

Esiti riferiti dal paziente

Patient reported outcome

Concetti, metodi, strumenti



Valutazione e sviluppo
dell'assistenza e dei servizi

Esiti riferiti dal paziente

Patient reported outcome

Concetti, metodi, strumenti

Il presente rapporto è stato elaborato da

Stefania Rodella

Davide Botturi

Agenzia sanitaria e sociale regionale dell'Emilia-Romagna

Progetto CCM (anno 2009) "Valutazione della performance: programma di Valutazione delle decisioni e delle attività delle strutture sanitarie" - "Definire un metodo di rilevazione degli esiti riferiti dai pazienti"

Obiettivo n. 6 "Sviluppo di apposito questionario per la misura degli esiti riferiti dal paziente. Stesura e pubblicazione di un rapporto contenente i risultati del programma"

Unità operativa 6 Agenzia sanitaria e sociale regionale dell'Emilia-Romagna

La collana Dossier è curata dall'Area di programma Sviluppo delle professionalità per l'assistenza e la salute dell'Agenzia sanitaria e sociale regionale dell'Emilia-Romagna

responsabile Corrado Ruozì

redazione e impaginazione Federica Sarti

Stampa Regione Emilia-Romagna, Bologna, aprile 2014

Copia del volume può essere richiesta a

Federica Sarti - Agenzia sanitaria e sociale regionale dell'Emilia-Romagna

viale Aldo Moro 21 - 40127 Bologna

e-mail fsarti@regione.emilia-romagna.it

oppure può essere scaricata dal sito Internet

http://asr.regione.emilia-romagna.it/wcm/asr/collana_dossier/doss238.htm

Chiunque è autorizzato per fini informativi, di studio o didattici, a utilizzare e duplicare i contenuti di questa pubblicazione, purché sia citata la fonte.

Indice

Sommario	5
<i>Abstract</i>	6
Premessa	7
1. Il concetto di "esiti riferiti dal paziente"	9
1.1. Introduzione	9
1.2. La <i>patient-centredness</i>	10
Alle radici del concetto	
Definizioni: evoluzione, elementi traccianti, approfondimento	
Una dimensione internazionale della qualità dell'assistenza	
1.3. L'esperienza e la soddisfazione del paziente	20
1.4. Esiti riferiti dal paziente	24
Alle radici del termine	
Definizioni: evoluzione, elementi traccianti	
Alcune classificazioni internazionali dei costrutti	
<i>Health-related quality of life</i>	
1.5. Considerazioni conclusive	37
2. Strumenti e misure	39
2.1. Introduzione	39
2.2. Caratteristiche generali degli strumenti	40
2.3. Classificazione delle misure	42
2.4. Analisi di due strumenti: <i>item, scoring system</i> , utilizzo	44
EQ-5D	
Oxford Knee Score	
2.5. Considerazioni metodologiche	52

(continua)

3. Confronto tra due esperienze internazionali: Regno Unito e Stati Uniti	57
3.1. Introduzione	57
3.2. Finalità dichiarate e avvio	60
NHS PROMs Programme (UK)	
Patient-Reported Outcome Measurement Information System (USA)	
3.3. Tappe essenziali della misurazione	64
Quali aree e misure	
Il processo di raccolta e analisi dei dati	
Risultati	
3.4. Gli sviluppi dichiarati	77
3.5. Sfide, criticità e questioni aperte nell'uso per la misurazione delle performance	79
4. Uno sguardo alle esperienze e agli studi italiani	85
Conclusioni	89
Bibliografia e sitografia di riferimento	93

Sommario

Il presente report organizza criticamente conoscenze ed esperienze sul tema degli "esiti riferiti dal paziente" (*patient-reported outcomes*), con l'obiettivo di rendere disponibile uno strumento in grado di orientare coloro che si avvicinano per la prima volta a questo campo di ricerca, valutazione e intervento. Il volume è il frutto di una ricognizione bibliografica e sitografica degli ultimi due decenni, e si articola in quattro Capitoli.

Nel Capitolo 1 viene proposta una cornice teorica - la *patient-centredness* - entro cui collocare il concetto di "esiti riferiti dal paziente", e sono analizzate le sue origini e definizioni.

Nel secondo vengono illustrate le caratteristiche degli strumenti e delle misure per la rilevazione degli esiti riferiti dai pazienti, classificabili, in accordo con la letteratura internazionale, in due categorie: generali e specifiche. Come esempio di queste categorie, vengono analizzati due strumenti: l'EQ-5D, una misura generale, e l'Oxford Knee Score, una misura specifica. La sezione conclusiva sintetizza i principali approcci e criteri per la selezione del questionario.

Nel terzo Capitolo si concentra l'attenzione su due esperienze internazionali, il NHS Patient-Reported Outcome Measures Programme nel Regno Unito e il Patient-Reported Outcome Measurement Information System negli Stati Uniti, rappresentative di due distinti ambiti di applicazione delle misure di esito riferito dal paziente. Nell'esperienza inglese queste misure vengono utilizzate per la valutazione della qualità dell'assistenza, mentre nell'esperienza americana servono per la ricerca clinica ed epidemiologica, e per la valutazione comparata di efficacia. Nell'ultima parte vengono proposte alcune riflessioni sulle sfide, interne ed esterne alle organizzazioni sanitarie, legate all'utilizzo delle misure di esito riferito dal paziente per la valutazione della qualità dell'assistenza.

Nel quarto e ultimo Capitolo vengono sinteticamente descritte le esperienze e le pubblicazioni italiane più esplicite e meglio definite rispetto al tema dei *patient-reported outcomes*, tra cui figura il gruppo di studio Patient-Reported Outcomes MOving Toward Evidence (PROMOTE) del Dipartimento del farmaco presso l'Istituto superiore di sanità.

Le Conclusioni pongono una serie di interrogativi riguardo alla fattibilità di una eventuale traduzione in pratica nelle organizzazioni sanitarie della valutazione della qualità dell'assistenza basata su misure di esito riferito dal paziente, evidenziando la cultura dei professionisti, dei *policymaker* e dei pazienti come uno dei principali nodi da tenere in considerazione.

Abstract

Patient-reported outcome(s) (PROs). Concepts, methods, tools

The report collects and critically organizes information and experiences related to "patient-reported outcomes" issue, with the aim of preparing a tool for those who for the first time approach this field of research, assessment and intervention. The work is the result of an overview on international scientific references and websites covering the last two decades, and it is structured into four Chapters.

The first one proposes a theoretical framework, the "patient-centredness", within which the concept of "patient-reported outcomes" can be placed, and an analysis of its origins and definitions.

The second Chapter illustrates the patient-reported outcome tools and measures, that the international literature classifies into two broad categories. As examples of these categories, two instruments are analyzed: the EQ-5D, a general measure, and the Oxford Knee Score, a specific one. The concluding section summarizes the main approaches and criteria for selecting the questionnaire.

The third Chapter focuses on two international experiences, the NHS Patient-Reported Outcome Measures Programme in the United Kingdom and the Patient-Reported Outcomes Measurement Information System in the United States, representing two different ways of application of patient-reported outcome measures. In the United Kingdom experience these measures are used for healthcare quality assessment, whereas in the United States experience they are used for the research, clinical, epidemiological, and comparative effectiveness research. The last section proposes some reflections on the challenges, both internal and external to healthcare organizations, related to the use of patient-reported outcome measures in the healthcare quality assessment.

The fourth and final Chapter briefly describes the most explicit and clearly defined Italian experiences and publications on patient-reported outcomes, among which there is the study group Moving Toward Patient Reported Outcomes Evidence (PROMOTE) of the Drug Department within the Istituto superiore di sanità.

The Conclusions raise a series of questions about the feasibility of a translation of a quality assessment based on patient-reported outcome measures into healthcare organizations' practice, highlighting professionals', policymakers', and patients' culture as one of the main issues to take into consideration.

Premessa

Il presente report propone un inquadramento concettuale e una sintesi di esperienze esemplificative sul tema degli esiti riferiti dai pazienti (*patient-reported outcomes*), adottando alcune chiavi di lettura generali e specifiche.

Innanzitutto è sembrato opportuno collocare il tema *patient-reported outcome(s)* (PROs) in un quadro concettuale più generale che ha visto evolversi, negli ultimi vent'anni (finalmente, potremmo dire), l'attenzione a ruolo, contributi, richieste, esigenze, esperienze, opinioni, giudizi dei pazienti, in una parola al punto di vista delle persone che utilizzano i servizi sanitari; a beneficio e a tutela di queste persone, dopo tutto, l'intera architettura dei sistemi sanitari è nata e si è sviluppata in tutti i Paesi; così come alle stesse persone, in ultima analisi, gli stessi sistemi sono tenuti a rendere conto.

Questo sguardo di insieme facilita la comprensione di significato, utilità (e anche limiti) dei PROs e allarga la prospettiva a una produzione scientifica estesa, che attinge a diverse discipline: epidemiologia, psicologia, scienze sociali, politica sanitaria, scienze giuridiche. Gli orientamenti espressi dai lavori pubblicati, in termini di concetti, costrutti e principi guida, sono apparentemente assai variegati e articolati ma nella sostanza non di rado sovrapponibili o comunque tra loro interconnessi; complessivamente, la letteratura analizzata esprime comunque un certo grado di indefinitezza e abbraccia ambiti di interesse molto ampi, dalla *patient-centredness care* alla *responsiveness*, alla *patient-focused hospital care*, ecc.; non tutti questi ambiti sono stati oggetto di approfondimento in questo report, ma è tuttavia opportuno menzionarli.

È sembrato utile inoltre concentrare l'attenzione sulle esperienze di due Paesi - Stati Uniti e Regno Unito - rispettivamente esemplificative di due diverse "identità" dei PROs, l'una rivolta alla popolazione e alla comunità, l'altra ai pazienti effettivamente presi in carico dai servizi sanitari. Ciascuna prospettiva delimita peraltro un insieme complesso di problemi inerenti la misurazione degli esiti riferiti dai pazienti (quali domini indagare, quali strumenti utilizzare, quali tecniche statistiche adottare per trattare la soggettività ed eliminare le distorsioni) e fa emergere l'area tematica, a connotazione più strettamente metodologica e operativa, delle misure, le cosiddette *patient-reported outcome measures* (PROMs).

Un focus è stato fatto anche sull'Italia per comprenderne il livello attuale di attenzione sul tema e per identificare i principali gruppi di ricerca coinvolti.

In definitiva, il report si propone come una sintesi ragionata di quanto è oggi conosciuto e applicato in tema di esiti riferiti dai pazienti e relative misure, una sorta di mappa che possa aiutare il lettore interessato ad orientarsi in un mondo vasto e dai confini sfumati, a "navigare" attraverso trattazioni riconducibili a diversi ambiti professionali e scientifici; inoltre, il report intende offrire, anche attraverso riferimenti bibliografici puntuali e specifici, una traccia utile ad affrontare i problemi che sottendono la realizzazione pratica di un'indagine, dall'identificazione dei domini di interesse alla costruzione di un questionario, all'interpretazione dei dati raccolti.

1. Il concetto di “esiti riferiti dal paziente”

1.1. Introduzione

In questo Capitolo si offre un inquadramento concettuale del termine *patient-reported outcome* (PRO), che può essere letteralmente tradotto in “esito riferito dal paziente”. L’espressione rappresenta una terminologia “ombrello”, che identifica un approccio concettuale e una metodologia specificamente orientati a cogliere il punto di vista dei pazienti, più che adottare la tradizionale prospettiva clinica o professionale sugli *outcome*. L’“esito” è inteso generalmente come l’impatto di un problema di salute, di uno specifico intervento sanitario, di un determinato servizio assistenziale sulla salute della persona, nelle sue varie componenti (fisica, mentale, sociale). Il termine “paziente” può essere inteso in senso restrittivo oppure in senso ampio, includendo anche le figure - *caregiver* - che offrono supporto al paziente in varie forme, come familiari e amici, definiti *patient proxy*.

Nel tentativo di contestualizzare e analizzare le specificità del concetto di PRO si cerca dapprima di ricostruire la cornice teorica entro cui esso può essere collocato, identificabile nel termine *patient-centred care* (“assistenza centrata sul paziente”), e di evidenziare le differenze tra *patient-reported outcome*, *patient-reported experience* e *patient satisfaction*.

In particolare, nella prima parte del Capitolo si ripercorre l’evoluzione storica del termine “assistenza centrata sul paziente” cercando di sintetizzarne le componenti principali, gli elementi ricorrenti nelle varie definizioni, e di approfondirli attraverso una descrizione più dettagliata. Inoltre, si illustrano alcuni casi di Paesi (in particolare Stati Uniti e Regno Unito) in cui il termine ha trovato largo impiego nei disegni di riforma dei rispettivi sistemi sanitari, come dimensione (o forse meglio “principio”) della qualità dell’assistenza.

Nella seconda parte del Capitolo si illustrano le principali ragioni dello spostamento di interesse dal concetto di “soddisfazione del paziente” a quello di “esperienza riferita dal paziente” rispetto all’assistenza ricevuta. Di quest’ultimo concetto vengono approfonditi il *framework* e le componenti principali, come emergenti dai lavori decennali del Picker Institute e dall’esperienza, anch’essa decennale, del Servizio sanitario nazionale inglese.

Nell’ultima parte del Capitolo viene sviluppato il concetto di PRO attraverso un’analisi storica delle varie definizioni, tesa a evidenziare gli elementi comuni, e un’analisi per Paese (in particolare Stati Uniti, Regno Unito e Spagna) dei *framework* proposti per classificare e organizzare i costrutti sottesi a tale termine. Tra questi, si cerca di esplodere maggiormente l’*health-related quality of life*, uno dei costrutti più citati dalla letteratura internazionale (non solo di stampo filosofico, sociologico, psicologico, ma anche biomedico) e in genere identificato come uno dei principali *patient-reported outcome*.

Nelle conclusioni del Capitolo si affrontano i principali punti critici dei temi trattati, soprattutto sul piano concettuale, e si propongono alcuni quesiti e aspetti meritevoli di approfondimento.

1.2. La *patient-centredness*

Alle radici del concetto

Il termine *patient-centredness* - o "assistenza centrata sul paziente" - è ormai divenuto di uso comune a livello internazionale, come nazionale, soprattutto come metafora di una visione di assistenza opposta (o forse complementare ?) rispetto a tutto ciò che è *technology centred, doctor centred, hospital centred, disease centred, economics centred* (Bardes, 2012; Stewart, 2001).

Vi sono alcune massime - slogan celebri a livello internazionale, che possono sintetizzare gli aspetti centrali sottesi al termine:

The needs of the patient come first (Berry, 2004)

Nothing about me without me (Gerteis *et al.*, 1993; Delbanco, 2001)

Every patient is the only patient (Berarducci, 2009).

Termini utilizzati in alcuni casi come sinonimi sono ad esempio *consumer-centred care, person-centred care, personalised care, family-centred care*, per quanto ciascuno di essi sottenda un significato diverso "L'assistenza centrata sul paziente" pare riguardare tanto l'ambito ospedaliero (Lathrop *et al.*, 1991; Lathrop, 1992, 1993) quanto l'ambito territoriale, che continua a rappresentarne il terreno privilegiato, come confermano ad esempio i recenti sviluppi nella organizzazione dell'assistenza primaria negli Stati Uniti, con la istituzione delle Patient Centered Medical Homes (Stange *et al.*, 2010; Nutting *et al.*, 2009).¹

A fronte dell'enorme interesse manifestato da diversi Paesi (in particolare Stati Uniti, Australia, Canada e Gran Bretagna) e organizzazioni o centri di ricerca internazionali (es. World Health Organization, Picker Institute) per la *patient-centred care*, intesa come una delle principali dimensioni, come uno dei criteri basilari rispetto a cui valutare la qualità dell'assistenza fornita, non si rileva nella letteratura scientifica internazionale un accordo sulla paternità del termine né su una definizione unanimamente condivisa.

Vi sono tesi diverse riguardo a chi abbia coniato il termine di *patient-centred care* (o anche *medicine*). Secondo alcuni autori (Bardes, 2012; Groene *et al.*, 2009) esso sarebbe stato ideato dalla psicoanalista inglese Enid Balint nel 1969 (Balint, 1969): a fine anni '60 la psicoanalista propose ai medici di medicina generale una forma di mini-psicoterapia adatta al trattamento di persone sofferenti di disturbi principalmente di natura psicosomatica. L'introduzione di questa forma di psicoterapia si poneva in antagonismo rispetto a una forma di trattamento maggiormente *illness oriented* e raccoglieva le diverse critiche rivolte alla medicina, ovvero la sua enfasi sugli aspetti patofisiologici e la esclusione di altre modalità di conoscere, diagnosticare, e trattare il paziente.

Secondo Michael Barry e Susan Edgman-Levitan (Barry, Edgman-Levitan, 2012) invece, il termine sarebbe stato coniato nel 1988 nell'ambito del Picker/Commonwealth Program for Patient-Centred Care (ora Picker Institute). Attraverso il termine *patient-centred medicine* si

¹ Per approfondimenti sul modello della Patient Centered Medical Home si invita a consultare: Agency for Healthcare Research and Quality. *Patient Centered Medical Home Resource Center*. <http://www.pcmh.ahrq.gov/> (ultimo accesso marzo 2014).

intendeva catturare l'attenzione dei clinici, e più in generale dei sistemi sanitari, sulla necessità di spostare il focus dai disturbi e dalle malattie, al paziente e alla sua famiglia (Gerteis *et al.*, 1993). Il concetto era stato pensato per sottolineare l'importanza di comprendere meglio l'esperienza di malattia dei pazienti e i loro bisogni all'interno di un sistema di erogazione di servizi sanitari sempre più complesso e frammentato.

Si può comunque ritenere che l'idea e i fondamenti della *patient-centred care* abbiano uno storico *pedigree* intellettuale (Berwick, 2009; Dow *et al.*, 2006) e che in questo concetto confluiscono altri concetti discussi da molto tempo prima che tale termine irrompesse nel dibattito pubblico e scientifico sui sistemi sanitari (Bauman, 2003), come ad esempio, la relazione e la comunicazione tra medico e paziente, la *shared decision making*, la capacità di ascolto del medico e l'educazione del paziente.

Un gruppo di ricercatori australiani guidati da Briony Dow (2006), nell'ambito di una revisione della letteratura scientifica internazionale sul termine *person-centred health care*, sostiene che il moderno concetto di *person-centred care* derivi dall'approccio terapeutico dello psicologo americano Carl Rogers, noto come "terapia centrata sul cliente", e sviluppato verso la fine degli anni '40. L'approccio rogeriano si basa sull'assunto che:

no one can make decisions for another, act for them or solve their problems - because these are matters of personal responsibility and choice (citazione da Lane, 2000).

Nella terapia centrata sul cliente il terapeuta non fornisce consigli o indicazioni al paziente, ma piuttosto cerca di creare un ambiente in cui il paziente possa pervenire da solo alla comprensione e risoluzione dei propri problemi, e di mantenere un atteggiamento di "positività incondizionata" (non dipendente dai comportamenti del paziente) (Lane, 2000).

Secondo Donald Berwick (2009) tra i lavori pionieristici che avrebbero contribuito allo sviluppo dei concetti fondamentali sottesi al termine di assistenza centrata sul paziente vi sarebbero quelli di:

- Howard Waitzkin e John Stoeckle, che all'inizio degli anni '70 (1972) hanno dimostrato come una maggiore attenzione ai valori, agli atteggiamenti dei pazienti, al significato che essi attribuiscono ai loro sintomi, conduca a una più soddisfacente relazione tra medico e paziente;
- John Ware e colleghi, che nel 1983 hanno cercato di esplorare e chiarire le componenti e i driver del costrutto di soddisfazione del paziente, nell'ambito del RAND Health Insurance Experiment;
- Barbara Korsch dell'Università della California (Los Angeles), che verso la fine degli anni '80 (1989) ha cercato di studiare e identificare le conoscenze, gli atteggiamenti e le abilità necessarie per formare i medici all'ascolto del paziente;
- Michael Barry, Jack Fowler e Jack Wennberg, che a metà degli anni '90 (1995) hanno sviluppato teorie e tecnologie per la *shared decision making*, dimostrando che pazienti maggiormente attivi nelle decisioni riguardanti i trattamenti presentano esiti migliori;

- Debra Roter e Judith Hall, che nel 2006 hanno studiato le caratteristiche della comunicazione medico-paziente, rivelandone disfunzioni e proponendo strategie di miglioramento;
- Judith Hibbard, che nel 2007 ha approfondito l'analisi delle competenze del paziente nell'utilizzo delle informazioni.

Definizioni: evoluzione, elementi traccianti, approfondimento

Sono state recentemente condotte diverse revisioni della letteratura scientifica internazionale per chiarire il concetto di assistenza centrata sul paziente (Cronin, 2004; Dow *et al.*, 2006; Harkness, 2005; IAPO, 2007; Lutz, Bowers, 2000; Luxford *et al.*, 2010). Ciò ha permesso una ricostruzione storica delle varie definizioni, illustrata nel *Box 1*.

Box 1. Principali definizioni di assistenza centrata sul paziente in una prospettiva storica (1993-2013)²

-
1. *The Picker Institute has identified seven prime aspects.*
 - *respect for patient's values, preferences and expressed needs. This dimension is best expressed through the phrase, "Through the Patient's Eyes" and leads to shared responsibility and decision-making.*
 - *Coordination and integration of care. This dimension addresses team medicine and giving patients support as they move through different care settings for prevention as well as treatment.*
 - *Information, communication and education. This includes advances in information and social technologies that support patients and providers, as well as the cultural shifts needed for healthy relationships.*
 - *Physical comfort. This dimension addresses individual, institutional and system design (i.e. pain management, hospital design, and type and accessibility of services).*
 - *Emotional support. Empathy and emotional well-being are as important as evidence-based medicine in a holistic approach.*
 - *Involvement of family and friends. Care giving includes more than patients and health professionals so that the larger community of caregivers are considered.*
 - *Transition and continuity. Delivery systems provide for caring hand-offs between different providers and phases of care (Gerteis, 1993).*
 2. *A collaborative effort consisting of patients, patients' families, friends, the doctors and other health professionals ... achieved through a comprehensive system of patient education where patients and the health care professionals collaborate as a team, share knowledge and work towards the common goals of optimum healing and recovery (Grin, 1994, citato in Lutz, Bowers, 2000).*

² Si è ritenuto opportuno riportare ogni definizione letteralmente, ovvero mantenendo la lingua originale della stessa, per non comprometterne il significato. La ricerca è stata limitata a pubblicazioni in lingua inglese o italiana.

3. *An approach to service which embraces a philosophy of respect for, and a partnership with people receiving services (Law et al., 1995, citati in Dow et al., 2006).*
4. *Health care that is closely congruent with and responsive to patients' wants, needs and preferences (Laine, Davidhoff, 1996, citati in Lutz, Bowers, 2000).*
5. *Placing patients at the centre of the system of care and developing good services that revolve around them (Mallet 1996, come citati in Lutz, Bowers, 2000).*
6. *A construct that advocates simplifying the care at the bedside in the acute care setting by focusing on the expected outcomes for the patient rather than the multiplicity of tasks of each department (Johnston, Cooper, 1997, citati in Lutz, Bowers, 2000).*
7. *Three components: (1) recognition of individuality or specificity; (2) recognition of holism, that is, of the range of personal, social and environmental factors that are constitutive of persons; (3) recognition of autonomy, that is, a concern to respect people as to some degree self-defining and self-creating and to work with them not just on them (Cribb, 1999, citato in Dow et al., 2006)*
8. *An approach to care that consciously adopts the patient's perspective. This perspective can be characterized around dimensions such as respect for patients' values, preferences and expressed needs in regard to co-ordination and integration of care, information, communication and education, physical comfort, emotional support and alleviation of fear and anxiety, involvement of family and friends, transition and continuity (United States Agency for International Development, 1999, citato in Harkness, 2005).*
9. *Providing care that is respectful of and responsive to individual patient preferences, needs, and values and ensuring that patient values guide all clinical decisions (Institute of Medicine, IOM, 2001).*
10. *... health care that establishes a partnership among practitioners, patients and their families (when appropriate) to ensure that decisions respect patients' wants, needs and preferences and solicit patients' input on the education and support they need to make decisions and participate in their own care (Agency for Healthcare Research and Quality, 2001, citato in IAPO, 2007).*
11. *An approach in which clients are viewed as whole persons; it is not merely about delivering services where the client is located. Client centred care involves advocacy, respecting clients' autonomy, voice, self-determination and participation in decision-making (Registered Nursing Association of Ontario, 2002, citato in Dow et al., 2006).*
12. *Treatment and care provided by health services [that] places the person at the centre of their own care and considers the needs of the older person's carers' (Department of Human Services, 2003, come citato in Dow et al., 2006).*
13. *Quality health care achieved through a partnership between informed and respected patients and their families, and a coordinated health care team (National Health Council, 2004, come citato in Institute for Alternative Futures, 2004).*
14. *Six concepts: (1) education/shared knowledge; (2) involvement of family and friends; (3) collaboration/team management; (4) holistic/sensitive to non-medical or spiritual issues; (5) respect for patient's needs and wants; (6) free flow/accessibility of information (Cronin, 2004, citato in IAPO, 2007).*
15. *The experience (to the extent the informed, individual patient desires it) of transparency, individualization, recognition, respect, dignity, and choice in all matters, without exception, related to one's person, circumstances, and relationships in health care (Berwick, 2009).*

16. *An innovative approach to the planning, delivery, and evaluation of health care that is grounded in mutually beneficial partnerships among health care providers, patients, and families. Patient- and family-centered care applies to patients of all ages, and it may be practiced in any health care setting (Institute for Patient- and Family-Centered Care website, 2010, citato in Luxford et al., 2010).*
 17. *Care that is focused and organized around the health needs and expectations of people and communities rather than on diseases. People-centred care extends the concept of patient-centred care to individuals, families, communities and society. Whereas patient-centred care is commonly understood as focusing on the individual seeking care - the patient -, people-centred care encompasses these clinical encounters and also includes attention to the health of people in their communities and their crucial role in shaping health policy and health services (WHO, 2011).*
 18. *Focusing care delivery on patient needs and preferences is a useful way to define patient-centered care (Luxford et al., 2011).*
-

Fonte: analisi condotta dagli autori, settembre 2013.

Dai risultati dell'analisi emerge l'assenza di una definizione unanimamente condivisa a livello internazionale, e si evidenzia come le diverse proposte avanzate nel corso degli anni (dal 1993 al 2011) non abbiano sostanzialmente integrato o modificato la prima definizione storica di *patient-centred care* fornita nel 1993 dal Picker Institute, ma ne abbiano piuttosto di volta in volta ripreso e sottolineato singoli aspetti di questa. Pertanto, è ragionevole ritenere che ad oggi la definizione del Picker Institute, per quanto datata, sia ancora attuale e probabilmente la più esaustiva. Essa è stata elaborata da un gruppo di studiosi della Harvard Medical School dopo una ricerca condotta per conto del Picker Institute e del Commonwealth Fund, nella quale sono stati organizzati diversi focus group con pazienti, familiari, medici e altri operatori sanitari, unitamente a una revisione della letteratura di pertinenza. Le componenti (principi) della *patient-centred care* identificate dai ricercatori sono:³

- rispetto dei valori, delle preferenze e dei bisogni espressi dai pazienti (esemplificato dall'espressione *through the patient's eyes*): riguarda la condivisione delle responsabilità e delle decisioni tra chi assiste (le varie figure professionali, non solo il medico) e chi è assistito, compresi amici e familiari;
- il coordinamento e l'integrazione dell'assistenza: riguarda il lavoro di gruppo (*team, équipe*) dei professionisti e il supporto ai pazienti nel muoversi attraverso i differenti setting di cura;
- informazione, comunicazione, educazione: riguarda principalmente lo sviluppo di tecnologie nel campo dell'informazione e, più in generale, nel campo sociale, che supportino la relazione tra pazienti e fornitori di servizi, come anche la necessità di un cambiamento culturale;

³ A queste sette componenti ne è stata in seguito aggiunta una: l'accesso alle cure. Per approfondire gli otto principi della *patient-centered care* definiti dal Picker Institute, consultare <http://pickerinstitute.org/about/picker-principles> (ultimo accesso gennaio 2014).

- comfort fisico: riguarda diversi aspetti che vanno dalla gestione del dolore del paziente, alle condizioni logistiche e alberghiere delle strutture, e alle tipologie e modalità di accesso ai servizi;
- supporto emotivo: riguarda l'empatia e il benessere emotivo, tanto importanti quanto l'*evidence-based medicine*, adottando un approccio olistico dell'essere umano;
- coinvolgimento dei familiari e degli amici: riguarda l'allargamento dell'ambito dell'assistenza a coloro che, in modo più o meno diretto, supportano i pazienti;
- continuità: riguarda la predisposizione di collegamenti e il superamento della frammentazione tra diverse tipologie di erogatori e tra le differenti fasi dell'assistenza.

In un recente articolo Ronald Epstein e collaboratori (2010)⁴ cercano di approfondire gli elementi principali del concetto di *patient-centred care* riprendendo la definizione fornita dall'Institute of Medicine (2001).

Gli studiosi riconoscono come fondamentali due aspetti: la relazione di cura tra il clinico e il paziente, e per estensione, anche con i familiari, e il lavoro di gruppo, il coordinamento tra professionisti.

Relazione. Epstein e collaboratori sostengono che un approccio centrato sul paziente consiste in uno scambio bi-direzionale e in una condivisione di informazioni tra clinici e pazienti, che consenta di esplorare i valori e le preferenze dei pazienti, supportare i pazienti e le famiglie nell'assunzione delle decisioni cliniche, facilitare l'accesso a un'assistenza appropriata, mettere i pazienti nelle condizioni di affrontare cambiamenti difficili ma necessari per mantenere o migliorare il proprio stato di salute. Un'assistenza centrata sul paziente cerca anche di migliorare la pratica clinica attraverso relazioni di cura in grado di "costruire un ponte" tra le differenze demografiche, sociali ed economiche dei clinici e dei pazienti. I clinici dovrebbero cercare di conoscere e di rispettare i valori, le credenze, le speranze dei pazienti e le loro modalità di fronteggiare le avversità, in aggiunta alla comprensione della sintomatologia clinica. I professionisti dovrebbero conoscere le condizioni familiari del paziente e le sue norme culturali al punto tale da essere in grado di aiutarlo nelle decisioni riguardanti l'assistenza, nell'aderenza a un determinato regime di trattamento, nel *self management*. Una reale assistenza centrata sul paziente richiede la conoscenza del paziente come persona e il suo coinvolgimento attivo nella propria cura.

Teamwork. Epstein e collaboratori sostengono che sia necessaria una comunità di professionisti sanitari ben coordinata per raggiungere gli obiettivi sopra delineati. Essi affermano, infatti, che per un singolo clinico è troppo impegnativo soddisfare le aspettative di tutti i suoi pazienti. Inoltre, evidenziano come un'assistenza centrata sul paziente non necessariamente comporti un maggiore dispendio di energie e tempo, dal momento che, come dimostrano alcuni studi (Brown *et al.*, 2001; Kinnersley *et al.*, 2007, citati da Epstein *et al.*, 2010), se un paziente si presenta alla visita con delle domande già preparate e se un clinico è in grado di stimolare in

⁴ Questo articolo viene descritto da Gavino Maciocco. Assistenza sanitaria e centralità del paziente. What, Why, How. *Salute internazionale*, 13 ottobre 2010. Disponibile su <http://www.saluteinternazionale.info/2010/10/assistenza-sanitaria-e-centralita-del-paziente-what-why-how/> (ultimo accesso marzo 2014)

tempi brevi il paziente a manifestare i propri problemi, il tempo si riduce e il livello di soddisfazione del paziente rimane inalterato.

Le principali sfide riguardano la condivisione delle informazioni e delle decisioni, ovvero, in una forma più poetica, il raggiungimento di una *shared mind*, "di un consenso sull'approccio di cura che supera il semplice consenso informato ad uno specifico trattamento" (Epstein *et al.*, 2010).

La condivisione delle informazioni tra clinico e paziente va ben oltre l'offrire una serie di evidenze scientifiche e di dati. Il clinico dovrebbe infatti inquadrare le informazioni e facilitarne la comprensione da parte del paziente, tenendo conto delle preoccupazioni, credenze e aspettative di quest'ultimo; dovrebbe prendere in considerazione il livello di *health literacy* del paziente, la sua capacità di utilizzare le informazioni rispetto alla propria condizione clinica, non dimenticando che i pazienti da un lato vogliono avere il maggior numero possibile di informazioni sul proprio stato di salute, dall'altro, possono sentirsi sopraffatti da esse e divenire più ansiosi e forse meno capaci di decidere.

Il condividere una decisione è strettamente legato alle specifiche caratteristiche del singolo paziente, secondo il grado di evoluzione e consapevolezza delle proprie preferenze e dei propri bisogni. Tale condivisione aiuterebbe i clinici e i pazienti a mettere in discussione le proprie convinzioni e la propria comprensione dei fatti - o di quello che essi percepiscono essere i fatti - come anche le convinzioni e opinioni di familiari e amici. Il cercare di raggiungere una scelta condivisa potrebbe stimolare i pazienti a un maggiore coinvolgimento, rendendoli meno passivi.

Epstein e collaboratori (2010) provano ad esemplificare l'ordine dei problemi affrontabili attraverso un approccio di cura centrato sulla condivisione delle informazioni e delle decisioni tra clinici e pazienti illustrando un ipotetico - ma probabile - caso. Esso riguarda un paziente che lamenta problemi alla prostata e che consulta separatamente un radiologo, un urologo e un oncologo, ciascuno dei quali offre al paziente un'ipotesi diversa del problema e una diversa alternativa di trattamento. Tutti e tre i medici suggeriscono al paziente di riflettere con calma, a casa, su quanto riferito. A casa, il paziente parla sia con un amico che gli riferisce di avere avuto serie complicazioni dopo l'intervento chirurgico alla prostata sia con la moglie che lo incalza a fare tutto quanto è necessario per risolvere il problema. "Chi aiuterà il paziente ad integrare tutte le varie informazioni e raccomandazioni?"

In sintesi, negli anni recenti la attenzione internazionale e in parte anche nazionale si è orientata con crescente intensità a comprendere e applicare: metodologie per il coinvolgimento delle persone in diversi ambiti (es. programmazione sanitaria, pratica clinica, ricerca); *shared decision making* e relative competenze e strumenti di supporto; implementazione di programmi per il miglioramento dell'assistenza centrata sul paziente nelle organizzazioni sanitarie; relazione tra varie componenti e processi connessi con l'assistenza centrata sul paziente ed outcomes (es. soddisfazione e qualità di vita, percezione del dolore, controllo glicemia nella patologia diabetica, complicanze e infezioni, re-ricoveri, altro) (Barry, Edgman-Levitan, 2012; Bernabeo, Holmboe, 2013; Brigoni *et al.*, 2005; Coulter, 2012; IOM, 2013; Luxford *et al.*, 2011; Nilsen *et al.*, 2006; Rathert *et al.*, 2012; Stacey *et al.*, 2011).

Una dimensione internazionale della qualità dell'assistenza

Nel corso delle ultime decadi la *patient-centredness* è divenuta una dimensione, riconosciuta a livello internazionale, del più ampio concetto di qualità dell'assistenza sanitaria (Luxford *et al.*, 2010). Nell'ambito dell'Health Care Quality Indicators Project, la Organization for Economic Cooperation and Development (OCSE) (Kelley, Hurst, 2006) ha identificato la *patient-centredness* (o *patient focus* o *responsiveness*) come una delle dimensioni della qualità dell'assistenza più comuni all'interno dei *framework* relativi alla misurazione e valutazione della qualità dell'assistenza sanitaria di un gruppo selezionato di Paesi dell'area OCSE,⁵ includendo nell'analisi anche l'Organizzazione mondiale della sanità (WHO). In particolare tale dimensione è stata rilevata nei *framework* della WHO,⁶ degli Stati Uniti e della Gran Bretagna.

Il numero dei Paesi che hanno incluso la *patient-centredness* tra le dimensioni della qualità dell'assistenza, o quantomeno tra i principi e le priorità di un sistema sanitario, è progressivamente aumentato, includendo anche Canada, Australia, Nuova Zelanda, Francia, Germania, Danimarca, Olanda, Svizzera (Luxford *et al.*, 2010). Nel nuovo *policy framework* per i sistemi sanitari europei "Health 2020", approvato nel settembre 2012 da 53 Paesi, una delle quattro aree prioritarie di azione è rappresentata dal rafforzamento di *people-centred health systems* (WHO, 2013). Tra i concetti e gli obiettivi esplicitati in tale area prioritaria figurano, ad esempio:

- *integrate service delivery,*
- *ensure continuity of care,*
- *support self-care by patients,*
- *encouraging people to participate in new ways in their treatment,*
- *recognizing patient as resource and as partner,*
- *skills in supporting patient empowerment and self-care* (per i professionisti che operano sia nel settore sanitario che sociale).

In Italia, a partire dal 2010, l'Agenzia nazionale per i servizi sanitari regionali (AgeNaS) ha avviato un'attività specifica volta alla costruzione di un sistema di valutazione della qualità dell'assistenza sanitaria, affrontando una serie di punti critici, a cominciare dalla definizione di uno schema concettuale (Di Stanislao, Carinci, 2012; Ministero della salute, 2011). Esso comprende tre assi di tutela e garanzia - salute, risorse, diritti, ed un asse trasversale - equità. Per ogni asse sono stati individuati obiettivi, macro-, meso-, micro-criteri e gruppi di indicatori. In particolare, nell'asse relativo ai diritti dei cittadini e degli utenti, gli obiettivi sono rappresentati dal garantire i diritti e il coinvolgimento dei cittadini/utenti, l'empowerment è identificato come criterio macro, mentre i criteri meso sono l'umanizzazione e il coinvolgimento

⁵ I Paesi dell'area OCSE inclusi nell'indagine sono Australia, Canada, Danimarca, Gran Bretagna, Olanda, e Stati Uniti d'America.

⁶ L'Organizzazione mondiale della sanità utilizzava il termine *responsiveness* più che *patient-centredness*. In particolare per la WHO un sistema sanitario di elevata qualità è un sistema *responsive to people's needs and preferences, treating them with dignity and respect when they come in contact with the system* (*The Tallinn Charter: Health systems for health and wealth*, 2008).

dei cittadini/utenti. Ciascuno dei due criteri meso prevede alcuni criteri micro, che per l'umanizzazione sono rappresentati da:

- processi assistenziali e organizzativi orientati al rispetto e alla specificità della persona;
- accessibilità fisica, vivibilità e comfort della struttura;
- accesso alle informazioni, semplificazione e trasparenza;
- cura della relazione e della comunicazione tra i professionisti e l'utente/paziente;

per il coinvolgimento dei cittadini/utenti sono invece rappresentati da:

- partecipazione dei cittadini;
- soddisfazione degli utenti.

Viene di seguito proposto un primo breve approfondimento delle esperienze americana e inglese, oggetto di uno specifico capitolo (*Capitolo 3*) del presente rapporto.

