

*ESITI CLINICI: UN IMPEGNO ED UNA RESPONSABILITÀ CONDIVISI*



**10° CONGRESSO NAZIONALE  
SIFACT**

**24-26 NOVEMBRE 2022  
CENTRO CONGRESSI FONTANA DI  
TREVI  
ROMA**

**Misurare la percezione del paziente per  
migliorare i servizi: i patient reported outcomes  
(PROs)**

**Carlo Federici**

**SDA Bocconi**  
SCHOOL OF MANAGEMENT

## Patient reported outcomes (PROs)

- Definizione e utilizzo
- Misure generiche vs Misure specifiche
- Usi attuali e potenziali
- Disegnare e valutare una misura di PRO



# Patient-generated data

Demographics,  
medical history,  
biometric data

Patient-reported  
outcomes  
(PROs)

Patient-reported  
experience  
(PRE)

Patient-reported  
outcomes  
measures  
(PROMs)

Patient-reported  
experience  
measures (PREM)



# Patient-generated data

Demographics,  
medical history,  
biometric data

Patient-reported  
outcomes  
(PROs)

Un esito riferito dal paziente è definito come un'informazione sui risultati di un trattamento o un processo di assistenza sanitaria ottenuti direttamente dai pazienti senza modifiche da parte di medici o altri operatori sanitari.

Patient-reported  
outcomes  
measures  
(PROMs)

Strumenti utilizzati per misurare PRO. Questionari standardizzati, scale o punteggi completati dai pazienti per accertare la percezione del loro stato di salute, disabilità, qualità della vita in generale o in relazione a una malattia specifica.

