali fornite sulla patologia, sulle opzioni di trattamento e sul team medico o multidisciplinare.



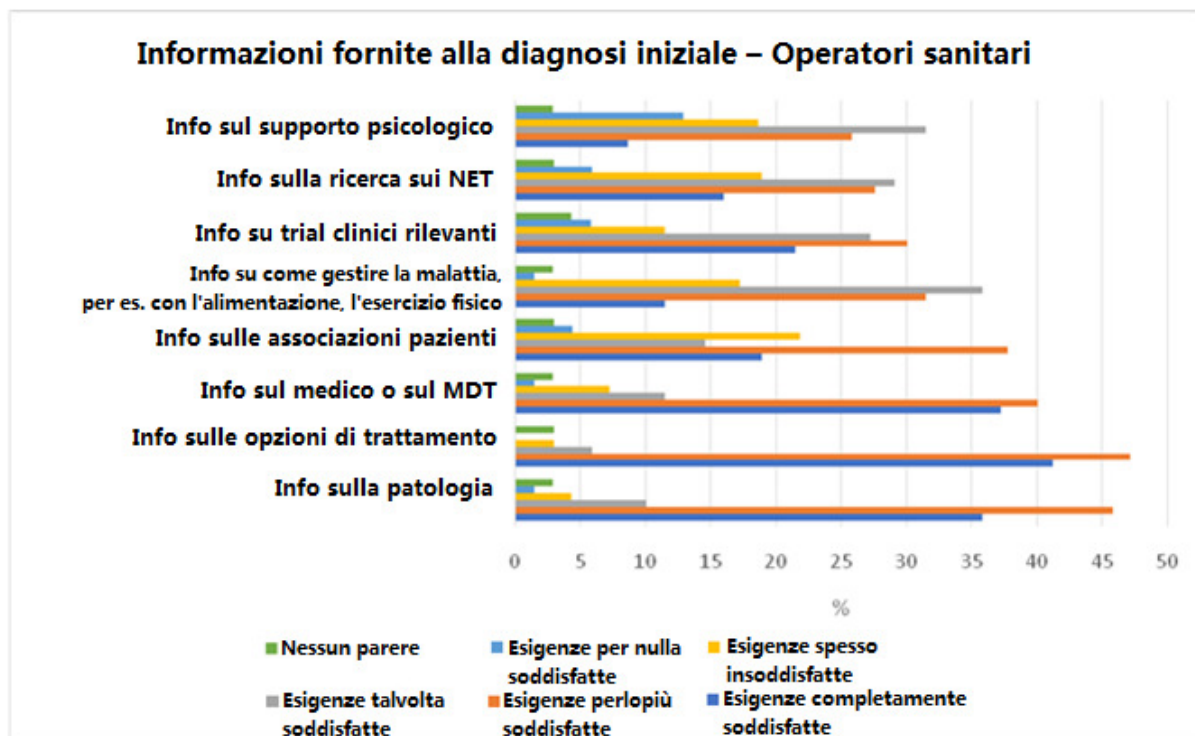
L'indagine ha evidenziato diverse aree di insoddisfazione rispetto alle informazioni ricevute dai pazienti alla diagnosi:

- informazioni su trial clinici rilevanti (53%)
- informazioni sulla ricerca sui NET (53%)
- informazioni in merito al supporto psicologico (48%)
- indirizzamento ad associazioni pazienti (44%)
- consigli su come gestire la patologia, per es. con l'alimentazione e l'esercizio fisico, controllo dei sintomi (34%).

Inoltre, solo il 16% dei pazienti ha risposto che le proprie richieste di informazioni per quanto riguarda le opzioni di trattamento sono state completamente soddisfatte alla diagnosi.

La prima risorsa per reperire ulteriori informazioni sulla patologia risulta essere stata la consultazione dei siti web delle associazioni pazienti, visitati dal 70% degli interpellati. Il 62% dei pazienti ritiene che questi siti siano stati in grado di soddisfare completamente o quasi le loro esigenze in termini di informazione. Anche i siti web per gli operatori sanitari come, ad esempio, quelli dell'ENETS (European Neuroendocrine Tumor Society) e della NANETS (North American Neuroendocrine Tumor Society) vengono ampiamente consultati: il 49% degli interpellati ha riferito di averli usati e poco più del 50% di essi ha dichiarato che queste fonti sono state in grado di soddisfare completamente o quasi le loro richieste di informazioni.

Per quanto riguarda il recepimento delle informazioni risulta chiaro, in tutte le categorie esaminate, la diversa percezione da parte dei pazienti rispetto ai professionisti sanitari. Ad esempio, quasi il 90% degli operatori interpellati hanno risposto di essere riusciti a rispondere completamente o quasi alle richieste di informazioni in merito alle opzioni terapeutiche a disposizione (confrontato con un poco più del 36% di soddisfazione da parte dei pazienti). Tuttavia, questo dato si riferisce al momento della diagnosi e, come risulta poi, il parere dei pazienti circa le informazioni fornite in corso di terapia diventa più positivo.