STATI UNITI

Nel 2001, negli Stati Uniti d'America, l'Institute of Medicine (IOM, 2001) ha affermato nel celebre rapporto *Crossing the Quality Chasm* che un'assistenza di "buona" qualità, è un'assistenza sicura, efficace, tempestiva, efficiente, equa e centrata sul paziente. Lo IOM definisce la *patient-centred care* (vedi anche *Box 1*) come un'assistenza rispettosa e rispondente alle preferenze, ai bisogni e ai valori dei singoli pazienti, la quale assicura che le decisioni cliniche siano guidate dai valori dei pazienti. Nel rapporto vengono proposti diversi elementi su cui focalizzarsi per trasformare l'assistenza in assistenza centrata sul paziente, ad esempio: la continuità delle cure, la relazione di cura, i valori e i bisogni dei pazienti, la capacità di esercitare qualche forma di controllo/potere da parte del paziente, la libera condivisione delle informazioni e della conoscenza, la trasparenza. Lo IOM evidenzia il ruolo della *patient-centred care* su quattro livelli:

- il livello dell'esperienza: si riferisce all'esperienza del singolo paziente rispetto alla propria cura. A questo livello un'assistenza centrata sul paziente dovrebbe essere rispettosa, assicurare la condivisione delle informazioni utili, e supportare e incoraggiare la partecipazione dei pazienti e dei familiari;
- il livello del micro-sistema clinico: si riferisce al servizio, al dipartimento o al programma. A questo livello i pazienti e i loro familiari dovrebbero partecipare al disegno complessivo del servizio, dipartimento o programma, ad esempio come membri a pieno titolo dei gruppi di professionisti designati al miglioramento della qualità dell'assistenza e alla pianificazione, implementazione e valutazione del cambiamento nell'assistenza;
- il livello organizzativo: si riferisce all'organizzazione sanitaria nel suo complesso. A questo livello i pazienti e i loro familiari dovrebbero partecipare sempre come membri a pieno titolo dei comitati che presidiano all'interno dell'organizzazione, ad esempio, la sicurezza delle cure, le questioni etiche e la ricerca;
- il livello ambientale: si riferisce agli organi e organismi che, a diversi livelli istituzionali (es. locale, statale, federale), svolgono un ruolo di regolazione dell'intero sistema sanitario. A questo livello i pazienti e i familiari potrebbero offrire informazioni utili nell'orientare i contenuti e le modalità per l'accreditamento dei servizi e per il loro finanziamento.

Secondo Charmel e Frampton (2008), l'Institute of Medicine rafforza il concetto di assistenza centrata sul paziente non solo come un modo per rendere più soddisfacente l'esperienza di cura dei singoli pazienti, ma anche come una pratica fondamentale nel garantire un'assistenza di elevata qualità negli Stati Uniti.

Nel 2013 una delle raccomandazioni formulate dal IOM per accelerare lo sviluppo della *best care at lower cost* riguarda esplicitamente l'assistenza centrata sul paziente (rif. *Recommendation 4: Patient-Centered Care*, IOM, 2013). Nella raccomandazione sono proposte strategie per il perseguimento di tale obiettivo che vanno dal coinvolgimento dei pazienti e dei familiari nelle decisioni che riguardano la salute e l'assistenza fino allo sviluppo e utilizzo di un set di misure di *patient-centeredness* da parte dell'Agency for Healthcare Research and Quality in collaborazione con i Centers for Medicare & Medicaid Services e altre organizzazioni.

REGNO UNITO

Come negli Stati Uniti, anche nel Regno Unito il concetto di assistenza centrata sul paziente è divenuto nel corso del tempo una dimensione associata a un'assistenza di elevata qualità (Luxford *et al.*, 2010). Dal 1997, quando il Governo inglese ha avviato un decennale programma di riforma del Servizio sanitario, sono aumentati nei documenti strategici e politici i riferimenti espliciti all'impegno nel creare un sistema sanitario centrato sul paziente (Goodrich, 2009), come dimostrano peraltro i titoli di alcuni documenti: *NHS Improvement Plan: Putting People at the Heart of Public Services* (Department of Health, 2004), *Creating a Patient-led NHS: Delivering the NHS Improvement Plan* (Department of Health, 2005).

Nel 2008 è stato pubblicato il documento *NHS Next Stage Review* (Darzi, 2008) orientato a delineare una strategia futura per Servizio sanitario nazionale che fosse "locally-led, patient-centred e clinically driven", e che ponesse al centro del sistema la qualità dell'assistenza nella prospettiva del paziente. Nella *summary letter* del documento, Lord Darzi afferma che

un'assistenza di elevata qualità dovrebbe essere il più possibile sicura ed efficace, e dovrebbe trattare i pazienti con compassione, dignità e rispetto ... un'assistenza di qualità è un'assistenza personale.

Recentemente il King's Fund ha pubblicato un rapporto dedicato alla valutazione dei risultati raggiunti dal Servizio sanitario nazionale nel periodo 1997-2010 in otto aree strategiche: accesso, sicurezza del paziente, promozione della salute e gestione delle malattie croniche, esperienza del paziente, efficacia clinica, equità, accountability (Thorlby, Maybin, 2010).

Nel capitolo dedicato all'esperienza dei pazienti si afferma che quando nel 1997 era stata riconosciuta l'importanza di erogare un'assistenza centrata sul paziente, non vi erano ancora tentativi e strumenti in grado di misurarla sistematicamente. In seguito il Servizio sanitario nazionale ha elaborato e avviato una delle più ampie indagini europee sull'esperienza dei pazienti.⁷ Dai risultati delle varie indagini condotte dal 1998 in poi, emerge come nel corso del

⁷ La prima indagine nazionale è stata realizzata nel 1998 ed era focalizzata sulle percezioni dei pazienti riguardo all'assistenza fornita dal medico di medicina generale. A questa prima indagine ne sono seguite molte altre, tra cui quella a livello di *trust condotta* dal Picker Institute. Attualmente le indagini nazionali, attraverso la somministrazione di un ampio *range* di domande (tra le 50 e le 100),

tempo il giudizio dei pazienti sull'assistenza ricevuta si sia mantenuto nel complesso positivo. Tra gli aspetti più critici, per i quali è stato riportato un giudizio peggiore, si rilevano il coinvolgimento dei pazienti nella propria cura e i servizi ricevuti dai pazienti sofferenti di disturbi psichici. Permangono, inoltre, differenze sistematiche nel giudizio tra pazienti di differente età, gruppo etnico e area di residenza.

1.3. L'esperienza e la soddisfazione del paziente

A livello internazionale è sufficientemente unanime la convinzione che debba essere operata una distinzione tra le diverse modalità di indagare il punto di vista dei pazienti, e nello specifico tra soddisfazione del paziente (*patient satisfaction*), esperienza (*patient-reported experience*) ed esiti riferiti dal paziente (*patient-reported outcomes*) (Black, Jenkins, 2009). In particolare, una prima distinzione proposta è quella tra soddisfazione⁸ ed esperienza. A fondamento di tale ipotesi vi sarebbero numerose evidenze empiriche, raccolte negli ultimi decenni, che documentano le criticità concettuali e metodologiche derivanti dall'utilizzo della soddisfazione dei pazienti, come misura della qualità dell'assistenza ricevuta (Cleary *et al.*, 1992; Delnoij, 2009; Fitzpatrick, Hopkins, 1983; Kupfer, Bond, 2012; Manary *et al.*, 2012). Per citare un esempio tra i tanti, è stato documentato nella letteratura internazionale come le misure di soddisfazione siano fortemente influenzate dalle aspettative dei pazienti, le quali - se particolarmente basse - possono condurre ad alti livelli di soddisfazione non corrispondenti alla effettiva qualità del servizio ricevuto, o se - particolarmente elevate, o ancora di più irrealistiche - possono portare ad un eccessivo o improprio consumo di prestazioni sanitarie (Fitzpatrick, Hopkins, 1983; Kupfer, Bond, 2012).

Nel corso degli anni '90 si sarebbe pertanto assistito ad uno spostamento dell'attenzione, dalla misurazione della soddisfazione dei pazienti rispetto all'assistenza ricevuta alla misurazione dell'esperienza di determinati eventi o processi intercorsi nello specifico episodio di cura. Ad oggi diversi Paesi, tra cui Danimarca, Norvegia, Olanda, Regno Unito, Canada, Stati Uniti

sorvegliano diversi aspetti dell'assistenza (es. tempestività nell'accesso, fiducia nei professionisti, percezioni riguardanti la pulizia degli ambienti e il coinvolgimento nelle decisioni) rispetto a un'ampia serie di servizi (es. ospedalieri, territoriali, di emergenza, psichiatrici) e di tipologie di pazienti (es. diabetici, pazienti sofferenti di cancro, pazienti con disturbi cardiocircolatori). Per ciascun *trust* viene interrogato un campione di circa 850 pazienti. La Care Quality Commission e il Department of Health sono responsabili del coordinamento delle indagini e della pubblicazione dei risultati.

⁸ Secondo una recente revisione della letteratura (Mpinga, Chastonay, 2011) gli aspetti chiave del concetto di *patient satisfaction* sarebbero:

- la qualità dell'assistenza, che include professionisti competenti, adeguate infrastrutture e servizi sanitari, appropriate procedure diagnostiche e terapeutiche;
- l'equità nell'accesso a interventi preventivi, diagnostici e terapeutici;
- la partecipazione del paziente e dei familiari alle decisioni riguardanti le cure;
- spese per l'assistenza ragionevoli e sistemi assicurativi accessibili e sostenibili per l'individuo e la comunità;
- informazioni adeguate sul disturbo e sul trattamento;
- tempi di attesa accettabili.

d'America, possiedono programmi nazionali di raccolta sistematica della esperienza dei pazienti, ovvero secondo regolari intervalli temporali e con strumenti standardizzati (Delnoij, 2009).⁹ A questi programmi sono inoltre da aggiungere le iniziative di confronto tra Paesi condotte da diverse istituzioni ed enti di ricerca quali la Organization for Economic Cooperation and Development (OCSE), la World Health Organization (WHO), la Health Consumer Powerhouse,¹⁰ il Commonwealth Fund, il Picker Institute Europe (Norwegian Knowledge Centre for the Health Services, 2008). A titolo esemplificativo si illustrano le iniziative dell'OCSE e del Picker Institute Europe.

Nel 2013, l'insieme di dati e indicatori richiesti per l'Health Care Quality Indicators Project dell'OCSE è organizzato secondo sei aree di riferimento principali, tra cui *patient experiences* (Carinci *et al.*, 2013). Nel Box 2 sono descritte le 14 misure utilizzate.

Box 2. Indicatori OCSE 2012-2013 - *Patient experiences*

1. *Consultation skipped due to difficulties in travelling*
 2. *Consultation skipped due to costs*
 3. *Medical tests, treatment or follow-up skipped due to costs*
 4. *Prescribed medicines skipped due to costs*
 5. *Waiting time for more than 4 weeks for getting an appointment with a specialist*
 6. *Waiting time for more than 1 hour on the day of consultation with a doctor*
 7. *Doctor spending enough time with patients during the consultation*
 8. *Regular doctor spending enough time with patients during the consultation*
 9. *Doctor providing easy-to-understand explanations*
 10. *Regular doctor providing easy-to-understand explanations*
 11. *Doctor giving opportunity to ask questions or raise concerns*
 12. *Regular doctor giving opportunity to ask questions or raise concerns*
 13. *Doctor involving patients in decisions about care or treatment*
 14. *Regular doctor involving patients in decisions about care or treatment*
-

Fonte: Carinci *et al.*, 2013.

⁹ Per quanto in Italia non si rilevi la presenza di programmi esplicitamente finalizzati a raccogliere sistematicamente informazioni rispetto all'esperienza dei pazienti/utenti/cittadini, l'indagine annuale dell'ISTAT su "Aspetti della vita quotidiana" (es. sezione "Gli utenti delle Aziende sanitarie locali") e l'indagine quinquennale su "Condizioni di salute e ricorso ai servizi sanitari" rappresentano esperienze per alcuni aspetti assimilabili a quelle internazionali.

¹⁰ Dal 2005 cura la raccolta dati e pubblicazione dell'Euro Health Consumer Index, un indice multidimensionale (es. diritti e informazioni ai pazienti, tempi di attesa per le prestazioni, *outcomes*, ecc.) attraverso il quale viene svolta un'attività di *benchmarking* tra sistemi sanitari europei. Nell'edizione 2012 sono inclusi i 27 Stati membri dell'Unione europea, e altri Paesi quali Islanda, Norvegia, Svizzera, Albania, Croazia, Macedonia e Serbia. Per approfondimenti consultare http://www.healthpowerhouse.com/index.php?option=com_content&view=category&layout=blog&id=36&Itemid=55 (ultimo accesso marzo 2014)

Il Picker Institute si occupa da anni dello sviluppo di metodi e strumenti standardizzati per la misurazione dell'esperienza dei pazienti, tanto da essere divenuto un punto di riferimento a livello internazionale. Tra i diversi questionari elaborati dall'Istituto, uno di quelli più documentati in letteratura è il Picker Patient Experience Questionnaire (Jenkinson *et al.*, 2002), che riguarda nello specifico la fase del ricovero. Esso è stato messo a punto attraverso un ampio insieme di tecniche che vanno dalla ricerca qualitativa e bibliografica alla organizzazione di interviste e focus group con esperti e pazienti di differenti Paesi. Lo strumento è articolato in otto dimensioni relative ai principi della *patient-centred care* definiti dal Picker Institute (e descritti in precedenza), e in circa cinque *item* per ciascuna dimensione (per un totale di 40 item). Ad esempio, per la dimensione "informazione ed educazione" gli *item* sono:

- non avere fornito sufficienti informazioni al paziente nelle unità di emergenza,
- ritardo nel ricovero non spiegato,
- risposte non comprensibili dei medici alle domande del paziente,
- risposte non comprensibili degli infermieri alle domande del paziente,
- risultati degli esami non spiegati chiaramente.

Da almeno un decennio nel Servizio sanitario nazionale del Regno Unito vengono utilizzati gli strumenti messi a punto dal Picker Institute Europe per la raccolta di informazioni sull'esperienza dei pazienti (Black, Jenkinson, 2009; Delnoij, 2009).

Nel 2011 il Quality Board dello stesso Servizio sanitario ha messo a punto un *framework* per la misurazione dell'esperienza del paziente nei diversi ambiti di assistenza, perfezionando i contenuti del *framework* elaborato dal Picker Institute. Gli elementi che compongono il *framework* sono otto.¹¹

- Rispetto dei valori, delle preferenze e dei bisogni espressi dai pazienti, includendo anche la cultura, la dignità, la privacy, la consapevolezza dei vari aspetti concernenti la qualità della vita, e un processo di scelta impostato sulla condivisione.
- Coordinamento e integrazione dell'assistenza tra sistema sanitario e sociale.
- Informazione, comunicazione ed educazione sulla condizione clinica (es. diagnosi, prognosi, progressi, peggioramenti) e sui processi dell'assistenza al fine di facilitare nel paziente il senso di autonomia, il *self management* e la promozione della salute.
- Comfort fisico, inclusa la gestione del dolore, il supporto alle attività della vita quotidiana, e la pulizia e la comodità degli ambienti.
- Supporto emotivo, mirato ad alleviare il senso di paura e ansia riguardo il proprio stato di salute e l'impatto del disturbo sul paziente, sui familiari e sulle rispettive condizioni economiche.
- Facilitare il coinvolgimento della famiglia e degli amici nella presa di decisioni, manifestando la comprensione dei loro bisogni, come *caregiver*.
- Continuità riguardo sia alle informazioni sia agli aspetti organizzativi per facilitare il passaggio del paziente tra i diversi setting assistenziali.

¹¹ Per approfondimenti sull'esperienza del Regno Unito consultare <http://guidance.nice.org.uk/QS15> (ultimo accesso marzo 2014).

- Accesso all'assistenza con attenzione ad esempio al tempo di attesa per il ricovero, e al tempo di attesa per ricevere una visita.

L'anno successivo della messa a punto del *framework* il National Institute for Health and Clinical Excellence (2012a) ha formulato alcune raccomandazioni e standard di qualità per migliorare l'esperienza dei pazienti adulti nel Servizio sanitario nazionale, indicazioni dirette alle organizzazioni e professionisti che operano sia nell'assistenza ospedaliera che in quella territoriale. Alcuni autori, tra cui l'autorevole Angela Coulter, hanno definito le guide formulate dal NICE come "a welcome small step on a long journey", affermando che

... much of the guidance states the obvious, and many challenges remain to providing a health service that systematically, reliably and demonstrably puts the patients first (Eaton et al., 2012).

Gli autori evidenziano alcuni nodi critici ed illustrano sinteticamente una serie di proposte da attuare affinché le raccomandazioni del NICE ottengano gli effetti desiderati. Tra le proposte si sottolinea l'importanza di comprendere e migliorare gli atteggiamenti ed i comportamenti dei professionisti che operano nei servizi sanitari, i quali sarebbero "immuni" rispetto all'ansia, agli eccessivi tempi di attesa, alle esperienze impersonali e stressanti dei pazienti, e ogni giorno vedrebbero o parteciperebbero ad un'assistenza che non rappresenta una "buona esperienza" per il paziente. E ancora, essi propongono che la definizione di "esperienza del paziente" sia ampliata ad includere coloro che quotidianamente convivono con una o più patologie croniche, e non limitata all'esperienza connessa con l'erogazione di un solo servizio, di una semplice prestazione.

Le recenti pubblicazioni del NICE offrono, comunque, l'occasione per sollevare un aspetto critico ad oggi centrale. Esiste, infatti, un sufficiente consenso a livello internazionale circa il fatto che i concetti, gli strumenti e le misure riferiti alla *patient-experience* siano sufficientemente robusti e che gli attuali sforzi debbano concentrarsi maggiormente sulle modalità per facilitarne la comprensione e l'utilizzo ai diversi livelli del sistema sanitario (pratica clinica, management, policy), ponendo attenzione ai rischi derivanti da un uso improprio e affrontando i diversi punti di frizione, le resistenze, le barriere. Tra gli spunti, due paiono essere rilevanti al riguardo.

- Nel 2009 è stato pubblicato nell'*European Journal of Public Health*, sezione *viewpoints*, l'articolo "Measuring patient experiences in Europe: what can we learn from the experiences in the USA and England?" (Delnoij, 2009). Secondo l'autrice, un tratto dell'esperienza americana e inglese che potrebbe essere oggetto di particolare confronto per i Paesi europei che intendano introdurre programmi nazionali di misurazione della qualità dell'assistenza nella prospettiva del paziente è rappresentato dalla introduzione di un sistema integrato, sia per il miglioramento della qualità, sul versante interno alle organizzazioni, sia per il *reporting* e l'*accountability*, sul versante esterno. Le macro-caratteristiche salienti di quello che l'autrice definisce "sistema integrato" sono sostanzialmente due: coinvolgimento di tutti gli attori interessati (pazienti e loro associazioni, professionisti, manager, assicuratori, committenti) come prerequisito alla definizione sia delle informazioni da raccogliere sia delle modalità di fruizione delle stesse; funzione di guida e supporto, soprattutto per i professionisti e i manager (versante interno all'organizzazione), nella traduzione delle informazioni in azioni di miglioramento.

- Nel 2013 Elizabeth Morrow e colleghi hanno pubblicato un articolo sul *Journal of Clinical Epidemiology* nel quale identificano e analizzano i meccanismi attraverso cui l'esperienza dei pazienti (definita dagli autori *experiential knowledge*), con riguardo specifico alle patologie croniche, può essere resa accessibile, comprensibile e utilizzabile per il miglioramento dei processi e degli esiti dell'assistenza (Morrow *et al.*, 2013). Gli autori definiscono il termine "meccanismi" come "structured and deliberative activities or initiatives that are recognized as being part of established organizational work or professional practice". Le tipologie di meccanismi identificati sono 10:
 - *patient survey/patient feedback*;
 - *patient consultations (e.g. focus groups, interviews, arts-based methods)*;
 - *patient groups*;
 - *steering groups/advisory groups*;
 - *clinical trials*;
 - *national service user groups/networks*;
 - *health intervention/self-management programs*;
 - *patient experience-based approaches to service design or improvement*;
 - *coresearchers/peer interviewers*;
 - *participative action research*.

Di ciascun meccanismo gli autori analizzano punti di forza, debolezza e impatto.

1.4. Esiti riferiti dal paziente

Alle radici del termine

Secondo le fonti bibliografiche il termine *patient-reported outcome* (PRO) sarebbe stato proposto nel 2000 dalla Food and Drug Administration nell'ambito di un processo di ricognizione e revisione¹² delle varie misure di esito riferito direttamente dal paziente o da una persona a lui vicina (*patient proxy*) (Burke, 2000). In particolare, nel 2001 si è riunito un gruppo di lavoro composto dai membri di quattro società e agenzie americane ed europee,¹³ noto come PRO Harmonization Group, con il compito di formulare dei criteri per valutare, nell'ambito delle indicazioni terapeutiche relative ai prodotti farmaceutici, l'impiego di misure di qualità della vita associata alla salute (*health-related quality of life*) e di qualsiasi altra misura di esito rilevata

¹² Negli Stati Uniti, la Food and Drug Administration ha condotto una revisione di tutti quei prodotti farmaceutici, da approvare, che contenevano nelle indicazioni di utilizzo anche alcune comunicazioni relative alla qualità di vita associata alla salute, con l'obiettivo di identificare dei criteri per la loro valutazione.

¹³ International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR);
International Society for Quality-of-Life Studies (ISQOOL);
Pharmaceutical Research and Manufacturers of America Health Outcomes Committee (PhRMA-HOC);
European Regulatory Issues on Quality of Life Assessment (ERIQQA).
In Sitografia sono indicati i rispettivi siti web.

direttamente dal paziente, come anche per valutare la qualità di tali dati. Il PRO Harmonization Group si era concentrato su diversi aspetti, dedicando a ciascuno di essi un gruppo di lavoro, tra cui:

- definizione e operazionalizzazione dei *patient-reported outcome* (PROs) per finalità di ricerca;
- valore aggiunto dei PROs nella valutazione dei farmaci da commercializzare;
- interesse e richiesta di informazioni sui PROs da parte dei cosiddetti decisori.

In particolare, il primo gruppo di lavoro è giunto a una proposta di definizione sia di un *framework* generale, in cui le diverse misure di esito vengono classificate secondo la fonte della rilevazione (es. clinico, paziente, *caregiver*), sia del concetto di PRO, basato sostanzialmente più sulla fonte di informazione che sul contenuto (*Figura 1*). Il gruppo di lavoro afferma che:

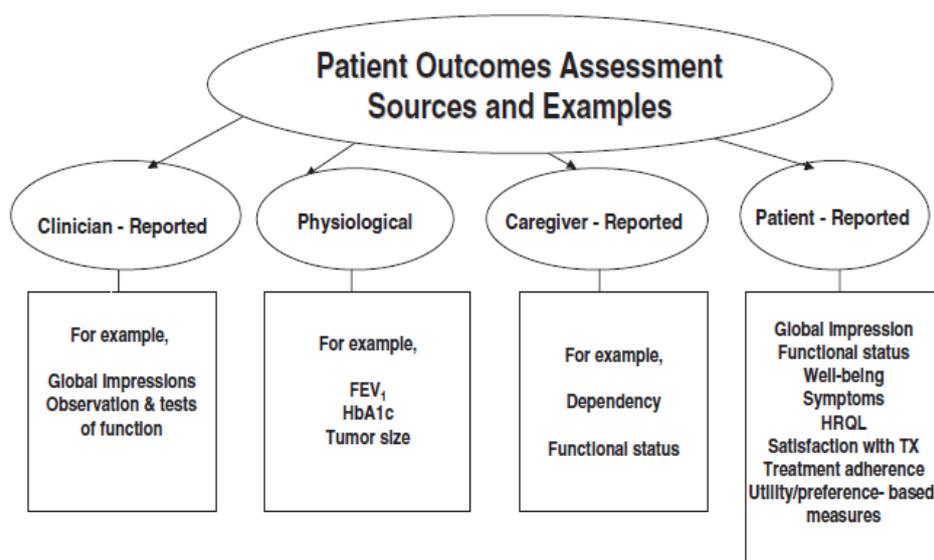
- ci sono diverse fonti potenziali di dati per valutare la sicurezza e l'efficacia di un nuovo farmaco (es. pazienti, clinici, *caregiver*). Ciascuna di esse rappresenta soprattutto "un ombrello" sotto cui possono essere collocate diverse tipologie di dati e informazioni. Ogni fonte di informazione offre una prospettiva specifica e non ridondante rispetto alle altre;
- la qualità di vita associata alla salute è soltanto una delle tipologie di informazioni collocate sotto il termine "ombrello" di *patient-reported outcome*. Altre informazioni riguardano, ad esempio, i sintomi, la soddisfazione del paziente per il trattamento ricevuto, lo stato funzionale, il benessere psicologico, l'aderenza al trattamento.¹⁴

Una delle raccomandazioni finali del gruppo di lavoro è che il *framework* e la definizione concettuale dei PROs sono pensati per l'utilizzo nel processo di valutazione dell'efficacia di un farmaco e della sua approvazione e pertanto l'appropriatezza del loro impiego al di fuori di tale contesto deve essere oggetto di una analisi separata.

Il secondo gruppo ha cercato di delineare le principali ragioni che giustificano l'utilizzo, e più in generale il valore dei PROs (*Tabella 1*). Esse vanno dall'affermazione della prospettiva del paziente quale elemento chiave nella diagnosi e trattamento dei disturbi al riconoscimento, per i nuovi prodotti farmaceutici, del ruolo dei PROs derivanti dai *clinical trial* per supportare l'*evidence based practice*.

¹⁴ Il gruppo di lavoro non si è però dedicato allo studio delle relazioni esistenti tra le diverse *patient-reported outcome measures* e le altre tipologie di misure di esito.

Figura 1. *Patient outcomes assessment: fonti ed esempi*



Fonte: Acquadro *et al.*, 2003.

Tabella 1. Sintesi dei punti chiave legati al valore degli esiti riferiti dal paziente (*patient-reported outcome*)

-
- La prospettiva del paziente costituisce un elemento chiave della diagnosi e del trattamento
 - Le informazioni fornite dal paziente sono indicatori unici e complementari (rispetto ad altre fonti informative) dell'evoluzione del disturbo e dell'efficacia del trattamento
 - Le organizzazioni professionali riconoscono il ruolo chiave giocato dalle informazioni fornite dal paziente nella diagnosi e nel trattamento, come dimostrano le linee guida cliniche
 - Nei *clinical trial* gli esiti riferiti dai pazienti offrono informazioni importanti per la valutazione dell'efficacia di nuovi trattamenti
 - Le misure di esito riferito dal paziente offrono dati precisi, affidabili, validi e riproducibili, ovvero dati coerenti con la definizione di strumento scientifico
 - L'inclusione degli esiti riferiti dai pazienti nei *clinical trial* è prevista dalle organizzazioni professionali, come dimostrano le linee guida per i *trial* sviluppate dalle organizzazioni professionali
 - Le informazioni riguardanti gli esiti riferiti dai pazienti sono essenziali per una pratica clinica basata sull'evidenza
 - Per l'utilizzo dei nuovi farmaci, i dati riguardanti gli esiti riferiti dai pazienti, raccolti nei *clinical trial*, supportano la pratica clinica basata sull'evidenza
-

Fonte: Acquadro *et al.*, 2003. Traduzione a cura degli autori.

L'ultimo gruppo ha invece cercato di illustrare i principali fattori che determinerebbero l'interesse e la domanda di PROs, identificandoli nell'aumento di patologie croniche (CDC Chronic Disease Prevention, 2002), nell'*empowerment* del paziente (Segal, 1998) e nella "trasformazione digitale" dell'assistenza sanitaria (Coile, 2000; Eysenbach, Diepgen, 2001).

Definizioni: evoluzione, elementi traccianti

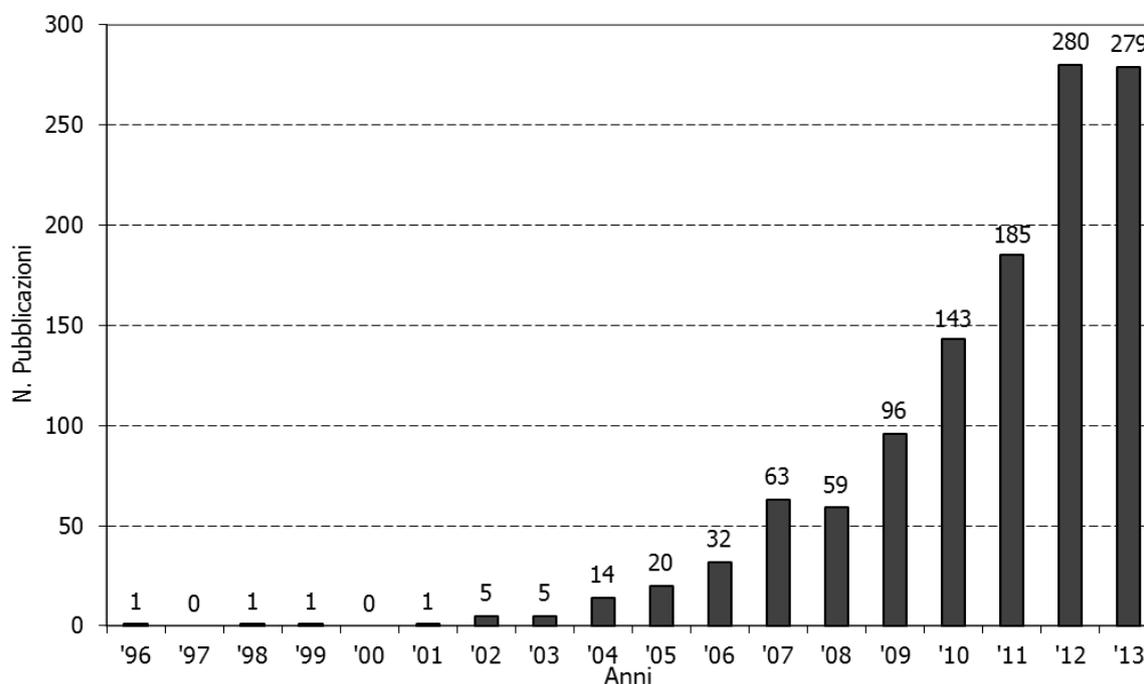
Negli anni 1996-2013 il numero complessivo di pubblicazioni in lingua inglese presenti nel database PubMed contenenti la parola chiave "*patient-reported outcome*" nel titolo o nell'*abstract* è risultato pari a 1.185.¹⁵ Dal 1996 al 2003 il numero annuale di pubblicazioni si è mantenuto sostanzialmente stabile e ≤ 5 all'anno, mentre dal 2004 in poi si è assistito ad un progressivo incremento che ha portato il numero di pubblicazioni da 14 nel 2004, a circa 280 negli anni 2012 e 2013 (settembre). I maggiori incrementi annuali si sono verificati a partire dal 2009 (*Figura 2*). La quasi totale assenza di pubblicazioni contenenti la parola chiave "*patient-reported outcome*" nel periodo 1996-2001 pare trovare una plausibile spiegazione nel fatto che tale termine sarebbe stato proposto, o quantomeno ufficializzato ad un'ampia platea internazionale, dalla Food and Drug Administration nel 2000 (secondo la ricostruzione storica effettuata dagli autori, vedi *Paragrafo precedente*).

¹⁵ Tale valore rappresenta una sottostima del numero complessivo di pubblicazioni riguardanti i *patient-reported outcomes* (PROs). Patrick DL. e colleghi (2011) sostengono che

... *Review authors cannot rely on a single index or subheading search term to identify studies addressing PROs. Multiple search terms are usually necessary.*

Tuttavia, l'intento degli autori del presente Dossier è offrire una sintetica panoramica iniziale, per quanto approssimativa, utile ad introdurre i temi affrontati nel Paragrafo.

Figura 2. Andamento del numero di pubblicazioni con la parola chiave "patient-reported outcome". Anni 1996-2013



Box 3. Principali definizioni di *patient-reported outcome* in una prospettiva storica (2000-2013)¹⁶

1. *The term, patient reported outcomes, addresses the source of the report rather than the content. PROs are a useful terminology as an organizing tool for the many concepts and applications of self-reports in treatment evaluations and population surveys. Rather than "lump" all the different concepts of PROs under an umbrella term such as Quality of Life or Functional Status, PRO terminology permits primary identification that this information comes directly from the patient and avoids confusion in using one or more concepts as an over-arching term with little specification (Patrick, 2003).*
2. *Patient-reported outcomes (PRO) is an umbrella term that includes outcome data reported directly by the patient. It is one source of data that may be used to describe a patient's condition and response to treatment. It includes such outcomes as global impressions, functional status, well-being, symptoms, health related quality of life (HRQL), satisfaction with treatment, and treatment adherence (Berger et al., 2003).*

¹⁶ Si è ritenuto opportuno riportare ogni definizione letteralmente, ovvero mantenendo la lingua originale della stessa, per non comprometterne il significato. La ricerca è stata limitata a pubblicazioni in lingua inglese o italiana.

3. *Before it is possible to decide which instruments to select to assess patient-reported outcomes (PROs), it is essential to be clear about the constructs that need to be assessed. [...] It is common for authors to describe anything they have measured as quality of life (QoL) - simply because the information was collected from patients. It should be noted that "patient-reported" implies that the instrument is completed by the patient. It should not be inferred from this term that the information gained is necessarily of direct concern to the patient (Doward, McKenna, 2004).*
4. *Patient-reported outcome measures (PROMs) are measures of a patient's health status or health-related quality of life. They are typically short, self-completed questionnaires, which measure the patients' health status or health related quality of life at a single point in time (Department of Health, 2008).*
5. *Patient-Reported Outcome Measures (PROMs) are measures of a patient's health status or health-related quality of life. They are a means of collecting information on the clinical quality of care delivered to NHS patients as perceived by the patients themselves. They are short, self-completed questionnaires, which measure the patients' health status or health related quality of life at a single point in time. The Health status information collected from patients by way of PROMs questionnaires before and after an intervention provides an indication of the outcomes or quality of care delivered to NHS Patients (National Health Service, 2009).*
6. *Patient-reported outcome (PRO) - A measurement based on a report that comes directly from the patient (i.e. study subject) about the status of a patient's health condition without amendment or interpretation of the patient's response by a clinician or anyone else. A PRO can be measured by self-report or by interview provided that the interviewer records only the patient's response (Food and Drug Administration, 2009).*
7. *A patient-reported outcome measure (PROM) is a series of questions that patients are asked in order to gauge their views on their own health. The name is fairly self-explanatory: PROMs are completed by patients themselves. The purpose of PROMs is to get patients' own assessment of their health and health-related quality of life - PROMs questionnaires do not ask about patients' satisfaction with or experience of health care services, or seek their opinions about how successful their treatment was (Devlin, Appleby, 2010).*
8. *Patient-reported outcome measures (PROMs) provide a means of gaining an insight into the way patients perceive their health and the impact that treatments or adjustments to lifestyle have on their quality of life. These instruments can be completed by a patient or individual about themselves, or by others on their behalf (University of Oxford, PROM Group, 2012).*
9. *Patient-reported outcomes (PROs) is the term used to denote health data that is provided by the patient through a system of reporting. A patient-reported outcome is basically a patient's feedback on their feelings or what they are able to do as they are dealing with chronic diseases or conditions. PROs can also be measured when patients are undergoing treatment or are participating in a clinical trial (National Institute of Health, USA, 2012).*
10. *The term, addresses the source of the report rather than the content. PROs are a useful terminology as an organizing tool for the many concepts and applications of self-reports in treatment evaluations. Lumping all the different concepts of PROs under an umbrella term such as Quality of Life or Health-Related Quality of Life confuses many persons and studies, because such disparate concepts are included in the label. PRO terminology permits primary identification that this information comes directly from the patient and avoids confusion in using one or more concepts as an over-arching term with little specification (Cochrane Collaboration, Patient-Reported Outcomes Methods Group, 2012).*

11. *I patient-reported outcome (PROs) permettono di descrivere, misurare e valutare lo stato di salute del paziente attraverso la sua stessa percezione della propria condizione di salute, fornendo una maggiore attendibilità alla valutazione complessiva dello stato di benessere. I PROs vengono utilizzati per misurare concetti generali, come lo stato di salute generale, o presenza e intensità di specifici sintomi (es. dolore), e concetti molto complessi, come la "qualità della vita", misura multidimensionale che fa riferimento a tutti gli aspetti dello stato di salute della persona (fisico, psicologico e sociale) (Istituto superiore di sanità, PROMote, 2012).*

Fonte: analisi condotta dagli autori, settembre 2013.

Alcune classificazioni internazionali dei costrutti

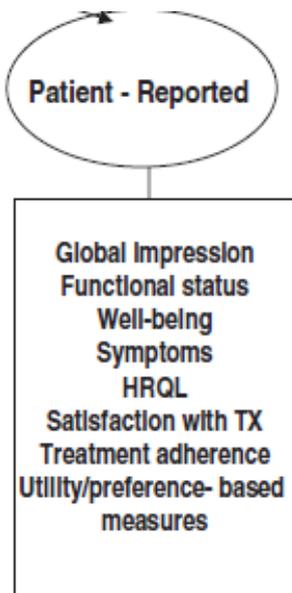
La molteplicità dei costrutti¹⁷ che potenzialmente rientrano sotto l'ombrello di *patient-reported outcome* e l'assenza di un *framework* condiviso hanno condotto gli studiosi di vari Paesi (in particolare Stati Uniti, Regno Unito, Spagna) a tentarne una loro classificazione.

Negli Stati Uniti sono stati proposti diversi *framework* per la classificazione di questi costrutti. Una prima proposta è stata formulata nel 2000 dalla Food and Drug Administration (*Figura 3*). La FDA non ha però cercato di raccogliere e classificare in maniera sistematica i vari costrutti, si è limitata a proporre un elenco dei più frequenti.

Una seconda proposta è stata formulata nel 2003 dal Prof. Donald Patrick dell'Università di Washington a Seattle (*Tabella 2*). Nella classificazione dei vari costrutti PRO sono inclusi tutti quegli aspetti dell'esistenza umana che influenzano e/o sono influenzati, in maniera più o meno diretta, dalle condizioni di salute (dalla sintomatologia legata a un disturbo fino agli aspetti spirituali e ambientali).

¹⁷ Il termine costrutto viene impiegato in questo Dossier secondo l'accezione derivante dalla psicologia e psicometria. In termini generali e sintetici esso si riferisce alla definizione operativa (misurabile) di un determinato concetto. Per approfondimenti si rimanda agli innumerevoli testi di metodologia della ricerca psicologica e sociale.

Figura 3. Esito riferito dal paziente: esempi di costrutti



Fonte: Acquadro *et al.*, 2003.