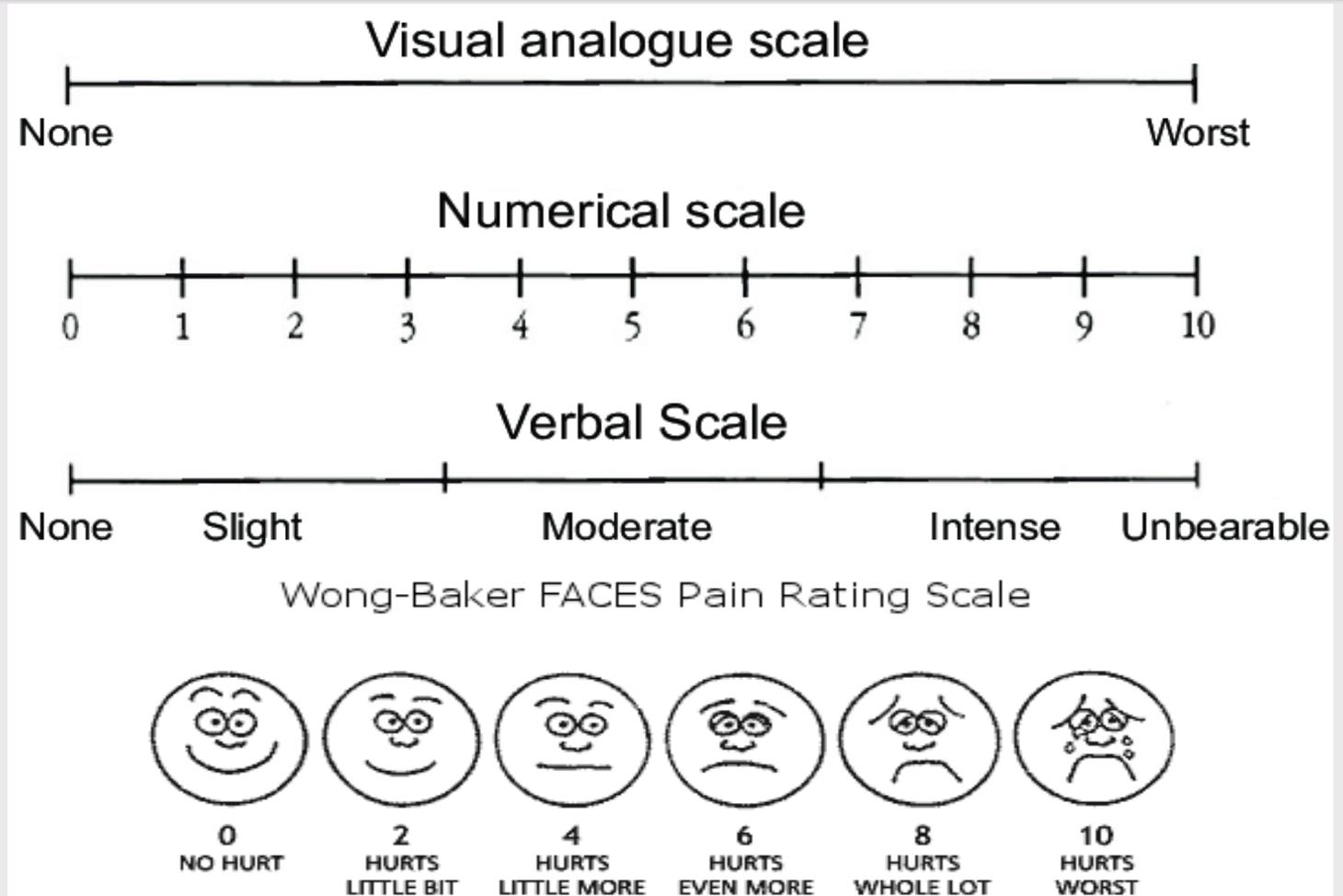


# UN ESEMPIO...

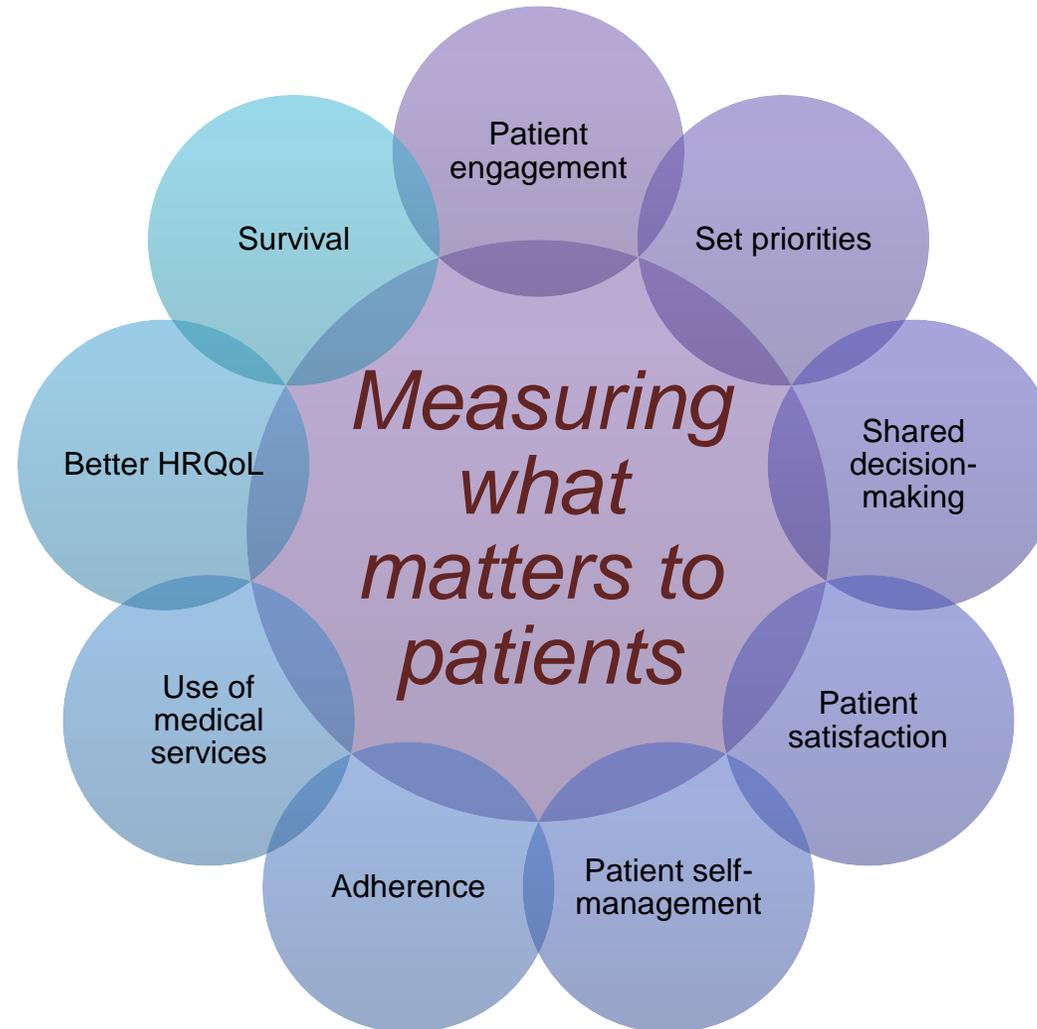
PRO

PROMs

Dolore



# PERCHÉ USIAMO I PROMS



**Università  
Bocconi**

**CERGAS**  
Centro di Ricerche sulla Gestione  
dell'Assistenza Sanitaria e Sociale

**SDA Bocconi**  
SCHOOL OF MANAGEMENT

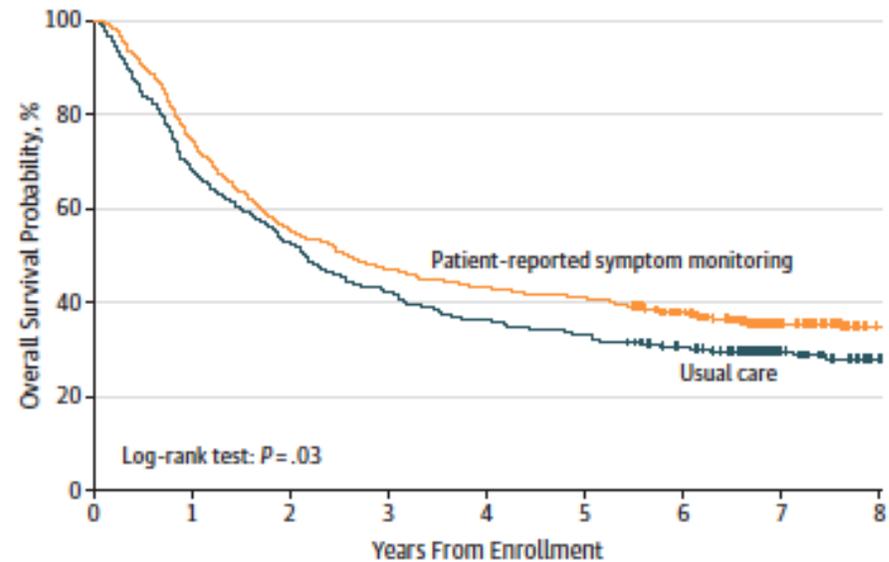
**RESEARCH LETTER**

# Overall Survival Results of a Trial Assessing Patient-Reported Outcomes for Symptom Monitoring During Routine Cancer Treatment

Symptoms are common among patients receiving treatment

for advanced cancers,<sup>1</sup> yet are undetected half the time.<sup>2</sup> There is growing interest in electronic patient-reported outcomes (PROs) in oncology practice for symptom monitoring, but demonstrating clinical benefit has been limited.

Figure. Overall Survival Among Patients With Metastatic Cancer Assigned to Electronic Patient-Reported Symptom Monitoring During Routine Chemotherapy vs Usual Care



No. at risk	0	1	2	3	4	5	6	7	8
Patient-reported symptom monitoring	441	331	244	207	190	181	148	65	33
Usual care	325	223	171	137	118	107	89	50	27



Università Bocconi

CERGAS  
Centro di Ricerche sulla Gestione dell'Assistenza Sanitaria e Sociale

# MISURE GENERICHE VS MISURE SPECIFICHE



# MISURE GENERICHE VS MISURE SPECIFICHE

## PROMs Generici

- misurano una varietà di aspetti rilevanti per la salute in generale o per un'ampia gamma di condizioni mediche