Le risposte all'affermazione "Ricevo tutte le informazioni e le spiegazioni necessarie sulla mia malattia e sulle possibili terapie" risultano così distribuite:

	Esigenze completamente soddisfatte	Esigenze perlopiù soddisfatte	Esigenze talvolta soddisfatte	Esigenze spesso insoddisfatte	Esigenze per nulla soddisfatte	Nessun parere
Rappresentante dei pazienti	0%	24%	38%	29%	6%	3%
Paziente e familiari	16%	34%	26%	12%	9%	3%

**D11. In quale misura le informazioni che hai cercato o richiesto hanno soddisfatto le tue esigenze?**

	Le mie esigenze sono state completamente soddisfatte	Le mie esigenze sono state perlopiù soddisfatte	Le mie esigenze sono state talvolta soddisfatte	Le mie esigenze sono state spesso insoddisfatte	Le mie esigenze non sono state per nulla soddisfatte	Non applicabile nel mio caso	Totale	Media ponderata
Sito web per operatori sanitari (per es. ENETS, NANETS, sito web di un ospedale)	11.97% 34	32.04% 91	31.96% 90	5.99% 17	5.63% 16	12.68% 36	284	0.44
Operatore sanitario o ospedale di cura – informazioni stampate	10.11% 27	17.98% 48	22.85% 61	13.86% 37	15.36% 41	19.85% 53	267	-0.08
Sito web di un'associazione pazienti	19.44% 56	42.01% 121	19.79% 57	6.60% 19	2.43% 7	9.72% 28	288	0.77
Associazione di pazienti – Informazioni stampate	18.36% 47	30.86% 79	17.19% 44	3.13% 8	4.69% 12	25.78% 66	256	0.74

**Necessità da soddisfare in relazione agli standard di cura**

Quando ai rappresentanti dei gruppi di pazienti è stato chiesto di esprimere il proprio parere in merito all'affermazione "Il sistema sanitario nel mio paese agevola uno standard di cura appropriato per i pazienti", il 41% degli interpellati ha indicato come risposta "esigenze completamente o perlopiù soddisfatte". Tuttavia, il 23,5% ha risposto "esigenze talvolta soddisfatte" e più del 32% ritiene che le esigenze relative agli standard di cura per i pazienti con NET non vengano soddisfatte (21% degli interpellati: "spesso non soddisfatte" e 12% degli interpellati: "per nulla soddisfatte").

I rappresentanti dei gruppi pazienti nutrono dubbi circa il supporto fornito dagli operatori sanitari ai pazienti in diverse importanti aree. Tra le perplessità più significative:

- il 65% ritiene che le esigenze di supporto per gestire la malattia tramite l'alimentazione, l'esercizio fisico e il controllo dei sintomi non vengano per nulla soddisfatte (12%) o spesso non vengano soddisfatte (53%)
- secondo il 76% degli interpellati, le esigenze di supporto psicologico spesso non vengono soddisfatte (38%) o non vengono per nulla soddisfatte (38%)
- le esigenze di trattamento di patologie mentali che vengono diagnosticate spesso non vengono soddisfatte (44%) o non vengono per nulla soddisfatte (27%).

Per il 94%, i rappresentanti dei gruppi pazienti interpellati hanno riferito che nella propria area sono attivi team multidisciplinari (MDT), e il 70% degli operatori sanitari ha indicato che l'assistenza è fornita dagli MDT (secondo un altro 20%, l'assistenza è fornita "talvolta" dagli MDT). Tuttavia, solo il 66% dei pazienti ha risposto che l'assistenza viene gestita da un team multidisciplinare. In questo caso, i contatti fra paziente e MDT hanno luogo solitamente ogni sei mesi.



**D14. Tralasciando le terapie specifiche per il NET, in quale misura ritiene che gli operatori sanitari siano in grado di sostenere la salute dei pazienti dal punto di vista delle seguenti necessità?**