Legenda

HRQL *health-related quality of life* - qualità della vita associata alla salute

TX trattamento

Tabella 2. Contenuto delle *patient-reported outcome measure*

Concetti	Domini e attributi
Sintomi	Frequenza, gravità, disagio Riferire riguardo a sintomi fisici e psicologici o sensazioni non direttamente osservabili (es. grado di energia e affaticamento, nausea, irritabilità)
Stato funzionale	Frequenza, difficoltà, gravità, capacità, con o senza supporto
<ul style="list-style-type: none"> • Fisico 	Limitazioni nelle funzioni, restrizioni nelle normali attività, es. <i>self care</i> , camminare, muoversi, talvolta nel dormire e nella vita sessuale
<ul style="list-style-type: none"> • Psicologico 	Sentimento positivo o negativo, aspetti cognitivi, es. rabbia, stato di allerta, autostima, sensazione di benessere, stress
<ul style="list-style-type: none"> • Sociale 	Coinvolgimento, limitazioni nella sfera lavorativa, nella scuola, nel tempo libero, nella gestione delle faccende domestiche, partecipazione alla vita sociale della comunità
Percezione dello stato di salute	Frequenza, gravità/intensità, soddisfazione
<ul style="list-style-type: none"> • Globale 	Valutazione generale delle condizioni di salute e della qualità della vita, ad esempio, livello di soddisfazione o di benessere complessivo
<ul style="list-style-type: none"> • Preoccupazioni e dubbi 	Riguardo alla salute, agli aspetti finanziari, al futuro
Dimensione spirituale	Significato e scopo della vita, rapporto con la divinità, sistema di credenze
Condizione di svantaggio / opportunità	Frequenza, impatto Percezione di essere stigmatizzati o discriminati a causa delle proprie condizioni di salute, presenza di condizioni vantaggiose
Resilienza	Frequenza, soddisfazione, capacità Riferire riguardo alla capacità di affrontare o tollerare lo stress e la malattia
Ambiente	Soddisfazione, importanza Valutazioni riguardanti la sicurezza personale, l'adeguatezza della condizione abitativa, il senso di rispetto, il livello di libertà, ecc.
Soddisfazione per il trattamento	Aspettative, soddisfazione, importanza Riferire riguardo al trattamento ricevuto e all'esperienza connessa ad esso
Aderenza a un trattamento prescritto o raccomandato	Comportamenti legati direttamente agli esiti di salute Riferire riguardo all'assunzione di un trattamento farmacologico, dosi, frequenza o riguardo a comportamenti abituali come l'utilizzo dello spazzolino per la pulizia dei denti

Fonte: Patrick, Chiang, 2000 (modif.). Traduzione a cura degli autori.

Una terza proposta è quella formulata nel 2010 da un gruppo di studiosi dell'Agency for Healthcare Research and Quality e della Johns Hopkins Bloomberg School of Public Health (Wu *et al.*, 2010) (*Tabella 3*). Nell'analisi condotta dagli autori sono stati identificati i costrutti relativi a qualità della vita associata alla salute, sintomi (es. dolore, nausea), valutazione della qualità/soddisfazione per l'assistenza (es. valutazione delle informazioni fornite dal medico), utilizzo dei servizi sanitari (es. possesso dello strumento per la rilevazione dell'asma), comportamento relativo alla propria salute (es. aderenza al trattamento, fumare).

Tabella 3. Tipologie di esiti riferiti dal paziente

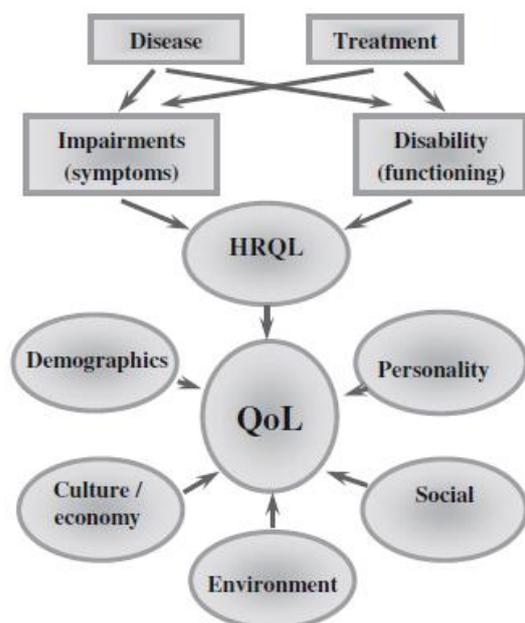
Dominio	Esempio
Qualità di vita associata alla salute	Percezioni riguardanti salute generale, funzionamento fisico, funzionamento sociale, benessere psicologico
Sintomi	Dolore, nausea, prurito
Valutazione della qualità dell'assistenza/ soddisfazione per l'assistenza	Valutazione delle informazioni fornite dal medico
Ricorso ai servizi sanitari	Possedere un misuratore di picco di flusso per il monitoraggio dell'asma
Comportamenti legati alla salute	Aderenza al trattamento farmacologico, fumare

Fonte: Wu *et al.*, 2010. Traduzione a cura degli autori.

Nel Regno Unito, Doward e McKenna (2004) del Galen Research di Manchester hanno proposto un *framework* nel quale la qualità della vita e la qualità della vita associata alla salute¹⁸ rappresentano i costrutti centrali (*Figura 4*). Gli autori ritengono che per ottenere un quadro il più completo possibile dell'impatto del disturbo e dell'efficacia del trattamento sull'individuo è essenziale misurare la qualità della vita in generale. Essa è influenzata da diversi fattori, alcuni dei quali sono associati alla salute (livello di peggioramento/miglioramento nella sintomatologia e nel grado di disabilità), altri invece ad aspetti diversi, come la personalità, le caratteristiche demografiche, sociali, culturali, economiche e ambientali.

¹⁸ L'evoluzione del concetto di *health-related quality of life* è stata approfondita recentemente da un gruppo di ricercatori italiani (Ierardi *et al.*, 2012).

Figura 4. Fattori che influenzano la qualità della vita



Fonte: Doward, McKenna, 2004.

Legenda

HRQL *health-related quality of life* - qualità della vita associata alla salute

QL *quality of life* - qualità della vita

In Spagna, Valderas e Alonso (2008) dell'Institut Municipal d'Investigació Mèdica di Barcellona hanno proposto un *framework* (Figura 5) che si discosta da quelli fino ad ora illustrati per due ragioni principali:

- i principali costrutti ricompresi nella cornice PRO (es. sintomi, stato funzionale, percezioni dello stato di salute, qualità della vita associata alla salute) sono stati inseriti all'interno di un più ampio modello relativo agli esiti di salute, sviluppato negli anni '90 (Wilson, Cleary, 1995);
- per definire i vari costrutti PRO sono state utilizzate l'International Classification of Diseases e l'International Classification of Functioning, Disability and Health dell'Organizzazione mondiale della sanità.

Gli autori intendevano in questo modo affrontare alcune criticità, come la scarsa chiarezza nella descrizione delle relazioni tra esiti di salute riportati dai pazienti e altre tipologie di esiti sempre riferiti alla salute (Acquadro, 2003), e la scarsa standardizzazione delle definizioni dei costrutti inclusi nei PROs, spesso definiti *ad hoc*.

dualità esistente tra il concetto generale e quello specifico (Miettinen, 1987). Negli anni a seguire non si è assistito a progressi significativi, a fronte di un crescente interesse sul tema, come testimonia l'esponentiale aumento di pubblicazioni biomediche sul tema *quality of life*;²⁰

- la presenza di una pluralità di definizioni di "qualità della vita associata alla salute" e l'assenza di una qualche forma di consenso riguardo ai "domini che dovrebbero essere inclusi" (Doward, McKenna, 2004). A titolo esemplificativo si riportano le diverse definizioni di *health-related quality of life* proposte dal Patient-Reported Outcomes Methods Group, della Cochrane Collaboration (2012):²¹
 - stato di salute personale, riferito generalmente ad aspetti della vita dominati o significativamente influenzati dalla condizione di benessere fisico o mentale (Bungay, Ware, 1993, come citati nel Glossario elaborato dal Patient-Reported Outcomes Methods Group della Cochrane Collaboration, 2012);
 - misure della qualità della vita che possono probabilmente essere influenzate da interventi sulla salute (Anonimo, 2001, come citato nel Glossario elaborato dal Patient-Reported Outcomes Methods Group della Cochrane Collaboration, 2012);
 - livello individuale di benessere associato alla salute. La misurazione della qualità di vita associata alla salute riguarda le varie dimensioni della salute (es. fisica o mentale) (autore non specificato, come citato nel Glossario elaborato dal Patient-Reported Outcomes Methods Group della Cochrane Collaboration, 2012);
 - il valore attribuito all'aspettativa della vita come modificata da quei deterioramenti, da quegli stati funzionali, da quelle percezioni e opportunità sociali che sono influenzati dai disturbi, dai trattamenti e dalle politiche (Patrick, Erickson, 1993, come citati nel Glossario elaborato dal Patient-Reported Outcomes Methods Group della Cochrane Collaboration, 2012).

Tra i pochi aspetti su cui emerge un sostanziale accordo degli studiosi vi è la natura multidimensionale del concetto di "qualità di vita associata alla salute" e il riconoscimento che la sua definizione dipende sostanzialmente dalle ragioni e dagli interessi specifici dei ricercatori, dei clinici e dei pazienti (Gordon *et al.*, 1993; Ierardi *et al.*, 2012; Pais-Ribeiro, 2004).

²⁰ Attraverso una ricerca bibliografica su PubMed con la parola chiave "*health-related quality of life*" e relativa agli articoli pubblicati nel periodo 1975-2010, Ierardi *et al.* (2012) hanno raccolto in totale 150.000 articoli, di cui circa 4.000 riferiti agli anni 1975-1984 e circa 73.000 riferiti agli anni 2005-2010. Gli stessi autori precisano inoltre come non esista la parola chiave *health-related quality of life* nel vocabolario dei termini controllati (Medical Subject Headings - MeSH) di PubMed. Per effettuare una ricerca bibliografica è pertanto necessario ricorrere ad altri termini, ad es. *quality of life*, *health status*, *functional status*, *subjective health*, i quali vengono abitualmente utilizzati in maniera intercambiabile.

²¹ Il gruppo di studio è stato istituito presso la Cochrane Collaboration con la denominazione di Health Related Quality of Life Methods Group nel 2001. In seguito, nel 2005, il gruppo è stato ridenominato Patient-Reported Outcomes Methods Group.

1.5. Considerazioni conclusive

Attraverso l'idea di "assistenza centrata sul paziente" si intende mettere in evidenza l'importanza della prospettiva/punto di vista del paziente, del cittadino, del consumatore (e non solo quella dei vari gruppi di interesse interni al sistema sanitario) per diverse finalità, inclusa la misurazione, il monitoraggio e la valutazione dell'assistenza sanitaria, a cominciare dal livello micro, cioè la cura del singolo individuo. A questo livello, i pazienti possono infatti offrire informazioni e approfondimenti unici sulla cosiddetta "umanità" delle cure (es. dignità, rispetto, *privacy*, bisogno di informazioni e conoscenza, attesa e ritardi, condizioni igieniche delle strutture) e anche sulla loro efficacia (es. alleviare il dolore, ridurre il grado di disabilità, migliorare la qualità della vita) (Black, Jenkinson, 2009). I termini *patient-reported experience* e *patient-reported outcome* farebbero proprio riferimento a questi due aspetti.

Se dal punto di vista della sequenza logica paiono non emergere criticità, da un punto di vista prevalentemente concettuale i punti critici e i quesiti aperti possono essere diversi.

- Dai risultati dell'analisi condotta per il presente Dossier sono emersi da un lato l'assenza di definizioni e *framework* condivisi a livello internazionale dell'assistenza centrata sul paziente, dall'altro la sostanziale sovrapposizione dei costrutti sottesi a tale concetto con quelli relativi alla definizione di *patient-reported experience* del Picker Institute. Le domande che emergono sono diverse: Quali sono le ragioni alla base delle diverse declinazioni assegnate a tale termine nei vari Paesi? Quali sono gli elementi comuni e le differenze nella definizione come nell'utilizzo? Qual è lo specifico contributo concettuale che il termine di assistenza centrata sul paziente offre? È ragionevole ipotizzare che esso rappresenti semplicemente un principio etico ad uso e consumo dei *policy maker* rimandando ad altri termini la sua definizione operativa, come ad es. *patient satisfaction patient-reported experience, patient-reported outcome*?
- Qual è il contributo originale sul piano concettuale del termine *empowerment* rispetto ai concetti trattati nel presente Capitolo quali l'assistenza centrata sul paziente, la *patient-reported experience*, i *patient-reported outcomes*? Quali relazioni intercorrono, in termini di sovrapposizioni-differenze-integrazione? Si tratta di quesiti a cui alcuni studiosi a livello internazionale stanno cercando di dare risposta, in particolare nell'ambito dell'assistenza alle patologie croniche (McAllister *et al.*, 2012; Pulvirenti *et al.*, 2012). A livello nazionale, l'*empowerment* rappresenta uno dei macro-criteri del sistema di valutazione della qualità dell'assistenza sanitaria (Di Stanislao, Carinci, 2012; Ministero della salute, 2011). Lo sviluppo dei processi di *empowerment* nel Servizio sanitario nazionale costituisce da diversi anni una specifica linea progettuale dell'AgeNaS, a cui partecipano Regioni e Aziende sanitarie (AA.VV., 2010, 2013).
- I contenuti dei termini assistenza centrata sul paziente, *patient satisfaction patient-reported experience, patient-reported outcome* colgono la "reale" prospettiva dei cittadini/consumatori/utenti/pazienti, nel senso che identificano gli elementi da loro giudicati più rilevanti? Quali significati sono attribuiti a tali termini da coloro che sono chiamati in causa direttamente (i pazienti) e da coloro che sono coinvolti, a vario titolo, nella loro traduzione pratica? Tali quesiti si rifanno a una tematica oggetto di ampio dibattito nella letteratura internazionale, anche se scarsamente indagata sul piano empirico (Bechtel, Ness, 2010;

Bossola *et al.*, 2010; Detsky, 2011; Gillespie *et al.*, 2004; Godlee, 2012; Liberati, 2011; Reuben, Tinetti, 2012; Trujols *et al.*, 2013), che se non affrontata espone tali termini a non pochi dubbi circa la loro "reale" consistenza.

- Qual è il legame tra esperienza del paziente, intesa come una dimensione della qualità dell'assistenza, e altre dimensioni quali l'efficacia, la sicurezza e l'efficienza? Ad esempio, una recente revisione sistematica con l'obiettivo di indagare il legame tra esperienza dei pazienti (*patient experience*), sicurezza (*clinical safety*) ed efficacia (*effectiveness*) offre alcuni spunti (Doyle *et al.* 2013). I risultati dell'analisi paiono indicare un'associazione positiva tra le tre dimensioni e trasversale a un ampio *range* di problemi di salute, di gruppi di popolazione, di setting, di disegni di studio e di misure.
- Il termine di assistenza centrata sul paziente si presta infine a una domanda provocatoria: Possono esistere un'assistenza, un sistema sanitario, non centrati sul paziente sia esso inteso come una persona o come un consumatore, portatori comunque di un diritto (es. alla salute, alla scelta)?

Le criticità riferite al concetto di assistenza centrata sul paziente e riguardanti in particolare la assenza di un *framework* condiviso a livello internazionale, potrebbero essere estese anche al concetto di esiti riferiti dal paziente. Il termine evidenzia infatti la fonte dell'informazione, più che il suo contenuto. Quest'ultimo concetto si differenzia, però, in maniera sostanziale dal primo soprattutto negli aspetti concernenti la misurazione. Nella letteratura internazionale sono poco numerose le esperienze, come gli strumenti, di misurazione del concetto di assistenza centrata sul paziente, e sono circoscritte sostanzialmente all'assistenza primaria (Hudon *et al.*, 2011). Vi sarebbero peraltro diverse criticità nei correnti approcci di misurazione dell'assistenza centrata sul paziente, buona parte risultato di una confusione tra aspetti filosofici, comportamenti ed esiti (Epstein, Street, 2011). Il concetto di esiti riferiti dal paziente si compone, invece, di una vasta gamma di misure di determinati costrutti e di strumenti che permettono di riportarlo a una discussione maggiormente concreta e operativa, e meno teorica (o forse retorica). Il termine *patient-reported outcome* (PRO) è pertanto strettamente connesso a quello di *patient-reported outcome measures* (PROMs), oggetto del Capitolo 2. Si sottolinea, non ultimo, come tali misure siano state recentemente incluse nel *framework* per la misurazione della *performance* dei sistemi sanitari proposto dalla sezione europea dell'Organizzazione mondiale della sanità, al fianco delle più tradizionali misure riferite allo stato di salute della popolazione, alla appropriatezza clinica e organizzativa delle prestazioni e servizi, e alla produttività ed efficienza (Smith *et al.*, 2009).

2. Strumenti e misure

2.1. Introduzione

In questo Capitolo vengono sinteticamente illustrate le caratteristiche degli strumenti e delle misure riferite ai *patient-reported outcome*. Esula dagli obiettivi della presente trattazione il redigere una sorta di elenco, catalogo, il più possibile esaustivo, degli innumerevoli strumenti e misure fino ad ora prodotti. A tal riguardo sono già disponibili dei *database*. Ad esempio, il francese MAPI Research Institute ha avviato nel 2002 la costruzione di un ampio *database*, denominato dal 2005 Patient-Reported Outcome and Quality of life Instruments Database (PROQOLID), con l'obiettivo di offrire una raccolta il più possibile esaustiva e aggiornata dei principali strumenti per la misurazione degli esiti riferiti dai pazienti e facilitare la scelta di quello maggiormente appropriato rispetto alle specifiche finalità. Nel *database* vengono fornite numerose informazioni relative ad ogni strumento: autore, obiettivo, modalità di somministrazione, lingua originale e traduzioni esistenti, numero di *item*, proprietà psicometriche, e - quando disponibile - una copia originale dello strumento e il manuale di utilizzo. Gli strumenti sono classificati secondo diversi criteri: nome dello strumento, nome dell'autore, lingua (compreso le traduzioni disponibili), costruito misurato (es. qualità della vita associata alla salute, particolari segni e sintomi, soddisfazione del paziente), insieme di disturbi collegati a un apparato (es. disturbi cardiovascolari) o specifico disturbo, procedura o intervento, popolazione target, modalità di somministrazione, ecc. Nel 2013 il *database* contiene 767 strumenti.²²

Nella prima parte del Capitolo viene proposto un inquadramento dei principali punti relativi agli strumenti (cosa sono, chi li compila, quando e come si somministrano) (*Paragrafo 2.2*) e alle misure (soprattutto come classificarle) (*Paragrafo 2.3*). Nella seconda parte del Capitolo (*Paragrafo 2.4*) vengono invece presentati a titolo esemplificativo due strumenti, l'EQ-5D e l'Oxford Knee Score, classificabili nell'ambito degli strumenti e misure di esito riferito dal paziente. Nella loro descrizione e analisi viene posta una particolare attenzione alla struttura, allo *scoring system*, alla interpretazione e presentazione dei dati, come anche agli eventuali pregi e limiti nell'utilizzo.

Nelle conclusioni si riportano alcune considerazioni metodologiche su due questioni rilevanti: la scelta del questionario e l'interpretazione dei dati. Si tratta di due dei principali temi su cui si concentra l'attenzione di chi intende utilizzare un PRO e su cui permane tuttora un discreto livello di incertezza.

²² Per approfondimenti consultare <http://www.proqolid.org/> (ultimo accesso marzo 2014).

2.2. Caratteristiche generali degli strumenti

Da un punto di vista concettuale (vedi *Box 2* nel *Capitolo 1*) *patient-reported outcome* è un termine "ombrello" (Berger *et al.*, 2003) che identifica la fonte da cui è raccolta l'informazione, ovvero il paziente (ed eventualmente i suoi familiari e amici - *patient proxy*), più che il suo contenuto (Patrick, 2003). I costrutti racchiusi all'interno di tale termine sono diversi, come diversi sono stati i tentativi di classificarli da parte di studiosi di diversi Paesi (vedi *Figure 3, 4 e 5 e Tabelle 2 e 3* nel *Capitolo 1*), senza tuttavia pervenire a uno schema condiviso a livello internazionale.

Da un punto di vista squisitamente tecnico, operativo, gli strumenti attraverso cui vengono raccolte le informazioni son in genere questionari o interviste, che contengono una serie di domande, riguardanti sia aspetti generali come la percezione dello stato di salute e della qualità di vita associata alla salute, sia aspetti specifici come la percezione di dolore, di difficoltà nello svolgimento delle attività della vita quotidiana derivanti da un determinato disturbo e/o trattamento.

I questionari vengono completati dal paziente stesso; possono essere previste eccezioni nei casi in cui il paziente presenti delle difficoltà nel rispondere alle domande, attribuibili ad esempio a problemi di comprensione legati all'età (nel caso il paziente sia un bambino) o al livello di istruzione, a problemi di lingua, a problemi di deterioramento cognitivo (soprattutto nel caso di pazienti anziani). In tali casi, il paziente può essere aiutato dalla famiglia, da amici o direttamente dagli operatori sanitari (Department of Health, 8 dicembre 2008).

Inoltre, alcune domande presenti nei questionari somministrati ai pazienti possono essere rivolte anche alla popolazione generale, non sofferente di alcun disturbo. È il caso dell'annuale Health Survey for England del Department of Health)²³ e della quinquennale indagine multiscopo "Condizioni di salute e ricorso ai servizi sanitari" dell'Istituto nazionale di statistica (ISTAT).²⁴

²³ La Health Survey for England (HSE) comprende una serie di indagini annuali, effettuate a partire dal 1991. Ogni indagine ha un contenuto fisso *core* (es. salute generale, stile di vita, peso e altezza, pressione arteriosa), incluso ogni anno, e alcuni approfondimenti su specifiche tematiche (es. disturbi cardiovascolari, incidenti, funzione respiratoria) inclusi in anni selezionati.

Le indagini sono disponibili su <http://www.hscic.gov.uk/article/3659/Health-Survey-for-England> (ultimo accesso marzo 2014)

²⁴ L'indagine indaga anche aspetti relativi all'esperienza di utilizzo dei servizi, e non solo alla percezione dello stato di salute. La rilevazione dello stato di salute avviene mediante il questionario SF-12 (*Short Form Health Survey*), tratto da una versione più estesa (SF-36). Con il SF-12 vengono studiati otto diversi aspetti relativi allo stato di salute: attività fisica, limitazioni di ruolo dovute alla salute fisica, stato emotivo, dolore fisico, percezione dello stato di salute generale, vitalità, attività sociali e salute mentale. La sintesi dei punteggi consente di costruire due indici dello stato di salute, uno riguardante lo stato fisico (*Physical Component Summary*), l'altro quello psicologico (*Mental Component Summary*). I dati dell'ultima rilevazione sono disponibili sul sito <http://www.istat.it/it/archivio/10836> (ultimo accesso marzo 2014).

Trattandosi di strumenti che rilevano il cosiddetto "esito", essi dovrebbero essere somministrati in tempi diversi, ovvero ripetutamente (per esempio, prima e dopo un intervento) (Black, Jenkinson, 2009). La risposta alla domanda "Qual è il momento migliore per raccogliere il punto di vista del paziente" non è però ovvia, e necessita di una contestualizzazione: nel trattamento di una condizione clinica ben delimitata (come può essere l'intervento all'anca o al ginocchio) è meno complesso definire un "prima" e un "dopo" rispetto al trattamento di una condizione cronica,. Inoltre, a seconda della condizione clinica cambiano anche gli obiettivi della rilevazione. Ad esempio, se si somministra il questionario a un paziente che ha da poco effettuato un intervento chirurgico, l'obiettivo sarà rilevare i miglioramenti rispetto allo stato di salute precedente l'intervento; se invece si somministra il questionario a un paziente che soffre di una patologia cronica, l'obiettivo sarà rilevare il mantenimento e il non deterioramento di un determinato stato di salute.

Gli strumenti PRO possono essere somministrati con diverse modalità, dalle più tradizionali (es. questionario cartaceo, intervista, telefono) alle più innovative, che si basano sulle tecnologie informatiche del web. Alcuni autori ritengono che l'utilizzo del web rappresenti la modalità futura per la somministrazione dei questionari (Cella *et al.*, 2007), in quanto, rispetto alle modalità convenzionali, è maggiormente costo-efficace, soprattutto nello studio di ampi ed eterogenei campioni di popolazione, generale o sofferente di qualche disturbo; presenta una maggiore capacità di raggiungere e reclutare campioni specifici (es. persone con caratteristiche rare nella popolazione generale); consente una maggiore standardizzazione del processo di raccolta dei dati e quindi una maggiore riproducibilità (Liu *et al.*, 2010). Vi sono, tuttavia anche dei potenziali problemi, come la difficoltà di garantire la riservatezza e la sicurezza dei dati personali, il rischio di avere un elevato tasso di non-risposte nella fase di *follow up*, il rischio di *bias* di selezione nel caso di persone che hanno difficoltà ad accedere al web (Birnbbaum, 2004; Schmidt, 1997).

La esponenziale moltiplicazione degli strumenti ha peraltro generato la necessità di una loro raccolta e organizzazione per facilitare il compito di chi (ricercatore o clinico) li vuole somministrare. Un esempio è rappresentato dal Patient-Reported Outcome and Quality of life Instruments Database (PROQOLID), brevemente illustrato nell'introduzione al presente Capitolo.

2.3. Classificazione delle misure

Nella letteratura scientifica internazionale sono stati proposti diversi sistemi di classificazione delle misure di esito riferito dal paziente, sistemi spesso coincidenti con gli strumenti stessi.

Analizzando le varie tassonomie per Paese²⁵ emerge come i contributi più rilevanti provengano da Stati Uniti (Food and Drug Administration, 2006; Patrick, 2003), Regno Unito (Devlin, Appleby, 2010; Garratt *et al.*, 2002) e Spagna (Valderas, Alonso, 2008). Tra queste, lo schema proposto nel 2010 da Nancy Devlin e John Appleby del King's Fund pare evidenziare due criteri di classificazione universalmente accettati, e corrispondenti a due precise domande: "Come viene misurato lo stato di salute?" e "Come vengono sintetizzati i risultati?" (*Tabella 4*). Per rispondere alla prima domanda gli autori hanno proposto una distinzione delle misure in generiche e specifiche (condizione o disturbo). Le prime sono riferite soprattutto alla percezione dello stato di salute generale e della qualità di vita associata alla salute. Possono riguardare sia la popolazione generale che gruppi di popolazione sofferenti di diverse patologie o sottoposti a diversi interventi, e permettono un confronto tra gruppi diversi. Le seconde sono, invece, riferite a una specifica condizione di salute, a un particolare disturbo, e ad alcune tipologie di sintomi (es. dolore, ansia, paura, depressione) e di funzioni (es. relative allo svolgimento delle attività della vita quotidiana). Riguardano specifici gruppi di popolazione (es. per patologia, per intervento). Per rispondere alla seconda domanda gli stessi autori hanno suggerito la distinzione tra punteggio (*score*) e valore (*value*). Per *score* essi intendono il metodo attraverso cui, ad esempio, viene assegnato un punteggio a ogni risposta del paziente, e in seguito si procede alla somma di questi per ottenere un punteggio complessivo; per *value* il metodo con cui, ad esempio, viene chiesto al paziente di esprimere mediante un punteggio il proprio stato di salute complessivo. Attraverso questo secondo metodo sarebbe possibile misurare l'importanza che il paziente attribuisce a un determinato aspetto della propria salute.

²⁵ La raccolta dei sistemi di classificazione delle misure di esito riferito dal paziente è stata condotta dagli autori del presente dossier, senza alcuna pretesa di esaustività.

Tabella 4. Tassonomia delle differenti tipologie di misure di esito riferito dal paziente, con esempi

Come viene sintetizzato lo stato di salute ?	Come viene misurato lo stato di salute?	
	Generica	Condizione-specifica
Punteggi	Lo strumento maggiormente utilizzato è l'SF-36. Comprende 36 domande. La salute del paziente viene sintetizzata in due punteggi corrispondenti a due dimensioni diverse: salute mentale e salute fisica. Non è disponibile un punteggio complessivo	Sono disponibili migliaia di strumenti ²⁶
Valori	<p>Lo strumento maggiormente utilizzato nel Regno Unito e in Europa è l'EQ-5D. Comprende 5 domande, ciascuna corrispondente a una diversa dimensione della salute. Inoltre al paziente viene chiesto di fornire una valutazione complessiva del suo stato di salute, utilizzando una scala che varia da 0 (peggiore stato di salute possibile) a 100 (migliore stato di salute possibile).</p> <p>È anche possibile attribuire alla salute, come descritta nelle cinque dimensioni, un valore scelto all'interno di un set di valori, che riflette la visione e le preferenze della popolazione generale rispetto a quel determinato stato di salute.</p> <p>Questa è la modalità con cui vengono utilizzati i dati dal National Institute for Health and Clinical Excellence, ad esempio nello stimare gli anni di vita guadagnati ponderati per la qualità della vita (<i>quality adjusted life years</i>)</p>	Nessuno strumento misura la qualità di vita complessiva del paziente né il valore che il paziente e la società attribuiscono ad essa

Fonte: Devlin, Appleby, 2010. Traduzione a cura degli autori.

²⁶ Predisporre un elenco dettagliato - come pure un elenco sintetico - di tutti gli strumenti disponibili è un'operazione alquanto complessa. A titolo di esempio si cita l'esperienza del Patient-Reported Outcome and Quality of life Instruments Database (PROQOLID) (vedi *Paragrafo 2.1*) nel quale tali strumenti sono stati organizzati per apparato: disturbi del sistema cardiocircolatorio, disturbi del sistema muscolo scheletrico, disturbi del sistema digestivo, disturbi del sistema immunitario, disturbi del sistema genitale, neoplasie, ecc. Nel presente Dossier viene illustrato nel dettaglio l'Oxford Knee Score (*Paragrafo 2.4*) come esempio di strumento specifico.

2.4. Analisi di due strumenti: *item, scoring system, utilizzo*

In questo Paragrafo vengono illustrati a titolo esemplificativo due strumenti classificabili nell'ambito degli strumenti e misure di esito riferito dal paziente, rispettivamente l'EQ-5D (EuroQol Group, 1990) che misura una serie di dimensioni della qualità della vita associata alla salute nella popolazione generale come in suoi sottogruppi, e l'Oxford Knee Score (Dawson *et al.*, 1998) che misura il livello di dolore e di compromissione nello svolgimento delle attività quotidiane in persone che presentano problemi al ginocchio, sottoposte o non sottoposte ad un intervento chirurgico. Questi due strumenti rappresentano due esempi di misura generica (l'EQ-5D) e specifica (l'Oxford Knee Score), e sono largamente impiegati a livello internazionale, come nel programma del Servizio sanitario nazionale del Regno Unito di misurazione degli esiti riferiti dal paziente illustrato dettagliatamente nel successivo Capitolo 3. Per entrambi è disponibile la versione italiana, anche se l'EQ-5D ha trovato una più diffusa applicazione nel contesto italiano.

EQ-5D

Si tratta di uno strumento multidimensionale di autovalutazione, introdotto nel 1990 dall'EuroQoL Group,²⁷ in grado di fornire una misura generica e sintetica della qualità della vita in relazione alla salute. Lo strumento è così denominato in quanto "EQ" indicherebbe l'acronimo del gruppo di ricercatori che lo ha elaborato e messo a punto, mentre "5D" farebbe riferimento alle cinque dimensioni misurate:

- capacità di movimento,
- cura della persona,
- attività abituali,
- dolore / fastidio o malessere,
- ansia o depressione

Secondo dati riportati a febbraio 2012 nella pagina web del Gruppo EuroQol, il questionario EQ-5D è utilizzato soprattutto nel Regno Unito e in altri Paesi dell'Europa continentale, in misura minore negli Stati Uniti e Canada. Le finalità di utilizzo sarebbero molteplici: dal monitoraggio dello stato di salute percepita di un gruppo di pazienti o di una popolazione generale a livello nazionale o locale, fino alle valutazioni di costo-efficacia (NICE, 2008; Szende *et al.*, 2007, come citati in Devlin *et al.*, 2010). In Italia l'EQ-5D è stato utilizzato in studi:

- sul dolore acuto in patologie osteoarticolari (Colombo *et al.*, 2004, 2005, come citati in Balestroni *et al.*, 2007), muscoloscheletriche (Ghislandi *et al.*, 2002; Salaffi *et al.*, 2005, come citati in Balestroni *et al.*, 2007), urologiche (Dellabella *et al.*, 2005, come citati in Balestroni *et al.*, 2007);
- di valutazione di costo-efficacia degli agenti anti-TNF (Tumor Necrosis Factor) nei pazienti sofferenti di artrite e psoriasi con una inadeguata risposta ai trattamenti convenzionali (Olivieri *et al.*, 2008);

²⁷ Il gruppo EuroQol è un *network* internazionale e multidisciplinare cui partecipano ricercatori da Europa, America, Asia, Australia; è stato costituito nel 1987 con l'obiettivo di studiare la misurazione dello stato di salute. <http://www.euroqol.org/home.html> (ultimo accesso marzo 2014).

- di valutazione della qualità della vita in pazienti emofiliaci (Scalone *et al.*, 2006), in pazienti con sclerodermia (Gualtierotti *et al.*, 2010), nell'ambito della riabilitazione cardiologica (Mattivi *et al.*, 2006, come citato in Balestroni *et al.*, 2007) e nella popolazione residente nei Distretti sanitari dell'Azienda USL di Bologna (Collina *et al.*, 2004; Pandolfi *et al.*, 2004);²⁸
- di valutazione degli effetti dell'attività fisica sulla salute percepita in una popolazione anziana >65 anni (Cavrini *et al.*, 2005);
- in uno screening di popolazione femminile in menopausa (Genazzani *et al.*, 2002, come citati in Balestroni *et al.*, 2007).

Vi sono due tipologie dello strumento, entrambe tradotte in italiano: una per la popolazione adulta (compresi gli anziani) e una per bambini e adolescenti di età 7-12 anni. Quest'ultima tipologia è stata recentemente validata per la popolazione generale italiana di età 8-15 anni (Scalone *et al.*, 2011).

Il questionario EQ-5D è articolato in due parti, denominate rispettivamente sistema descrittivo e scala analogica visiva. La prima parte (*descriptive system*) comprende, per ciascuna delle cinque dimensioni indagate, tre domande a risposta chiusa tra cui il soggetto deve scegliere (Tabella 5).

Tabella 5. Prima parte del questionario EQ-5D (esempio di due dimensioni)

Capacità di movimento

- | | |
|-------------------------------------|--------------------------|
| Non ho difficoltà nel camminare | <input type="checkbox"/> |
| Ho qualche difficoltà nel camminare | <input type="checkbox"/> |
| Sono costretto/a a letto | <input type="checkbox"/> |

Cura della persona

- | | |
|---|--------------------------|
| Non ho difficoltà nel prendermi cura di me stesso | <input type="checkbox"/> |
| Ho qualche difficoltà nel lavarmi o vestirmi | <input type="checkbox"/> |
| Non sono in grado di lavarmi o vestirmi | <input type="checkbox"/> |
-

Fonte: Collina *et al.*, 2004.

Ad ognuna delle tre risposte chiuse è attribuito un punteggio:

- nessun problema è codificato come 1
- qualche problema è codificato come 2
- problemi gravi è codificato come 3

²⁸ Si tratta di uno studio *cross sectional* finalizzato a descrivere la qualità della vita percepita correlata allo stato di salute. I dati sono stati raccolti tra giugno e ottobre 2002 attraverso un'indagine inviata per posta (composta da diversi questionari, tra cui l'EQ-5D) a 1.497 adulti, selezionati casualmente dal registro della popolazione residente dell'Azienda USL di Bologna. I medici di medicina generale hanno sollecitato l'adesione allo studio dei loro pazienti campionati e fornito informazioni riguardo ad alcune patologie selezionate. La ricerca è stata svolta dal Dipartimento di Sanità pubblica - Osservatorio epidemiologico dell'Azienda USL in collaborazione con i Dipartimenti di Scienze statistiche e di Medicina e sanità pubblica dell'Università degli studi di Bologna.

Riportando il punteggio di ogni risposta per ciascuna dimensione, è possibile descrivere 243 stati di salute percepita, da 11111 (stato di buona salute) a 33333 (stato di cattiva salute).

La seconda parte comprende una scala analogica visiva (*visual analogue scale*) che il soggetto utilizza per dare una valutazione del proprio stato di salute. La scala verticale rappresenta una sorta di termometro graduato che varia da 0 a 100; i punteggi indicano rispettivamente il peggiore e il migliore stato di salute immaginabile percepito dal paziente in un determinato momento.

Attraverso l'analisi dei dati raccolti mediante il questionario EQ-5D è possibile ottenere:

- un profilo di salute e un valore indice attraverso la prima parte del questionario;
- una misura complessiva dello stato di salute percepito attraverso la seconda parte del questionario.

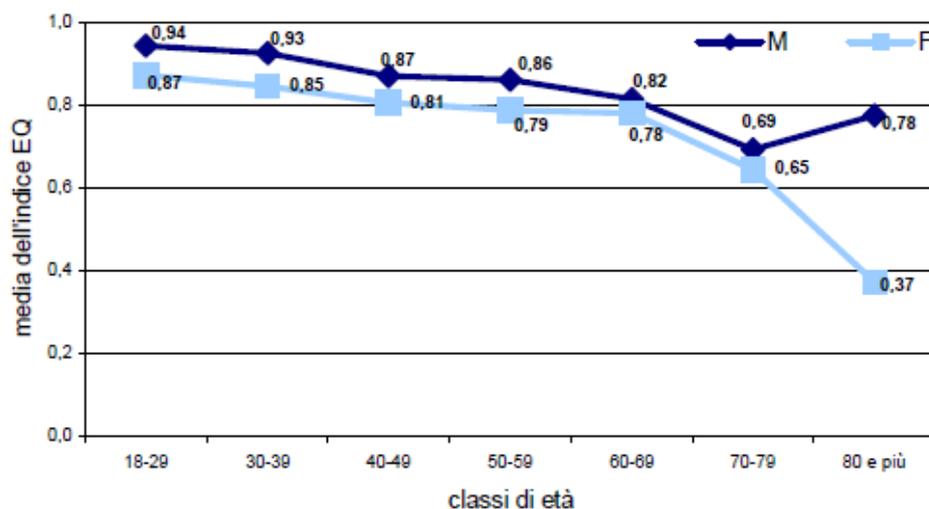
La Tabella 6 e la Figura 6 illustrano esempi di rappresentazione dei "prodotti" dell'EQ-5D. In particolare, la Tabella presenta il "profilo di salute" di un campione della popolazione generale residente presso l'Azienda USL di Bologna. Per ciascuna dimensione dell'EQ-5D viene riportato il valore assoluto e relativo delle persone che lamentano la presenza di alcuni problemi o di problemi gravi e il totale (alcuni problemi + problemi gravi). Non vengono riportate le persone che riferiscono "nessun problema". La Figura rappresenta la media del valore indice del EQ-5D di maschi e femmine distinto per classe di età, riferito a un campione della popolazione generale dell'Azienda USL di Bologna. Il valore indice decresce all'aumentare della gravità dei problemi riferiti dalla popolazione; all'aumentare dell'età, la salute percepita (sempre rispetto alle dimensioni dell'EQ-5D) peggiora soprattutto nelle femmine.