## PROMs Specifici

- consentono di esaminare i singoli aspetti di una malattia e il loro impatto sull'esito (e.g. CAP-SYM). Alcuni PROM sono specifici per sito, o per sintomo (e.g. FLI-Emesis).

# UN ESEMPIO DI PROM GENERICO

## The EuroQOL EQ-5D questionnaire

Under each heading, please tick the ONE box that best describes your health TODAY.

### MOBILITY

- I have no problems in walking about
- I have slight problems in walking about
- I have moderate problems in walking about
- I have severe problems in walking about
- I am unable to walk about
- Levels of perceived problems are coded as follows
- 1
- 2  Level = 2
- 3
- 4
- 5

### SELF-CARE

- I have no problems washing or dressing myself
- I have slight problems washing or dressing myself
- I have moderate problems washing or dressing myself
- I have severe problems washing or dressing myself
- I am unable to wash or dress myself
- 1  Level = 1
- 2
- 3
- 4
- 5

### PAIN / DISCOMFORT

- I have no pain or discomfort
- I have slight pain or discomfort
- I have moderate pain or discomfort
- I have severe pain or discomfort
- I have extreme pain or discomfort
- 1
- 2
- 3  Level = 3
- 4
- 5

### USUAL ACTIVITIES (e.g. work, study, housework, family or leisure activities)

- I have no problems doing my usual activities
- I have slight problems doing my usual activities
- I have moderate problems doing my usual activities
- I have severe problems doing my usual activities
- I am unable to do my usual activities
- 1  Level = 1
- 2
- 3
- 4
- 5