	<b>Esigenze completamente soddisfatte</b>	<b>Esigenze perlopiù soddisfatte</b>	<b>Esigenze talvolta soddisfatte</b>	<b>Esigenze spesso insoddisfatte</b>	<b>Esigenze per nulla soddisfatte</b>	<b>Non so</b>	<b>Totale</b>	<b>Media ponderata</b>
Supporto psicologico	<b>2.94%</b> 1	<b>5.88%</b> 2	<b>8.82%</b> 3	<b>38.24%</b> 13	<b>38.24%</b> 13	<b>5.88%</b> 2	34	-1.09
Informazioni su come gestire la malattia, per es. con l'alimentazione e l'esercizio fisico, il controllo dei sintomi	<b>5.88%</b> 2	<b>11.76%</b> 4	<b>11.76%</b> 4	<b>52.94%</b> 18	<b>11.76%</b> 4	<b>5.88%</b> 2	34	-0.56
Diagnosi di malattie mentali	<b>2.94%</b> 1	<b>0.00%</b> 0	<b>11.76%</b> 4	<b>41.18%</b> 14	<b>35.29%</b> 12	<b>8.82%</b> 3	34	-1.16
Trattamento di malattie mentali diagnosticate	<b>2.94%</b> 1	<b>2.94%</b> 1	<b>8.82%</b> 3	<b>44.12%</b> 15	<b>26.47%</b> 9	<b>14.71%</b> 5	34	-1.03
Supporto con lavoro e/o educazione continua	<b>3.13%</b> 1	<b>12.50%</b> 4	<b>12.50%</b> 4	<b>34.38%</b> 11	<b>25.00%</b> 8	<b>12.50%</b> 4	32	-0.75
Terapia del dolore	<b>5.88%</b> 2	<b>41.18%</b> 14	<b>32.35%</b> 11	<b>8.82%</b> 3	<b>0.00%</b> 0	<b>11.76%</b> 4	34	0.50
Cura personale/igiene	<b>2.94%</b> 1	<b>5.88%</b> 2	<b>32.35%</b> 11	<b>29.41%</b> 10	<b>0.00%</b> 0	<b>29.41%</b> 10	34	-0.25
Cure palliative	<b>5.88%</b> 2	<b>35.29%</b> 12	<b>17.65%</b> 6	<b>23.53%</b> 8	<b>0.00%</b> 0	<b>17.65%</b> 6	34	0.29

**D19. Con quale frequenza ha contatti con i membri del suo team multidisciplinare?**

Opzioni di risposta	Risposte
Ogni settimana	<b>4.08%</b> 10
Ogni mese	<b>25.31%</b> 62
Ogni 3 mesi	<b>22.45%</b> 55
Ogni 6 mesi	<b>31.84%</b> 78
Una volta all'anno	<b>11.02%</b> 27
Meno regolarmente	<b>5.31%</b> 13
<b>Totale</b>	<b>245</b>

Limitatamente ai pazienti seguiti da un team multidisciplinare risulta che le esigenze di contatti appropriati e regolari con un operatore sanitario sono soddisfatte (completamente o quasi).

Interpellati	Esigenze completamente soddisfatte	Esigenze perlopiù soddisfatte	Esigenze talvolta soddisfatte	Esigenze spesso insoddisfatte	Esigenze per nulla soddisfatte	Nessun parere
Rappresentante di pazienti	9%	41%	26%	15%	3%	6%
Paziente e familiari	28%	38%	16%	8%	6%	4%
Operatore sanitario	20%	53%	9%	15%	3%	0%

Solo il 50% dei pazienti ha indicato di ritenere completamente o perlopiù soddisfatte le proprie necessità rispetto all'essere considerato a tutti gli effetti un partner del team medico nelle decisioni riguardanti il proprio percorso assistenziale.

**Necessità da soddisfare in relazione alle procedure diagnostiche e al trattamento**

L'accesso dei pazienti a tecnologie innovative è un problema annoso. L'indagine ha confermato che resta la convinzione per la quale una delle maggiori sfide riguarda l'accesso alla PET/TC con gallio 68-DOTATATE/DOTATOC.

*Esiste una tecnologia diagnostica adatta che non è disponibile?*

	Sì	No	Non so
Rappresentante di pazienti	54%	37%	9%
Paziente e familiari	24%	44%	32%
Operatore sanitario	59%	35%	6%

*Per le risposte “Sì”, le 3 sfide principali in termini di accesso sono:*

	1	2	3
Rappresentante di pazienti	PET/TC con gallio 68-DOTATATE (85%)	PET FDG (10%)	MIBG e TC (10%)
Paziente e familiari	PET/TC con gallio 68-DOTATATE (73%)	PET FDG (23%)	MIBG (18%)
Operatore sanitario	PET/TC con gallio 68-DOTATATE (86%)	PET FDG (36%)	MIBG (23%)

*Esiste un trattamento appropriato che non è disponibile?*

	Sì	No	Non so
Rappresentante di pazienti	63%	31%	6%
Paziente e familiari	24%	44%	32%
Operatore sanitario	65%	32%	3%

*Per le risposte “Sì”, le 3 sfide principali in termini di accesso sono:*

	1	2	3
Rappresentante di pazienti	PRRT (95%)	Test genetici/medicina di precisione (33%)	Trapianto (10%)
Paziente e familiari	PRRT (42%)	Test genetici/medicina di precisione (25%)	Intervento chirurgico (19%)
Operatore sanitario	PRRT (77%)	Trapianto (44%)	Test genetici/medicina di precisione (29%)

Quasi la metà (48%) di tutti i pazienti è stata costretta a percorrere oltre 300 km per sottoporsi a trattamento o fare un consulto da uno specialista di NET. Evidenze dimostrano che la distanza ha un impatto negativo sulla sopravvivenza globale dei pazienti NET<sup>iii</sup>.