Tabella 6. Valore assoluto e relativo delle persone che riferiscono problemi di salute moderati ed estremi nelle dimensioni dell'EQ-5D (elaborato dall'EuroQol Group). Campione della popolazione residente nell'Azienda USL di Bologna. Anno 2002

Dimensioni EuroQol	Problemi moderati		Problemi estremi		Problemi (moderati + estremi)	
	n	%	n	%	n	%
Capacità di movimento	94	12,4	4	0,5	98	12,9
Cura della persona	42	5,6	4	0,5	46	6,1
Attività abituali	93	12,3	14	1,9	107	14,2
Dolore/ fastidio/ malessere	335	44,3	18	2,4	353	46,7
Ansia / depressione	273	36,1	24	3,2	297	39,3

Fonte: Collina *et al.*, 2004.

Figura 6. Punteggio medio dell'indice EQ-5D (questionario elaborato dall'EuroQol Group) per sesso e classe di età. Campione della popolazione residente nell'Azienda USL di Bologna. Anno 2002



Fonte: Collina *et al.*, 2004.

Diversi ricercatori italiani (Balestroni *et al.*, 2007; Collina *et al.*, 2004; Gualtierotti *et al.*, 2010; Pandolfi *et al.*, 2004) evidenziano alcune caratteristiche dello strumento:

- la facilità di compilazione (ad es. non troppe domande), la chiarezza delle domande, la comprensibilità per chi lo compila, la semplicità di utilizzo e di interpretazione dei risultati da parte dei professionisti (es. epidemiologo, clinico). Questi vantaggi permettono l'impiego dello strumento su ampie popolazioni e, in particolare, in quei sottogruppi che possono presentare maggiori difficoltà nella compilazione (es. pazienti in età avanzata, con scarso livello culturale, con quadri clinici più debilitanti);
- la possibilità di effettuare confronti tra gruppi diversi (di pazienti o della popolazione generale), e tra osservazioni ripetute nel tempo (consentendo di valutare gli esiti di un determinato intervento);
- la possibilità di "incrociare" i valori del questionario con altre variabili, quali età, sesso, educazione, classe sociale.

Oxford Knee Score

L'Oxford Knee Score (OKS) è stato introdotto nel Regno Unito nel 1998 (Dawson *et al.*, 1998). Lo sviluppo dello strumento era stato motivato dalla necessità di condurre un monitoraggio più sistematico e accurato degli esiti dei pazienti operati al ginocchio. Prima di tale questionario esistevano soltanto delle misure grezze di esito, come l'aver effettuato un secondo intervento (Isis Outcomes, 2012).

Come per tutti gli altri strumenti *patient-reported*, esso viene compilato dal paziente, non necessariamente presso la struttura di ricovero, ma anche direttamente presso il domicilio. L'impiego dello strumento è cresciuto nel tempo, trovando un'ampia varietà di ambiti di utilizzo,

ad esempio: studi di coorte, audit, registri nazionali (es. inglese, neozelandese, svedese) (Murray *et al.*, 2007), valutazione di trattamenti farmacologici (Clarke *et al.*, 2005) e di protocolli riabilitativi (Reilly *et al.*, 2005).

Nel 2003 lo strumento è stato tradotto e validato per il contesto italiano (Padua *et al.*, 2003).²⁹ Tra i curatori della versione italiana vi sono i fondatori (Roberto Padua, Emilio Romanini e Gustavo Zanoli) del Gruppo di lavoro Ortopedia basata sulle prove di efficacia (GLOBE), un gruppo di studio creato nel 1995 con l'intento di supportare la ricerca e la pratica clinica nelle patologie muscolo-scheletriche attraverso la diffusione di metodologie per la valutazione dei risultati, con particolare riferimento alla qualità della vita. A tal riguardo il GLOBE ha curato la traduzione italiana e la validazione di diversi strumenti di misura della qualità di vita (es. Roland Disability Questionnaire, Lumbar North American Spine Society questionnaire).

L'Oxford Knee Score contiene 12 domande (*item*) relative al dolore e a funzioni legate allo svolgimento delle attività della vita quotidiana. Ogni domanda prevede 5 risposte chiuse (cinque livelli di gravità), che vanno da "nessuno" a "intenso", nel caso si intenda rilevare il dolore, e da "nessuna difficoltà" a "non ci sono riuscito" nel caso si intenda rilevare la capacità di svolgere le attività della vita quotidiana (Figura 7).

Figura 7. Versione italiana dell'Oxford Knee Score, esempi di domande

Durante le ultime quattro settimane:				
1. Come descriverebbe il dolore che ha di solito al ginocchio ?				
Nessuno	Molto lieve	Lieve	Discreto	Intenso
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. Ha avuto difficoltà a lavarsi e asciugarsi (in ogni parte del corpo) a causa del suo ginocchio ?				
Nessuna difficoltà	Pochissima difficoltà	Un po' di difficoltà	Estrema difficoltà	Non ci sono riuscito
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Fonte: Padua *et al.*, 2003, dall'originale inglese di Dawson *et al.*, 1998.

²⁹ Nello studio italiano di validazione sono stati arruolati 50 pazienti, 19 maschi e 31 femmine, con un'età media pari a 68 anni (*range* 50-80 anni) sottoposti a un intervento al ginocchio per artrite.

Uno dei principali punti critici dello strumento è rappresentato dallo *scoring system*. Nella versione originale inglese (*Figura 8*) per ciascuna domanda a ogni risposta veniva attribuito un punteggio da "1" a "5", con "1" che esprime il buon esito e "5" l'esito peggiore. I vari punteggi venivano in seguito sommati per ottenere un punteggio complessivo che variava da un minimo di 12 a un massimo di 60: minore era il punteggio complessivo e migliore era l'esito riferito dal paziente. Questo *scoring system* ha generato diverse criticità tra i chirurghi e i professionisti in generale, comportando una certa confusione nell'interpretazione dei risultati (Pynsent *et al.*, 2005; Weale *et al.*, 2001, come citati in Murray *et al.*, 2007). Pertanto è stato messo a punto un nuovo sistema.

Nella nuova versione (*Figura 9*) per ciascuna domanda viene attribuito alle risposte un punteggio che varia da "0" a "4" (e non più da 1 a 5), con "0" che esprime l'esito peggiore e "4" l'esito migliore. Sommando i singoli punteggi si ottiene un punteggio complessivo che varia da "0" (esito peggiore) a "48" (esito migliore). In questo modo minore è il punteggio complessivo e peggiori sono gli esiti riferiti dal paziente.

Figura 8. *Scoring system* superato, esempio di attribuzione del punteggio per ciascuna risposta

Durante le ultime quattro settimane:

1. Come descriverebbe il dolore che ha di solito al ginocchio ?				
Nessuno	Molto lieve	Lieve	Discreto	Intenso
<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 5

Fonte: adattata da Oxford Knee Score Scoring Guide, Isis Outcome, 2007.

Figura 9. Nuovo *scoring system*, esempio di attribuzione del punteggio per ciascuna risposta

Durante le ultime quattro settimane:

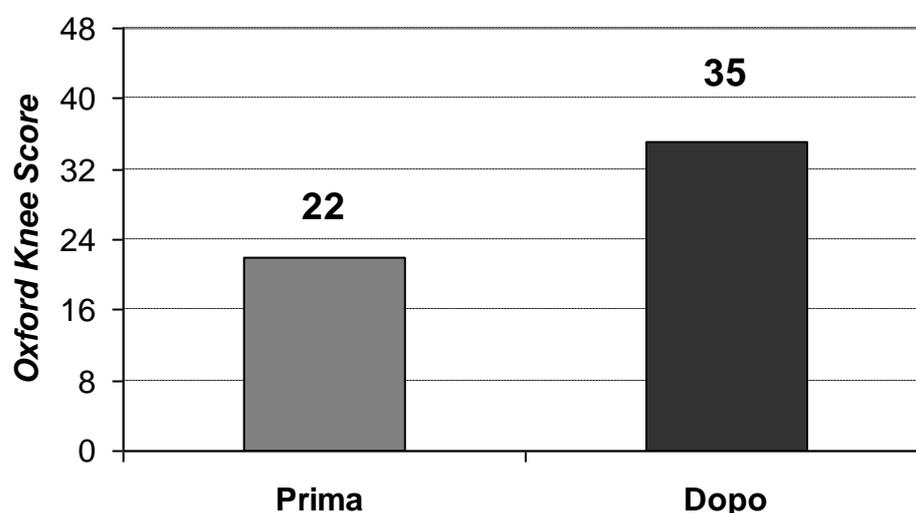
1. Come descriverebbe il dolore che ha di solito al ginocchio ?				
Nessuno	Molto lieve	Lieve	Discreto	Intenso
<input type="checkbox"/> 4	<input type="checkbox"/> 3	<input type="checkbox"/> 2	<input type="checkbox"/> 1	<input type="checkbox"/> 0

Fonte: adattata da Oxford Knee Score Scoring Guide, Isis Outcome, 2007.

I risultati derivanti dall'analisi dei dati raccolti mediante l'Oxford Knee Score possono essere rappresentati in diversi modi. Ad esempio, le Figure 9 e 10 illustrano due modalità di presentazione dei dati ottenuti dalla somministrazione dell'Oxford Knee Score ai pazienti che hanno effettuato un intervento chirurgico al ginocchio presso uno dei 37 ospedali privati inglesi del gruppo Spire Healthcare.³⁰ In particolare, in Figura 10 viene effettuato un confronto tra il punteggio complessivo del questionario (che varia da 0 a 48) somministrato ai pazienti prima e dopo l'intervento chirurgico. I valori sono medie riferite al biennio 2008-2009: maggiore è il punteggio, e migliore è l'esito per il paziente.

In Figura 11 viene riportato un confronto (prima e dopo l'intervento) tra la percentuale di pazienti che riferiscono un dolore intenso al ginocchio (massimo livello di gravità) prima e dopo l'intervento. I valori sono medie riferite al biennio 2008-2009.

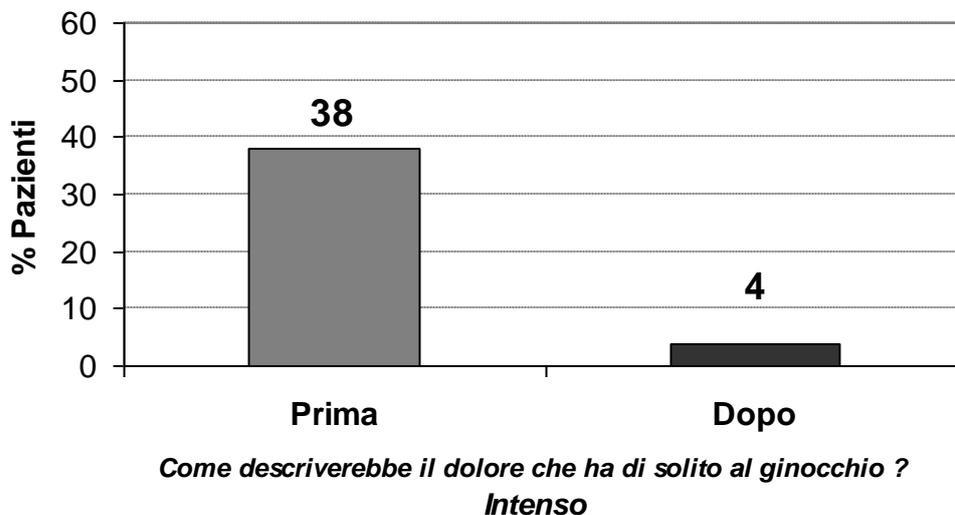
Figura 10. Confronto tra i punteggi complessivi dell'Oxford Knee Score, prima e dopo l'intervento chirurgico. Media anni 2008-2009



Fonte: adattata da Spire Healthcare, 2012. Adattamento e traduzione a cura degli autori.

³⁰ Spire Healthcare è una compagnia inglese che gestisce 37 ospedali privati distribuiti in varie zone del Regno Unito. <http://www.spirehealthcare.com/> (ultimo accesso marzo 2013)

Figura 11. Confronto tra la percentuale di pazienti che riferiscono un dolore intenso al ginocchio, prima e dopo l'intervento chirurgico. Media anni 2008-2009



Fonte: adattata da Spire Healthcare, 2012. Adattamento e traduzione a cura degli autori.

Nella pagina web dell'Isis Outcomes dell'Università di Oxford³¹ vengono elencati vari vantaggi legati all'utilizzo dello strumento, ad esempio: è un questionario che richiede poche risorse di tempo ed economiche per la somministrazione e che può essere compilato in luoghi diversi; è facilmente somministrabile alle persone anziane (che più frequentemente si sottopongono ad interventi al ginocchio); presenta un elevato tasso di risposta (quasi del 100%).

Nello studio di validazione della versione italiana, gli autori (Padua *et al.*, 2003) riferiscono che nessun paziente ha avuto dei problemi nella compilazione, che ha richiesto in media circa 7 minuti; inoltre la maggioranza dei pazienti ritiene lo strumento comprensibile e giudica le domande pertinenti e rilevanti alla loro condizione.

A fronte dei vantaggi brevemente illustrati, l'Oxford Knee Score presenta alcune criticità (Whitehouse *et al.*, 2005). Tra le più evidenziate in letteratura vi è l'assenza di uno *scoring system* accettato e utilizzato a livello internazionale, con conseguente confusione nell'utilizzo dei risultati.

³¹ Isis Outcomes è un programma di attività dell'Isis Innovation Ltd, azienda dell'Università di Oxford che offre diversi servizi tra cui l'accesso alle *patient-reported outcome measure* sviluppate presso l'Università di Oxford e le rispettive licenze per l'utilizzo, oltre che consulenza sullo sviluppo e validazione psicometrica di nuove misure di esito riferito dal paziente.

2.5. Considerazioni metodologiche

Il numero di strumenti e di misure ad oggi disponibili a livello internazionale è particolarmente ampio, tanto da rendere alquanto complessa la scelta.

McClimans e Browne (2011) hanno identificato due approcci diversi nella selezione del questionario, differenziandoli sulla base del peso attribuito nella scelta alle proprietà psicometriche dello strumento e alla sua appropriatezza, quest'ultima intesa come rilevanza rispetto alle specifiche finalità e agli specifici obiettivi di chi intende utilizzarlo.

Un primo approccio sarebbe principalmente basato sull'accumulo di prove a sostegno della qualità delle proprietà psicometriche del questionario (es. precisione, sensibilità) (McClimans, Browne, 2011). Gli autori propongono a titolo esemplificativo lo studio condotto dalla London School of Hygiene and Tropical Medicine (Smith *et al.*, 2005), nell'ambito della fase pilota del Programma del Servizio sanitario nazionale del Regno Unito dedicato alle misure di esito riferite dal paziente (oggetto del *Capitolo 3*). L'obiettivo del progetto consisteva nella selezione e proposta di un set di questionari per la misurazione degli esiti, nella prospettiva dei pazienti, rispetto a cinque tipologie di interventi chirurgici: cataratta, vene varicose, ernia, anca e ginocchio (Smith *et al.*, 2005). In particolare, i ricercatori hanno misurato la qualità di ciascuna caratteristica psicometrica dei vari strumenti, sulla base delle evidenze raccolte nella letteratura scientifica, secondo una scala ordinale che andava da "0 = nessuna evidenza" a "+++ = evidenza di qualità", e per ogni strumento hanno sommato le categorie. Ad esempio, lo strumento raccomandato per la misurazione degli esiti riferiti dal paziente nell'intervento chirurgico della cataratta è stato il Visual Function Index (VF-14) in quanto, tra i vari questionari, era quello che presentava il maggior numero di "+++ = evidenza di qualità" (*Tabella 7*).

Un secondo approccio nella selezione del questionario sarebbe, invece, principalmente basato sul giudizio esperto (Browne *et al.*, 2007; Terwee *et al.*, 2007). In particolare, la decisione finale rispetto a quale strumento utilizzare dovrebbe spettare a coloro che conoscono le ragioni per cui lo strumento deve essere utilizzato come anche le caratteristiche dello specifico contesto (es. popolazione *target* entro cui si intende somministrarlo). Ad esempio, nel caso si fosse interessati a misurare l'effetto di un determinato trattamento, si potrebbe escludere quel questionario che presenti una scarsa sensibilità (*responsiveness*), anche se esso possiede un numero di proprietà psicometriche di documentata "qualità" superiore ad altri questionari.

Tabella 7. Selezione del PRO questionario per la chirurgia della cataratta

Criteri psicometrici		Strumenti disturbo-specifici relativi agli esiti riferiti dal paziente							
		VF-14	ADVS	Cataract TyPE	QVQ	VCM1	VSQ	VDA	HVAT
Affidabilità	Consistenza interna	+++	++	++	+++	+++	++	++	+++
	Test-retest	+++	++	++	+++	+++	+++	+++	0
Validità	Contenuto	+++	++	+++	+++	+++	+++	++	+
	Criterio	0	0	0	0	0	0	0	0
	Costrutto - convergente	+++	++	++	++	+++	++	++	++
	Costrutto - gruppi conosciuti	0	+++	+	++	0	0	0	++
	Altro test di ipotesi	+	0	0	0	0	0	0	0
Responsiveness		+++	++	++	0	0	+	0	+

Fonte: Smith *et al.*, 2005. Adattamento e traduzione a cura degli autori.

Legenda

Valutazione

- 0 non riferito o nessuna evidenza a sostegno
- + qualche evidenza di scarsa qualità a sostegno
- ++ qualche evidenza di buona qualità a sostegno, anche se presenza di qualche aspetto non rispondente ai criteri o di qualche aspetto non riferito
- +++ evidenza di buona qualità a sostegno.

VF-14 Visual Function Index

ADVS Activities of Daily Vision Scale

Cataract TyPE Cataract TyPE specification

QVQ Quick vision-related questionnaire

VCM1 Vision Questionnaire; Vision Core Module 1

VSQ Visual Symptoms and Quality of Life Questionnaire

VDA Visual Disability Assessment

HVAT Houston Vision Assessment

In aggiunta alle proprietà psicometriche e all'appropriatezza del questionario sono evidenziabili i seguenti criteri (Fitzpatrick, 2009):

- l'interpretabilità, che riguarda sia la comprensione del significato dei punteggi ottenuti dal questionario sia le inferenze che ne possono derivare;
- l'accettabilità dello strumento, non solo da parte di coloro a cui viene somministrato, ma anche di coloro che lo somministrano (in particolare se operatori sanitari) e di coloro che ne utilizzeranno i risultati;
- la fattibilità dell'intero processo, che va dal disegno del progetto alla diffusione e utilizzo dei risultati, in termini di risorse umane, organizzative ed economiche.

L'interpretabilità rappresenta senza dubbio uno dei criteri chiave nella scelta del questionario, in quanto può condizionare il giudizio di tutti gli altri, e merita pertanto un sintetico approfondimento.³²

Innanzitutto, uno dei principali fattori che condizionano la comprensione dei valori ottenuti dallo strumento è rappresentato dalle caratteristiche dello *scoring system*, in quanto può non essere intuitivo (vedi il caso dell'Oxford Knee Score, trattato nel *Paragrafo 2.4*) e/o può presentare delle complessità di calcolo (vedi il caso del SF-36, in cui vengono utilizzati specifici algoritmi). In secondo luogo, una delle principali variabili che condiziona, invece, la possibilità di formulare delle inferenze dai risultati del questionario è riassumibile nella domanda: "quali variazioni, cambiamenti, nei valori di una misurazione ripetuta nel tempo possono essere ritenuti importanti, significativi?". In altri termini, se l'obiettivo della somministrazione del questionario consiste nel valutare il contributo dell'assistenza sanitaria (es. trattamento) alla salute della persona, la domanda può essere riformulata in: "Come sta il paziente? È migliorato, peggiorato oppure è stabile dopo il trattamento?". La risposta a tali domande conduce verso l'ampia tematica relativa alla misurazione e al significato clinico (oltre che statistico) attribuibile al cambiamento nelle misure di esito riferito dal paziente.³³ In questo ambito, un tema dibattuto è quello della cosiddetta *minimally important difference* (MID)³⁴ definibile come la più piccola variazione nei punteggi di un questionario (somministrato ripetutamente) corrispondente a una effettiva modificazione sia della percezione del paziente riguardo alla propria condizione (nel senso di un miglioramento o peggioramento) sia della gestione del paziente stesso da parte del clinico (definizione adattata da Juniper *et al.*, 1994). Sul piano statistico la questione pare non particolarmente complessa in quanto è riconducibile al calcolo di intervalli di confidenza attraverso cui stabilire la probabilità che la variazione in un determinato punteggio sia casuale o meno (Devlin, Appleby, 2010). Sul piano pratico, la questione è alquanto complessa, in quanto una differenza tra punteggi di uno stesso questionario ritenuta statisticamente significativa (e quindi non attribuibile al caso) può non esserlo dal punto di vista clinico. Questa affermazione è valida soprattutto quando si passi dal confronto tra punteggi di questionari che rappresentano

³² Tra i vari approfondimenti di carattere metodologico, uno dei più recenti è quello di Cappelleri, Bushmakina, 2013. Nell'articolo viene offerta una revisione aggiornata degli approcci (*anchor-based, distributed based, mediation analysis*) utilizzabili (e utilizzati) nella comprensione e interpretazione dei valori relativi alle misure di esito riferito dal paziente.

³³ Per approfondimenti sulla concettualizzazione e operazionalizzazione del "cambiamento" nelle misure di esito riferito dal paziente si rimanda al *white paper* elaborato dal Longitudinal Analysis of Patient-Reported Outcomes Working Group, gruppo multidisciplinare composto da biostatistici, psicometristi, e *behavioral researchers* (Swartz *et al.*, 2011).

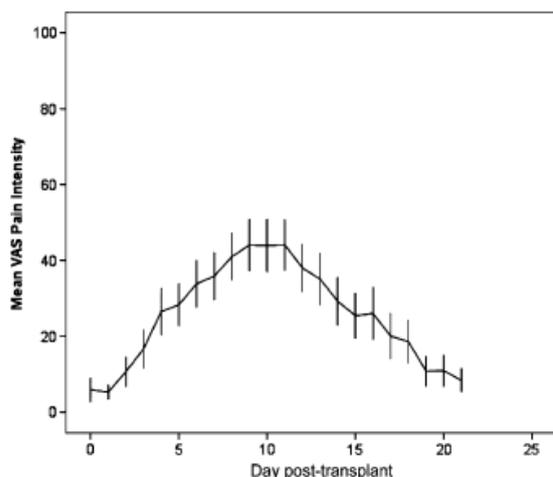
³⁴ Pare che l'idea di *minimally important difference* sia comparsa nella letteratura scientifica in modo piuttosto indiretto (Revicki *et al.*, 2008). Infatti, Jaeschke e collaboratori (1989), nella valutazione di un questionario sulla qualità della vita specifico per l'asma, avrebbero cercato di stimare la quota della variazione nei punteggi del questionario che si sarebbe tradotta in una variazione della gestione clinica dei pazienti sofferenti di asma, ovvero della quota da ritenere clinicamente significativa. Essi pertanto svilupparono un particolare metodo per stimare l'intervallo di valori all'interno di cui era plausibile aspettarsi una *minimal clinically important difference* (MCID).

medie riferite a gruppi, al confronto tra punteggi di questionari riferiti a singoli individui, in cui la variabilità aumenta notevolmente. Ad esempio, le Figure 12 e 13 rappresentano i punteggi ottenuti da un gruppo di pazienti su una scala analogica visiva (che varia da 0 a 100) di misurazione del livello di dolore (VAS Pain Intensity) nei 25 giorni successivi al trapianto di midollo osseo. In particolare la Figura 12 descrive il punteggio medio della scala e i rispettivi intervalli di confidenza (95%) di un gruppo di 116 pazienti (Donaldson, 2008); la Figura 13 descrive i singoli punteggi della scala ottenuti da 4 pazienti. Confrontando le due figure emerge come passando dal livello di gruppo a quello individuale l'ampiezza della variazione aumenta notevolmente.

Un clinico esperto lo sa bene, e, ad esempio, non ridurrebbe drasticamente la somministrazione di farmaci oppiacei nel paziente n. 4, solo perché ha riportato una riduzione nel livello di dolore di 70 punti dal giorno 9 al giorno 10. Egli sa che molto probabilmente nei giorni successivi al decimo il suo livello di dolore aumenterebbe (Donaldson, 2008).

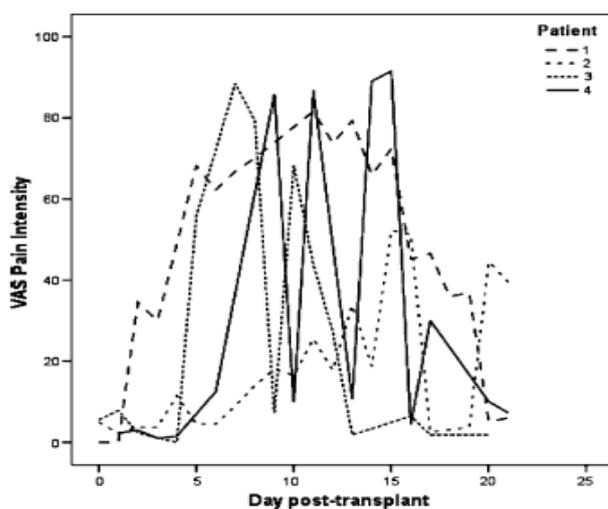
In terzo luogo, un aspetto che può condurre ad una erronea ed inappropriata interpretazione dei dati, soprattutto quando l'obiettivo è, ad esempio, quello di effettuare dei confronti tra strutture sanitarie, riguarda il controllo di tutti quei fattori che possono influenzare i risultati (*outcomes*), come ad esempio: le caratteristiche demografiche, la presenza di comorbidità, il livello di gravità della condizione clinica (Dawson *et al.*, 2010). In particolare, l'importanza dell'aggiustamento per il cosiddetto *case mix* è largamente documentata nella letteratura scientifica (Davenport *et al.*, 1996; Elixhauser *et al.*, 1998; Greenfield *et al.* 2002; Iezzoni *et al.*, 1998; Nobile, Ugolini 2001; come citati in Grilli, Taroni, 2004) e sono state sviluppate in proposito e adottate svariate tecniche statistiche (Grilli, Taroni, 2004). Ciascuna di esse è, tuttavia, inevitabilmente condizionata dalle finalità dello studio e dalle caratteristiche del fenomeno indagato e del contesto in cui vengono applicate.

Figura 12. Punteggi medi alla scala analogica visiva (VAS) Pain Intensity (che varia da 0 a 100) di 116 pazienti nei 25 giorni successivi al trapianto di midollo osseo. Intervalli di confidenza (95%) per il punteggio medio riportato in ciascun giorno



Fonte: Donaldson, 2008.

Figura 13. Punteggio singolo alla scala analogica visiva (VAS) Pain Intensity (che varia da 0 a 100) di 4 pazienti nei 25 giorni successivi al trapianto di midollo osseo



Fonte: Donaldson, 2008.

I ricercatori sono impegnati da anni nell'offrire degli strumenti a supporto della scelta del questionario più appropriato rispetto a specifici obiettivi. Ad esempio, oltre alla creazione di *database* di questionari (si veda l'esperienza di PROQOLID, *Paragrafo 2.1*), sono state condotte revisioni sistematiche sulle proprietà psicometriche (Terwee, 2009), sono stati proposti set di criteri per la selezione (Fitzpatrick *et al.*, 1998; Scientific Advisory Committee, 2002; Terwee *et al.*, 2007), ed è stata anche recentemente elaborata una linea guida, indirizzata principalmente ai clinici (International Society for Quality of Life Research, 2011b). Tra i principali temi oggetto di attenzione e dibattito da parte del mondo scientifico vi sarebbero la lunghezza del questionario (versione breve vs versione lunga), o meglio il tempo impiegato per la somministrazione, il livello di specificità delle misure (misure generali di salute vs misure specifiche per un determinato disturbo), e soprattutto il livello di personalizzazione, ovvero la capacità di adattare il contenuto del questionario alla singola persona a cui viene somministrato. Tali argomenti, qui solo accennati, vengono meglio sviluppati nel Capitolo 3 attraverso l'analisi di due esperienze internazionali, rispettivamente del Regno Unito e degli Stati Uniti.

3. Confronto tra due esperienze internazionali: Regno Unito e Stati Uniti

3.1. Introduzione

Le prime esperienze di utilizzo di misure di esito riferito dal paziente sono avvenute nel campo della ricerca (Black, 2013), e in particolare nei *clinical trial* come *endpoint* primari e non primari (Fitzpatrick *et al.*, 1998; Scoggins, Patrick, 2009). In tale ambito sono già state avanzate diverse proposte per regolamentarne l'utilizzo e il *reporting* (Calvert *et al.*, 2013; European Medicines Agency, 2005; Food and Drug Administration, 2006, 2009). Nell'ambito dell'assistenza sanitaria e della pratica clinica, l'utilizzo di strumenti e misure di esito riferito dal paziente è documentato principalmente in *audit* clinico-organizzativi e registri di intervento (es. protesì d'anca) (Dawson *et al.*, 2010; Lohr, Zebrack, 2009). La raccolta e sistematizzazione delle varie esperienze presenta, tuttavia, non poche complessità, a seguito del loro carattere principalmente locale ed episodico, più che nazionale e routinario, e della scarsa chiarezza nella esplicitazione delle finalità e nella valutazione dei risultati raggiunti.

Uno dei più recenti e citati tentativi di organizzazione strutturata di tali esperienze è sicuramente quella condotta nel 2009 da Joanne Greenhalgh (ISOQOL, 2011; Snyder, Aaronson, 2009). La studiosa ha elaborato una tassonomia delle diverse esperienze di applicazioni degli strumenti e delle misure di esito riferito dal paziente nella pratica clinica che si articola secondo due dimensioni: il livello di aggregazione dei dati (individuale o gruppo/popolazione) e l'utilizzo o meno nell'ambito del rapporto medico-paziente. In particolare, in questo ambito le misure di esito riferito dal paziente trovano un loro impiego come: strumenti di *screening* di determinati problemi (es. ansia e depressione, funzionamento fisico e sociale), di monitoraggio dell'impatto di un determinato trattamento, e più in generale di promozione di un approccio all'assistenza maggiormente orientato al punto di vista del paziente (*patient-centred care*), con dati aggregati a livello individuale; strumenti di supporto alle decisioni riguardanti ad esempio un determinato intervento, trattamento, con dati aggregati a livello di gruppo/popolazione (sono i dati derivanti dai *clinical trial*). Al di fuori del rapporto medico-paziente tali misure vengono impiegate come: strumenti per facilitare uno scambio strutturato di informazioni su temi spesso trascurati ed offrire un linguaggio comune tra professionisti di diverse discipline che collaborano nella gestione clinica di pazienti complessi (es. pazienti anziani cronici), con dati aggregati a livello individuale; strumenti di valutazione della qualità dell'assistenza (in particolare *effectiveness*) e di confronto tra produttori (es. ospedali, ...), con dati aggregati a livello di gruppo/popolazione. Questa applicazione rappresenta uno dei *trend* emergenti di questi ultimi anni (Black, 2013). Nello specifico, si rileva un crescente dibattito in

Europa, nel Regno Unito, negli Stati Uniti e in Canada riguardante l'utilizzo delle misure di esito riferito dal paziente nella misurazione della *performance* delle organizzazioni e del sistema sanitari (Basch *et al.*, 2013; Black, 2013; Fitzpatrick, 2009; McGrail *et al.*, 2011; National Quality Forum, 2013).

Un secondo *trend* emergente è rappresentato dalla maggiore attenzione nei confronti delle preferenze e degli interessi dei pazienti posta nell'ambito della *comparative effectiveness research* (Snyder *et al.*, 2013; Wu *et al.*, 2010, 2013), definibile come

inform health-care decisions by providing evidence on the effectiveness, benefits, and arms of different treatment options, using a variety of data sources and measurement methods (AHRQ, 2013; Wu *et al.*, 2010).

Un esempio recente di come la prospettiva del paziente sia stata integrata in tale ambito di ricerca è rappresentata dallo statunitense Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI), organizzazione non profit istituita dal Congresso americano con il Patient Protection and Affordable Care Act del 2010.³⁵ Nel 2012 sono stati, peraltro messi a punto dall'Istituto una serie di standards minimi riguardanti l'utilizzo delle misure di esito riferito dal paziente (PCORI, 2012).

Il presente capitolo intende soffermarsi sulla descrizione di due casi studio collocabili rispettivamente nei campi dell'assistenza, con esplicito riferimento al *performance measurement*, e della ricerca. In particolare, sono state selezionate le esperienze del NHS Patient-Reported Outcome Measures Programme, nel Regno Unito, e del Patient-Reported Outcome Measurement Information System negli Stati Uniti. Sono entrambe iniziative condotte a livello nazionale, anche se non sono le uniche di questo tipo (es. Canada, Nuova Zelanda), e avviate con l'intenzione di diventare stabili, routinarie, e non semplicemente sperimentali ed episodiche.

Le finalità e l'ambito di applicazione dell'esperienza inglese e americana sono però caratterizzanti ed esemplificative.

L'esperienza inglese si configura come un programma finanziato dal Department of Health, dedicato alla introduzione e raccolta di misure di esito riferito dal paziente presso tutti gli erogatori pubblici o a finanziamento pubblico di quattro tipologie di interventi chirurgici (anca, ginocchio, ernia e varici degli arti inferiori). La finalità generale e dichiarata consiste nell'integrare, attraverso le PROMs, le attuali misure su cui i committenti a livello nazionale e locale basano le loro valutazioni delle cosiddette *performance* e il finanziamento degli erogatori

³⁵ La *mission* e *vision* dichiarate dall'Istituto sono rispettivamente:

The Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI) helps people make informed health care decisions, and improves health care delivery and outcomes, by producing and promoting high integrity, evidence-based information that comes from research guided by patients, caregivers and the broader health care community. (mission)

Patients and the public have the information they need to make decisions that reflect their desired health outcomes. (vision)

Per approfondimenti su attività e documenti, si rimanda al sito <http://pcori.org/> (ultimo accesso marzo 2014).

di prestazioni sanitarie. L'orientamento culturale entro cui si colloca l'esperienza è quella di un aumento della "voce" dei pazienti nella valutazione dell'efficacia degli interventi, e più in generale nell'allocazione delle risorse dedicate al Servizio sanitario nazionale (*choice and empowerment*), unitamente a uno spostamento della schema concettuale e degli indicatori su cui si basa la valutazione delle *performance* del sistema e dei singoli erogatori, da misure di processo a misure di esito.

L'esperienza americana si configura come un progetto di cooperazione tra Università e centri di ricerca statunitensi, finanziato dal National Institute of Health, dedicato allo sviluppo di un sistema valido, dinamico ed efficiente per misurare gli esiti riferiti da pazienti partecipanti a ricerche, i quali possono presentare un'ampia varietà di condizioni croniche e di caratteristiche demografiche (National Institutes of Health, 2003, come citato in Weinfurt *et al.*, 2011). La finalità generale è costruire una "libreria" di strumenti e diverse "banche" di *item* a supporto soprattutto della ricerca sanitaria. Le principali criticità che l'iniziativa si prefigge di affrontare riguardano: la presenza di una molteplicità di misure riferite allo stesso costrutto, la complessità e lunghezza dei questionari somministrati, l'ampia variabilità nella qualità dei dati raccolti, la difficoltà di effettuare confronti, ad esempio tra ricerche, condizioni cliniche (Weinfurt *et al.*, 2011).

In sintesi, l'iniziativa inglese è orientata ad aspetti di ordine pratico e prevede una ricaduta sul sistema sanitario; l'iniziativa americana è orientata ad aspetti di ordine metodologico e prevede una ricaduta sul sistema complessivo della ricerca (e non del sistema sanitario).

Sebbene le due esperienze siano difficilmente confrontabili, si è cercato di definire uno schema comune sufficientemente ampio da permetterne una macro-analisi comparata, articolato come segue:

- finalità dichiarate e l'avvio;
- l'esperienza: quali aree e misure, il processo di raccolta e analisi dei dati, i primi risultati;
- sviluppi presenti e futuri.

L'arco temporale di riferimento per l'analisi è compreso tra gli anni 2004/2005, coincidenti con l'avvio delle due esperienze, e l'anno 2011, ultimo anno osservato nella presente ricerca, conclusasi ad aprile 2012. Si precisa, inoltre, che in occasione della presente pubblicazione è stato esteso il periodo di osservazione dell'esperienza inglese fino al 2013. La principale ragione risiede negli spunti applicativi e "nella lezione" che l'esperienza inglese può offrire al Servizio sanitario nazionale italiano.

3.2. Finalità dichiarate e avvio

NHS PROMs Programme (UK)³⁶

Il principale documento istituzionale in cui si annuncia l'impiego delle *patient-reported outcome measure* (PROMs) nel Servizio sanitario nazionale inglese è "High Quality Care for All" (Darzi, 2008), pubblicato nel 2008, anno in cui il SSN inglese compie 60 anni. Attraverso il Rapporto si intende delineare una strategia futura che sia "locally-led, patient-centred e clinically driven" e che ponga al centro del sistema sanitario la qualità dell'assistenza nella prospettiva del paziente.

Nel documento le PROMs sono considerate uno strumento per:

- aumentare l'influenza dei pazienti sulla allocazione delle risorse destinate al Servizio sanitario nazionale, all'interno di una più ampia strategia di *empowerment* dei pazienti, che comprende ad esempio una maggiore scelta e una migliore informazione. In particolare, si afferma che per incrementare

... l'influenza dei pazienti sulle risorse destinate al Servizio sanitario nazionale, ... primo, condizioneremo i finanziamenti degli ospedali alla qualità dell'assistenza, come al volume. Sarà utilizzato un ampio range di misure della qualità, riguardanti la sicurezza (incluso le condizioni igieniche delle strutture e le infezioni), l'esperienza dei pazienti, gli esiti clinici, e gli esiti riferiti dai pazienti riguardo al successo dei trattamenti ricevuti (definiti patient-reported outcome measures o PROMs). Questo Commissioning for Quality & Innovation (CQUIN) scheme incentiverà tutte le organizzazioni del Servizio sanitario nazionale a porre una maggiore attenzione alla qualità (Darzi, 2008).

Secondo Devlin *et al.* (2010) l'introduzione delle PROMs nel Servizio sanitario nazionale inglese è stata motivata principalmente dall'agenda politica e dalle sue priorità riguardanti "la scelta dei pazienti" e il "finanziamento basato sui risultati";

- misurare l'efficacia dell'assistenza nella prospettiva del paziente. Nel documento "High Quality Care for All" l'efficacia dell'assistenza viene riconosciuta come una delle tre dimensioni fondamentali della qualità dell'assistenza, assieme alla sicurezza e all'esperienza del paziente. In particolare, si afferma che

... La misurazione dell'efficacia dell'assistenza includerà misure cliniche come i tassi di mortalità, di sopravvivenza, i tassi riferiti a complicazione dell'assistenza, ... Allo stesso tempo è importante l'efficacia dell'assistenza nella prospettiva del paziente stesso, che sarà misurata attraverso le patient-reported outcomes measures (PROMs). Alcuni esempi di questo tipo includono l'assenza di dolore nei movimenti dopo un intervento chirurgico alle articolazioni, oppure la ripresa dell'attività lavorativa quotidiana dopo il trattamento per la depressione. La misurazione dell'efficacia clinica potrebbe essere estesa anche alla sfera del benessere delle persone e delle abilità nel vivere in maniera autonoma e indipendente.