### ANXIETY / DEPRESSION

- I am not anxious or depressed
- I am slightly anxious or depressed
- I am moderately anxious or depressed
- I am severely anxious or depressed
- I am extremely anxious or depressed
- 1
- 2
- 3  Level = 4
- 4
- 5

Health state 21134



Università  
Bocconi

CERGAS  
Centro di Ricerche sulla Gestione  
dell'Assistenza Sanitaria e Sociale

SDA Bocconi  
SCHOOL OF MANAGEMENT

# UN ESEMPIO DI PROM SPECIFICO

## CAP-SYM - PROM PER POLMONITE ACQUISITA IN COMUNITÀ –

	Patient did not have the symptom/problem	Patient had the symptom/problem and it bothered him/her...				
		Not at all	A little	Moderately	Quite a bit	Extremely
*1. Coughing?	0	1	2	3	4	5
*2. Chest pains?	0	1	2	3	4	5
*3. Shortness of breath?	0	1	2	3	4	5
4. Coughing up phlegm/sputum (secretion from the chest)?	0	1	2	3	4	5
5. Coughing up blood?	0	1	2	3	4	5
*6. Sweating?	0	1	2	3	4	5
*7. Chills?	0	1	2	3	4	5
*8. Headache?	0	1	2	3	4	5
*9. Nausea?	0	1	2	3	4	5
10. Vomiting?	0	1	2	3	4	5
11. Diarrhea?	0	1	2	3	4	5
12. Stomach pain?	0	1	2	3	4	5
*13. Muscle pain?	0	1	2	3	4	5
*14. Lack of appetite?	0	1	2	3	4	5
*15. Trouble concentrating?	0	1	2	3	4	5
16. Trouble thinking?	0	1	2	3	4	5
*17. Trouble sleeping?	0	1	2	3	4	5
*18. Fatigue?	0	1	2	3	4	5



Università  
Bocconi

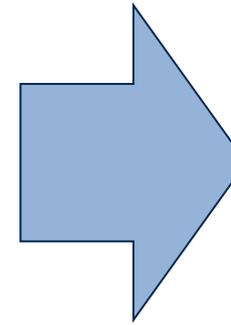
CERGAS  
Centro di Ricerche sulla Gestione  
dell'Assistenza Sanitaria e Sociale

SDA Bocconi  
SCHOOL OF MANAGEMENT

# Patient-reported outcome measures in community-acquired pneumonia: a systematic review of application and content validity

Melanie Lloyd,<sup>1,2</sup> Emily Callander,<sup>3</sup> Amalia Karahalios,<sup>4</sup> Lucy Desmond,<sup>5</sup> Harin Karunajeewa<sup>1,5</sup>

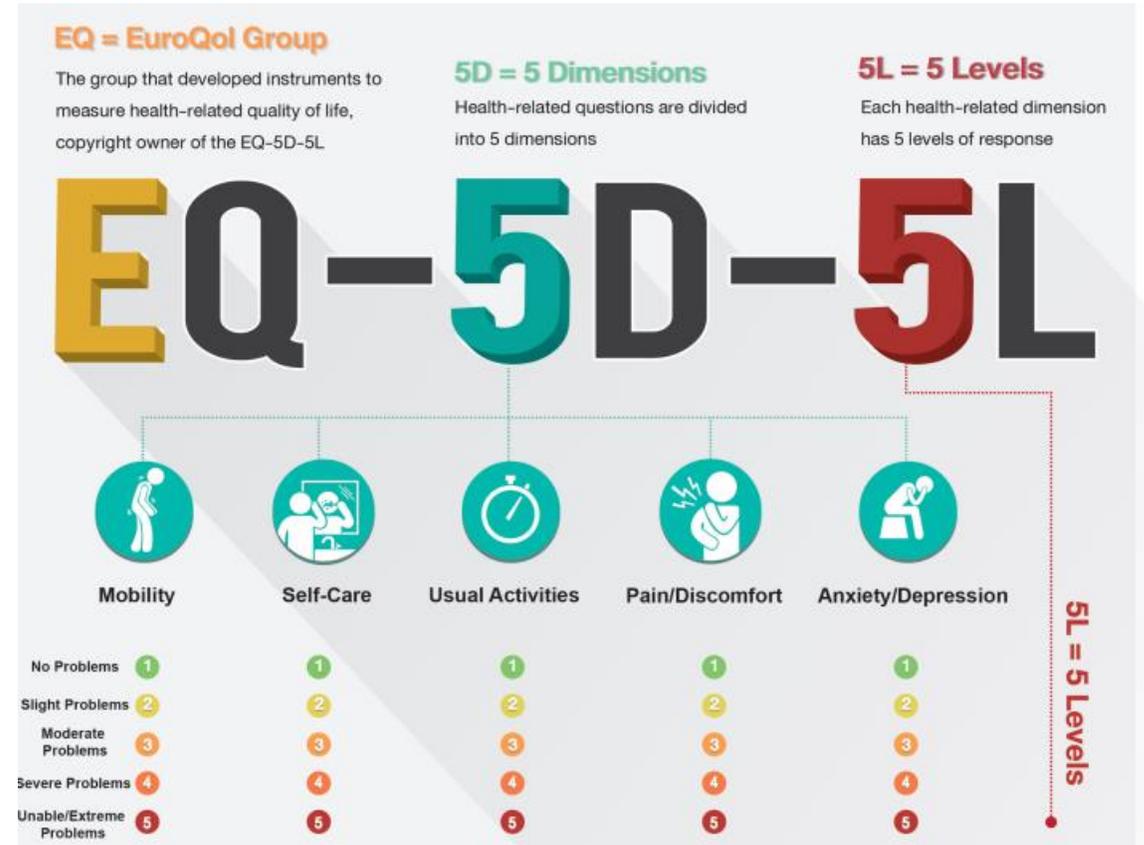
- Diversi strumenti utilizzati per misurare gli esiti dei pazienti
- Spesso difficoltà di confronto tra studi diversi che utilizzano strumenti diversi
- **Generici VS Specifici. Quale strumento è migliore?**