### **Necessità da soddisfare in relazione alla ricerca**

Per quanto riguarda la ricerca, pazienti e operatori sanitari hanno differenti priorità: “una diagnosi più precoce e più accurata” è risultata essere al primo posto in ordine di importanza per i rappresentanti dei gruppi pazienti e per i pazienti e le loro famiglie e solo al terzo posto per gli operatori sanitari. L’esecuzione di trial clinici volti a migliorare i trattamenti correnti e a valutarne di nuovi costituisce, invece, la priorità numero uno per gli operatori sanitari, mentre si colloca solo al quinto posto per i pazienti e le loro famiglie.

Tutti i gruppi hanno attribuito grande importanza al ruolo della ricerca per il miglioramento della qualità di vita e per il controllo dei sintomi.

A ogni gruppo è stato chiesto di valutare le seguenti aree di ricerca in ordine di priorità, laddove 1 = più importante e 7 = meno importante.

Aree di ricerca prioritarie	Rappresentante di pazienti	Paziente e familiari	Operatore sanitario
Conoscenze scientifiche di base per comprendere cosa provoca lo sviluppo e la crescita dei tumori come strada per la scoperta di una cura	4	2	5
Ricerca di base o traslazionale per prolungare la sopravvivenza	5	4	4
Ricerca per migliorare la qualità di vita, il controllo/la gestione dei sintomi	3	3	2
Monitoraggio accurato, minimamente invasivo della malattia	7	6	6
Diagnosi più precoce e più accurata	1	1	3
Trial clinici per migliorare le terapie correnti, valutarne di nuove	2	5	1
Istituzione di registri di pazienti con NET, nazionali e internazionali	6	7	7

È emersa l'opinione condivisa che i pazienti non vengono coinvolti abbastanza nel disegno di ricerca.

*I pazienti vengono coinvolti abbastanza nel disegno di ricerca?*

	Sì	No	Nessun parere
Rappresentante di pazienti	3%	82%	15%
Paziente e familiari	10%	53%	37%
Operatore sanitario	23%	57%	20%

A ogni gruppo è stato chiesto di indicare le aree prioritarie per il coinvolgimento dei pazienti nella ricerca.

Rappresentanti di pazienti:

1. Porre la ricerca sui NET a pari livello della ricerca sulle principali forme di cancro
2. Trial clinici per migliorare le terapie correnti, valutazione di nuove terapie
3. Interpretare i risultati di un progetto di ricerca per far sì che i dati pubblicati siano comprensibili ai pazienti

### D30. Quanto è importante il coinvolgimento dei pazienti in specifici aspetti della ricerca?

	Molto importante	Piuttosto importante	Non molto importante	Per nulla importante	Nessun parere	Totale	Media ponderata
Strategia globale e direzione dei fondi di ricerca nel campo dei NET	<b>38.24%</b> 13	<b>52.94%</b> 18	<b>8.82%</b> 3	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	34	1.21
Progettazione di specifici progetti di ricerca	<b>35.29%</b> 12	<b>50.00%</b> 17	<b>14.71%</b> 5	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	34	1.06
Interpretare i risultati di un progetto di ricerca per far sì che i dati pubblicati siano comprensibili per i pazienti	<b>67.65%</b> 23	<b>29.41%</b> 10	<b>2.94%</b> 1	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	34	1.62
Definizione delle priorità della ricerca	<b>45.45%</b> 15	<b>39.39%</b> 13	<b>12.12%</b> 4	<b>0.00%</b> 0	<b>3.03%</b> 1	33	1.22
Porre la ricerca sui NET a pari livello della ricerca su altre principali forme di cancro	<b>73.53%</b> 25	<b>26.47%</b> 9	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	34	1.74
Trial clinici per migliorare le terapie correnti, valutarne di nuove	<b>73.53%</b> 25	<b>26.47%</b> 9	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	<b>0.00%</b> 0	34	1.74

#### Pazienti e familiari:

1. Trial clinici per migliorare le terapie correnti, valutazione di nuove terapie
2. Porre la ricerca sui NET a pari livello della ricerca sulle principali forme di cancro
3. Interpretare i risultati di un progetto di ricerca per far sì che i dati pubblicati siano comprensibili per i pazienti