³⁶ Department of Health, UK. Patient-Reported Outcome Measures
<http://www.northgate-ispublicservices.com/View/?PROMS> (ultimo accesso marzo 2014)

La raccolta delle PROMs dovrebbe colmare il vuoto esistente nelle informazioni disponibili sull'assistenza erogata dal Servizio sanitario nazionale e fungere da complemento alle informazioni esistenti (Department of Health, 8 dicembre 2008).

L'introduzione della raccolta sistematica di PROMs nel Servizio sanitario nazionale inglese si è basata sulle evidenze fornite da un progetto pilota commissionato dal Department of Health a un gruppo di ricercatori della London School of Hygiene and Tropical Medicine (LSHTM). Il progetto si è articolato in due fasi. Nella prima (Smith *et al.*, 2005), attraverso una revisione della letteratura internazionale, sono state definite una serie di misure PRO sia generiche che specifiche (*Box 4*). Nella seconda fase (Browne *et al.*, 2007) è stata testata la fattibilità della raccolta e analisi delle misure selezionate (*Box 5*).

Box 4. Fase 1 del progetto pilota (2005)

Il principale obiettivo dello studio consisteva nell'identificare e raccomandare cinque misure PRO specifiche per le 5 aree chirurgiche (cataratta, varici degli arti inferiori, ernia, anca e ginocchio) su cui il Ministero inglese intendeva avviare la raccolta delle PROMs, e una misura generica da utilizzare trasversalmente sulle aree identificate.

Il processo di selezione delle misure è stato articolato in quattro fasi:

1. revisione sistematica della letteratura internazionale sulle misure PRO generiche e specifiche relative alle 5 aree chirurgiche. A tal fine sono stati consultati gli articoli pubblicati dal 1950 agli inizi del 2005 presenti in 11 *database* elettronici (fra cui Web of Knowledge, Medline, Cochrane library, Psycinfo, Embase, Cinahl), e gli articoli pubblicati nel periodo 2000-2005 in tre riviste scientifiche (*Annals of the Royal College of Surgeons, Journal of Clinical Epidemiology, Medical Care*);
2. valutazione delle caratteristiche psicometriche delle misure raccolte;
3. valutazione della loro accettabilità, interpretabilità e fattibilità/carico nella raccolta;
4. valutazione della credibilità da parte dei clinici esperti, attraverso la consulenza di tre chirurghi per ciascuna delle 5 aree.

Al termine del processo, sono state raccomandate le seguenti misure specifiche:

- Visual Function Index (VF-14) per la chirurgia della cataratta
 - Aberdeen Varicose Vein Questionnaire (AVVQ) per la chirurgia delle varici degli arti inferiori
 - Short-Form 36 Health Status Questionnaire (SF-36) per la chirurgia dell'ernia (si tratta in realtà di una misura generica utilizzata in questo caso su area specifica)
 - Oxford Hip Score (OHS) per la chirurgia dell'anca
 - Oxford Knee Score (OKS) per la chirurgia del ginocchio
- e come misura generale:
- EUROQOL (EQ-5D) per tutte le 5 aree chirurgiche.
-

Fonte: adattato da Smith *et al.*, 2005.

Box 5. Fase 2 del progetto pilota (2007)

La finalità dello studio consisteva nel determinare la fattibilità della raccolta delle PROMs, prima e dopo l'intervento chirurgico, e studiare le migliori modalità per analizzare e presentare i dati.

Lo studio era articolato in una parte quantitativa e una qualitativa.

La **parte quantitativa** comprende 5 studi di coorte prospettici, uno per ogni area chirurgica indagata. Ai pazienti reclutati è stato somministrato un questionario PRO prima dell'intervento e nei 3/6 mesi successivi all'intervento (il periodo di *follow up* dipende dalla tipologia dell'intervento). Sono stati utilizzati i questionari e le misure raccomandate nella prima fase del progetto pilota (vedi *Box 3*; Smith *et al.*, 2005).

In totale sono stati reclutati 2.400 pazienti e 24 strutture erogatrici, in prevalenza pubbliche (20 su 24).

La **parte qualitativa** comprende una serie di interviste con gruppi di pazienti che hanno compilato il questionario e di professionisti che hanno raccolto i dati, al fine di indagare sul campo le opinioni sulla concreta fattibilità, e su criticità e vantaggi. In aggiunta sono stati organizzati due *focus group* con vari *stakeholder* per esplorare il loro punto di vista riguardo alla analisi e presentazione dei dati.

I risultati dello studio sono stati organizzati secondo diversi aspetti:

- fattibilità della raccolta dei dati, esplorata da diversi punti di vista;
 - analisi comparata delle *performance* delle strutture erogatrici (per ciascun intervento);
 - considerazioni metodologiche (es. dimensioni del campione di strutture e pazienti da reclutare, tassi di risposta al questionario, *risk adjustment*);
 - sintesi e presentazione dei dati (es. indicatori, rappresentazione grafica, scala geografica).
-

Fonte: adattato da Browne *et al.*, 2007.

***Patient-Reported Outcome Measurement Information System (USA)*³⁷**

Nel 2002, il National Institute of Health (NIH) ha organizzato una serie di incontri con centinaia di scienziati per tracciare una sorta di *roadmap* necessaria alla ri-organizzazione del mondo della ricerca clinica (Ader, 2007; Cella *et al.*, 2007a). Nel corso di tale processo, tra le varie questioni critiche è stata rilevata la necessità di disporre di misure di esito ritenute importanti dagli stessi pazienti, che fossero precise, affidabili e generalizzabili. Fino a quel momento le convenzionali misure di esito utilizzate non permettevano di conoscere appieno l'impatto dei disturbi e dei trattamenti sulla vita delle persone. Il NIH ha avviato pertanto una *request for application* con la finalità di (Ader, 2007):

- sviluppare e testare un'ampia "banca" di *item*³⁸ per la misurazione dei *patient-reported outcomes*;
- creare un *computerized adaptive testing system* (CAT)³⁹ che permetta la somministrazione e la raccolta in modo valido ed efficiente delle PROMs nell'ambito della ricerca sanitaria, e rispetto a un ampio spettro di condizioni croniche;

³⁷ <http://www.nihpromis.org/> (ultimo accesso marzo 2014)

³⁸ Una "banca" di *item* è qualcosa di più di un mero contenitore di domande riguardanti un sintomo o una funzione particolari. Essa comprende una serie di domande che, se prese tutte assieme, definiscono e quantificano un determinato concetto, fornendone così una definizione operativa.

- creare un sistema ad accesso pubblico, che permetta ai ricercatori di disporre di “banche” di *item* e di uno strumento informatico (CAT).

Alla *request for application* ha fatto seguito verso la fine del 2004 la costituzione di un gruppo multicentrico e cooperativo denominato Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS). Secondo Cella *et al.* (2010) la finalità era

[...] to establish a national resource for precise and efficient measurement of patient-reported outcomes (ex. symptoms, functioning, and health-related quality of life) appropriate for patients with a wide variety of chronic diseases and conditions and available for the clinical research community.

Il gruppo è composto da un *network* di clinici, ricercatori ed esperti nelle metodologie di misurazione, organizzati in sei *primary research sites* (PRSS) e in uno *statistical coordinating centre* (SCC), che operano a stretto contatto col National Institute of Health. Il *network* si colloca all'interno di una più ampia e articolata struttura organizzativa nazionale, specificamente dedicata, presieduta da uno *steering committee* e gestita dallo *statistical coordinating centre* (SCC).

Le varie PROMs dovrebbero essere utilizzabili per un ampio insieme di ambiti di ricerca: clinica, osservazionale, di comparazione dell'efficacia dei trattamenti, sui servizi sanitari e sulle politiche sanitarie. In sintesi,

the PROMIS roadmap effort is an effort to standardize and promote a common measurement system for PROs across clinical research. It represents an opportunity to unify the field of PRO measurement. PROMIS provides item banks that offer the potential for efficient (minimizes item number without compromising reliability), flexible (enables optional use of interchangeable items), and precise (has minimal error in estimate) measurement of commonly studied PROs. (Cella *et al.*, 2007a, 2010)

³⁹ Il *computerized adaptive testing* (CAT) è una forma di somministrazione degli *item* basata su un preciso algoritmo del computer e che si adatta alle risposte dell'esaminato, ovvero la risposta dell'esaminato a una domanda condiziona la selezione delle successive, selezione operata direttamente e immediatamente dal computer stesso. Ad esempio, se l'esaminato riferisce di avere difficoltà a salire le scale, la domanda successiva sarà se ha difficoltà in ogni scalino, ovvero sarà appropriata a una persona che presenta tale tipo di difficoltà. Tra i principali vantaggi del CAT vi sarebbero la riduzione del carico derivante dalla compilazione del questionario e la disponibilità in tempo reale dei risultati ottenuti.

3.3. Tappe essenziali della misurazione

Quali aree e misure

NHS PROMs Programme (UK)

Le misure di esito riferite dal paziente vengono proposte per quattro aree (interventi) chirurgiche: sostituzione dell'anca e del ginocchio, intervento per ernia inguinale, intervento per varici degli arti inferiori.⁴⁰ È prevista la somministrazione di due questionari, prima e dopo l'intervento (*Tabella 8*). I questionari comprendono una serie di elementi comuni (Department of Health, 2008):

- una misura generale di stato di salute percepito, comune a tutti gli interventi;
- una misura specifica di stato di salute riferita ad un determinato disturbo e allo specifico intervento chirurgico (eccetto quello per ernia inguinale);
- una domanda sulle modalità di vita abituali del paziente;
- alcune domande che indagano se il paziente è stato aiutato nella compilazione del questionario e se il paziente ritiene di avere una qualche forma di disabilità.

In aggiunta, vi sono una serie di domande specifiche per il questionario somministrato prima dell'intervento (es. informazioni anagrafiche, consenso alla compilazione, comorbidità) e una serie di domande specifiche per il questionario somministrato dopo l'intervento (es. complicazioni, re-ricovero, riabilitazione).

Per ciascun paziente, il *dataset* comprende (Health and Social Care Information Centre, 2013b):

- una serie di informazioni anagrafiche per l'identificazione del paziente, che permettono il *record linkage* con altri *database* sanitari;
- una misura specifica di stato di salute percepito, riferita ad un determinato disturbo e allo specifico intervento chirurgico;
- una misura generale di stato di salute percepito;
- informazioni supplementari sulla salute del paziente, ad esempio la presenza di condizioni croniche (diabete, artrite, ecc.).

⁴⁰ Per la consultazione dell'elenco dei codici clinici inclusi ed esclusi nella definizione operativa di ciascun intervento chirurgico, si rimanda a Health and Social Care Information Centre, 2013b.

Tabella 8. Struttura del questionario, pre- e post-intervento, per ciascuno delle quattro tipologie di interventi chirurgici⁴¹

Struttura	Ernia inguinale		Sostituzione anca		Sostituzione ginocchio		Varici arti inferiori	
	pre-	post-	pre-	post-	pre-	post-	pre-	post-
Informazioni identificative del paziente*	V		V		V		V	
Consenso al trattamento dei dati	V		V		V		V	
Domande dettagliate sul paziente**	V		V		V		V	
Altre domande riguardanti le condizioni di salute del paziente***	V	V	V	V	V	V	V	V
Oxford Hip Score			V	V				
Oxford Knee Score					V	V		
Aberdeen Varicose Vein Questionnaire							V	V
EQ-5D	V	V	V	V	V	V	V	V

Fonte: Department of Health, 2008. Adattamento e traduzione a cura degli autori.

Legenda

- * Nome e luogo di residenza
- ** Data di nascita, genere, condizione abitativa, presenza/assenza di persona che supporta il paziente nella compilazione, durata dei sintomi, presenza di un precedente intervento dello stesso tipo.
- *** Nel questionario pre-intervento: durata dei sintomi, precedente intervento dello stesso tipo, malattie croniche, disabilità.
Nel questionario post-intervento: problemi di salute conseguenti all'intervento, altro ricovero successivo al ricovero per intervento, valutazione complessiva del risultato dell'intervento.

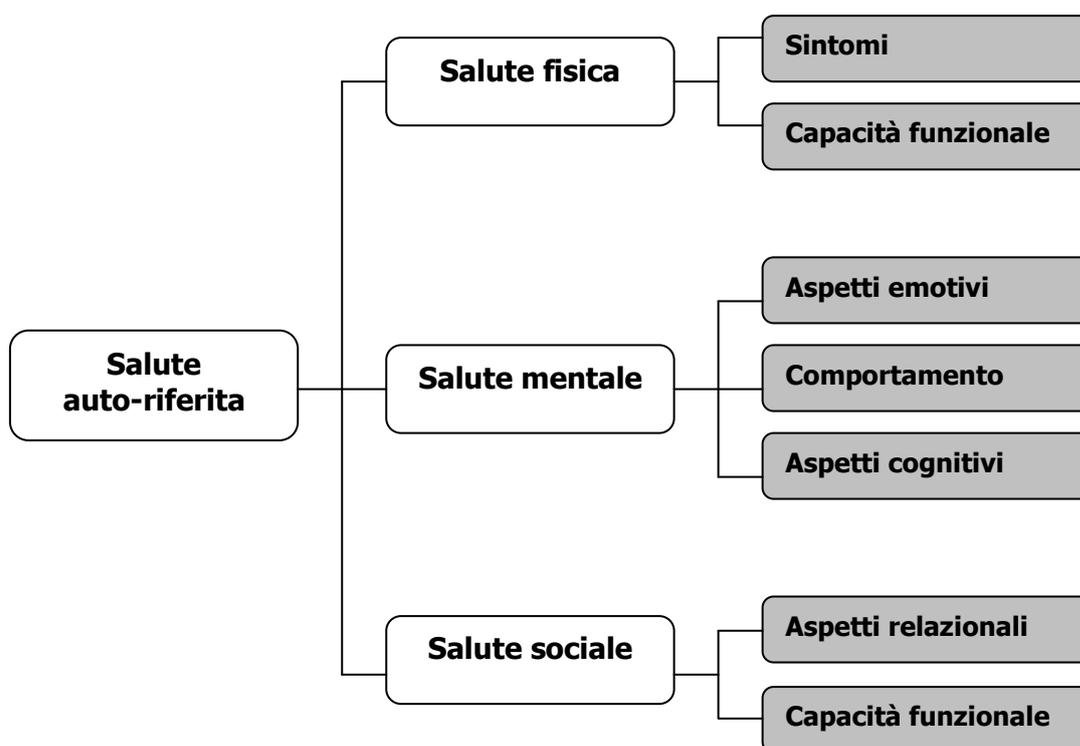
⁴¹ La definizione tecnica di ciascun intervento chirurgico (codici clinici, criteri di inclusione ed esclusione) è consultabile in Health and Social Care Information Centre, 2013b.

Patient-Reported Outcome Measurement Information System (USA)

Il primo compito del *network* di ricercatori è stato quello di elaborare un *framework* riferito agli esiti di salute dei più comuni domini PRO⁴² e delle rispettive definizioni (Weinfurt *et al.*, 2011). A tal fine sono stati analizzati diversi *framework*, ad esempio quello dell'Organizzazione mondiale della sanità (salute = fisica+mentale+sociale) e dell'International Classification of Functioning. Al termine del percorso è stato selezionato il *framework* dell'Organizzazione mondiale della sanità nel quale vengono distinte tre componenti della salute: fisica, mentale e sociale, in quanto sufficientemente ampio e inclusivo. Dopo avere identificato il *framework* di riferimento, i ricercatori hanno definito una serie di domini per ciascuna componente della salute (come intesa dalla WHO), utilizzando come metodologia una versione modificata del metodo Delphi e un'analisi quantitativa delle misure esistenti e relative a diversi domini.

La Figura 14 rappresenta una delle versioni più aggiornate (gennaio 2011) del *framework* di domini pubblicato per la prima volta nel 2005 (Fries *et al.*, 2005, come citati in Cella *et al.*, 2007a).

Figura 14. *Framework* generale dei domini

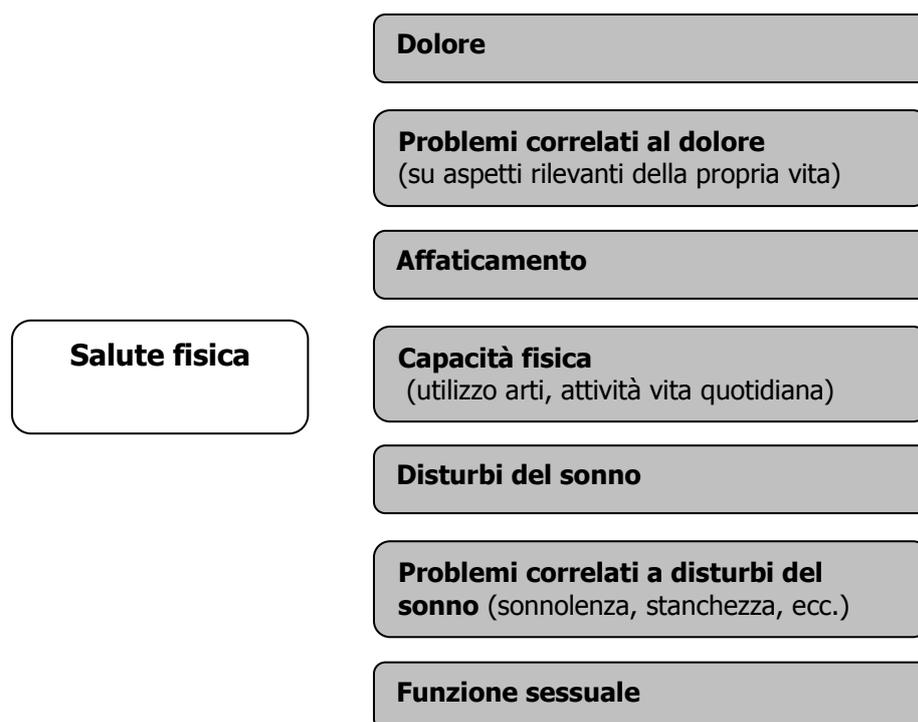


Fonte: Weinfurt *et al.*, 2011. Adattamento e traduzione a cura degli autori.

⁴² Con il termine "dominio" ci si può riferire a una specifica emozione (es. affaticamento, dolore, ansia), funzione (es. fisica, sociale), percezione (es. dello stato generale di salute, soddisfazione per il livello di partecipazione nella comunità) che si intende misurare. Ciascun dominio è trasversale ai diversi disturbi.

La lettura del *framework* inizia dalla parte sinistra della figura, in cui vengono rappresentate le tre principali componenti della salute percepita. Ogni componente è articolata in domini; ad esempio, i due macro-domini della salute fisica percepita sono "funzione" e "sintomi". Nello specifico (*Figura 15*), il macro-dominio "funzione" è composto dai domini: funzione fisica, disturbi del sonno e relativi problemi, funzione sessuale; il macro-dominio "sintomi" è invece composto da: comportamenti e problemi relative al dolore, affaticamento.

Figura 15. Salute fisica: domini (esempio)



Fonte: Weinfurt *et al.*, 2011. Adattamento e traduzione a cura degli autori.

Parallelamente alla definizione dei domini i ricercatori hanno raccolto e selezionato un'ampia serie di misure con l'intento di costruire delle banche iniziali di *item* per ciascun dominio, attraverso un complesso processo denominato *qualitative item review* (QIR) (De Walt *et al.*, 2007). Esso è stato articolato in una serie di tappe (*step*), scandite nei vari mesi degli anni 2005-2006 che vanno dalla iniziale ricerca nei *database* relativi sia alla letteratura scientifica (es. Medline) sia agli strumenti PRO (es. PROQOLID), alle interviste finali con i pazienti e valutazioni sulla leggibilità-comprensibilità degli *item*.

La Tabella 9 illustra il numero di *item* raccolti nella fase iniziale di ricerca nei *database*, e il numero di *item* selezionati al termine dell'intero processo di selezione. Si osserva per ogni dominio una drastica riduzione del numero di item finali, rispetto agli iniziali.

Tabella 9. Processo di selezione degli *item* per cinque domini⁴³

Numero	Stress emotivo	Affaticamento	Funzionamento sociale	Capacità fisica	Dolore
<i>Item</i> iniziali	2.187	1.066	1.781	1.860	644
<i>Item</i> finali	224	112	112	224	168

Fonte: DeWalt *et al.*, 2007. Adattamento e traduzione a cura degli autori.

Altre due questioni metodologiche affrontate dai ricercatori del PROMIS sono state il *recall period* e le *response options* (Cella *et al.*, 2010). In generale sono stati definiti:

- un *recall period* pari a 7 giorni ("nei sette giorni passati") in quanto costituisce un intervallo di tempo sufficientemente lungo per misurare degli esiti (es. di un intervento) che siano clinicamente rilevanti, con ridotti rischi di *bias*;
- una scala con cinque opzioni di risposta (ad es. 1 = per niente, 2 = poco, 3 = abbastanza, 4 = molto, 5 = moltissimo), in quanto presenta una buona capacità discriminante tra le varie caratteristiche degli item.

Il processo di raccolta e analisi dei dati

NHS PROMs Programme (UK)

Dall'aprile 2009 tutte le strutture erogatrici dei quattro interventi chirurgici (ernia inguinale, varici degli arti inferiori, sostituzione dell'anca o del ginocchio) e finanziate dal Servizio sanitario nazionale inglese, sono tenute alla raccolta dei PROMs secondo quanto stabilito nello Standard NHS Contract for Acute Services. L'adesione delle strutture è stata pari al 100% (Devlin, Appleby, 2010).

Le responsabilità dell'intero processo, che va dalla raccolta dei dati alla loro diffusione, sono distribuite tra livelli istituzionali diversi. A livello nazionale, l'Health and Social Care Information Centre cura le parti relative a *scoring* di tutti i questionari, controllo della qualità dei dati, messa a punto delle metodologie di *risk adjustment*, modalità di rappresentazione dei risultati e della loro diffusione, *matching* con altri *database* (in particolare il *database* dei ricoveri ospedalieri - Hospital Episode Statistics). A livello locale, le strutture ospedaliere sono responsabili sia della somministrazione e raccolta dei questionari prima dell'intervento, sia della rappresentatività dei questionari rispetto alla popolazione di riferimento, ovvero della proporzione di tutti i pazienti eligibili⁴⁴ (per la somministrazione) che hanno completato il questionario. Tale proporzione, secondo la London School of Hygiene and Tropical Medicine (Browne *et al.*, 2007), dovrebbe

⁴³ Inizialmente, i ricercatori decisero di avviare la revisione degli *item* in almeno un dominio per ciascuna delle tre componenti della salute percepita (fisica, mentale, sociale) e in particolare nei domini: stress emotivo, affaticamento, funzione sociale, funzione fisica, dolore.

⁴⁴ Sono ritenuti eligibili tutti i pazienti che si sono sottoposti a uno dei quattro interventi chirurgici presso le strutture finanziate dal Servizio sanitario nazionale inglese.

essere pari almeno all'80%, percentuale necessaria per minimizzare il rischio di non rappresentatività.

La compilazione del questionario è volontaria e viene effettuata direttamente dal paziente, o qualora sia necessario, attraverso il supporto di familiari, amici o degli operatori delle strutture.

Il NHS PROMs Programme è limitato, per il momento, all'Inghilterra; Scozia e Galles sono coinvolti limitatamente alla quota di loro residenti che hanno effettuato l'intervento presso una struttura ubicata in Inghilterra (Health and Social Care Information Centre, 2013b).

Il questionario pre-intervento dovrebbe essere somministrato ai pazienti nel periodo compreso tra il giorno in cui sono stati ritenuti idonei per l'operazione e il giorno dell'intervento; più precisamente, secondo la London School of Hygiene and Tropical Medicine (Browne *et al.*, 2007), esso dovrebbe essere somministrato il giorno del ricovero per l'intervento.

Il questionario post-intervento viene inviato per posta presso l'abitazione del paziente trascorsi 3/6 mesi dall'intervento.⁴⁵

Tutti i questionari completati, pre- e post-intervento, vengono inviati all'Health and Social Care Information Centre. L'aggiornamento dei dati provenienti dai questionari avviene su base cumulativa all'interno dell'anno oggetto di analisi. Ad esempio, una struttura può inviare il questionario pre-intervento anche alcuni mesi dopo l'episodio di ricovero o può rimandare a distanza di mesi un questionario precedentemente inviato, qualora nel primo invio siano state riscontrate delle criticità relative alla sua qualità e completezza. Un vantaggio di tale approccio è quello di ridurre il più possibile la perdita di informazioni, ovvero di questionari compilati.

Tra i principali compiti assegnati all'Health and Social Care Information Centre vi è il *matching* tra il singolo questionario pre-intervento, e post-intervento, e lo specifico episodio di cura o ricovero ospedaliero, a cui è riferito. Ad esempio, nel periodo compreso tra i mesi di aprile 2012 e gennaio 2013, in totale 84.127 questionari pre-intervento sono stati associati al ricovero ospedaliero, pari al 42,2% di tutti i ricoveri ospedalieri eligibili per la somministrazione del questionario (199.315) e al 65,3% di tutti i questionari pre-intervento compilati (128.843) (Health and Social Care Information Centre, 2013a)⁴⁶.

Patient-Reported Outcome Measurement Information System (USA)

Dopo avere selezionato gli *item* per ciascun dominio, i ricercatori PROMIS hanno proceduto alla loro validazione, testando gli *item* sulla popolazione americana (Cella *et al.*, 2010). L'obiettivo generale era quello di costruire per ciascun dominio una "banca" di *item* ben definiti e validati.

Nel periodo luglio 2006 - marzo 2007 è stato pertanto condotto uno studio su un campione di 21.133 persone, 13.250 selezionate casualmente dalla popolazione generale americana e 7.883

⁴⁵ Almeno 3 mesi dopo l'intervento di ernia inguinale e per le varici degli arti inferiori; almeno sei mesi 6 l'intervento all'anca o al ginocchio.

⁴⁶ Una trattazione completa e dettagliata della metodologia di *matching*, come dell'intero processo di raccolta e analisi dei dati, esula dalle finalità del presente Paragrafo. Per ulteriori informazioni si rimanda a Health and Social Care Information Centre, 2013b.

selezionate da sottogruppi di pazienti affetti da vari disturbi (es. cancro, disturbo polmonare cronico-ostruttivo, disturbi psichici, disturbi cardiaci, artrite).

La somministrazione degli *item* è avvenuta secondo due modalità: *full-bank* e *block*. Nella modalità *full-bank* sono stati somministrati tutti gli *item* (in totale 112) di due domini a un campione di 7.005 persone della popolazione generale. Nella modalità *block* sono stati somministrati 7 *item* per ogni dominio oggetto dello studio (in totale 98 *item*) al fine di valutare le eventuali associazioni tra domini.

Al 93% del campione totale (19.601 persone su 21.133) gli *item* sono stati somministrati mediante una indagine condotta attraverso internet. Al termine dello studio i ricercatori sono riusciti a definire 11 banche di *item* affidabili e precise, sviluppando anche versioni ridotte (*short-form*) per ciascuna di esse (Tabella 10).

Tabella 10. PROMIS: le 11 "banche" di *item*

N.	Nome banca di <i>item</i>	N. <i>item</i>	N. <i>item</i> (forma breve)
1	Stress emotivo - rabbia	29	8
2	Stress emotivo - ansia	29	7
3	Stress emotivo - depressione	28	8
4	Affaticamento	95	7
5	Dolore	39	7
6	Problemi correlati al dolore	41	6
7	Capacità fisica	124	10
8	Livello di soddisfazione legato alle attività del tempo libero e ai legami con gli amici	12	7
9	Livello di soddisfazione legato alla partecipazione a ruoli sociali (<i>che include le responsabilità nel contesto lavorativo e nel contesto familiari</i>)	14	7
10	Disturbi del sonno	27	8
11	Problemi correlati a disturbi del sonno	16	8

Fonte: adattata da Cella *et al.*, 2010. Adattamento e traduzione a cura degli autori.

Le 11 banche (domini) contengono *item* che si riferiscono a sintomi, funzioni, percezioni ed esperienze applicabili a una varietà di contesti e popolazioni (es. generale, pazienti con diverse patologie). Tale approccio consente quindi la comparabilità degli *item* tra disturbi, ad esempio tra varie condizioni croniche. Inoltre, gli *item* all'interno di ciascuna banca non sono stati pensati per differenziare sotto-tipologie della stessa funzione o dello stesso sintomo (es. stanchezza da fibromialgia vs stanchezza da sclerosi multipla) ma per differenziare i livelli di gravità (Cella *et al.*, 2010).

Ogni banca di *item* può essere somministrata attraverso diverse modalità, tra cui il già citato *computerized adaptive testing* (CAT). Secondo i ricercatori di PROMIS la somministrazione degli *item* mediante CAT sarebbe abbastanza rapida e richiederebbe circa 11 minuti, considerando la somministrazione completa degli item di tutte e 11 le banche, nella loro versione breve (Choi *et al.*, 2010, come citati in Cella *et al.*, 2010).

Non ultimo, i ricercatori hanno definito uno *scoring system* identico per tutti i diversi domini. Esso consiste nell'impiego del cosiddetto T-score in cui i punteggi sono calcolati avendo come riferimento la popolazione generale, e presentano tutti una media pari a 50 e una deviazione standard pari a 10. Ad esempio, una persona che riporta un punteggio di 70 al dominio "problemi correlati al dolore" presenta una deviazione standard superiore di 10 punti rispetto a quella della popolazione generale. Sempre secondo gli studiosi, maggiore è il punteggio, maggiore è la "quantità posseduta" di quel dominio. In altre parole, se il dominio ha una connotazione positiva (es. i domini relativi a "soddisfazione per la partecipazione a un ruolo nella società" oppure a "funzione fisica"), un elevato punteggio significa una migliore condizione; se il dominio ha una connotazione negativa (es. i domini relativi a "dolore" o "depressione"), un elevato punteggio significa una condizione peggiore.

Risultati

NHS PROMs Programme (UK)

Negli anni 2009-2013 il tasso di risposta⁴⁷ ai questionari pre-intervento è compreso tra il 64,6% ed il 74,6%, mantenendosi comunque al di sopra del 60% (*Tabella 11*). Nello stesso periodo, il tasso di risposta ai questionari post-intervento⁴⁸ è compreso tra il 76,9% (escludendo il tasso pari al 47,7%, vedi *Tabella 11, nota e*) e l'81%, attestandosi comunque al di sopra del 75%. Osservando nel dettaglio la *Tabella*, emergono diversi spunti meritevoli di analisi e riflessione, come ad esempio la differenza tra il numero di ricoveri eligibili per la somministrazione del questionario pre-intervento ed il numero di questionari ricevuti.

⁴⁷ Il tasso di risposta esprime la proporzione tra il numero di ricoveri eligibili per la somministrazione del questionario pre-intervento e i questionari effettivamente compilati e ricevuti. Sono ritenuti eligibili i ricoveri per intervento chirurgico al ginocchio, anca, per ernia inguinale e varici degli arti inferiori.

⁴⁸ Il tasso di risposta esprime la proporzione tra il numero di questionari inviati al domicilio del paziente, dopo l'intervento chirurgico, e i questionari effettivamente compilati e ricevuti.

Tabella 11. Tasso (%) di risposta ai questionari pre- e post-intervento chirurgico. 2009-2013

	aprile 2009 - marzo 2010 ^c	aprile 2010 - marzo 2011 ^c	aprile 2011 - marzo 2012 ^d	aprile 2012 - gennaio 2013 ^d
N. ricoveri elegibili ^a	239.683	245.516	247.697	199.315
N. questionari ricevuti PRE-	158.342	171.499	184.818	128.843
N. questionari inviati POST- ^b	151.874	162.614	175.155	62.903
N. questionari ricevuti POST-	121.439	131.696	134.768	30.027
<i>Tasso (%) risposta PRE-</i>	<i>66,1</i>	<i>69,9</i>	<i>74,6</i>	<i>64,6</i>
<i>Tasso (%) risposta POST-</i>	<i>80,0</i>	<i>81,0</i>	<i>76,9</i>	<i>47,7^e</i>

Fonte: Health and Social Care Information Centre. Adattamento a cura degli autori

Legenda

- ^a Ricoveri per intervento chirurgico a anca, ginocchio, per ernia inguinale e per varici degli arti inferiori.
- ^b Il n. di questionari post-intervento inviati non corrisponde al n. di questionari pre-intervento ricevuti per una serie di ragioni, tra cui la cancellazione dell'operazione o il decesso del paziente.
- ^c Dati definitivi, pubblicati rispettivamente ad agosto 2011 e agosto 2012.
- ^d Dati provvisori, pubblicati a giugno 2013.
- ^e Tale tasso è una sottostima del reale tasso, dovuto al disallineamento temporale tra la ricezione dei questionari pre-intervento e i questionari post-intervento.

I risultati dei questionari vengono organizzati e presentati secondo diverse modalità⁴⁹ e secondo diversi livelli di analisi (es. nazionale, struttura erogatrice, *primary care trust*, *clinical commissioning group*). Ad esempio, in Tabella 12 sono rappresentati il numero e la proporzione di pazienti che hanno riportato nei punteggi dei questionari post-intervento un miglioramento, un peggioramento o una condizione di stabilità rispetto ai punteggi dei questionari pre-intervento. In particolare, dall'analisi dei dati (*Tabella 12*) emerge che:

- nella prima parte del questionario generico EQ-5D, il 72% circa dei pazienti ha riportato un miglioramento; le percentuali maggiori di pazienti con un miglioramento si riscontrano nell'intervento all'anca e al ginocchio, rispettivamente pari a 87% e 77% circa;
- nella seconda parte del questionario generico EQ-5D, denominata EQ-VAS, in totale il 51% circa dei pazienti ha riportato un miglioramento; le percentuali maggiori di pazienti con un miglioramento si riscontrano nell'intervento all'anca e al ginocchio, rispettivamente pari al 61% e al 50% circa;
- nei questionari specifici (per anca, ginocchio e varici degli arti inferiori), in totale il 92% circa dei pazienti ha riportato un miglioramento; si riscontrano elevate percentuali di miglioramento in tutti gli interventi, rispettivamente pari al 95% circa nell'Oxford Hip

⁴⁹ Esula dalle finalità della presente trattazione una valutazione dell'efficacia degli interventi chirurgici oggetto del Programma nazionale nei termini di miglioramento della qualità della vita dei pazienti, come una più generale analisi dell'impatto del Programma sul sistema e le organizzazioni sanitarie.

Replacement, al 91% circa nell'Oxford Knee Replacement e all'83% circa nell'Aberdeen Varicose Vein;

- i risultati del questionario EQ-5D tendono quindi ad offrire una sottostima di quella che è l'entità del miglioramento, come rivelato dai questionari specifici.

Tabella 12. Numero e proporzione di pazienti che hanno riportato un miglioramento, una condizione di stabilità, un peggioramento negli *score* dei PRO questionari (differenza tra *score* pre- e post-intervento chirurgico). Aprile 2009 - marzo 2010

EQ-5D Indice	chirurgia ernia inguinale	sostituzione anca	sostituzione ginocchio	chirurgia vena varicosa	TOTALE
incremento	12.344 (49,3%)	30.425 (87,2%)	31.404 (77,6%)	4.608 (52,4%)	78.781 (72,2%)
stabilità	8.125 (32,5%)	2.154 (6,2%)	4.426 (10,9%)	2.899 (33,0%)	17.604 (16,1%)
decremento	4.55 (18,2%)	2.304 (6,6%)	4.614 (11,4%)	1.281 (14,6%)	12.749 (11,7%)
<i>Totale*</i>	<i>25.019</i>	<i>34.883</i>	<i>40.444</i>	<i>8.788</i>	<i>109.134</i>

EQ-VAS	chirurgia ernia inguinale	sostituzione anca	sostituzione ginocchio	chirurgia vena varicosa	TOTALE
incremento	8.944 (38,2%)	20.235 (61,4%)	19.104 (50,2%)	3.372 (40,4%)	51.655 (50,3%)
stabilità	4.370 (18,7%)	3.751 (11,4%)	5.315 (14,0%)	1.579 (18,9%)	15.015 (14,6%)
decremento	10.084 (43,1%)	8.963 (27,2%)	13.601 (35,8%)	3.390 (40,6%)	36.038 (35,1%)
<i>Totale*</i>	<i>23.398</i>	<i>32.949</i>	<i>38.020</i>	<i>8.341</i>	<i>102.708</i>

Condizione specifica	chirurgia ernia inguinale	sostituzione anca	sostituzione ginocchio	chirurgia vena varicosa	TOTALE
incremento		36.680 (95,7%)	40.241 (91,4%)	7.722 (83,4%)	84.643 (92,4%)
stabilità		239 (0,6%)	609 (1,4%)	5 (0,1%)	853 (0,9%)
decremento		1.423 (3,7%)	3.165 (7,2%)	1.535 (16,6%)	6.123 (6,7%)
<i>Totale*</i>		<i>38.342</i>	<i>44.015</i>	<i>9.262</i>	<i>91.619</i>

Fonte: Health and Social Care Information Centre, 2011. Adattamento e traduzione a cura degli autori.

- * Sono inclusi solo i pazienti per i quali è stato possibile misurare il cambiamento (confronto tra questionario post-intervento e questionario pre-intervento).

Tra le rappresentazioni grafiche dei dati si segnalano le mappe geografiche e i funnel plot.

In Figura 16 viene rappresentato mediante mappa geografica il punteggio medio del questionario EQ-5D, pre- e post-intervento, per la chirurgia dell'ernia inguinale, e la differenza pesata per *case mix* tra i punteggi medi riportati ai due questionari. I confini di ogni area della mappa corrispondono ai confini istituzionali dei *primary care trust*.

Nella Figura 17 vengono riportati i punteggi medi dell'Oxford Hip Score (OHS), somministrato nella fase post-intervento, e il numero di interventi di sostituzione dell'anca effettuati da ciascuna struttura erogatrice. I pallini sono 237, pari al numero delle strutture erogatrici.⁵⁰

I risultati dei questionari sono aggiornati mensilmente, permettendo quindi analisi basate su diversi periodi temporali (es. trimestrale, semestrale, annuale). Essi vengono resi disponibili al pubblico in forma aggregata, a livello nazionale e locale (di singola struttura erogatrice, di singolo *primary care trust*), e secondo un modello predefinito di reportistica. È inoltre prevista un'area ad accesso riservato per le singole strutture erogatrici, in cui i risultati vengono presentati disaggregati anche a livello individuale e nominativo, e in cui le singole strutture possono interrogare e utilizzare la banca dati in modo interattivo.