Instrument	Number of articles
<b>CAP specific</b>	
CAP-Sym	5
CAP-BIQ	1
CAP Score	5
Metlay Score 1	3
Metlay Score 2	1
<b>Respiratory specific</b>	
LCQ	1
MRC scale	1
<b>Functional performance</b>	
Barthel Index	5
Lawton ADL Index	1
Katz Index	3
ECOG	1
<b>Generic</b>	
SF-36	15
SF-12	4
SF-8	1
EQ-5D	5
Sickness impact profile	1
WHOQOL-BREF	1

# PROMS GENERICI VS SPECIFICI

- I PROMS specifici si limitano spesso a *misurare* un solo aspetto o dominio, ma più in profondità
- I PROMS generici oltre alla misurazione di uno stato di salute, permettono di *valutare* quello stato di salute sulla base delle **preferenze** espresse dai pazienti o dalla popolazione in generale.
- Permettono cioè di calcolare un indice sulla *qualità della vita*
- Strumenti molto più utili ai fini delle valutazioni di HTA e delle analisi di costo-



# ESEMPIO DI PESI DI UTILITÀ

TABLE 2 An EQ-5D-5L value set for England

	Central estimate <sup>a</sup>	Value for health state 23245
Constant	1.000	1.000
Mobility		
Slight	0.058	0.058
Moderate	0.076	
Severe	0.207	
Unable	0.274	
Self-care		
Slight	0.050	
Moderate	0.080	0.080
Severe	0.164	
Unable	0.203	
Usual activities		
Slight	0.050	0.050
Moderate	0.063	
Severe	0.162	
Unable	0.184	
Pain/discomfort		
Slight	0.063	
Moderate	0.084	
Severe	0.276	0.276
Extreme	0.335	
Anxiety/depression		
Slight	0.078	
Moderate	0.104	
Severe	0.285	
Extreme	0.289	0.289
The value for health state 23245	$1 - (0.058 + 0.080 + 0.050 + 0.276 + 0.289)$	<b>0.289</b> <b>= 0.247</b>

- Lievi difficoltà nel camminare
- Moderate difficoltà nel lavarsi o vestirsi
- Lievi difficoltà nello svolgere attività abituali
- Grave dolore o fastidio
- Estrema ansia o depressione



## Usi attuali e benefici attesi da stakeholders diversi



# USI ATTUALI E BENEFICI ATTESI DA STAKEHOLDERS DIVERSI

## Livello paziente

- Cure personalizzate e *self management* (eg gestione del dolore per artrite rem.)
- Screening/identificazione precoce (eg IAPT)
- Ridurre accessi indesiderati (eg Ambuflex telePRO)
- Informare la scelta dei provider (eg NHS PROMs)
- Prognosi individuale (eg MSIS-29)