### D31. Quanto è importante il coinvolgimento dei pazienti in specifici aspetti della ricerca?

	<b>Molto importante</b>	<b>Piuttosto importante</b>	<b>Non molto importante</b>	<b>Per nulla importante</b>	<b>Nessun parere</b>	<b>Totale</b>	<b>Media ponderata</b>
Strategia globale e direzione dei fondi di ricerca nel campo dei NET	<b>52.57%</b> 174	<b>29.91%</b> 99	<b>4.83%</b> 16	<b>2.11%</b> 7	<b>10.57%</b> 35	331	1.41
Progettazione di specifici progetti di ricerca	<b>46.48%</b> 152	<b>34.56%</b> 113	<b>7.34%</b> 24	<b>0.92%</b> 3	<b>10.70%</b> 35	327	1.33
Interpretare i risultati di un progetto di ricerca per far sì che i dati pubblicati siano comprensibili per i pazienti	<b>64.85%</b> 214	<b>25.45%</b> 84	<b>2.12%</b> 7	<b>0.30%</b> 1	<b>7.27%</b> 24	330	1.64
Definizione delle priorità della ricerca	<b>50.00%</b> 164	<b>34.76%</b> 114	<b>5.79%</b> 19	<b>0.61%</b> 2	<b>8.84%</b> 29	328	1.40
Porre la ricerca sui NET a pari livello della ricerca su altre principali forme di cancro	<b>74.10%</b> 246	<b>18.67%</b> 62	<b>1.81%</b> 6	<b>0.00%</b> 0	<b>5.42%</b> 18	332	1.75
Trial clinici per migliorare le terapie correnti, valutarne di nuove	<b>73.64%</b> 243	<b>20.91%</b> 69	<b>0.61%</b> 2	<b>0.00%</b> 0	<b>4.85%</b> 16	330	1.76

Operatori sanitari:

1. Porre la ricerca sui NET a pari livello della ricerca su altre principali forme di cancro
2. Trial clinici per migliorare le terapie correnti valutazione di nuove terapie
3. Strategia globale e indirizzare fondi di ricerca nel campo dei NET

**D25. Quanto è importante il coinvolgimento dei pazienti in specifici aspetti della ricerca?**

	<b>Molto importante</b>	<b>Piuttosto importante</b>	<b>Non molto importante</b>	<b>Per nulla importante</b>	<b>Nessun parere</b>	<b>Totale</b>	<b>Media ponderata</b>
Strategia globale e direzione dei fondi di ricerca nel campo dei NET	<b>34.29%</b> 24	<b>55.71%</b> 39	<b>7.14%</b> 5	<b>0.00%</b> 0	<b>2.86%</b> 2	70	1.21
Progettazione di specifici progetti di ricerca	<b>27.54%</b> 19	<b>52.17%</b> 36	<b>15.94%</b> 11	<b>0.00%</b> 0	<b>4.35%</b> 3	69	0.95
Interpretare i risultati di un progetto di ricerca per far sì che i dati pubblicati siano comprensibili per i pazienti	<b>26.09%</b> 18	<b>49.28%</b> 34	<b>21.74%</b> 15	<b>0.00%</b> 0	<b>2.90%</b> 2	69	0.82
Definizione delle priorità della ricerca	<b>27.54%</b> 19	<b>56.52%</b> 39	<b>11.59%</b> 8	<b>0.00%</b> 0	<b>4.35%</b> 0	69	1.05
Porre la ricerca sui NET a pari livello della ricerca su altre principali forme di cancro	<b>49.28%</b> 34	<b>44.93%</b> 31	<b>2.90%</b> 2	<b>0.00%</b> 0	<b>2.90%</b> 2	69	1.45
Trial clinici per migliorare le terapie correnti, valutarne di nuove	<b>36.23%</b> 25	<b>53.62%</b> 37	<b>7.25%</b> 5	<b>0.00%</b> 0	<b>2.90%</b> 2	69	1.22

## **Discussione**

### **Necessità da soddisfare in relazione alla comunicazione di informazioni**

Per un paziente che ha appena ricevuto una diagnosi di NET è cruciale avere accesso a informazioni di qualità nella propria lingua madre e che possano dargli una descrizione accurata dei fatti .. Un paziente informato può svolgere un ruolo molto più attivo nel proprio percorso terapeutico. Inoltre, grazie ad una maggiore conoscenza della malattia, dei sintomi e delle opzioni di trattamento disponibili nonché grazie alla possibilità di partecipare direttamente al processo decisionale, sarà possibile sostenerlo più efficacemente dal punto di vista sia emotivo che mentale.

Questa indagine ha evidenziato diverse aree in cui le esigenze dei pazienti di ricevere informazioni al momento della diagnosi non vengono soddisfatte, ad esempio in merito a trial clinici, alla ricerca sui NET, al supporto psicologico e ai consigli per gestire la patologia. I pazienti possono avere difficoltà ad accedere a informazioni attendibili, redatte nella propria lingua e rilevanti per il sistema sanitario cui afferiscono. Per la maggioranza dei pazienti sono le i gruppi di supporto che stanno colmando questa mancanza fondamentale. L'indagine ha evidenziato che, per la maggior parte, i pazienti (62%) ritengono che le proprie esigenze di informazioni vengano soddisfatte completamente o quasi da questi gruppi. Inoltre tutte le parti coinvolte dovrebbero collaborare allo sviluppo di metodi per aiutare i pazienti a comprendere e assimilare informazioni chiave sulla malattia e sulla sua gestione. INCA ritiene che tutto questo lavoro dei gruppi di supporto ai pazienti dovrebbe essere riconosciuto e supportato da sovvenzioni governative.