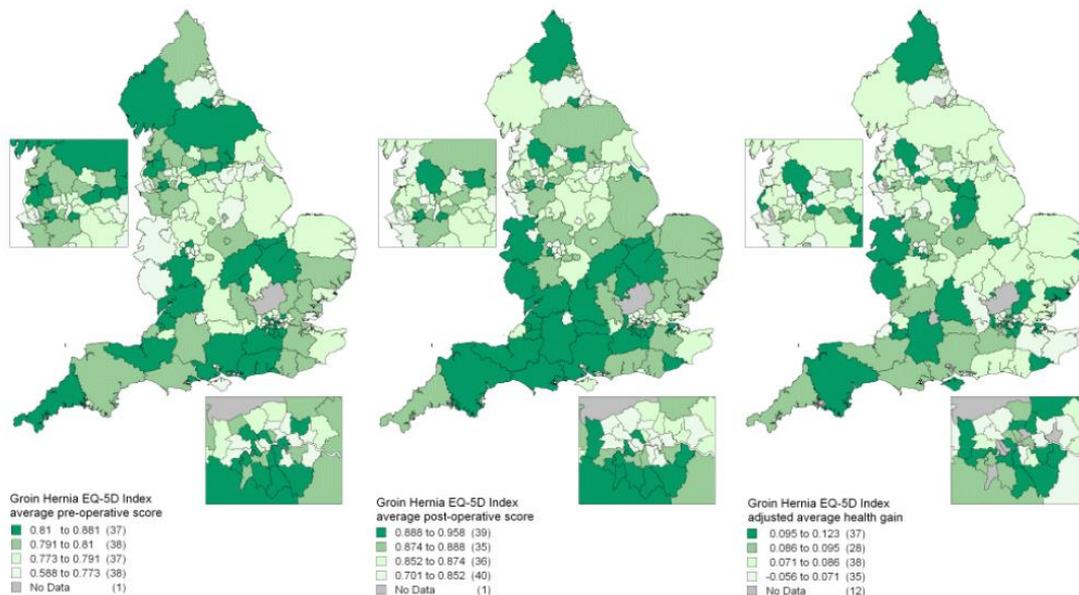
A chi decida di consultare i dati accessibili al pubblico non sfuggirà un aspetto importante: ogni questionario presenta un proprio *scoring system*,⁵¹ che è necessario conoscere ai fini della comprensione dei risultati e che può non rendere immediato un confronto tra i risultati ottenuti ai vari questionari. A questo proposito si ricorda come i ricercatori statunitensi del PROMIS hanno superato il problema costruendo un unico *scoring system* per le varie misure (vedi paragrafo 3.3 *Tappe essenziali della misurazione, sezione Il processo di raccolta e analisi dei dati - Patient-Reported Outcome Measurement Information System*).

⁵⁰ Dall'analisi della Figura 17 emergono 20 strutture erogatrici identificabili come *outlier*, ovvero con punteggi medi dell'OHS distanti più di 3 deviazioni standard dalla media complessiva di tutte le strutture. Di queste, 14 si posizionano al di sotto della media (*poor performer*) e 6 al di sopra (Neuburger *et al.*, 2011).

La scelta di utilizzare il funnel plot costituisce l'esito di un processo di revisione nell'ambito del Programma PROMs finalizzato alla selezione della modalità più appropriata per identificare, tra le strutture erogatrici, gli *outlier*. In particolare, fino al 2011 il calcolo della significatività della differenza tra i valori di una singola struttura erogatrice e la media nazionale si basava sul confronto tra i rispettivi intervalli di confidenza (se gli intervalli non si sovrapponevano, allora la differenza era significativa). Per approfondimenti sulle ragioni che hanno condotto alla scelta dei funnel plot consultare: Health and Social Care Information Centre. *PROMs Frequently Asked Questions (FAQs)*, http://www.hscic.gov.uk/media/1536/PROMs-FAQs/pdf/PROMs_FAQs.pdf (ultimo accesso marzo 2014)

⁵¹ Si consulti a titolo esemplificativo il Capitolo precedente dedicato alla illustrazione di due questionari, uno generico (EQ-5D) e uno specifico (Oxford Knee Score), entrambi utilizzati nel NHS PROMs Programme.

Figura 16. Intervento di ernia inguinale: punteggi del questionario EQ-5D* in classi quintili, per *primary care trust*. Aprile 2009 - marzo 2010

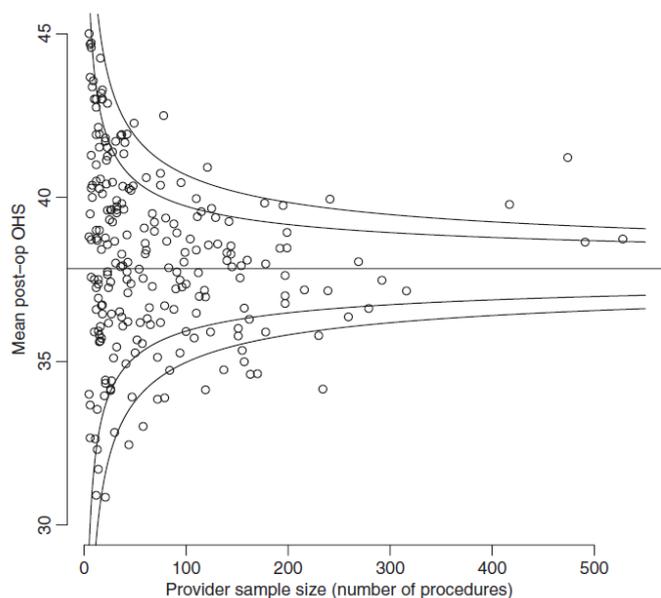


Fonte: Health and Social Care Information Centre, 2011. Adattamento e traduzione a cura degli autori.

Legenda

* Il punteggio varia da 0.594 a 1.

Figura 17. Intervento di sostituzione dell'anca: media dei punteggi dell'Oxford Hip Score (OHS) dopo l'intervento e numero di interventi. Strutture inglesi erogatrici



Fonte: Neuburger *et al.*, 2011

Patient-Reported Outcome Measurement Information System (USA)

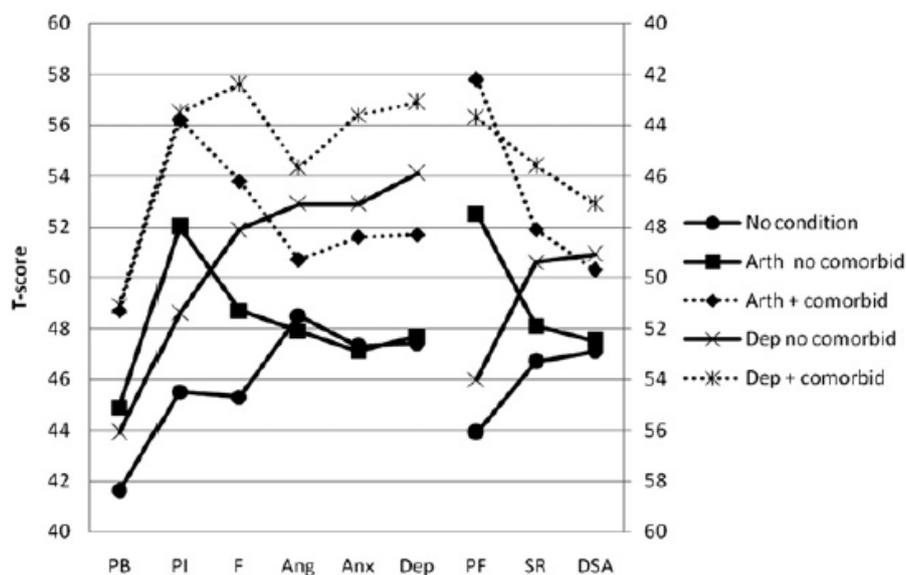
Tra i risultati complessivi dell'esperienza statunitense vi sono (Weinfurt *et al.*, 2011):

- la partecipazione di più di 2.600 ricercatori di 45 Stati diversi, e il reclutamento negli studi di circa 40.000 persone;
- la pubblicazione di più di 100 articoli su circa 20 riviste scientifiche diverse (es. *Medical Care*, *Archives of Physical Medicine and Rehabilitation*, *Cancer*, *Journal of Clinical Epidemiology*, *Quality of Life Research*) e la realizzazione di più di 100 presentazioni (nel solo biennio 2009-2010);
- la costruzione e il libero accesso a uno strumento *online* denominato Assessment Centre,⁵² che supporta i ricercatori nella raccolta e analisi degli *item*. In particolare, collegandosi alla pagina web il ricercatore può selezionare il dominio di interesse (es. stress emotivo, affaticamento, dolore) e somministrare gli *item*, o meglio la banca di *item* riferita a tale dominio, attraverso computerized adaptive testing (CAT). CAT consente inoltre di analizzare le risposte raccolte e fornire istantaneamente un profilo dei punteggi dell'esaminato.

Un caso di applicazione delle banche di *item* messe a punto dai ricercatori PROMIS è rappresentato da un recente studio pubblicato sul *Journal of Clinical Epidemiology* (Rothrock *et al.*, 2010). Nella ricerca si è cercato di analizzare la correlazione tra una serie di patologie croniche (e comorbidità) e i domini di salute percepita del gruppo PROMIS. Ad esempio, in Figura 18 è illustrata l'associazione tra due condizioni croniche - artrite e depressione (con/senza comorbidità) - e nove domini di salute. I dati sono stati ripresi dallo studio di validazione delle banche di *item* (Cella *et al.*, 2010) illustrato in forma sintetica nel precedente Paragrafo; si riferiscono a un campione di 21.133 persone selezionate sia dalla popolazione generale sia da sottogruppi di pazienti, nel periodo luglio 2006 - marzo 2007. Il grafico presenta una peculiarità, in quanto i punteggi dei vari domini di salute, espressi in *T-score*, sono distribuiti in due assi delle y. Tale scelta è dovuta al fatto che per alcuni domini di salute un punteggio maggiore corrisponde a una peggiore condizione, mentre per altri domini l'interpretazione è inversa. Pertanto, l'asse delle y di sinistra si riferisce ai domini dolore (PB), problemi correlati al dolore (PI), affaticamento (F), rabbia (Ang), ansia (Anx), depressione (Dep), che presentano una connotazione negativa (più alto è il valore, peggiore è la condizione); l'asse delle y di destra si riferisce ai domini capacità fisica (PF), livello di soddisfazione legato alla partecipazione a ruoli sociali (SR) e livello di soddisfazione legato alle attività del tempo libero e ai legami con gli amici (DSA), che presentano una connotazione positiva (più alto è il valore, migliore è la condizione).

⁵² <http://www.assessmentcenter.net/> (ultimo accesso marzo 2014)

Figura 18. *T-scores* dei domini PROMIS per due condizioni croniche (con/senza comorbidità). Luglio 2006 - marzo 2007



Fonte: Rothrock *et al.*, 2010.

Dall'analisi della rappresentazione grafica è possibile osservare che:

- le persone che non riportano alcuna condizione cronica (*no condition*) presentano dei *T-scores* migliori nella maggior parte dei domini, rispetto alle persone che soffrono di artrite (Arth) o depressione (Dep) con o senza comorbidità (no/+ comorbid);
- tra le persone che dichiarano di soffrire di una delle due condizioni croniche, quelle che presentano comorbidità ottengono dei *T-score* peggiori nella maggior parte dei domini rispetto a quelle che non presentano comorbidità.

Nelle conclusioni, i ricercatori (Rothrock *et al.*, 2010) affermano che il soffrire di condizioni croniche multiple è quasi sempre associato a una peggiore qualità della vita rispetto a non soffrirne.

3.4. Gli sviluppi dichiarati

NHS PROMs Programme (UK)

Nel recente Libro bianco *Equity and Excellence* (Department of Health, 2010) sono numerosi i riferimenti espliciti ai PROMs.

- Nel secondo capitolo "Putting patients and the public first", a proposito di quella che viene definita una "rivoluzione informativa" per il Servizio sanitario nazionale, si afferma:

Information generated by patients themselves will include much wider use of effective tools like Patient-Reported Outcome Measures (PROMs) ... At present, PROMs, ... are not used widely enough. We will expand (from April 2011) their validity, collection and use. The Department will extend ... PROMs across the NHS wherever practicable.

- La rivoluzione informativa - di cui i PROMs sono parte - dovrebbe supportare primariamente la capacità di scelta da parte del paziente e l'*accountability* del sistema a tutti i livelli istituzionali. In particolare, si afferma che nel futuro ci dovrà essere un incremento nella quantità di informazioni robuste e affidabili, per permettere il confronto tra erogatori di prestazioni soprattutto su tre dimensioni della qualità: sicurezza, efficacia (tra cui sono incluse le *patient-reported outcome measures*), esperienza del paziente
- Nel terzo capitolo "Improving healthcare outcomes" si afferma che il NHS Outcomes Framework comprenderà anche

*the effectiveness of the treatment and care provided to patients - measured by both clinical outcomes and patient-reported outcomes*⁵³.

Tra gli indicatori dell'attuale *framework* riferito agli anni 2012-2013 sono state peraltro già incluse le PROMs utilizzate dal NHS PROMs Programme (Cromwell, Mays, 2012).

Nel documento *Getting the most out of PROMs* Devlin e Appleby (2010) individuano tre principali direzioni/opportunità rispetto a cui applicare le PROMs, riferite per il momento a solo quattro interventi chirurgici, i quali

account for just a small fraction - around 3.3 per cent - of all elective activity in the NHS.

Una prima direzione riguarda l'assistenza ai disturbi psichici e alle malattie croniche, nei quali il mantenimento di una buona qualità di vita rappresenta uno dei principali esiti. Questi ambiti assistenziali assorbono, peraltro, una quota di risorse di circa tre volte superiore a quella dei quattro interventi chirurgici oggetto del NHS PROMs Programme, nello specifico più dell'8% dell'intero budget del Servizio sanitario nazionale inglese.

La seconda direzione riguarda le valutazioni di costo-efficienza e costo-efficacia, operate ad esempio dal National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE). Attraverso i dati forniti dalle PROMs è infatti possibile calcolare i *cost per quality adjusted life year (QALY) ratios*.

La terza riguarda i *quality account*,⁵⁴ report prodotti annualmente da ogni erogatore di prestazioni ai pazienti del Servizio sanitario nazionale inglese. Secondo Devlin e Appleby (2010) i *quality account* rappresenterebbero "an obvious outlet for PROMs data".

Gli autori concludono la loro pubblicazione sulle PROMs auspicando che esse aggiungano nuove misure nella prospettiva dei pazienti, più che sostituire le misure esistenti sulla qualità e le *performance* dell'assistenza.

Sempre riguardo ai piani di sviluppo, Nick Black (2013) afferma come sia prevista l'estensione delle misure di esito riferito dal paziente a un altro intervento chirurgico - la rivascolarizzazione coronarica - entro il 2013, e come siano in corso studi di fattibilità riguardanti le *long-term conditions* (asma, broncopneumopatia cronica ostruttiva, diabete, epilessia, scompenso

⁵³ Per approfondimenti
http://www.dh.gov.uk/en/Publicationsandstatistics/Publications/PublicationsPolicyAndGuidance/DH_131700 (ultimo accesso marzo 2014)

⁵⁴ Per approfondimenti
<http://www.nhs.uk/aboutNHSchoices/professionals/healthandcareprofessionals/quality-accounts/Pages/about-quality-accounts.aspx> (ultimo accesso marzo 2014)

cardiaco, stroke), le persone sopravvissute al cancro e le persone con demenza. L'autore aggiunge come i più di 50 audit clinici attivi a livello nazionale rappresentino delle opportunità immediatamente disponibili per un ampliamento dell'utilizzo di tali misure.

Patient-Reported Outcome Measurement Information System (USA)

Nel 2009 il National Institute of Health ha finanziato la seconda fase di studi per gli anni 2010-2013, confermando la finalità generale di

provide clinicians and researchers access to efficient, precise, valid, and responsive adult- and child-reported measures of health and well-being (Weinfurt *et al.*, 2011).

In particolare, le tappe dei prossimi anni prevedono (Carle *et al.*, 2011; Weinfurt *et al.*, 2011):

- lo sviluppare ulteriori banche di *item* riguardanti, in particolare, l'assistenza ai malati cronici e la salute infantile;
- il creare dei collegamenti e rendere confrontabili i dati raccolti dalla popolazione adulta e quelli dalla popolazione infantile al fine di ottenere misure di *life course*;
- il migliorare l'applicazione delle PROMs nella pratica clinica, attraverso lo sviluppo di strumenti di somministrazione sempre più rapidi e poco dispendiosi (es. *short-form*, CAT);
- l'aumentare le validazioni e traduzioni degli strumenti in altre lingue / per altri Paesi.

3.5 Sfide, criticità, e questioni aperte nell'uso per la misurazione delle performance

Alcuni tra i più autorevoli studiosi nel campo della misurazione degli esiti riferiti dai pazienti hanno proposto e descritto diverse sfide, criticità e rischi legati all'utilizzo di tali misure nella ricerca, nella pratica clinica e nella valutazione delle performance delle organizzazioni e sistemi sanitari (Appleby, 2011; Black, 2013; Fitzpatrick, 2009; Greenhalgh, 2009; McKenna, 2011; Snyder *et al.*, 2013). In questa sezione viene illustrato in sintesi il dibattito che ne è seguito.

Le sfide legate all'utilizzo delle misure di esito riferito dal paziente nella valutazione delle performance sono, al tempo stesso, esterne ed interne alle organizzazioni sanitarie.

Sul fronte esterno si sottolineano le tematiche connesse al crescente numero di strumenti e misure (1) e alla loro *governance* (2).

1. Secondo Fitzpatrick (2009) un *trend* prevedibile con una discreta attendibilità riguarda la continua proliferazione di strumenti e misure di esito riferito dal paziente. L'industria farmaceutica sarebbe il principale *driver* di tale crescita per una serie di ragioni, come ad esempio quella di dimostrare l'impatto di una serie di prodotti farmaceutici sulla qualità della vita delle persone sofferenti di patologie croniche e su un insieme di disturbi, sempre più specifici, e quella di analizzare dimensioni della qualità della vita sempre più specifiche. Le maggiori criticità derivanti dalla presenza di una pleora di strumenti e misure riguarderebbero non solo la selezione, ma anche la comparabilità dei risultati, soprattutto nel caso di studi che usano strumenti diversi per misurare la medesima dimensione. Due esperienze che paiono affrontare tali criticità sono quelle americane del Patient-Reported

Outcome Measurement Information System (PROMIS) (già analizzata in questo Capitolo) e del Patient-Reported Outcomes Measurement Group dell'Università di Oxford (già citata), che da diversi anni conduce revisioni strutturate degli strumenti e delle misure di esito riferito dal paziente di specifici disturbi.

2. Secondo Snyder e collaboratori (2013) una delle principali sfide riguarda la cosiddetta *governance* degli strumenti e misure di esito riferito dal paziente, intendendo con essa le tematiche relative ad esempio alla proprietà intellettuale degli strumenti (*copyleft vs copyrighted*), alla tutela della *privacy* rispetto alle informazioni raccolte dai soggetti, alla definizione degli standard per la selezione degli strumenti, alla predisposizione di linee guida per l'interpretazione dei punteggi. Si tratta di temi per i quali sono molto più numerosi i quesiti rispetto alle risposte.

Sul fronte interno ai sistemi e alle organizzazioni sanitarie, le sfide principali sono riconducibili alle seguenti macro-categorie: logistica e risorse (1), metodologia (2), aspetti culturali e cognitivi (3).

1. Tra i principali temi relativi alla logistica ed alle risorse possono essere inclusi le tempistiche e i costi di raccolta, analisi e messa a disposizione dei dati, necessaria infrastruttura di supporto. Secondo Black (2013) un contributo rilevante nel fronteggiare le diverse criticità potrebbe derivare dall'*information communication technology* (ICT). Al riguardo, l'esperienza americana PROMIS offre alcuni spunti rilevanti di applicazione, come il *computerized adaptive testing system* (CAT). Nel dibattito corrente sulle potenzialità dell'ICT pare assumere un ruolo centrale l'*electronic health record* (Wu *et al.*, 2013).

La stima dei costi legati all'intero processo di misurazione degli esiti riferiti dal paziente, come la stima del loro impatto su quello che è il finanziamento complessivo dell'assistenza, presenta non poche criticità e risulta scarsamente documentato nella letteratura internazionale (Fitzpatrick, 2009). Nell'esperienza del NHS PROMs Programme (UK) un tentativo è stato fatto con la stima di un costo per paziente pari a £6,50 (Browne *et al.*, 2007). Tale valore rappresenterebbe tuttavia una sottostima dei costi complessivi in quanto basato solo sulla raccolta del questionario pre-intervento e su un gruppo di ospedali che già prima della sperimentazione del programma nazionale raccoglievano misure simili, ed erano quindi maggiormente organizzati e attrezzati rispetto all'intero campione di ospedali coinvolti (Maynard, Bloor, 2010).

2. Le sfide relative alle questioni metodologiche e statistiche sono diverse. L'esperienza del NHS PROMs Programme (UK) e il dibattito collegato offrono alcuni spunti rilevanti, soprattutto per la misurazione delle performance.

Un primo punto riguarda il livello di partecipazione delle strutture e dei pazienti, e il coinvolgimento dei professionisti. Ad esempio, il 100% delle strutture erogatrici dei quattro interventi chirurgici avrebbe partecipato al programma nazionale. Questo 100% è riferito tuttavia alle sole strutture presenti nel territorio inglese e non include quelle dei territori galles e scozzese, come ci si aspetterebbe a fronte di un programma nazionale. A conclusione dello studio pilota, la London School of Hygiene and Tropical Medicine (LSHTM) aveva raccomandato un tasso di risposta nei questionari pre-intervento di almeno l'80% al fine di garantire la rappresentatività del campione (Browne *et al.*, 2007). Negli anni 2009-

2013 tale tasso si sarebbe mantenuto costantemente al di sotto dell'80% (vedi *Tabella 12*). A tale risultato, sarebbe inoltre da aggiungere la variabilità presente tra le strutture e tra gli interventi. Ad esempio: dallo studio pilota della LSHTM emergeva un tasso di risposta tra le strutture compreso tra il 33 e il 100% (Browne *et al.*, 2007); Black (2013) descrive come, nei primi due anni di avvio del programma nazionale, la proporzione di pazienti reclutati nella fase pre-operatoria variava da circa l'80% nell'intervento chirurgico all'anca e al ginocchio, al 50% nell'intervento chirurgico per le varici degli arti inferiori.

Sotteso alla questione del livello di partecipazione, soprattutto dei pazienti, vi è quella relativa ai *selection bias*. Secondo Black (2013) la vera sfida consiste proprio nel raggiungere alti livelli di partecipazione di quelle fasce di popolazione che rischiano di essere le meno rappresentate, come gli anziani, le persone con disabilità, le persone *non white*, e le persone in condizioni socio-economiche disagiate. L'autore sottolinea inoltre come le criticità relative ai *selection bias* diventeranno più complesse quando dal setting dell'assistenza ospedaliera si passerà a quello dell'assistenza territoriale. Secondo Maynard e Bloor (2010) il programma nazionale sarebbe stato avviato e sviluppato con un limitato coinvolgimento dei clinici, fattore che, sempre ad opinione degli autori, potrebbe riflettersi in un atteggiamento di sfiducia e sospetto da parte dei professionisti soprattutto nei confronti di performance non positive.

Un secondo punto riguarda l'appropriatezza del confronto tra strutture erogatrici e le inferenze circa la *performance* delle singole strutture. Il confronto tra strutture richiede l'adozione di opportune metodologie di *risk adjustment*, rispetto a cui esiste un'ampia documentazione (Iezzoni, 2012) e su cui l'esperienza inglese del NHS PROMS Programme si è già cimentata. In particolare, tra le variabili che possono condizionare gli esiti riferiti dai pazienti, una particolare attenzione meriterebbero anche quelle socio-economiche, oltre a quelle demografiche e cliniche. Ad esempio, è stato recentemente dimostrato come pazienti che vivono in aree socio-economicamente deprivate⁵⁵ riportino un peggiore livello di dolore e disabilità dopo un intervento chirurgico all'anca o al ginocchio rispetto a pazienti che vivono in aree con un livello inferiore di deprivazione, e come tali differenze persistano nonostante l'aggiustamento per le condizioni cliniche pre-operatorie, quali la salute generale, la gravità del disturbo e le eventuali co-morbidità (Neuburger *et al.*, 2012).

La questione relativa a come classificare le strutture sulla base della loro *performance* apre invece un altro ordine di problematiche che emergono anche dall'esperienza inglese. Una stessa struttura può infatti presentare dei punteggi allineati alla media del totale delle strutture in una misura di esito riferito dal paziente e punteggi inferiori alla media o superiori in un'altra. Lo stesso fenomeno avviene anche rispetto a una singola misura, a seconda sia della metrica utilizzata sia della dimensione analizzata, nel caso di scale multidimensionali come l'EQ-5D (Black, 2013; Gutacker *et al.*, 2013; Neuburger *et al.*, 2013).

⁵⁵ La deprivazione socio-economica è stata misurata mediante l'*English Index of Multiple Deprivation* (IMD), che include una serie di variabili relative a reddito, istruzione, occupazione, salute e disabilità, accesso ai servizi, condizioni ambientali e criminalità nell'ambiente di vita.

Un terzo aspetto riguarda invece i rischi derivanti da un uso improprio delle misure di esito riferito dal paziente soprattutto da parte dei *decision maker* (Appleby, 2011; Black, 2013). Una delle maggiori preoccupazioni riguarda la possibilità che semplicemente attraverso gli esiti dei questionari vengano compiute scelte di allocazione delle risorse economiche tra strutture come tra interventi.

3. Tra le sfide di natura culturale e cognitiva vanno citati in particolar modo gli atteggiamenti e le competenze dei potenziali utilizzatori dei dati relativi agli esiti riferiti dai pazienti, in primis professionisti, manager e *policy maker*. L'atteggiamento scettico e la carenza di competenze nella comprensione e interpretazione dei risultati da parte soprattutto dei professionisti sono già state descritte e citate (Fitzpatrick, 2009). La sfida non riguarderebbe, tuttavia, soltanto i destinatari delle informazioni, ma anche i produttori e diffusori delle stesse (Black, 2013). A titolo esemplificativo, si rimanda al Capitolo 2 del presente Dossier dedicato agli strumenti e misure, in particolare alla descrizione dei punteggi relativi all'EQ-5D e all'Oxford Knee Score, e si propongono due domande: "La modalità di presentazione dei dati è tarata sulla specifica *audience* e a cui è indirizzata?"; "Quale tipo di supporto è stato offerto alla specifica *audience* per la comprensione dei risultati, dove necessario?".

Non ultimo, si sottolineano almeno tre questioni aperte e da approfondire.

La prima riguarda il "che cosa" misurare e il "come" valutare l'impatto dell'utilizzo delle misure di esito riferito dal paziente sulla *performance* delle organizzazioni e dei sistemi sanitari. Ad oggi, gli studi disponibili riguardano principalmente l'impatto sulla pratica clinica. Greenhalgh (2009) sostiene che gran parte della letteratura riguardante la valutazione dell'impatto delle misure di esito riferito dal paziente è quasi esclusivamente focalizzata sui diversi aspetti che caratterizzano la relazione tra professionista e paziente (es. comunicazione, processo decisionale, modalità di gestione del problema di salute, soddisfazione per l'assistenza ricevuta), e scarsamente su altri ambiti. In particolare, i risultati delle evidenze disponibili suggerirebbero come l'utilizzo di misure di esito riferito dal paziente possa avere un impatto positivo sui comportamenti del clinico e del paziente nella identificazione e discussione del problema di salute, più che sulla sua gestione. Nel 2011 è stata pubblicata da Snyder e colleghi una revisione delle opzioni e considerazioni riguardanti l'implementazione delle misure di esito riferito dal paziente nella pratica clinica, che affronta anche il tema delle metodologie utilizzabili per la valutazione dell'impatto.

La seconda questione riguarda il "come" verranno integrate - da parte dei *decision maker* ai vari livelli delle organizzazioni e dei sistemi sanitari - le informazioni riguardanti gli esiti riferiti dai pazienti con le altre informazioni sugli esiti delle cure (es. mortalità, re-ricoveri, complicanze), soprattutto in caso di marcata discordanza tra le une e le altre.

La terza questione riguarda ciò che Miranda Wolpert⁵⁶ definisce la "tensione" tra due macro-obiettivi nella raccolta delle misure di esito riferito dal paziente: "inform generalizable findings including audit and research versus inform individual care" (Wolpert, 2013), la quale - se non affrontata - può avere un "potential iatrogenic impact" sull'uso e implementazione delle misure stesse. Le argomentazioni sostenute da Wolpert prendono spunto dall'esperienza del NHS PROMs Programme, attraverso cui la raccolta di una serie di misure di esito riferito dal paziente è stata resa obbligatoria e affidata ai professionisti che operano nei servizi. In sintesi, tali argomentazioni sono sostenute da due ordini di ragioni:

- da un lato l'importanza del tenere conto, e in qualche modo integrare, la finalità generale della rilevazione, misurazione e valutazione della qualità dell'assistenza, attinente alla *policy* nazionale, con la finalità assistenziale dei professionisti incaricati della raccolta e interessati alla gestione clinica del singolo paziente. Non considerare quest'ultima esporrebbe il mandato nazionale al vissuto di "additional bureaucratic burden imposed auctratically from above" (Wolpert, 2013) con le conseguenze che tale percezione comporterebbe. Inoltre, il disaggregare i dati nazionali per singolo servizio, o addirittura professionista, non sarebbe sufficiente a coniugare le due finalità, senza tenere in considerazione quantomeno le differenti tempistiche che i due sistemi di feedback richiederebbero (es. alcuni giorni vs mesi);
- dall'altro l'importanza di formare i professionisti soprattutto nella comprensione e interpretazioni dei risultati, operazione che potrebbe contribuire a migliorare la loro percezione di utilità delle misure di esito riferito dal paziente. Wolpert e colleghi hanno messo a punto e realizzato una serie di iniziative formative rivolte ai professionisti che operano nei Child and Adolescent Mental Health Services in varie aree del Regno Unito, al fine di supportare l'utilizzo e l'implementazione delle misure di esito riferito dal paziente.

⁵⁶ Miranda Wolpert è membro fondatore e direttore del Child and Adolescent Mental Health Services Outcomes Research Consortium, una rete no profit di collaborazione che coinvolge i diversi Child and Adolescent Mental Health Services del Regno Unito ed europei ed è impegnata nella promozione dell'uso di misure di esito riferito dal paziente da parte dei singoli servizi e professionisti.

4. Uno sguardo alle esperienze e agli studi italiani

Nel servizio sanitario italiano la prospettiva del cittadino/paziente è stata ed è frequentemente declinata nei termini di qualità percepita, coinvolgimento, partecipazione, umanizzazione delle cure, *empowerment*, riservando, comunque, al di là delle varie declinazioni, un ruolo privilegiato alla dimensione giuridica del diritto di accesso ai servizi. *Empowerment* e umanizzazione sono i temi su cui sembra essersi concentrata in questi ultimi anni l'attenzione. Ad esempio, nel numero 32 dei *Quaderni di Monitor* del 2013 sono stati presentati i risultati di un progetto di ricerca condotto da AgeNaS insieme all'Agenzia di valutazione civica di Cittadinanzattiva e alle Regioni e PA dal titolo "Sperimentazione e trasferimento di modelli di empowerment organizzativo per la valutazione e il miglioramento della qualità dei servizi"⁵⁷ (AA.VV., 2013). Scopo della ricerca era costruire un set di indicatori per la rilevazione del grado di umanizzazione presente nelle strutture di ricovero. Inoltre, all'*empowerment* del cittadino nel sistema salute, e in particolare alle esperienze locali di *empowerment*, era già stato dedicato nel 2010 uno dei supplementi *quaderni di Monitor* (AA.VV., 2010).

Per quanto riguarda le esperienze e gli studi italiani relativi ai temi specifici degli "esiti riferiti dai pazienti", della "qualità della vita associata alla salute" e della "percezione dello stato di salute", l'esplorazione ha consentito di identificare almeno tre principali gruppi di studio nazionali.

Un primo gruppo di studio ha sede presso l'Istituto di ricerche farmacologiche Mario Negri di Milano⁵⁸ e dalla fine degli anni '80 si dedica alla messa a punto o traduzione di questionari, diffusione di strumenti metodologici appropriati e implementazione di studi sulla qualità della vita e della salute di cittadini e pazienti. In particolare, i ricercatori hanno prestato una particolare attenzione ai questionari SF-36 e SF-12 (versione breve del SF-36) sullo stato di salute percepita, e al Psychological General Well Being Index (PGWBI) sul benessere psicologico generale.

... Tra la pleora dei molti questionari disponibili, (questi) si mettono in evidenza per la notevole disponibilità di dati sulla loro validità, affidabilità e valore aggiunto. La ricerca clinica utilizza questo tipo di misure in diversi tipi di studi per valutare la efficacia di interventi medico-sanitari (come i farmaci), la qualità delle cure fornite da diversi ospedali (come il tipo e l'appropriatezza di interventi chirurgici), i costi degli interventi applicati (soprattutto quelli di tipo indiretto) e il livello di salute (e i bisogni) della popolazione generale ... (Apolone, 2004).

⁵⁷ Il progetto di ricerca è promosso e coordinato dall'AgeNaS e finanziato dal Ministero della salute nell'ambito del Programma di ricerca corrente 2010 ex artt. 12 e 12 bis, DLgs 502/1992 e s.m.i.

⁵⁸ Tra i ricercatori figurano Giovanni Apolone e Paola Mosconi.
<http://crc.marionegri.it/qdv/index.php?page=intro> (ultimo accesso marzo 2014)

L'Istituto Mario Negri di Milano figura inoltre tra i promotori del sito web "Partecipasalute"⁵⁹ che, attraverso un'ampia serie di sezioni, rubriche e strumenti, si propone di diffondere una corretta informazione e di favorire la partecipazione e il coinvolgimento dei cittadini, dei pazienti e delle loro associazioni su numerose questioni riguardanti la salute e l'assistenza (es. parto, screening mammografico, pronto soccorso e medicina generale).

Un secondo gruppo di studio è il già citato gruppo di lavoro "Ortopedia basata sulle prove di efficacia" (GLOBE), componente ufficiale della Società italiana di ortopedia.⁶⁰ Dalla metà degli anni '90 il gruppo dedica la propria attività alla traduzione, adattamento culturale e diffusione di sistemi di misura della qualità di vita nelle patologie muscolo-scheletriche e al coordinamento di *trial* clinici multicentrici. Fra gli altri, il GLOBE ha curato le versioni italiane dei questionari Oxford Knee Questionnaire (descritto nel *Capitolo 2*), Roland & Morris Disability Questionnaire, Questionario di autovalutazione distrettuale della spalla di Dawson, Boston Carpal Tunnel, ecc. Tra le maggiori collaborazioni con istituti italiani vi è quella con l'Istituto superiore di sanità, finalizzata soprattutto alla messa a punto e implementazione di un registro nazionale degli interventi di protesi d'anca, che preveda anche l'adozione di misure della *health-related quality of life* (Romanini *et al.*, 2006; Torre *et al.*, 2009).

Il terzo gruppo di studio - Patient-Reported Outcomes MOVing Toward Evidence (PROMOTE) - ha sede presso l'Istituto superiore di sanità, Dipartimento del farmaco.⁶¹ Le finalità dichiarate del gruppo, costituito da qualche anno, sono molteplici:

- favorire l'informazione in materia di patient-reported outcomes (PROs) tramite un sito web dedicato;
- formare quanti interessati a conoscere e/o occuparsi di PROs attraverso corsi di formazione e master;
- costituire un panel di esperti capaci di supportare gruppi italiani che volessero implementare l'utilizzo dei PROs in *trial* clinici o interventi sanitari;
- promuovere un impiego diffuso e appropriato di strumenti di rilevazione dei PROs anche mediante l'interlocuzione con le Società scientifiche di ogni disciplina; ecc.

Una particolare attenzione viene dedicata all'utilizzo dei PROs nell'infezione da HIV (es. studi osservazionali, sperimentali, pratica clinica, validazione di strumenti) e in ortopedia.

Tra le Aziende sanitarie locali italiane, l'ASL di Pavia presenta un progetto dedicato agli esiti riferiti dai pazienti, facente capo alla Unità operativa aziendale di Health Technology Assessment (2013).⁶² Gli obiettivi dichiarati nella pagina web dedicata consistono nel raccogliere dati di esito riferiti dal paziente rispetto a una determinata tecnologia e organizzarli secondo uno specifico formato che preveda la descrizione, ad esempio, della popolazione interessata, degli strumenti usati, e degli *outcome* riportati.

⁵⁹ http://www.partecipasalute.it/cms_2/ (ultimo accesso marzo 2014)

⁶⁰ I fondatori del gruppo sono Roberto Padua, Emilio Romanini e Gustavo Zanoli.

⁶¹ Responsabile del gruppo di ricerca è Raffaella Bucciardini.
<http://www.iss.it/promote/> (ultimo accesso marzo 2014)

⁶² <http://vts-hta.asl.pavia.it/index.php/d3-4-efficacia-teorica-e-pratica/846-c9-miglioramento-di-esiti-riferiti-dai-pazienti-erp.html> (ultimo accesso marzo 2014)

Il tentativo di raccogliere e citare le esperienze disponibili nel panorama italiano, a conoscenza degli autori, si è presentato come un compito non facile, tuttavia meno complesso rispetto alla catalogazione delle innumerevoli pubblicazioni sul tema della qualità della vita e degli esiti riferiti dalle persone (cittadini e pazienti) nel campo della salute e dell'assistenza sanitaria.

Nel convegno organizzato nel giugno 2004 dall'Istituto di ricerche farmacologiche Mario Negri di Milano e dedicato alla discussione sullo stato dell'arte e sulle prospettive future dei questionari per la valutazione della qualità della vita (Istituto di ricerche farmacologiche Mario Negri, 2004) sono stati presentati diversi studi relativi a:

- indagine comparativa sulla percezione della salute in un campione della popolazione residente nei pressi di una centrale termoelettrica, rispetto alla popolazione italiana;
- valutazione della qualità della vita in pazienti dializzati;
- valutazione dell'impatto della pneumoplastica riduttiva per l'enfisema di grado severo sulla qualità della vita;
- valutazione del benessere psicologico e dello stato di salute come misure di efficacia dell'intervento eseguito in cardiologia riabilitativa in soggetti cardiopatici;
- valutazione della qualità della vita come predittore di mortalità dei pazienti con insufficienza respiratoria cronica.

Con riferimento a convegni più recenti e di livello internazionale, come la 18^a Conferenza annuale della International Society for Quality Of Life Research (Denver, 2011a) e la 4^a Conferenza europea della European Public Health Association (Copenhagen, 2011), gli studi condotti da ricercatori italiani - o a cui partecipano studiosi italiani - riguardano:

- sviluppo di un questionario per la misurazione della qualità della vita di pazienti con leucemia mieloide cronica e la misurazione degli esiti riferiti dagli stessi pazienti;
- percezione della qualità della vita dei pazienti pediatrici con beta-talassemia (è rilevata la percezione sia dei bambini che dei loro genitori);
- qualità della vita nell'osteopatia;
- valutazione degli esiti riferiti dai pazienti di interventi per la gestione del dolore in Emilia-Romagna.

Dalla lettura degli studi emerge come essi si differenzino per la popolazione *target* e per la finalità dell'utilizzo di misure della qualità della vita e di esito riferito dai pazienti, ad esempio: confronto tra popolazione esposta e popolazione non esposta a un fattore di rischio, valutazione di impatto di un intervento o dell'assistenza per una determinata categoria di pazienti, predittore di mortalità, validazione delle misure.