## Livello popolazione

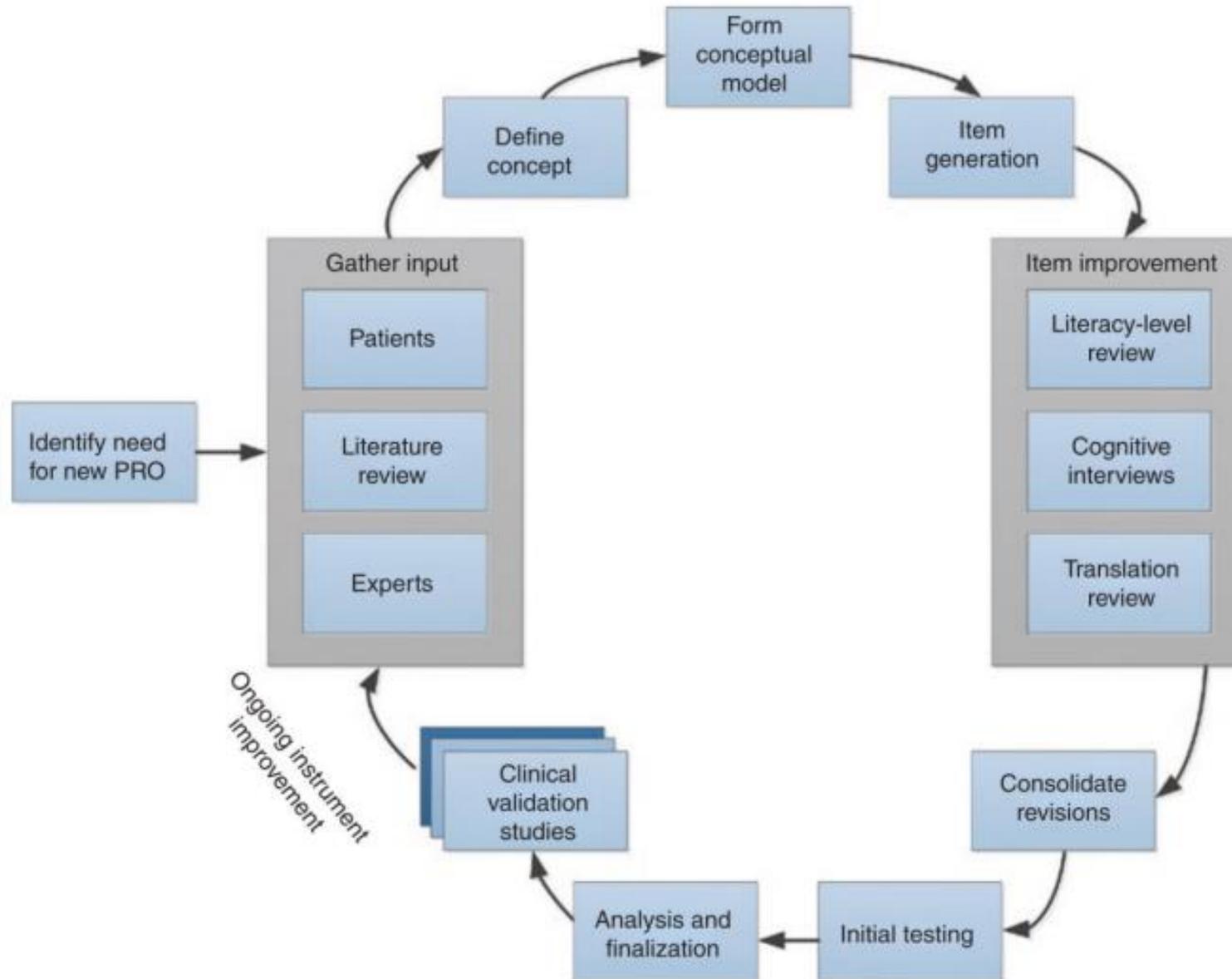
- Sviluppo linee-guida
- Indicazioni di appropriatezza
- Vigilanza/sicurezza
- Audit/benchmarking (eg English Heavy Menstrual Bleeding Audit)
- Pay for performance (eg QOF)
- Drug development/licensing
- HTA e rimborso