Benché le risposte degli operatori sanitari siano generalmente in linea con le opinioni espresse dai pazienti circa le aree più carenti di informazioni, diventano invece più positive rispetto a quanto comunicato alla diagnosi. Gli operatori sanitari devono acquisire maggiore consapevolezza di questa differente percezione ed avere maggiore attenzione alla necessità dei pazienti di ricevere informazioni chiare e precise in quei momenti. L'indagine ha inoltre indicato che gli operatori sanitari potrebbero impegnarsi maggiormente ad indirizzare i pazienti alle associazioni locali in grado di fornire loro supporto.

INCA e le organizzazioni pazienti attive a livello nazionale, in collaborazione con la comunità medica, possono svolgere un ruolo prezioso nel fare un quadro preciso delle necessità non corrisposte al momento della diagnosi. Gli operatori sanitari e i rappresentanti dei gruppi pazienti potrebbero così lavorare insieme e risolvere questa mancanza.

### **Necessità da soddisfare in relazione agli standard di cura**

Questa indagine ha evidenziato significative necessità insoddisfatte nella presa in carico "globale" del paziente e del trattamento. In particolare, sono state espresse perplessità quanto al supporto psicologico e ai consigli che riguardano lo stile di vita generale, come alimentazione, esercizio fisico e controllo dei sintomi. Lacune di questo genere possono essere risolte efficacemente dalla presenza di un team multidisciplinare "inclusivo" (MDT).

Nei casi in cui il percorso assistenziale viene gestito da un MDT, i pazienti riferiscono diversi benefici in ambiti importanti del trattamento. In un'indagine globale su pazienti con NET sono stati osservati miglioramenti rispetto a:<sup>iv</sup>:

- controllo dei sintomi
- desiderio di essere un partner attivo nel percorso di cura
- benessere generale
- conoscenza delle proprie condizioni.

L'indagine INCA ha evidenziato che, nonostante la presenza in di MDT, molti pazienti non vengono ancora trattati da team multidisciplinari, anche in paesi dove sono presenti. Una maggiore conoscenza dei benefici di questo tipo di approccio tra le professioni chiave, e soprattutto tra le specialità "in prima linea" come la gastroenterologia, l'oncologia e la pneumologia, faciliterebbe il percorso di indirizzamento agli MDT.



Alcuni MDT che si occupano di NET hanno riferito di progressi negli standard di cura grazie all'introduzione di infermieri specializzati in NET che possono dedicare più tempo al colloquio con i pazienti ed sono in grado di spiegare loro concetti medici difficili. I questionari dei pazienti NET<sup>v</sup> hanno evidenziato l'importanza della presenza di infermieri specializzati per la salute mentale e per il supporto che possono dare nel percorso di cura. Il valore aggiunto degli infermieri specializzati in NET per gli esiti del trattamento e per un'assistenza focalizzata sul paziente è attualmente scarsamente riconosciuto. Nei paesi dove è possibile conseguire la specializzazione infermieristica, si dovrebbe incentivare l'inclusione degli infermieri specializzati in NET negli MDT tramite il sistema di formazione medica e grazie alla disponibilità di budget dedicati.

Attualmente è concreta la possibilità di realizzare una collaborazione più stretta tra gli MDT e i gruppi di supporto pazienti NET. Gli MDT devono essere informati delle attività svolte dalle associazioni locali in modo da poter, a loro volta, segnalarle ai pazienti in modo appropriato. In effetti, sarebbe utile considerare i gruppi di supporto alla stregua di un'estensione degli MDT dal punto di vista dei legami che intrattengono con la comunità, per collaborare e per indirizzarsi vicendevolmente i pazienti.

Occorre un'azione concertata a livello nazionale e globale per promuovere gli MDT come un modello essenziale per la presa in carico assistenziale dei pazienti NET. Sono stati comunque compiuti progressi, in particolare in Europa dove ENETS certifica i centri di eccellenza per i NET. Per una reale integrazione nei percorsi terapeutici, questo concetto chiave deve essere dapprima riconosciuto e supportato e ritenuto rimborsabile, ed incluso nei sistemi assicurativi e sanitari nel mondo. I percorsi assistenziali variano da Paese a Paese e a seconda dei sistemi sanitari. È necessario definire un chiaro percorso per i NET che sia impostato e sostenuto dal sistema sanitario nazionale affinché tutti i pazienti (anche coloro che vivono in zone decentrate) possano avere la garanzia di accesso a un'assistenza specialistica.