Tra i saggi italiani, in genere di matrice psico-sociologica, che cercano di sistematizzare le conoscenze sugli approcci e gli strumenti per la misurazione degli esiti riferiti dai pazienti, o comunque di concetti affini (es. sintomi, funzionamento, stato di salute, *health-related quality of life*), si citano due pubblicazioni curate da Mario Niero, sociologo dell'Università di Verona (Niero, 2002, 2008). In particolare, nella prima pubblicazione l'autore si concentra sulla descrizione degli approcci e delle misure relativi alla qualità della vita nel campo della salute, operando la distinzione tra approcci/misure:

- di tipo A: percezione del dolore e dei sintomi;
- di tipo B: misura della funzionalità fisica;
- di tipo C: scale di stato di salute e *health-related quality of life*;
- di tipo D: misure individualizzate;
- di tipo E: misure del benessere;

ai quali aggiunge le misure specifiche per patologia e la misurazione della qualità della vita in particolari gruppi di popolazione (es. bambini).

Nella pubblicazione del 2008 Niero si orienta alla valutazione della salute e degli esiti riferiti dai pazienti, focalizzando l'attenzione sull'uso e creazione di questionari personalizzati - un esempio di questo tipo è l'esperienza americana PROMIS (descritta nel *Capitolo 3*) - e su altre questioni "metodologicamente sensibili, come l'utilità di pesare le variabili, la lunghezza delle scale, i bias, ..." (Niero, 2008). Nelle conclusioni del saggio, l'autore allarga la prospettiva di ragionamento e si chiede quali siano le ricadute della ricerca sui PRO per il sistema sanitario e soprattutto in quale ambito i PRO possano offrire il proprio contributo specifico. Nella risposta egli identifica l'ambito decisionale nei suoi vari livelli (da quello delle politiche sanitarie a quello del rapporto medico-paziente) quale ambito privilegiato di ricaduta per i PRO, lasciando comunque aperti molti interrogativi, sia teorici che pratici, in merito alla loro attuale fattibilità ed efficacia di utilizzo.

Conclusioni

Questo rapporto ha inteso raccogliere e organizzare criticamente conoscenze ed esperienze sul tema degli esiti riferiti dal paziente (*patient-reported outcomes*), con l'obiettivo di rendere disponibile uno strumento sintetico, ma allo stesso tempo in grado di offrire orientamento a coloro che si avvicinano per la prima volta a questo campo di ricerca, valutazione e intervento.

La scelta è apparsa ragionevole e quasi inevitabile nel constatare la vastità e la complessità, ma anche la relativa indefinitezza della produzione scientifica pertinente a questi contenuti, a fronte di una sostanziale assenza - almeno a conoscenza degli autori - di pubblicazioni in lingua italiana adatte a inquadrare in modo ragionato le relative conoscenze e opportunità di applicazione oggi disponibili. Si è inteso quindi colmare un (apparente) vuoto documentale e facilitare il lavoro di altri ricercatori.

Innanzitutto è sembrato opportuno collocare il tema degli esiti riferiti dai pazienti in un quadro concettuale generale che, negli ultimi vent'anni, ha visto evolversi e crescere l'attenzione al punto di vista delle persone che utilizzano i servizi sanitari. Questa evoluzione è quanto mai necessaria e ineludibile (*patient-centredness* come slogan retorico di visione opposta a tutto ciò che è *technology centred, doctor centred, hospital centred, disease centred, ...* - vedi *Paragrafo 1.2 - Alle radici del concetto*), se si assume (in modo legittimo e fondato ma non necessariamente corretto e realistico) che l'intera architettura dei sistemi sanitari sia nata e si sia sviluppata in tutti i Paesi a beneficio e a tutela di quelle stesse persone alle quali i sistemi sono tenuti a rendere conto.

Questo quadro generale è identificabile con la *patient-centredness*, o assistenza centrata sul paziente, concetto ampio al quale possono essere certamente ricondotte o connesse diverse famiglie di definizioni quali *consumer-centred care, person-centred care, personalised care, family-centred care, patient-focused hospital (care), responsiveness*.

Alcune di queste famiglie di definizioni non sono state trattate nel volume, perché sono a loro volta troppo vaste e articolate, nonché associate a una specifica e ricca produzione scientifica, ad esempio la *responsiveness*,⁶³ dimensione resa popolare nel 2000 dal *World Health Report* sulla *performance* dei sistemi sanitari e successivamente oggetto di moltissime pubblicazioni; o la *patient-focused hospital care*,⁶⁴ strettamente connessa al tema dell'"ospedale del futuro", le

⁶³ Il concetto di *responsiveness* esprime la capacità di un sistema di rispondere a legittime esigenze e attese inerenti gli aspetti non sanitari e non finanziari dell'assistenza sanitaria. In altri termini, comprende i modi e l'ambiente in cui le persone che utilizzano i sistemi sanitari vengono trattate, inclusa l'esperienza di contatto che le persone hanno con il sistema stesso (Valentine *et al.*, 2003).

⁶⁴ Il termine *patient-focused hospital* è basato sulla creazione di dipartimenti più o meno autonomi coinvolti nel trattamento di specifici gruppi di pazienti che necessitano di risorse omogenee. Nella sua accezione più estrema il modello prevede che ogni paziente possa essere addirittura interpretato come uno specifico progetto, intorno a cui combinare in modo temporaneo le risorse necessarie (Lathrop, 1993).

cui complesse implicazioni strutturali, organizzative, economiche, pur pertinenti a una visione generale di "paziente al centro", esulano in larga parte dall'approccio proprio di questo documento.

Tra queste famiglie, quella delle misure di esito riferito dal paziente (*patient-reported outcome measures*) si assume l'onere specifico di dare voce ai pazienti in merito ai loro problemi di salute e all'andamento che questi possono avere in relazione al contatto con i servizi sanitari.

In particolare, il lavoro per questo volume si è concentrato su quattro nodi:

- le radici profonde dei *patient-reported outcome(s)* (PROs), identificate nella vasta area tematica della *patient-centred care* o *patient-centredness*; vale la pena ricordare una volta di più che la *patient-centredness* è una delle dimensioni prioritarie della qualità dell'assistenza secondo i modelli internazionali dell'OCSE, dell'Institute of Medicine o dell'AHRQ;
- le definizioni e i costrutti teorici - in altre parole, il razionale - alla base del concetto di PRO, di cui è stata ricostruita l'evoluzione in una prospettiva storico-temporale;
- le due esperienze di applicazione ad oggi più consolidate ed esemplificative, sviluppate rispettivamente negli Stati Uniti e in Gran Bretagna, il cui confronto, evidenziando aspetti comuni e differenze, offre ulteriori elementi di comprensione di problemi sia concettuali sia metodologici;
- le sfide della misurazione, vero e proprio terreno di confronto per metodologi di diversa estrazione, dalla statistica sociale, alla psicologia, all'epidemiologia valutativa.

L'identità sostanziale, profonda ed elementare dei PROs è (apparentemente) semplice: chiedere ai pazienti di osservare (e valutare) la propria salute. Sono quindi i pazienti la fonte informativa di interesse, e questo è l'elemento caratterizzante dei PROs, ancorché non distintivo. Ma l'identità dei PROs, vero e proprio "crocicchio" di discipline, è in realtà complessa e ricca di sfumature, che è possibile soltanto tracciare elencando le principali connessioni: ad esempio con la (*health-related*) *quality of life* (HRQoL), con la *outcome(s) research*, con il mondo piuttosto affollato delle *patients' e citizens' survey* (nelle varie forme, finalità e periodicità in uso nei diversi Paesi), con l'altrettanto complesso mondo dell'*empowerment* e della partecipazione dei cittadini.

In definitiva, i PROs sembrano identificare non tanto uno specifico oggetto di ricerca o uno dei tanti strumenti a supporto del miglioramento dei servizi sanitari, ma un modo strutturato e rigoroso, che attinge dal patrimonio cognitivo e dall'esperienza di diverse discipline, di chiedere ai pazienti "come stanno" e di tenerne conto.

Tenerne conto. Come? Da parte di chi? Con quali conseguenze?

La risposta a questi quesiti richiederebbe ovviamente un'ampia e difficile trattazione. Ma per gli obiettivi di questo report può risultare conveniente, con un accettabile grado di semplificazione, immaginare che il mondo dei PROs possa essere scomposto in due grandi insiemi logici:

- un primo insieme "tecnico-scientifico" - oggetto del presente documento - include tutte le questioni di carattere concettuale (definizioni, evoluzione, significato), e metodologico

(scelta dello strumento, progettazione e realizzazione delle indagini, analisi e interpretazioni dei dati);

- un altro insieme “politico-culturale” delimita invece le condizioni di contesto, di processo necessarie affinché i PROs possano davvero aggiungere informazioni significative e decisive in ambiti - sistemi e organizzazioni sanitarie - non di rado ricchi di dati e informazioni, ma spesso in difficoltà nell’organizzarle secondo cornici di senso e, soprattutto, a supporto reale di decisioni cliniche o di sanità pubblica.

In altre parole, perché un progetto di PROs possa creare valore in cambio delle risorse necessarie a realizzarlo (*value for money*), deve essere incardinato in un sistema minimo di volontà e disponibilità che possono originare soltanto da condizioni squisitamente culturali:

- la cultura delle professioni sanitarie, disposte ad accogliere l’esperienza e l’espressione del paziente come parte integrante del percorso di cura;
- la cultura dei *policy maker*, disposti a includere la voce di cittadini e pazienti nei percorsi conoscitivi, valutativi, negoziali, decisionali;
- la cultura degli stessi pazienti (o cittadini), intesa in particolare nella sua accezione di *health literacy*, cioè capacità di leggere, comprendere e utilizzare informazioni relative alla propria salute e all’utilizzo dei servizi sanitari; quanto più è elevato il livello di *health literacy*, tanto più le persone saranno in grado di leggere i propri problemi di salute, riferendone (reporting) ad altri gli aspetti essenziali e di maggiore valore.

In definitiva, i contenuti di questo report possono essere considerati, per una eventuale traduzione in pratica nelle organizzazioni sanitarie, da un duplice punto di vista: rilevanza e fattibilità.

La rilevanza di una valutazione degli esiti delle cure affidata alla voce e all’esperienza dei pazienti è indiscutibile – sul piano scientifico, organizzativo e, soprattutto, etico - e rappresenta una prospettiva fondamentale nella misura della qualità dei servizi e delle cure, per tutti i motivi già espressi in diverse parti di questo documento.

Un giudizio di fattibilità rappresenta invece un compito più arduo e pone alcuni interrogativi, che possono essere declinati, almeno in parte, rispetto agli stessi piani di ragionamento. Sul piano tecnico-professionale: sono disponibili competenze in grado di garantire l’applicazione corretta di strumenti e metodi specifici? Sul piano organizzativo: sono presenti condizioni e processi tali da consentire – con tempi, relazioni e tecnologie adeguate – la raccolta concreta della “voce dei pazienti” per poi tenerne conto nei momenti decisionali? Infine, esistono indirizzi di *policy* che dedicano uno spazio esplicito al contributo dei pazienti o dei cittadini, in un progetto complessivo di valutazione e sviluppo della qualità dei servizi o in quadro di reale *accountability* nei confronti di una comunità?

Le risposte a questi interrogativi dipendono naturalmente da molti fattori contesto-dipendenti; la numerosità ancora ridotta, nel nostro Paese, di studi e ricerche nel campo degli esiti riferiti dai pazienti rappresenta senz’altro un elemento di incoraggiamento alla progettazione e sperimentazione di nuove esperienze.

Bibliografia e sitografia di riferimento

- AA.VV. Il sistema sanitario e l'empowerment. *I quaderni di Monitor*, 6° suppl. al n. 25, 2010.
- AA.VV. L'esperienza dei cittadini per il miglioramento dei servizi. *I quaderni di Monitor*, Anno XII, n. 32, 2013.
- Acquadro C, Berzon R, Dubois D, Leidy NK, Marquis P, Revicki D, Rothman M; PRO Harmonization Group. Incorporating the patient's perspective into drug development and communication: An ad hoc task force report of the Patient-Reported Outcomes (PRO) Harmonization Group meeting of the Food and Drug Administration, February 16, 2001. *Value Health*, 6 (5): 522-531, 2003.
- Ader DN. Developing the Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS). Introduction. *Medical Care*, 45 (5, Suppl 1): S1-S2, 2007.
- Agency for Healthcare Research and Quality (AHRQ). What is Comparative Effectiveness Research.
<http://effectivehealthcare.ahrq.gov/index.cfm/what-is-comparative-effectiveness-research1/>
(ultimo accesso marzo 2014)
- Apolone G. La valutazione della QDV: stato dell'arte e prospettive future. In Istituto di ricerche farmacologiche Mario Negri di Milano. *Atti del Convegno "I questionari per la valutazione della qualità della vita: stato dell'arte e prospettive future"*. Milano, 30 giugno 2004.
- Appleby J. Patient reported out come measures: how are we feeling today? *BMJ*, 343: d8191, doi: 10.1136/bmj.d8191, 2011 (published 11 January 2012).
- Balestroni G, Omarini G, Omarini P, Zotti AM. L'EuroQoL 5D per la valutazione della qualità della vita in riabilitazione cardiologica. *Giornale italiano di medicina del lavoro ed ergonomia*, 29 (3): B56-62, 2007.
- Balint E. The possibilities of patient-centered medicine. *J R Coll Gen Pract*, 17: 269-276, 1969.
- Bardes CL. Defining "Patient-Centered Medicine". *N Engl J Med*, 366 (9): 782-783, 2012.
- Barry MJ, Edgman-Levitan S. Shared Decision Making - The Pinnacle of Patient-Centred Care. *N Engl J Med*, 366 (9): 780-781, 2012.
- Basch E, Torda P, Adams K. Standards for patient-reported outcome based performance measures. *JAMA*, 310 (2): 139-140, 2013.
- Bauman AE, Fardy HJ, Harris PG. Getting it right: why bother with patient-centred care? *Medical Journal of Australia*, 179 (5): 253-256, 2003.
- Bechtel C, Ness DL. If you build it, will they come? Designing truly patient-centered health care. *Health Affairs*, 29 (5): 914-920, 2010.
- Berarducci A. Former CEO, Harvard Community Health Plan Hospital at Parker Hill. Personal communication. 26 February 2009.

- Bernabeo E, Holmboe ES. Patients, providers, and systems need to acquire a specific set of competencies to achieve truly patient-centered care. *Health Affairs*, 32 (2): 250-258, 2013.
- Berry LL. The Collaborative Organization: Leadership Lessons from Mayo Clinic. *Organizational Dynamics*, 33 (3): 228-242, 2004.
- Berwick DM. What 'Patient-Centered' Should Mean: Confessions Of An Extremist. *Health Affairs*, 28 (4): 555-565, 2009.
- Birnbaum MH. Human research and data collection via the Internet. *Annu Rev Psychol*, 55: 803-832, 2004.
- Black N. Patient reported outcome measures could help transform healthcare. *BMJ*, 346: f167, 2013.
- Black N, Jenkinson C. How can patients' views of their care enhance quality improvement? *BMJ*, 339: 202-205, 2009.
- Bossola M, Murri R, Onder G, et al. Physicians' knowledge of health-related quality of life and perception of its importance in daily clinical practice. *Health and Quality of Life Outcomes*, 8: 43, 2010.
- Brigoni P, Bianco E, Sampaolo L, Carra L. Il coinvolgimento dei cittadini nelle scelte in Sanità. Revisione. *Documento n. 10 del Programma Nazionale Linee Guida*. Ministero della salute, Istituto superiore di sanità. Dicembre 2005.
- Browne J, Jamieson L, Lewsey J, van der Meulen J, Black N, Caims J, Lamping D, Smith S, Copley L, Horrocks J. Patient Reported Outcome Measures (PROMs) in Elective Surgery. Report to the Department of Health. 12 December 2007.
<http://www.lshtm.ac.uk/hsru/research/PROMs-Report-12-Dec-07.pdf> (510 Kb - ultimo accesso marzo 2014)
- Burke L. Acceptable evidence for pharmaceutical advertising and labeling. *DIA Workshop on Pharmacoeconomics and Quality of Life Labeling and Marketing Claims*. New Orleans (LA). 2000. Horsham (PA): Drug Information Association, 3 October 2000.
- Calvert M, Blazeby J, Altman DG, Revicki DA, Moher D, Brundage MD; CONSORT PRO Group. Reporting of Patient-Reported Outcomes in Randomized Trials. The CONSORT PRO Extension. *JAMA*, 309 (8): 814-822, 2013.
- Cappelleri JC, Bushmakina AG. Interpretation of patient-reported outcomes. *Stat Methods Med Res*, 2013 Feb 19. [epub ahead of print].
- Carinci F, Di Stanislao F, Moirano F, et al. OCSE indicatori internazionali per la valutazione della qualità: il contributo italiano. In AA.VV. *I quaderni di Monitor*, Anno XII, n. 33, 2013.
- Carle AC, Cella D, Cai L, Choi SW, Crane PK, Curtis SM, Gruhl J, Lai JS, Mukherjee S, Reise SP, Teresi JA, Thissen D, Wu EJ, Hays RD. Advancing PROMIS's methodology: results of the Third Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS) Psychometric Summit. *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research*, 11 (6): 677-684, 2011.
- Cavrini G, Pacelli B, Mattivi A. et al. Benefits of physical activities on the perceived health in elderly. Paper presented at the 22nd Plenary Meeting of the EuroQol Group. Oslo, Norway, 2005.

- CDC Chronic Disease Prevention. *The Burden of Chronic Diseases and Their Risk Factor - National and State Perspectives*. Washington: US Department of Health and Human Services, 2002.
- Cella D, Yount S, Rothrock N, Gershon R, Cook K, Reeve B, Ader D, Fries JF, Bruce B, Rose M; PROMIS Cooperative Group. The Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS). Progress of an NIH Roadmap Cooperative Group During its First Two Years. *Medical Care*, 45 (5, Suppl 1): S3-S11, 2007a.
- Cella D, Gershon R, Lai JS, Choi S. The future of outcomes measurement: item banking, tailored short-forms, and computerized adaptive assessment. *Qual Life Res*, 16 (S1): 133-141, 2007b.
- Cella D, Riley W, Stone A, Rothrock N, Reeve B, Yount S, Amtmann D, Bode R, Buysse D, Choi S, Cook K, Devellis R, DeWalt D, Fries JF, Gershon R, Hahn EA, Lai JS, Pilkonis P, Revicki D, Rose M, Weinfurt K, Hays R; PROMIS Cooperative Group. The Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS) developed and tested its first wave of adult self-reported health outcome item banks: 2005-2008. *Journal of Clinical Epidemiology*, 63: 1179-1194, 2010.
- Charmel P, Frampton S. Building the business case for patient-centred care. *Healthcare Financial Management*, 62 (3): 80-85, 2008.
- Clarke S, Lock V, Duddy J, Sharif M, Newman JH, Kirwan JR. Intra-articular hyaluronan G-F 20 (Synvisc) in the management of patellofemoral osteoarthritis of the knee (POAK). *Knee*, 12: 57-62, 2005.
- Cleary P, Edgman-Levitan S, McMullen W, Delbanco T. The relationship between reported problems and summary evaluations of hospital care. *Qual Rev Bull*, February: 53-59, 1992.
- Coile RC Jr. The digital transformation of health care. *Physician Exec*, 26: 8-15, 2000.
- Collina N, Pandolfi P, Mezzetti F. *et al.* (a cura di) *Indagine sulla qualità di vita percepita nei Distretti Pianura Est e Pianura Ovest dell'Azienda Unità Sanitaria Locale di Bologna*. Azienda Unità Sanitaria Locale di Bologna e Università degli Studi di Bologna. 2004.
- Coulter A. Patient engagement-what works? *J Ambul Care Manage*, 35 (2): 80-89, 2012.
- Cromwell DA, Mays N. The NHS outcomes framework 2012-3. Editorial. *BMJ*, 344: 1-2, 2012.
- Cronin C. *Patient-Centred Care: an Overview of Definitions and Concepts*. Washington DC, National Health Council, 2004.
- Darzi A. *Our NHS, Our Future: Interim Report*. London, UK, Department of Health, October 2007.
- Darzi A. *High Quality Care for All: NHS Next Stage Review Final Report*. London, UK, Department of Health, 2008.
- Dawson J, Fitzpatrick R, Murray D, Carr A. Questionnaire on the perceptions of patients about total knee replacement surgery. *J Bone Joint Surg*, 80-B: 63-69, 1998.
- Dawson J, Doll H, Fitzpatrick R, Jenkinson C, Carr AJ. The routine use of patient reported outcome measures in healthcare settings. *BMJ*, 340: 464-467, 2010.

- Delbanco T, Berwick DM, Boufford JI, Edgman-Levitan S, Ollenschläger G, Plamping D, Rockefeller RG. Healthcare in a Land Called People Power: Nothing about Me without Me. *Health Expectations*, 4 (3): 144-150, 2001.
- Delnoij DMJ. Measuring patient experiences in Europe: what can we learn from experiences in the USA and England? *European Journal of Public Health*, 19 (4): 354-356, 2009.
- Department of Health, UK. *The NHS Improvement Plan - Putting People at the Heart of Public Services*. 24 June 2004.
- Department of Health, UK. *Creating a Patient-led NHS: Delivering the NHS Improvement Plan*. 17 March 2005.
- Department of Health, UK. *Guidance on the routine collection of Patient Reported Outcome Measures (PROMs)*. 8 December 2008.
- Department of Health, UK. *Equity and excellence: liberating the NHS*. July 2010.
- Detsky AS. What Patients Really Want from Health Care. *JAMA*, 306 (22): 2500-2501, 2011.
- DeWalt DA, Rothrock N, Yount S, Stone AA, on behalf of the PROMIS Cooperative Group. Evaluation of Item Candidates. The PROMIS Qualitative Item Review. *Medical Care*, 45 (5, S1): S12-20, 2007.
- Devlin NJ, Appleby J. (eds). *Getting the most out of PROMS. Putting health outcomes at the heart of NHS decision-making*. The King's Fund. 2010.
- Devlin NJ, Parkin D, Browne J. Patient-reported outcome measures in the NHS: new methods for analysing and reporting EQ-5D data. *Health Econ*, 19: 886-905, 2010.
- Di Stanislao F, Carinci F. Verso un sistema nazionale di valutazione della qualità dell'assistenza sanitaria. In AA.VV. Valutare per meglio programmare. *I quaderni di Monitor*, Anno XI, n. 30, 2012.
- Donaldson G. Patient-reported outcomes and the mandate of measurement. *Qual Life Res*, 17: 1303-1313, 2008.
- Doyle C, Lennox L, Bell D. A systematic review of evidence on the links between patient experience and clinical safety and effectiveness. *BMJ Open*, 3: e001570, 2013.
- Dow B, Haralambous B, Bremner F, Fearn M. *What is person-centred health care? A literature review*. State of Victoria, Department of Human Services, 2006.
- Doward LC, McKenna SP. Defining Patient-Reported Outcomes. *Value in Health*, 7 (s1): 4-8, 2004.
- Eaton S, Collins A, Coulter A, et al. Putting patients first. NICE guidance on the patient experience is a welcome small step on a long journey. *BMJ*, 344: e2006, 2012.
- Epstein RM, Street RL. The values and value of patient-centered care. *Annals of Family Medicine*, 9 (2): 100-103, 2011.
- Epstein RM, Fiscella K, Lesser CS, Stange KC. Why The Nation Needs A Policy Push On Patient-Centered Health Care. *Health Affairs*, 29 (8): 1489-1495, 2010.
- European Public Health Association. 4th European Public Health Conference. Copenhagen (Denmark), November 9-12, 2011.
http://www.eupha.org/site/past_conference_2011.php (ultimo accesso marzo 2014)

- European Medicines Agency (EMA)-Committee for medicinal products for human use (CMHP). *Reflection paper on the regulatory guidance for the use of health-related quality of life (HRQL) measures in the evaluation of medicinal products*. 2005.
- EuroQoL Group. EuroQoL: a new facility for the measurement of health-related quality of life. *Health Policy*, 16: 199-208, 1990.
- Eysenbach G, Diepgen TL. The role of e-health and consumer health informatics for evidence-based patient choice in the 21st century. *Clin Dermatol*, 19: 11-17, 2001.
- Fitzpatrick R. *Patient-reported outcome measures and performance measurement*. In Smith PC, Mossialos E, Papanicolas I, Leatherman S. (eds). *Performance measurement for health system improvement. Experiences, challenges and prospects*. Cambridge University Press, 2009.
- Fitzpatrick R, Hopkins A. Problems in the conceptual framework of patient satisfaction research: an empirical exploration. *Sociol Health Illness*, 5: 297-331, 1983.
- Fitzpatrick R, Davey C, Buxton MJ, Jones DR. Evaluating patient-based outcome measures for use in clinical trials. *Health Technology Assessment*, 2 (14): i-74, 1998.
- Food and Drug Administration, USA. *Draft Guidance for Industry. Patient-Reported Outcome Measures: use in medical product development to support labelling claims*. February 2006.
- Food and Drug Administration, USA. *Guidance for Industry. Patient-Reported Outcome Measures: use in medical product development to support labelling claims*. December 2009.
- Garratt A, Schmidt L, Mackintosh A, Fitzpatrick R. Quality of life measurement: bibliographic study of patient assessed health outcome measures. *BMJ*, 324: 1-5, 15 June 2002.
- Gerteis M, Edgman-Levitan S, Daley J, Delbanco TL. (eds). *Through the Patient's Eyes*. San Francisco, Jossey-Bass, 1993.
- Gill TM, Feinstein AR. A critical appraisal of the quality of quality of life measurements. *JAMA*, 272 (8): 619-626, 1994.
- Gillespie R, Florin D, Gillam S. How is patient-centred care understood by the clinical, managerial and lay stakeholders responsible for promoting this agenda? *Health Expectations*, 7: 142-148, 2004.
- Godlee F. Outcomes that matter to patients. *BMJ*, 344: e318, 2012.
- Goodrich J. Exploring the wide range of terminology used to describe care that is patient centred. *Nursing Times*, 105 (20): 14-17, 2009.
- Gordon H, Guyatt MD, Feeny DH, Patrick DL. Measuring Health-related Quality of Life. *Annals of Internal Medicine*, 118: 622-629, 1993.
- Greenhalgh J. The applications of PROs in clinical practice: what are they, do they work, and why? *Qual Life Res*, 18: 115-123, 2009.
- Grilli R, Taroni F. *Governo clinico. Governo delle organizzazioni sanitarie e qualità dell'assistenza*. Pensiero Scientifico Editore, Roma, 2004.
- Groene O, Lombarts MJMH, Klazinga N, Alonso J, Thompson A, Suñol R. Is patient-centredness in European hospitals related to existing quality improvement strategies? Analysis of a cross-sectional survey (MARQuIS study). *Qual Saf Health Care*, 18 (suppl 1): i44-i50, 2009.

- Gualtierotti R, Scalone L, Ingegnoli F. La valutazione della qualità della vita nei pazienti con sclerodermia. *Reumatismo*, 62 (3): 210-214, 2010.
- Guyatt G, Osoba D, Wu AW, Wyrwich KW, Norman GR; Clinical Significance Consensus Meeting Group. Methods to explain the clinical significance of health status measures. *Mayo Clin Proc*, 77: 371-383, 2002.
- Gutacker N, Bojke C, Daidone S, Devlin N, Street A. Hospital variation in patient-reported outcomes at the level of EQ-5D dimensions: evidence from England. *Med Decis Making*, 33: 804-818, 2013.
- Harkness J. *What is patient-centred health care?* International Alliance of Patients' Organizations, London, 2005.
- Health and Social Care Information Centre. *Finalised Patient Reported Outcome Measures (PROMs) in England*. 2011.
- Health and Social Care Information Centre. *Provisional Monthly Patient Reported Outcome Measures (PROMs) in England - April 2012 to January 2013. Data Quality Note*. 2013a.
- Health and Social Care Information Centre. *Provisional Monthly Patient Reported Outcome Measures (PROMs) in England. A guide to PROMs methodology*. 2013b.
- Health and Social Care Information Centre. *PROMs Frequently Asked Questions (FAQs)*. http://www.hscic.gov.uk/media/1536/PROMs-FAQs/pdf/PROMs_FAQs.pdf (ultimo accesso marzo 2014)
- Hudon C, Fortin M, Haggerty J, Lambert M, Poitras M-E. Measuring patients' perceptions of patient-centered care: a systematic review of tools for family medicine. *Annals of Family Medicine*, 9 (2): 155-164, 2011.
- Ierardi F, Gnautati L, Ruvigliani E, Rodella S. From a Concept's Evolution Analysis to the Definition of a New Methodological Evaluation Tool of Health-Related Quality of Life (HRQoL) Questionnaires. *Social Indicators Research Series*, 48: 265-290, 2012.
- Iezzoni L. (ed). *Risk Adjustment for Measuring Healthcare Outcomes. Fourth Edition*. Health Administration Press. August 24, 2012
- Institute for Alternative Futures. *Patient-Centred Care 2015: Scenarios, Vision, Goals & Next Steps*. The Picker Institute, 2004.
- Institute of Medicine (IOM). *Crossing the Quality Chasm: A new health system for the 21st Century*. Washington DC, National Academy Press, 2001.
- Institute of Medicine (IOM). *Partnering with patients to drive shared decisions, better value, and care improvement: workshop proceedings*. Washington DC, National Academy Press, 2013a.
- Institute of Medicine (IOM). *Best care at lower cost: the path to continuously learning health care in America*. Washington DC, National Academy Press, 2013b.
- International Alliance of Patients' Organizations (IAPO). *What is patient-centred healthcare. A Review of Definitions and Principles*. Second edition. IAPO, June 2007.
- International Society for Quality of Life Research. *2011 Abstract Supplement. 18th Annual Conference*. Denver (CO), October 26-29, 2011a.

- International Society for Quality of Life Research. *User's Guide to Implementing Patient-Reported Outcomes Assessment in Clinical Practice*. November 2011b.
- Istituto di ricerche farmacologiche Mario Negri di Milano. *I questionari per la valutazione della qualità della vita: stato dell'arte e prospettive future. Atti del Convegno*. Milano, 30 giugno 2004.
- Kelley E, Hurst J. Health Care Quality Indicators Project. Conceptual Framework Paper. OECD Health Working Paper. 2006; n. 23.
- Kupfer JM, Bond EU. Patient Satisfaction and Patient-Centered Care. Necessary but Not Equal. *JAMA*, 308 (2): 139-140, 2012.
- Jaeschke R, Singer J, Guyatt GH. Measurement of health status. Ascertaining the minimal clinically important difference. *Contr Clin Trials*, 10: 407-415, 1989.
- Jenkinson C, Coulter A, Bruster S. The Picker Patient Experience Questionnaire: development and validation using data from in-patient surveys in five countries. *International Journal for Quality in Health Care*, 14 (5): 353-358, 2002.
- Juniper EF, Guyatt GH, Willan A, Griffith LE. Determining a minimal important change in a disease-specific Quality of Life Questionnaire. *J Clin Epidemiol*, 47: 81-87, 1994.
- Lathrop JP. The patient-focused hospital. *The Healthcare Forum Journal*, 35 (3): 76-78, 1992.
- Lathrop JP. *Restructuring Health Care: the Patient Focused Paradigm*. San Francisco, Jossey-Bass Publishers, 1993.
- Lathrop JP, Seufert GE, MacDonald RJ, Martin SB. The Patient-Focused Hospital: a patient care concept. *Journal of the Society for Health Systems*, 3 (2): 33-50, 1991.
- Liberati A. Need to realign patient-oriented and commercial and academic research. *Lancet*, 378 (19): 1777-1778, 2011.
- Liu H, Cella D, Gershon R. Representativeness of the Patient-Reported Outcomes Measurement Information System Internet panel. *Journal of Clinical Epidemiology*, 63: 1169-1178, 2010.
- Lohr KN, Zebrack BJ. Using patient-reported outcomes in clinical practice: challenges and opportunities. *Qual Life Res*, 18: 99-107, 2009.
- Luxford K, Piper D, Dunbar N, Poole N. Patient-Centred Care: improving quality and safety by focusing care on patients and consumers. Discussion paper. Australian Commission on Safety and Quality in health Care, September 2010.
- Luxford K, Safran DG, Delbanco T. Promoting Patient-Centred Care: a qualitative study of facilitators and barriers in healthcare organizations with a reputation for improving the patient experience. *International Journal for Quality in Health Care*, 23 (5): 510-515, 2011.
- Lutz BJ, Bowers BJ. Patient-centred care: understanding its interpretation and implementation in health care. *Scholarly Inquiry for Nursing Practice*, 14 (2): 165-183, 2000.
- Manary MP, Boulding W, Staelin R, Glickman SW. The patient experience and health outcomes. *N Engl J Med*, DOI: 10.1056/NEJMp1211775, 2012.
- Maynard A, Bloor K. Patient reported outcome measurement: learning to walk before we run. *J R Soc Med*, 103: 129-132, 2010.

- McAllister M, Dunn G, Payne K, Davies L, Todd C. Patient empowerment: the need to consider it as a measurable patient-reported outcome for chronic conditions. *BMC Health Services Research*, 12: 157, 2012.
- McClimans LM, Browne J. Choosing a patient-reported outcome measure. *Theor Med Bioeth*, 32: 47-60, 2011.
- McGrail K, Bryan S, Davis J. Let's all go to the PROM: the case for routine patient-reported outcome measurement in Canadian healthcare. *Healthc Pap*, 11 (4): 8-18, 2011.
- McKenna SP. Measuring patient-reported outcomes: moving beyond misplaced common sense to hard science. *BMC Medicine*, 9: 86, 2011.
- Miettinen OS. Quality of Life from the Epidemiologic Perspective. *J Chron Dis*, 40 (6): 641-643, 1987.
- Ministero della salute. *Relazione sullo stato sanitario del Paese 2009 - 2010*. 2011. <http://www.rssp.salute.gov.it/rssp/homeRssp.jsp> (ultimo accesso marzo 2014)
- Morrow E, Cotterell P, Robert G, Grocott P, Ross F. Mechanisms can help to use patients' experiences of chronic disease in research and practice: an interpretative synthesis. *Journal of Clinical Epidemiology*, 66: 856-864, 2013.
- Mpinga EK, Chastonay P. Satisfaction of patients: a right to health indicator? Review. *Health Policy*, 100: 144-150, 2011.
- Murray DW, Fitzpatrick R, Rogers K. The use of the Oxford hip and knee scores. *J Bone Joint Surg [Br]*, 89-B: 1010-1014, 2007.
- National Health Service. *Creating a Patient-led NHS: Delivering the NHS Improvement Plan*. London, National Health Service, 2005
- National Institute for Health and Clinical Excellence. *Quality standard for patient experience in adult NHS services*. 2012a. <http://guidance.nice.org.uk/QS15> (ultimo accesso marzo 2014)
- National Institute for Health and Clinical Excellence. *Patient experience in adult NHS services: improving the experience of care for people using adult NHS services*. CG 138. 2012b. <http://www.nice.org.uk/cg138> (ultimo accesso marzo 2014)
- National Institute of Health (NIH), USA. *Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS). A walk through the first four years*. Dicembre 2009.
- National Quality Forum. *Patient reported outcomes (PROs) in performance measurement*. January 10, 2013.
- Neuburger J, Hutchings A, van der Meulen JH, Black N. Using Patient-reported outcomes (PROs) to compare the providers of surgery. Does the choice of measure matter? *Medical Care*, 51 (6): 517-523, 2013.
- Neuburger J, Hutchings A, Black N, van der Meulen JH. Socioeconomic differences in patient-reported outcomes after a hip or knee replacement in the English National Health Service. *Journal of Public Health*, 35 (1): 115-124, 2012.

- Neuburger J, Cromwell DA, Hutchings A, Black N, van der Meulen JH. Funnel plots for comparing provider performance based on patient-reported outcome measures. *BMJ Qual Saf*, doi:10.1136/bmjqs-2011-000197, 2011.
- Niero M. *Qualità della vita e della salute. Strategia di analisi e strumenti per la misurazione*. FrancoAngeli Editore, Milano, 2002.
- Niero M. *La personalizzazione nella ricerca quantitativa. Per la valutazione della salute e degli esiti riferiti dai pazienti*. FrancoAngeli Editore, Milano, 2008.
- Nilsen ES, Myrhaug HT, Johansen M, Johansen M, Oliver S, Oxman AD. Methods of consumer involvement in developing healthcare policy and research, clinical practice guidelines and patient information material. *Cochrane Database of Systematic Reviews*. Issue 3. Art. No. CD004563. DOI: 10.1002/14651858.CD004563.pub2, 2006.
- Norwegian Knowledge Centre for the Health Services. *National and Cross-national Surveys of Patient Experiences: A Structured Review. Report from Kunnskapssenteret, No. 7-2008*. 2008. <http://www.oecd.org/dataoecd/43/58/39493930.pdf> (ultimo accesso marzo 2014)
- Nutting PA, Miller WL, Crabtree BF, Jaen CR, Stewart EE, Stange KC. Initial Lessons From the First National Demonstration Project on Practice Transformation to a Patient-Centered Medical Home. *Ann Fam Med*, 7 (3): 254-260, 2009.
- Olivieri I, de Portu S, Salvarani C, Cauli A, Lubrano E, Spadaro A, Cantini F, Cutro MS, Mathieu A, Matucci-Cerinic M, Pappone N, Punzi L, Scarpa R, Mantovani LG, and for the PACE working group. Costs and outcomes in Psoriatic Arthritis Patients With Inadequate Response to Conventional Therapy treated with Tumor Necrosis Factor Inhibitors: the Psoriatic Arthritis Cost Evaluation (PACE) Study. *Rheumatology*, 47 (11): 1664-1670, 2008.
- Padua R, Zanoli G, Ceccarelli E, Romanini E, Bondi R, Campi A. The Italian version of the Oxford 12-item Knee Questionnaire - cross-cultural adaptation and validation. *International Orthopaedics*, 27: 214-216, 2003.
- Padua R, Romanini E, Zanoli G. Il ruolo del paziente nel controllo della qualità dell'assistenza sanitaria. *Teme*, 10: 27-34, 1999.
- Pais-Ribeiro JL. Quality of Life in a primary end point in clinical setting. *Clinical Nutrition*, 23: 121-130, 2004.
- Pandolfi P, Pacelli B, Collina N. *et al.* (a cura di) *Indagine sulla qualità di vita percepita nei Distretti Casalecchio di Reno, Porretta Terme, San Lazzaro di Savena dell'Azienda Unità Sanitaria Locale di Bologna*. Azienda Unità sanitaria locale di Bologna e Università degli studi di Bologna, 2004.
- Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI). *The design and selection of patient-reported outcomes measures (PROMs) for use in patient centered outcomes research*. Oxford Outcomes, San Francisco, CA, March 22, 2012.
- Patrick DL. Patient-Reported Outcomes (PROs): An Organizing Tool for Concepts, Measures, and Applications. *Quality of Life Newsletter*, 31: 1-5, 2003.
- Patrick DL, Chiang YP. Measurement of health outcomes in treatment effectiveness evaluations: conceptual and methodological challenges. *Med Care*, 38 (9 Suppl): 14-25, 2000.