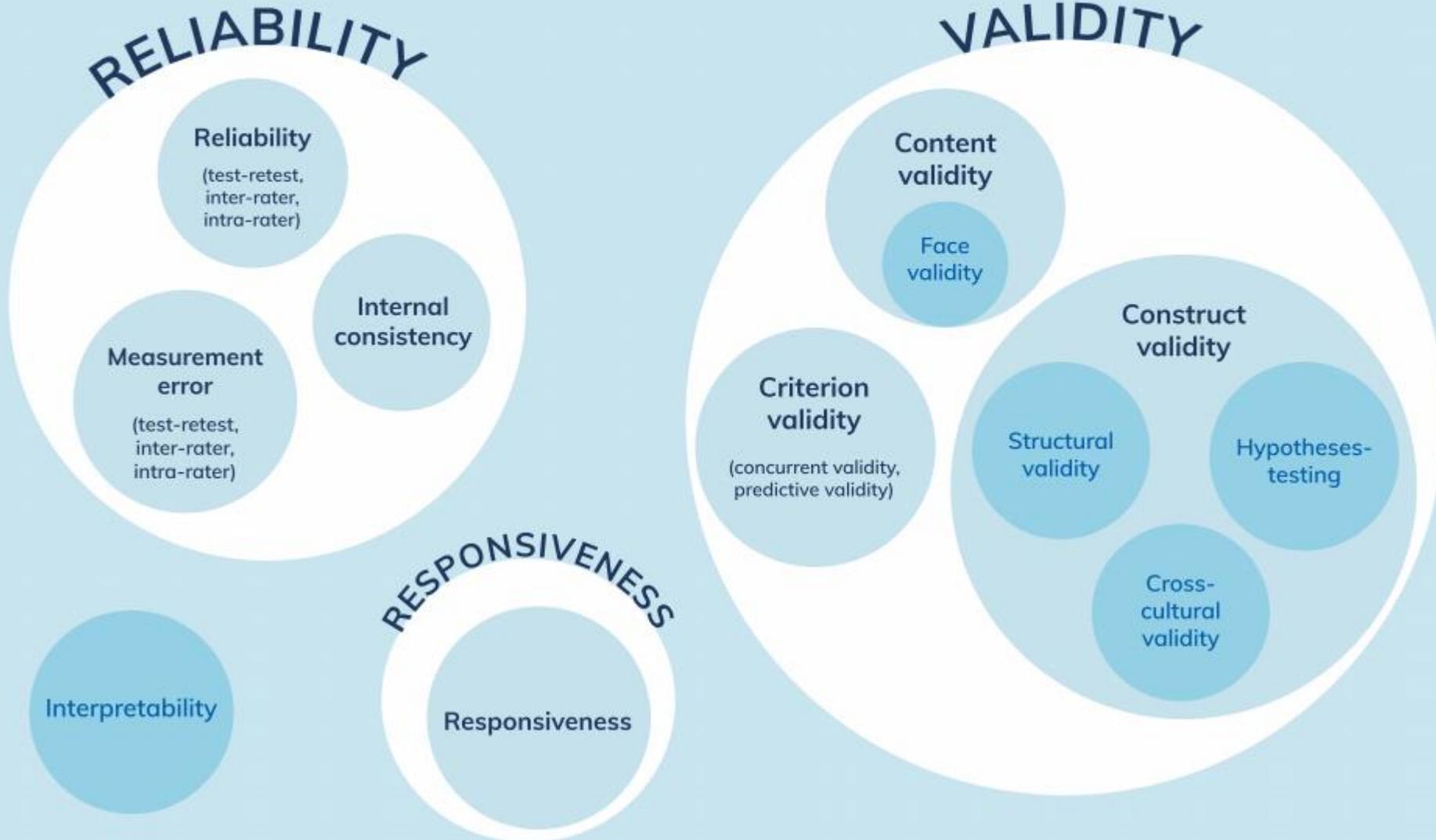
## Disegnare e valutare un una misura di PRO



# DISEGNARE UN PROM



# Measurement Properties of Outcome Measurement Instruments



# WHAT'S NEXT FOR PROMS?

*"L'era compiuta dei big-data e dell'intelligenza artificiale renderà possibile la conversione in formato standardizzato di PRO raccolti in real-time sulla base dell'elaborazione di dialoghi in linguaggio naturale e permetterà di integrare le informazioni con EHR, dati biometrici, altri database e sorgenti di dati da usare per fare ricerca ed erogare servizi sanitari basati su valori, preferenze e aspettative dei pazienti"*



- La prospettiva dei pazienti è sempre di più tenuta in considerazione nei processi decisionali afferenti a diversi ambiti dalla pratica clinica ai processi regolatori e di HTA
- I PROMs sono strumenti validati disegnati per raccogliere dati sulla percezione dei pazienti riguardo alla gravità dei sintomi di una condizione, le limitazioni funzionali e la qualità della vita.
- L'evidenza mostra che i PROMs possono migliorare gli esiti di salute o ridurre i costi sanitari
- Esistono diversi tipi di PROMs (generici vs specifici, survey-based o web-based ecc.)
- La adeguatezza di un PROM deve essere valutata e validata in relazione allo scopo per cui lo strumento viene usato e la popolazione in cui viene usato.
- I PROMs devono essere *testati* dal punto di vista della affidabilità, validità e sensibilità in relazione allo scopo per cui vengono usati e alla popolazione target