### **Necessità da soddisfare in relazione alle innovazioni**

Gli operatori sanitari e i pazienti sono comprensibilmente "avid" di informazioni circa la disponibilità di nuovi trattamenti e nuove indicazioni per i NET. La disponibilità e lo scambio di informazioni tra operatori sanitari e pazienti in differenti paesi hanno reso più evidenti, e pertanto più controverse, le diseguaglianze.

Come risulta dall'indagine, per quanto riguarda l'accesso alle procedure diagnostiche, la possibilità di sottoporsi a PET/TC con gallio 68-DOTATATE/DOTATOC è considerata dai pazienti una delle maggiori problematiche. Sul fronte del trattamento, la terapia radiorecettoriale con peptidi radiomarcanti (PRRT) è risultata di gran lunga il più comune bisogno insoddisfatto. In tutti i Paesi che hanno partecipato all'indagine sono emerse necessità insoddisfatte in relazione alle tecnologie diagnostiche e di imaging come pure alle terapie, e alla possibilità di un accesso equo per tutti i pazienti NET che è sicuramente una delle sfide più importanti. In Paesi, come il Giappone, l'Australia e la Nuova Zelanda, che hanno compiuto progressi verso una disponibilità appropriata della PRRT, le campagne portate avanti dalle associazioni di pazienti sono state fondamentali.

In Paesi che hanno adottato processi formali di valutazione della tecnologia in ambito sanitario (HTA) purtroppo non è prevista alcuna consultazione con i rappresentanti dei pazienti nel processo teso a determinare l'accesso ai finanziamenti, e questo malgrado la grande rilevanza dei dati riferiti dai pazienti e da quelli socio-economici a riguardo. Il sistema di valutazione e approvazione di tecnologie innovative prevede, in genere, un confronto tra il nuovo trattamento, o la nuova procedura diagnostica, e lo standard esistente. Questo è un approccio compartimentalizzato anziché "a tutto tondo", che non tiene conto dell'impatto delle decisioni relative al percorso di cura sulla qualità di vita dei pazienti. Un aspetto particolarmente importante, se si considerano gli effetti indesiderati.

INCA ritiene che una cooperazione a livello globale tra le organizzazioni di pazienti NET e le comunità mediche possa far sentire maggiormente il proprio peso, in particolare per lo sviluppo di un'argomentazione convincente secondo la quale la tecnologia supporta una assistenza sanitaria migliore e più efficiente. I rappresentanti dei pazienti e delle comunità mediche devono lavorare insieme per ottenere che tutti abbiano accesso alle cure appropriate.

### **Necessità da soddisfare in relazione alla ricerca e ai trial clinici**

Come evidenziato dall'indagine, esiste consenso circa l'esigenza di un maggiore coinvolgimento dei pazienti nei programmi di ricerca sui NET. Per i pazienti e i rappresentanti dei gruppi pazienti sono state individuate le seguenti aree prioritarie:

- trial clinici per migliorare le terapie correnti e valutarne di nuove
- porre la ricerca sui NET a pari livello della ricerca sulle principali forme di cancro, e
- interpretare i risultati dei progetti di ricerca per far sì che i dati pubblicati siano comprensibili anche ai pazienti.
- A questo elenco gli operatori sanitari hanno aggiunto la strategia globale e indicazioni in merito al finanziamento della ricerca.

Questi dati definiscono una solida base di collaborazione tra le associazioni pazienti e la comunità medica per ottenere un maggiore coinvolgimento dei pazienti a livello individuale, strategico e di supporto.

Quando si tratta di definire la strategia e le priorità della ricerca, i pazienti non vengono di norma mai consultati, né dagli enti che erogano borse di ricerca (enti governativi o di ricerca) né dai ricercatori. Il confronto tra le professioni mediche coinvolte nella pianificazione e nella partecipazione alla ricerca è necessariamente complicato e presuppone conoscenze mediche specialistiche sui tumori neuroendocrini. Tuttavia, per facilitare il coinvolgimento diretto dei pazienti, si potrebbe ricorrere a consultazioni dirette, soprattutto per la scelta delle priorità di ricerca e la comunicazione successiva dei progressi compiuti alle comunità dei pazienti.

In questa indagine, i pazienti posti di fronte alla scelta tra differenti tipi di ricerca, hanno indicato in ordine di priorità: l'esigenza di giungere a una diagnosi più tempestiva e accurata dei NET, seguita dalla necessità della ricerca di base di individuare e controllare il tumore. Dall'altro punto di vista, quello degli operatori sanitari, gli studi clinici rappresentano la priorità principale, seguiti dalla ricerca per migliorare la qualità di vita e controllare i sintomi e, da ultimo, dalla ricerca di base. Queste esigenze potrebbero essere meglio soddisfatte instaurando una collaborazione più proficua che esplori sia le ragioni delle diverse prospettive che come affrontare al meglio la ricerca. Le differenze e le sovrapposizioni possono essere una ricca fonte di scambio tra queste comunità e creano forti alleanze utili per definire e supportare un programma di ricerca che possa far compiere ulteriori passi avanti rispetto ai progressi già compiuti, migliorando la vita dei pazienti in tutto il mondo.