- Patrick DL, Guyatt GH, Acquadro C. Chapter 17: Patient-reported outcomes. In Higgins JPT, Green S. (eds). *Cochrane Handbook for Systematic Reviews of Interventions. Version 5.1.0.* March 2011.
- Pulvirenti M, McMillan J, Lawn S. Empowerment, patient centred care and self-management. *Health Expectations*, doi: 10.1111/j.1369-7625.2011.00757.x, 2012.
- Rathert C, Wyrwich MD, Boren SA. Patient-Centered Care and Outcomes: a systematic review of the literature. *Medical Care Research and Review*, 70 (4): 351-379, 2012.
- Reilly KA, Beard DJ, Barker KL, Dodd CA, Price AJ, Murray DW. Efficacy of an accelerated recovery protocol for Oxford unicompartmental knee arthroplasty: a randomised controlled trial. *Knee*, 12: 351-357, 2005.
- Reuben DB, Tinetti ME. Goal-Oriented Patient Care - An alternative health outcomes paradigm. *N Engl J Med*, 366 (9): 777-779, 2012.
- Revicki D, Hays RD, Cella D, Sloan J. Recommended methods for determining responsiveness and minimally important differences for patient-reported outcomes. *Journal of Clinical Epidemiology*, 61: 102-109, 2008.
- Romanini E, Villani C, Torre M. Qualità di vita e protesi d'anca. *Rapporti ISTISAN*, 4: 28, 2006.
- Rothrock NE, Hays RD, Spritzer K, Yount SE, Riley W, Cella D. Relative to the general US population, chronic diseases are associated with poorer health-related quality of life as measured by the Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS). *Journal of Clinical Epidemiology*, 63: 1195-1204, 2010.
- Scalone L, Tomasetto C, Matteucci MC, Selleri P, Broccoli S, Pacelli B, Cavrini G. Assessing quality of life in children and adolescents: development and validation of the Italian version of the EQ-5D-Y. *Italian Journal of Public Health*, 8 (4): 331-341, 2011.
- Scalone L, Mantovani LG, Mannucci PM, Gringeri A. Quality of Life is Associated to the Orthopaedic Status in Haemophilic Patients with Inhibitors. *Haemophilia*, 12: 154-162, 2006.
- Schmidt WC. World-Wide Web survey research: benefits, potential problems, and solutions. *Behav Res Meth Instrum Comput*, 29: 274-279, 1997.
- Scientific Advisory Committee of the Medical Outcomes Trust. Assessing health status and quality-of-life instruments: attributes and review criteria. *Qual Life Res*, 11: 193-205, 2002.
- Scoggins JF, Patrick DL. The use of patient-reported outcomes instruments in registered clinical trials: Evidence from ClinicalTrials.gov. *Contemporary Clinical Trials*, 30: 289-292, 2009.
- Segal L. The importance of patient empowerment in health system reform. *Health Policy*, 44: 31-44, 1998.
- Smith PC, Mossialos E, Papanicolas I, Leatherman S. (eds). *Performance measurement for health system improvement. Experiences, challenges and prospects.* Cambridge University Press, 2009.
- Smith SC, Cano S, Lamping DL, et al. *Patient-reported outcome measures (PROMs) for routine use in treatment centres: recommendations based on a review of the scientific evidence.* Final report to the Department of Health. London School of Hygiene and Tropical Medicine. December 2005.

- Snyder CF, Aaronson NK. Use of patient-reported outcomes in clinical practice. *The Lancet*, vol.374: 369-370, 2009.
- Snyder CF, Aaronson NK, Choucair AK, Elliott TE, Greenhalgh J, Halyard MY, Hess R, Miller DM, Reeve BB, Santana M. Implementing patient-reported outcomes assessment in clinical practice: a review of the options and considerations. *Qual Life Res*, DOI: 10.1007/s11136-011-0054-x, 2011.
- Snyder CF, Jensen RE, Segal JB, Wu AW. Patient-reported outcomes (PROs). Putting the patient perspective in patient-centered outcomes research. *Medical Care*, 51 (8, suppl. 3): S73-S79, 2013.
- Stacey D, Bennett CL, Barry MJ, Col NF, Eden KB, Holmes-Rovner M, Llewellyn-Thomas H, Lyddiatt A, Légaré F, Thomson R. Decision aids for people facing health treatment or screening decisions. *Cochrane Database Syst Rev*. 10: CD001431, 2011
- Stange KC, Nutting PA, Miller WL, Jaén CR, Crabtree BF, Flocke SA. Defining and Measuring the Patient-Centered Medical Home. *J Gen Intern Med*, 25 (6): 601-612, 2010.
- Stewart M. Towards a global definition of patient centred care: the patient should be the judge of patient centred care. *British Medical Journal*, 322: 444-445, 2001.
- Swartz RJ, Schwartz C, Basch E, Cai L, Fairclough DL, McLeod L, Mendoza TR, Rapkin B; SAMS Psychometric Program Longitudinal Assessment of Patient-Reported Outcomes Working Group. The king's foot of patient-reported outcomes: current practices and new developments for the measurement of change. *Qual Life Res*, 20: 1159-1167, 2011.
- Terwee CB. *An overview of systematic reviews of measurement properties of measurement instruments that intend to measure (aspects of) health status or (health-related) quality of life*. Last update October 7, 2009.
<http://www.cosmin.nl/images/upload/File/Systematic%20reviews%20of%20measurement%20properties-list.pdf> (ultimo accesso marzo 2014)
- Terwee CB, Bot SDM, de Boer MR, van der Windt DA, Knol DL, Dekker J, Bouter LM, de Vet HC. Quality criteria were proposed for measurement properties of health status questionnaires. *Journal of Clinical Epidemiology*, 60: 34-42, 2007.
- Thorlby R, Maybin J. (ed). *A high-performing NHS ? A review of progress 1997-2010*. King's Fund, 2010.
- Torre M, Manno V, Masciocchi M. *et al.* (a cura di). Registro nazionale degli interventi di protesi d'anca: basi operative per l'implementazione. *Rapporti ISTISAN*, 22: 57, 2009.
- Trujols J, Portella MJ, Iraurgi I, Campins MJ, Siñol N, de Los Cobos JP. Patient-reported outcome measures: are they patient-generated, patient-centred or patient-valued? *J Ment Health*, 2013 Jan 16 [epub ahead of print].
- Valderas JM, Alonso J. Patient reported outcome measures: a model-based classification system for research and clinical practice. *Qual Life Res*, 17: 1125-1135, 2008.
- Valentine N, de Silva A, Kawabata K, Darby C, Murray CJL, Evans DB. Health System Responsiveness: Concepts, Domains and Operationalization. In Murray CJL., Evans DB. (eds). *Health System Performance Assessment: Debates, Methods and Empiricisms*. World Health Organization, Geneva, 2003, pp. 573-596.

- Weinfurt KP, Cella D, Forrest CB, Shulman L. NIH PROMIS®: Advancing PRO Science in Clinical Research and Patient Care (Power Point Presentation). Bethesda (MD), January 11, 2011.
- Whitehouse SL, Blom AW, Taylor AH, Pattison GT, Bannister GC. The Oxford Knee Score: problems and pitfalls. *Knee*, 12: 287-291, 2005.
- Wilson IB, Cleary PD. Linking clinical variables with health-related quality of life. *Journal of the American Medical Association*, 273: 59-65, 1995.
- Wolpert M. Uses and abuses of patient reported outcome measures (PROMs): potential iatrogenic impact of PROMs implementation and how it can be mitigated. *Adm Policy Ment Health*, DOI: 10.1007/s10488-013-0509-1, 2013a.
- WHO World Health Organization. *People centred care. Health Systems Strengthening Glossary*. January 2011.
- WHO World Health Organization - Regional Office for Europe. *Health 2020. A European policy framework and strategy for the 21st century*. 2013.
- Wu AW, Snyder C, Clancy CM, Steinwachs DM. Adding The Patient Perspective To Comparative Effectiveness Research. *Health Affairs*, 29 (10): 1863-1871, 2010.
- Wu AW, Kharrazi H, Boulware LE, Snyder CF. Measure once, cut twice-adding patient-reported outcome measures to the electronic health record for comparative effectiveness research. *Journal of Clinical Epidemiology*, 66: S12-S20, 2013.

Sitografia⁶⁵

- Agency for Healthcare Research and Quality. Patient Centered Medical Home Resource Center <http://pcmh.ahrq.gov/>
- Cochrane Collaboration, Patient-Reported Outcomes Methods Group. What is PRO? <http://promg.cochrane.org/pro>
- Department of Health, UK. Patient Reported Outcome Measures <http://www.northgate-ispublicservices.com/View/?PROMS>
- European Regulatory Issues on Quality of Life Assessment (ERIQA) <http://www.eriqa-project.com/index.php>
- EuroQoL Group <http://www.euroqol.org/home.html>
- Health and Social Care Information Centre. Patient Reported Outcome Measures <http://www.hscic.gov.uk/proms>
- Health and Social Care Information Centre. Health Survey for England <http://www.hscic.gov.uk/article/3659/Health-Survey-for-England>
- Health Consumer Powerhouse. Euro Health Consumer Index http://www.healthpowerhouse.com/index.php?option=com_content&view=category&layout=blog&id=36&Itemid=55

⁶⁵ Tutti gli indirizzi sono stati verificati nel mese di marzo 2014.

- International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR)
<http://www.ispor.org/>
- International Society for Quality-of-Life Studies (ISQOOL)
<http://www.isqols.org/>
- Isis Outcome. Orthopaedic PRO measures
<http://www.isis-innovation.com/outcomes/orthopaedic/>
- Istituto nazionale di statistica. Indagine multiscopo "Condizioni di salute, fattori di rischio e ricorso ai servizi sanitari"
<http://www.istat.it/it/archivio/10836>
- Istituto Superiore di Sanità - PROMote
<http://www.iss.it/promote/>
- National Health Service, UK. Quality Accounts
<http://www.nhs.uk/aboutNHSChoices/professionals/healthandcareprofessionals/quality-accounts/Pages/about-quality-accounts.aspx>
- Partecipasalute
http://www.partecipasalute.it/cms_2/
- Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI)
<http://pcori.org/>
- Patient-Reported Outcome and Quality of Life Instruments Database (PROQOLID)
<http://www.proqolid.org/>
- Patient-Reported Outcome Measurement Information System (USA)
<http://www.nihpromis.org/>
- Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS) - Assessment Center
<http://www.assessmentcenter.net/>
- Pharmaceutical Research and Manufacturers of America Health Outcomes Committee (PhRMA-HOC)
<http://www.phrmafoundation.org/>
- University of Oxford, Patient-Reported Outcomes Measurement Group
<http://phi.uhce.ox.ac.uk/home.php>
- WHO World Health Organization. International Classification of Diseases (ICD)
<http://www.who.int/classifications/icd/en/>
- WHO World Health Organization. International Classification of Functioning, Disability and Health (ICF)
<http://www.who.int/classifications/icf/en/>

COLLANA DOSSIER

Agenzia sanitaria e sociale regionale dell'Emilia-Romagna

1990

1. Centrale a carbone "Rete 2": valutazione dei rischi. Bologna. (*)
2. Igiene e medicina del lavoro: componente della assistenza sanitaria di base. Servizi di igiene e medicina del lavoro. (Traduzione di rapporti OMS). Bologna. (*)
3. Il rumore nella ceramica: prevenzione e bonifica. Bologna. (*)
4. Catalogo collettivo dei periodici per la prevenzione. I edizione - 1990. Bologna. (*)
5. Catalogo delle biblioteche SEDI - CID - CEDOC e Servizio documentazione e informazione dell'ISPESL. Bologna. (*)

1991

6. Lavoratori immigrati e attività dei servizi di medicina preventiva e igiene del lavoro. Bologna. (*)
7. Radioattività naturale nelle abitazioni. Bologna. (*)
8. Educazione alimentare e tutela del consumatore "Seminario regionale Bologna 1-2 marzo 1990". Bologna. (*)

1992

9. Guida alle banche dati per la prevenzione. Bologna.
10. Metodologia, strumenti e protocolli operativi del piano dipartimentale di prevenzione nel comparto rivestimenti superficiali e affini della provincia di Bologna. Bologna. (*)
11. I Coordinamenti dei Servizi per l'Educazione sanitaria (CSES): funzioni, risorse e problemi. Sintesi di un'indagine svolta nell'ambito dei programmi di ricerca sanitaria finalizzata (1989 - 1990). Bologna. (*)
12. Epi Info versione 5. Un programma di elaborazione testi, archiviazione dati e analisi statistica per praticare l'epidemiologia su personal computer. Programma (dischetto A). Manuale d'uso (dischetto B). Manuale introduttivo. Bologna.
13. Catalogo collettivo dei periodici per la prevenzione in Emilia-Romagna. 2ª edizione. Bologna.

1993

14. Amianto 1986-1993. Legislazione, rassegna bibliografica, studi italiani di mortalità, proposte operative. Bologna. (*)
15. Rischi ambientali, alimentari e occupazionali, Attività di prevenzione e controllo nelle USL dell'Emilia-Romagna. 1991. Bologna. (*)
16. La valutazione della qualità nei Servizi di igiene pubblica delle USL dell'Emilia-Romagna, 1991. Bologna. (*)
17. Metodi analitici per lo studio delle matrici alimentari. Bologna. (*)

1994

18. Venti anni di cultura per la prevenzione. Bologna.
19. La valutazione della qualità nei Servizi di igiene pubblica dell'Emilia-Romagna 1992. Bologna. (*)
20. Rischi ambientali, alimentari e occupazionali, Attività di prevenzione e controllo nelle USL dell'Emilia-Romagna. 1992. Bologna. (*)
21. Atlante regionale degli infortuni sul lavoro. 1986-1991. 2 volumi. Bologna. (*)

(*) volumi disponibili presso l'Agenzia sanitaria e sociale regionale. Sono anche scaricabili dal sito <http://assr.regione.emilia-romagna.it/it/servizi/pubblicazioni/dossier>

22. Atlante degli infortuni sul lavoro del distretto di Ravenna. 1989-1992. Ravenna. (*)
23. 5ª Conferenza europea sui rischi professionali. Riccione, 7-9 ottobre 1994. Bologna.

1995

24. La valutazione della qualità nei Servizi di igiene pubblica dell'Emilia-Romagna 1993. Bologna. (*)
25. Rischi ambientali, alimentari e occupazionali, Attività di prevenzione e controllo nelle USL dell'Emilia-Romagna. 1993. Bologna. (*)

1996

26. La valutazione della qualità nei Servizi di igiene pubblica dell'Emilia-Romagna. Sintesi del triennio 1992-1994. Dati relativi al 1994. Bologna. (*)
27. Lavoro e salute. Atti della 5a Conferenza europea sui rischi professionali. Riccione, 7-9 ottobre 1994. Bologna. (*)
28. Gli scavi in sotterraneo. Analisi dei rischi e normativa in materia di sicurezza. Ravenna. (*)

1997

29. La radioattività ambientale nel nuovo assetto istituzionale. Convegno Nazionale AIRP. Ravenna. (*)
30. Metodi microbiologici per lo studio delle matrici alimentari. Ravenna. (*)
31. Valutazione della qualità dello screening del carcinoma della cervice uterina. Ravenna. (*)
32. Valutazione della qualità dello screening mammografico del carcinoma della mammella. Ravenna. (*)
33. Processi comunicativi negli screening del tumore del collo dell'utero e della mammella (parte generale). Proposta di linee guida. Ravenna. (*)
34. EPI INFO versione 6. Ravenna. (*)

1998

35. Come rispondere alle 100 domande più frequenti negli screening del tumore del collo dell'utero. Vademecum per gli operatori di front-office. Ravenna.
36. Come rispondere alle 100 domande più frequenti negli screening del tumore della mammella. Vademecum per gli operatori di front-office. Ravenna. (*)
37. Centri di Produzione Pasti. Guida per l'applicazione del sistema HACCP. Ravenna. (*)
38. La comunicazione e l'educazione per la prevenzione dell'AIDS. Ravenna. (*)
39. Rapporti tecnici della Task Force D.Lgs 626/94 - 1995-1997. Ravenna. (*)

1999

40. Progetti di educazione alla salute nelle Aziende sanitarie dell'Emilia Romagna. Catalogo 1995 - 1997. Ravenna. (*)

2000

41. Manuale di gestione e codifica delle cause di morte, Ravenna.
42. Rapporti tecnici della Task Force D.Lgs 626/94 - 1998-1999. Ravenna. (*)
43. Comparto ceramiche: profilo dei rischi e interventi di prevenzione. Ravenna. (*)
44. L'Osservatorio per le dermatiti professionali della provincia di Bologna. Ravenna. (*)
45. SIDRIA Studi Italiani sui Disturbi Respiratori nell'Infanzia e l'Ambiente. Ravenna. (*)
46. Neoplasie. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)

2001

47. Salute mentale. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)
48. Infortuni e sicurezza sul lavoro. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)

- 49. Salute Donna. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)
- 50. Primo report semestrale sull'attività di monitoraggio sull'applicazione del D.Lgs 626/94 in Emilia-Romagna. Ravenna. (*)
- 51. Alimentazione. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)
- 52. Dipendenze patologiche. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)
- 53. Anziani. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)
- 54. La comunicazione con i cittadini per la salute. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)
- 55. Infezioni ospedaliere. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)
- 56. La promozione della salute nell'infanzia e nell'età evolutiva. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)
- 57. Esclusione sociale. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)
- 58. Incidenti stradali. Proposta di Patto per la sicurezza stradale. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)
- 59. Malattie respiratorie. Rapporto tecnico per la definizione di obiettivi e strategie per la salute. Ravenna. (*)

2002

- 60. AGREE. Uno strumento per la valutazione della qualità delle linee guida cliniche. Bologna. (*)
- 61. Prevalenza delle lesioni da decubito. Uno studio della Regione Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 62. Assistenza ai pazienti con tubercolosi polmonare nati all'estero. Risultati di uno studio caso-controllo in Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 63. Infezioni ospedaliere in ambito chirurgico. Studio multicentrico nelle strutture sanitarie dell'Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 64. Indicazioni per l'uso appropriato della chirurgia della cataratta. Bologna. (*)
- 65. Percezione della qualità e del risultato delle cure. Riflessione sugli approcci, i metodi e gli strumenti. Bologna. (*)
- 66. Le Carte di controllo. Strumenti per il governo clinico. Bologna. (*)
- 67. Catalogo dei periodici. Archivio storico 1970-2001. Bologna.
- 68. Thesaurus per la prevenzione. 2a edizione. Bologna. (*)
- 69. Materiali documentari per l'educazione alla salute. Archivio storico 1970-2000. Bologna. (*)
- 70. I Servizi socio-assistenziali come area di policy. Note per la programmazione sociale regionale. Bologna. (*)
- 71. Farmaci antimicrobici in età pediatrica. Consumi in Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 72. Linee guida per la chemioprolifassi antibiotica in chirurgia. Indagine conoscitiva in Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 73. Liste di attesa per la chirurgia della cataratta: elaborazione di uno score clinico di priorità. Bologna. (*)
- 74. Diagnostica per immagini. Linee guida per la richiesta. Bologna. (*)
- 75. FMEA-FMECA. Analisi dei modi di errore/guasto e dei loro effetti nelle organizzazioni sanitarie. Sussidi per la gestione del rischio 1. Bologna.

2003

- 76. Infezioni e lesioni da decubito nelle strutture di assistenza per anziani. Studio di prevalenza in tre Aziende USL dell'Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 77. Linee guida per la gestione dei rifiuti prodotti nelle Aziende sanitarie dell'Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 78. Fattibilità di un sistema di sorveglianza dell'antibioticoresistenza basato sui laboratori. Indagine conoscitiva in Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 79. Valutazione dell'appropriatezza delle indicazioni cliniche di utilizzo di MOC ed eco-color-Doppler e impatto sui tempi di attesa. Bologna. (*)
- 80. Promozione dell'attività fisica e sportiva. Bologna. (*)

- 81.** Indicazioni all'utilizzo della tomografia ad emissione di positroni (FDG - PET) in oncologia. Bologna. (*)
- 82.** Applicazione del DLgs 626/94 in Emilia-Romagna. Report finale sull'attività di monitoraggio. Bologna. (*)
- 83.** Organizzazione aziendale della sicurezza e prevenzione. Guida per l'autovalutazione. Bologna. (*)
- 84.** I lavori di Francesca Repetto. Bologna, 2003. (*)
- 85.** Servizi sanitari e cittadini: segnali e messaggi. Bologna. (*)
- 86.** Il sistema di incident reporting nelle organizzazioni sanitarie. Sussidi per la gestione del rischio 2. Bologna. (*)
- 87.** I Distretti nella Regione Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 88.** Misurare la qualità: il questionario. Sussidi per l'autovalutazione e l'accreditamento. Bologna. (*)

2004

- 89.** Promozione della salute per i disturbi del comportamento alimentare. Bologna. (*)
- 90.** La gestione del paziente con tubercolosi: il punto di vista dei professionisti. Bologna. (*)
- 91.** Stent a rilascio di farmaco per gli interventi di angioplastica coronarica. Impatto clinico ed economico. Bologna. (*)
- 92.** Educazione continua in medicina in Emilia-Romagna. Rapporto 2003. Bologna. (*)
- 93.** Le liste di attesa dal punto di vista del cittadino. Bologna. (*)
- 94.** Raccomandazioni per la prevenzione delle lesioni da decubito. Bologna. (*)
- 95.** Prevenzione delle infezioni e delle lesioni da decubito. Azioni di miglioramento nelle strutture residenziali per anziani. Bologna. (*)
- 96.** Il lavoro a tempo parziale nel Sistema sanitario dell'Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 97.** Il sistema qualità per l'accreditamento istituzionale in Emilia-Romagna. Sussidi per l'autovalutazione e l'accreditamento. Bologna.
- 98.** La tubercolosi in Emilia-Romagna. 1992-2002. Bologna. (*)
- 99.** La sorveglianza per la sicurezza alimentare in Emilia-Romagna nel 2002. Bologna. (*)
- 100.** Dinamiche del personale infermieristico in Emilia-Romagna. Permanenza in servizio e mobilità in uscita. Bologna. (*)
- 101.** Rapporto sulla specialistica ambulatoriale 2002 in Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 102.** Antibiotici sistemici in età pediatrica. Prescrizioni in Emilia-Romagna 2000-2002. Bologna. (*)
- 103.** Assistenza alle persone affette da disturbi dello spettro autistico. Bologna.
- 104.** Sorveglianza e controllo delle infezioni ospedaliere in terapia intensiva. Indagine conoscitiva in Emilia-Romagna. Bologna. (*)

2005

- 105.** SapereAscoltare. Il valore del dialogo con i cittadini. Bologna. (*)
- 106.** La sostenibilità del lavoro di cura. Famiglie e anziani non autosufficienti in Emilia-Romagna. Sintesi del progetto. Bologna. (*)
- 107.** Il bilancio di missione per il governo della sanità dell'Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 108.** Contrastare gli effetti negativi sulla salute di disuguaglianze sociali, economiche o culturali. Premio Alessandro Martignani - III edizione. Catalogo. Bologna. (*)
- 109.** Rischio e sicurezza in sanità. Atti del convegno Bologna, 29 novembre 2004. Sussidi per la gestione del rischio 3. Bologna.
- 110.** Domanda di care domiciliare e donne migranti. Indagine sul fenomeno delle badanti in Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 111.** Le disuguaglianze in ambito sanitario. Quadro normativo ed esperienze europee. Bologna. (*)
- 112.** La tubercolosi in Emilia-Romagna. 2003. Bologna. (*)

- 113. Educazione continua in medicina in Emilia-Romagna. Rapporto 2004. Bologna. (*)
- 114. Le segnalazioni dei cittadini agli URP delle Aziende sanitarie. Report regionale 2004. Bologna. (*)
- 115. Proba Progetto Bambini e antibiotici. I determinanti della prescrizione nelle infezioni delle alte vie respiratorie. Bologna. (*)
- 116. Audit delle misure di controllo delle infezioni post-operatorie in Emilia-Romagna. Bologna. (*)

2006

- 117. Dalla Pediatria di comunità all'Unità pediatrica di Distretto. Bologna. (*)
- 118. Linee guida per l'accesso alle prestazioni di eco-color doppler: impatto sulle liste di attesa. Bologna. (*)
- 119. Prescrizioni pediatriche di antibiotici sistemici nel 2003. Confronto in base alla tipologia di medico curante e medico prescrittore. Bologna. (*)
- 120. Tecnologie informatizzate per la sicurezza nell'uso dei farmaci. Sussidi per la gestione del rischio 4. Bologna. (*)
- 121. Tomografia computerizzata multistrato per la diagnostica della patologia coronarica. Revisione sistematica della letteratura. Bologna. (*)
- 122. Tecnologie per la sicurezza nell'uso del sangue. Sussidi per la gestione del rischio 5. Bologna. (*)
- 123. Epidemie di infezioni correlate all'assistenza sanitaria. Sorveglianza e controllo. Bologna.
- 124. Indicazioni per l'uso appropriato della FDG-PET in oncologia. Sintesi. Bologna. (*)
- 125. Il clima organizzativo nelle Aziende sanitarie - ICONAS. Cittadini, Comunità e Servizio sanitario regionale. Metodi e strumenti. Bologna. (*)
- 126. Neuropsichiatria infantile e Pediatria. Il progetto regionale per i primi anni di vita. Bologna. (*)
- 127. La qualità percepita in Emilia-Romagna. Strategie, metodi e strumenti per la valutazione dei servizi. Bologna. (*)
- 128. La guida DISCERNere. Valutare la qualità dell'informazione in ambito sanitario. Bologna. (*)
- 129. Qualità in genetica per una genetica di qualità. Atti del convegno Ferrara, 15 settembre 2005. Bologna. (*)
- 130. La root cause analysis per l'analisi del rischio nelle strutture sanitarie. Sussidi per la gestione del rischio 6. Bologna.
- 131. La nascita pre-termine in Emilia-Romagna. Rapporto 2004. Bologna. (*)
- 132. Atlante dell'appropriatezza organizzativa. I ricoveri ospedalieri in Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 133. Reprocessing degli endoscopi. Indicazioni operative. Bologna. (*)
- 134. Reprocessing degli endoscopi. Eliminazione dei prodotti di scarto. Bologna. (*)
- 135. Sistemi di identificazione automatica. Applicazioni sanitarie. Sussidi per la gestione del rischio 7. Bologna. (*)
- 136. Uso degli antimicrobici negli animali da produzione. Limiti delle ricette veterinarie per attività di farmacovigilanza. Bologna. (*)
- 137. Il profilo assistenziale del neonato sano. Bologna. (*)
- 138. Sana o salva? Adesione e non adesione ai programmi di screening femminili in Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 139. La cooperazione internazionale negli Enti locali e nelle Aziende sanitarie. Premio Alessandro Martignani - IV edizione. Catalogo. Bologna.
- 140. Sistema regionale dell'Emilia-Romagna per la sorveglianza dell'antibioticoresistenza. 2003-2005. Bologna. (*)

2007

- 141. Accreditamento e governo clinico. Esperienze a confronto. Atti del convegno Reggio Emilia, 15 febbraio 2006. Bologna.
- 142. Le segnalazioni dei cittadini agli URP delle Aziende sanitarie. Report regionale 2005. Bologna. (*)
- 143. Progetto LaSER. Lotta alla sepsi in Emilia-Romagna. Razionale, obiettivi, metodi e strumenti. Bologna. (*)
- 144. La ricerca nelle Aziende del Servizio sanitario dell'Emilia-Romagna. Risultati del primo censimento. Bologna. (*)
- 145. Disuguaglianze in cifre. Potenzialità delle banche dati sanitarie. Bologna. (*)

- 146.** Gestione del rischio in Emilia-Romagna 1999-2007. Sussidi per la gestione del rischio 8. Bologna. (*)
- 147.** Accesso per priorità in chirurgia ortopedica. Elaborazione e validazione di uno strumento. Bologna. (*)
- 148.** I Bilanci di missione 2005 delle Aziende USL dell'Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 149.** E-learning in sanità. Bologna. (*)
- 150.** Educazione continua in medicina in Emilia-Romagna. Rapporto 2002-2006. Bologna. (*)
- 151.** "Devo aspettare qui?" Studio etnografico delle traiettorie di accesso ai servizi sanitari a Bologna. Bologna. (*)
- 152.** L'abbandono nei Corsi di laurea in infermieristica in Emilia-Romagna: una non scelta? Bologna. (*)
- 153.** Faringotonsillite in età pediatrica. Linea guida regionale. Bologna. (*)
- 154.** Otite media acuta in età pediatrica. Linea guida regionale. Bologna. (*)
- 155.** La formazione e la comunicazione nell'assistenza allo stroke. Bologna. (*)
- 156.** Atlante della mortalità in Emilia-Romagna 1998-2004. Bologna. (*)
- 157.** FDG-PET in oncologia. Criteri per un uso appropriato. Bologna. (*)
- 158.** Mediare i conflitti in sanità. L'approccio dell'Emilia-Romagna. Sussidi per la gestione del rischio 9. Bologna. (*)
- 159.** L'audit per il controllo degli operatori del settore alimentare. Indicazioni per l'uso in Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 160.** Politiche e piani d'azione per la salute mentale dell'infanzia e dell'adolescenza. Bologna. (*)

2008

- 161.** Sorveglianza dell'antibioticoresistenza e uso di antibiotici sistemici in Emilia-Romagna. Rapporto 2006. Bologna. (*)
- 162.** Tomografia computerizzata multistrato per la diagnostica della patologia coronarica. Revisione sistematica della letteratura e indicazioni d'uso appropriato. Bologna. (*)
- 163.** Le Aziende USL dell'Emilia-Romagna. Una lettura di sintesi dei Bilanci di missione 2005 e 2006. Bologna. (*)
- 164.** La rappresentazione del capitale intellettuale nelle organizzazioni sanitarie. Bologna. (*)
- 165.** L'accreditamento istituzionale in Emilia-Romagna. Studio pilota sull'impatto del processo di accreditamento presso l'Azienda USL di Ferrara. Bologna. (*)
- 166.** Assistenza all'ictus. Modelli organizzativi regionali. Bologna. (*)
- 167.** La chirurgia robotica: il robot da Vinci. ORientamenti 1. Bologna. (*)
- 168.** Educazione continua in medicina in Emilia-Romagna. Rapporto 2007. Bologna. (*)
- 169.** Le opinioni dei professionisti della sanità sulla formazione continua. Bologna. (*)
- 170.** Per un Osservatorio nazionale sulla qualità dell'Educazione continua in medicina. Bologna. (*)
- 171.** Le segnalazioni dei cittadini agli URP delle Aziende sanitarie. Report regionale 2007. Bologna. (*)

2009

- 172.** La produzione di raccomandazioni cliniche con il metodo GRADE. L'esperienza sui farmaci oncologici. Bologna. (*)
- 173.** Sorveglianza dell'antibioticoresistenza e uso di antibiotici sistemici in Emilia-Romagna. Rapporto 2007. Bologna. (*)
- 174.** I tutor per la formazione nel Servizio sanitario regionale dell'Emilia-Romagna. Rapporto preliminare. Bologna. (*)
- 175.** Percorso nascita e qualità percepita. Analisi bibliografica. Bologna. (*)
- 176.** Utilizzo di farmaci antibatterici e antimicotici in ambito ospedaliero in Emilia-Romagna. Rapporto 2007. Bologna. (*)
- 177.** Ricerca e innovazione tecnologica in sanità. Opportunità e problemi delle forme di collaborazione tra Aziende sanitarie e imprenditoria biomedicale. Bologna. (*)
- 178.** Profili di assistenza degli ospiti delle strutture residenziali per anziani. La sperimentazione del Sistema RUG III in Emilia-Romagna. Bologna. (*)

179. Profili di assistenza e costi del diabete in Emilia-Romagna. Analisi empirica attraverso dati amministrativi (2005 - 2007). Bologna. (*)
180. La sperimentazione dell'audit civico in Emilia-Romagna: riflessioni e prospettive. Bologna. (*)
181. Le segnalazioni dei cittadini agli URP delle Aziende sanitarie. Report regionale 2008. Bologna. (*)
182. La ricerca come attività istituzionale del Servizio sanitario regionale. Principi generali e indirizzi operativi per le Aziende sanitarie dell'Emilia-Romagna. Bologna. (*)
183. I Comitati etici locali in Emilia-Romagna. Bologna. (*)
184. Il Programma di ricerca Regione-Università. 2007-2009. Bologna. (*)
185. Il Programma Ricerca e innovazione (PRI E-R) dell'Emilia-Romagna. Report delle attività 2005-2008. Bologna. (*)
186. Le medicine non convenzionali e il Servizio sanitario dell'Emilia-Romagna. Un approccio sperimentale. Bologna. (*)
187. Studi per l'integrazione delle medicine non convenzionali. 2006-2008. Bologna. (*)

2010

188. Misure di prevenzione e controllo di infezioni e lesioni da pressione. Risultati di un progetto di miglioramento nelle strutture residenziali per anziani. Bologna. (*)
189. "Cure pulite sono cure più sicure" - Rapporto finale della campagna nazionale OMS. Bologna. (*)
190. Infezioni delle vie urinarie nell'adulto. Linea guida regionale. Bologna. (*)
191. I contratti di servizio tra Enti locali e ASP in Emilia-Romagna. Linee guida per il governo dei rapporti di committenza. Bologna. (*)
192. La *governance* delle politiche per la salute e il benessere sociale in Emilia-Romagna. Opportunità per lo sviluppo e il miglioramento. Bologna. (*)
193. Il *mobbing* tra istanze individuali e di gruppo. Analisi di un'organizzazione aziendale attraverso la tecnica del *focus group*. Bologna. (*)
194. Linee di indirizzo per trattare il dolore in area medica. Bologna. (*)
195. Indagine sul dolore negli ospedali e negli *hospice* dell'Emilia-Romagna. Bologna. (*)
196. Evoluzione delle Unità di terapia intensiva coronarica in Emilia-Romagna. Analisi empirica dopo implementazione della rete cardiologica per l'infarto miocardico acuto. Bologna. (*)
197. TB FLAG BAG. La borsa degli strumenti per l'assistenza di base ai pazienti con tubercolosi. Percorso formativo per MMG e PLS. Bologna.
198. La ricerca sociale e socio-sanitaria a livello locale in Emilia-Romagna. Primo censimento. Bologna. (*)
199. Innovative radiation treatment in cancer: IGRT/IMRT. Health Technology Assessment. ORientamenti 2. Bologna. (*)
200. Tredici anni di SIRS - Servizio informativo per i rappresentanti per la sicurezza. Bologna. (*)
201. Sorveglianza dell'antibioticoresistenza e uso di antibiotici sistemici in Emilia-Romagna. Rapporto 2008. Bologna. (*)
202. Master in Politiche e gestione nella sanità, Europa - America latina. Tracce del percorso didattico in Emilia-Romagna, 2009-2010. Bologna. (*)

2011

203. Buone pratiche infermieristiche per il controllo delle infezioni nelle Unità di terapia intensiva. Bologna.
204. Le segnalazioni dei cittadini agli URP delle Aziende sanitarie. Report regionale 2009. Bologna. (*)
205. L'informazione nella diagnostica pre-natale. Il punto di vista delle utenti e degli operatori. Bologna. (*)
206. Contributi per la programmazione e la rendicontazione distrettuale. Bologna. (*)
207. Criteria for appropriate use of FDG-PET in breast cancer. ORientamenti 3. Bologna. (*)

- 208.** Il ruolo dei professionisti nell'acquisizione delle tecnologie: il caso della protesi d'anca. Bologna. (*)
- 209.** Criteria for appropriate use of FDG-PET in esophageal cancer. ORientamenti 4. Bologna. (*)
- 210.** Sorveglianza dell'antibioticoresistenza e uso di antibiotici sistemici in Emilia-Romagna. Rapporto 2009. Bologna. (*)
- 211.** Criteria for appropriate use of FDG-PET in colorectal cancer. ORientamenti 5. Bologna. (*)
- 212.** Mortalità e morbosità materna in Emilia-Romagna. Rapporto 2001-2007. Bologna. (*)
- 213.** Atlante della mortalità in Emilia-Romagna 2003-2007. Bologna.
- 214.** Atlante della mortalità in Emilia-Romagna 2008-2009. Bologna.
- 215.** "Fidatevi dei pazienti". La qualità percepita nei Centri di salute mentale e nei Servizi per le dipendenze patologiche. Bologna. (*)
- 216.** Piano programma 2011-2013. Agenzia sanitaria e sociale regionale. Bologna. (*)
- 217.** La salute della popolazione immigrata in Emilia-Romagna. Contributo per un rapporto regionale. Bologna.

2012

- 218.** La valutazione multidimensionale del paziente anziano. Applicazione di strumenti nei percorsi di continuità assistenziale. Bologna. (*)
- 219.** Criteria for appropriate use of FDG-PET in lung cancer. ORientamenti 6. Bologna. (*)
- 220.** Le segnalazioni dei cittadini agli URP delle Aziende sanitarie. Report regionale 2010. Bologna. (*)
- 221.** Criteria for appropriate use of FDG-PET in head and neck cancer. ORientamenti 7. Bologna. (*)
- 222.** Linee guida per la predisposizione di un Bilancio sociale di ambito distrettuale. Bologna.
- 223.** Analisi e misurazione dei rischi nelle organizzazioni sanitarie. Bologna. (*)
- 224.** Il percorso assistenziale integrato nei pazienti con grave cerebrolesione acquisita. Fase acuta e post-acuta. Analisi comparativa dei modelli organizzativi regionali. Bologna. (*)
- 225.** Sorveglianza dell'antibioticoresistenza e uso di antibiotici sistemici in Emilia-Romagna. Rapporto 2010. Bologna. (*)
- 226.** La ricerca e le politiche sociali e socio-sanitarie in Emilia-Romagna. Applicazione e approcci per la valutazione. Bologna.
- 227.** Criteria for appropriate use of FDG-PET in malignant lymphoma. ORientamenti 8. Bologna. (*)
- 228.** Linee guida per la stesura e l'utilizzo della Carta dei servizi delle ASP. Bologna.
- 229.** Indagine sul dolore negli ospedali, negli hospice e in assistenza domiciliare in Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 230.** Le segnalazioni dei cittadini agli URP delle Aziende sanitarie. Report regionale 2011. Bologna. (*)
- 231.** *Incident reporting* in Emilia-Romagna: stato dell'arte e sviluppi futuri. Bologna. (*)

2013

- 232.** La nascita pretermine in Emilia-Romagna. Anni 2004-2009. Bologna. (*)
- 233.** La qualità del servizio sociale territoriale in Emilia-Romagna. Bologna.
- 234.** Sorveglianza dell'antibioticoresistenza e uso di antibiotici sistemici in Emilia-Romagna. Rapporto 2011. Bologna. (*)
- 235.** La ricerca sociale e sociosanitaria: gli attori pubblici coinvolti. Indagine online in Emilia-Romagna. Bologna. (*)
- 236.** Valutazione multidimensionale dei percorsi di continuità assistenziale. Gestione sul territorio secondo il chronic care model. Bologna. (*)

2014

- 237.** Misurazione della qualità dei servizi alla persona. Risultati di un progetto regionale. Bologna. (*)
- 238.** Esiti riferiti dal paziente. Patient reported outcome. Concetti, metodi, strumenti. Bologna. (*)