**[carlo.federici@unibocconi.it](mailto:carlo.federici@unibocconi.it)**

# WORKSHOP – DISEGNARE UN PRO DA IMPLEMENTARE IN UNA ATTIVITÀ DELLA FARMACIA OSPEDALIERA

**Obiettivo:** individuare in che modo l'utilizzo di un PROM potrebbe integrare l'evidenza clinica su un farmaco, includendo altri aspetti rilevanti per il paziente.

## Spunti di discussione per ciascuno gruppo di lavoro:

- Cosa misurare - Quali dimensioni di valore (domini) hanno rilevanza per il paziente?
- Come misurare - Una volta identificate, come misurare queste dimensioni? E.g., usando un PROM specifico su un sintomo o uno stato di salute oppure un PROM generico? Quali items dimensioni?

## Processo:

- Discussione tra i membri del gruppo
- Ricerca in letteratura su PROM esistenti (<https://www.cosmin.nl/>) o eventualmente proposta di un nuovo PROM
- 5 minuti di presentazione sui risultati

Gruppo 1:  
[urly.it/3qaby](http://urly.it/3qaby)

Gruppo 2:  
[urly.it/3qabx](http://urly.it/3qabx)

Gruppo 3  
[urly.it/3qabw](http://urly.it/3qabw)



Università  
Bocconi

CERGAS  
Centro di Ricerche sulla Gestione  
dell'Assistenza Sanitaria e Sociale

SDA Bocconi  
SCHOOL OF MANAGEMENT

**GRUPPO 1: formulazioni long-lasting per il trattamento del HIV**

Impatto sulla qualità della vita relativo alla differente posologia delle nuove terapie antiretrovirali

**GRUPPO 2: Abemaciclib in fase adiuvante nel carcinoma mammario ormone sensibile**

Trade off tra maggiore efficacia e alta incidenza eventi avversi rispetto a terapia standard

**GRUPPO 3: Ravulizumab per Emoglobinuria Paraossistica Notturna (EPN)**

Valutazione dei sintomi oltre al maggior rischio di trombosi e morte.





## COSMIN helps you select the most suitable outcome measurement instruments

COSMIN aims to improve the selection of outcome measurement instruments both in research and in clinical practice by developing methodology and practical tools for selecting the most suitable outcome measurement instrument.

Make your research better

You can use our tools to improve the way you do research and the trustworthiness of your results.

LET US HELP YOU FIND THE RIGHT TOOL

## What are you working on?

To find the right tool for your research, tell us what you are working on:

- > I'm deciding what to measure
- > I'm looking for available outcome measurement instruments
- > I want to select the most suitable outcome measurement instrument
- > I'm conducting a study on measurement properties
- > I'm conducting a systematic review of outcome measurement instruments
- > I'm developing a Core Outcome Set

<https://www.cosmin.nl/>



Università  
Bocconi

CERGAS  
Centro di Ricerche sulla Gestione  
dell'Assistenza Sanitaria e Sociale

SDA Bocconi  
SCHOOL OF MANAGEMENT

A-Z

### COSMIN Taxonomy

Get the definition of your measurement properties clear with our consensus-based taxonomy of measurement properties.

USE THIS TOOL >



### Database of Systematic Reviews

Save time searching for the best available outcome measurement instruments with our database of systematic reviews of outcome measurement instruments.

USE THIS TOOL >



### Checklists for Assessing Study Qualities

Use one of our checklists for assessing the methodological quality of a study on measurement properties.

USE THIS TOOL >



### Search Filters

Identify all relevant studies in PubMed and Embase on measurement properties effectively with our search filters.

USE THIS TOOL >



### Guideline for Conducting Systematic Reviews

A 10-step procedure to help you conduct your systematic review of outcome measurement instruments.

USE THIS TOOL >



### Guideline for selecting outcome measurement instruments in a Core Outcome Set

Improve your COS development with our systematic and consensus-based guidance.

USE THIS TOOL >

<https://www.cosmin.nl/>



**Università  
Bocconi**

**CERGAS**  
Centro di Ricerche sulla Gestione  
dell'Assistenza Sanitaria e Sociale

**SDA Bocconi**  
SCHOOL OF MANAGEMENT