I pazienti vogliono essere informati sugli studi clinici che li riguardano ai fini di un potenziale arruolamento e, allo stesso tempo, vogliono sapere se sono in corso studi su nuove e migliori terapie che in futuro potrebbero diventare disponibili. Mai come ora le informazioni sui trial clinici sono prontamente fruibili, basti pensare a [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov) negli Stati Uniti e al Registro europeo delle sperimentazioni cliniche (EU Clinical Trials Register), tuttavia non sono facilmente comprensibili per i pazienti.

INCA ritiene che un maggior coinvolgimento dei pazienti porterà maggiori benefici, ad esempio, in termini di:

- una migliore comprensione delle priorità dei pazienti e delle loro aspettative rispetto alla ricerca sui NET
- considerazione del paziente come singolo soggetto partecipante a una ricerca (speranze, timori, impatto sulla vita)
- una migliore comunicazione e comprensione dei programmi della ricerca, dei trial clinici e dei relativi risultati usando un linguaggio "alla portata di tutti"
- un'azione di promozione più efficace presso potenziali finanziatori (governi, organizzazioni no-profit e individui) ribadendo l'esigenza di trovare fondi per la ricerca sui NET
- una maggiore conoscenza dei trial clinici più importanti all'interno della comunità dei pazienti al fine di potenziare l'arruolamento e garantire ai pazienti una buona informazione sullo stato dei trattamenti in via di sviluppo.

Il presupposto fondamentale per giungere a un maggior coinvolgimento dei pazienti nella definizione delle priorità degli studi e nell'azione tesa a incrementare i fondi dedicati alla ricerca è la collaborazione tra i rappresentanti dei pazienti e responsabili clinici.

## **Riepilogo e direzione futura**

Benché incentrata sui punti di vista di un campione di pazienti informati e coinvolti e di medici operativi in ambito NET, questa valutazione multidimensionale sottolinea la presenza a tutt'oggi di importanti mancanze in merito alla necessità di informazione dei pazienti, alla garanzia di accesso ai massimi standard di cura e al loro coinvolgimento nella ricerca. In caso di pazienti e medici non direttamente a contatto con gruppi di pazienti e centri NET specializzati, il divario è, sicuramente, molto più ampio.

Ciò detto, questa valutazione indica che esiste una concreta possibilità che una collaborazione tra pazienti, responsabili di gruppi pazienti e di società mediche possa risolvere questi gap e garantire prospettive migliori al crescente numero di pazienti che ricevono una diagnosi di NET. Per riepilogare, sono state individuate numerose priorità che richiedono attenzione immediata e azioni coordinate. Queste esigenze sono:

- ✓ la necessità, per i responsabili dei gruppi di pazienti NET e per i loro caregiver, di lavorare insieme per "risolvere il gap di informazione" dando rispettivamente i propri riferimenti per garantire a pazienti e alle rispettive famiglie l'accesso a fonti valide e attendibili
- ✓ la necessità di collaborare per garantire maggiore supporto per la ricerca sui NET (alla pari delle più comuni forme di cancro) e per far sentire la voce dei pazienti sia nelle azioni di promozione sia nella definizione delle priorità di ricerca/disegno dei trial clinici
- ✓ la necessità di un'azione concertata per offrire ai pazienti con NET nel mondo uno standard globale per l'accesso all'assistenza, incluse le ultime tecnologie e gli strumenti diagnostici/terapeutici più avanzati
- ✓ la necessità di intensificare la collaborazione a livello globale per fornire ai pazienti informazioni sui trial clinici e la possibilità di prendervi parte
- ✓ la necessità di sensibilizzare maggiormente gli operatori sanitari, anche attraverso una formazione specialistica, al fine di facilitare la diagnosi e migliorare gli esiti
- ✓ la necessità di sensibilizzare maggiormente le professioni chiave, soprattutto gli specialisti "in prima linea", sui benefici di un approccio assistenziale MDT e sul ruolo degli infermieri specializzati in NET
- ✓ la necessità di assicurare una disponibilità di risorse/fondi ai gruppi di pazienti che danno fornire supporto e informazioni, tutto ciò per aiutare i pazienti a diventare partner attivi nel processo terapeutico.

---

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

<sup>ii</sup> Indagine globale INCA-Novartis su pazienti con NET

<sup>iii</sup> 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"

<sup>iv</sup> Indagine globale INCA-Novartis su pazienti con NET

<sup>v</sup> Indagine globale INCA-Novartis sui pazienti con NET e Indagine sull'esperienza dei pazienti di NET Patient Foundation