

Outcome Research e Terapie di Supporto

Un anno fa, su JAMA appariva un breve editoriale sull'Outcome Research (OR) come richiesta perentoria dal mondo reale (Krumholz HR. Real-world Imperative of Outcome Research. JAMA 2011; 306: 754-5). Richard Lehman, che cura settimanalmente la revisione critica indipendente di articoli pubblicati su riviste mediche per conto del BMJ, arrivava a sostenere che il suddetto editoriale è una lettura essenziale per chiunque abbia a cuore il futuro della Medicina.

In realtà, questo antico argomento è venuto più volte alla ribalta, destando sempre vivo interesse, per poi cadere nell'oblio, finché qualcun altro non lo ha riscoperto, generando così un ciclo a periodicità variabile. Ma stavolta è diverso. Sono maturi i tempi per cui sull'OR, cioè sulla ricerca sugli esiti dei trattamenti medici, convergano istanze diverse del paziente, del Servizio Sanitario Nazionale (SSN), della conoscenza scientifica, del management sanitario.

Nella sua accezione più ampia è OR ogni investigazione scientifica che genera conoscenze in grado di guidare le decisioni sulla cura della salute per ottenere risultati ottimali per le strategie di prevenzione, diagnosi, terapia e prognosi. Quindi, è OR ogni valutazione di strategie mediche nella pratica clinica quotidiana, non solo in termini di efficacia (*effectiveness*) e sicurezza, ma anche di costi e di impatto sulla qualità di vita del paziente.

La valutazione, condotta per mezzo di uno studio clinico, può essere eseguita in una singola Unità Operativa, ovvero associandone più di una, ottenendo risultati che sebbene siano più limitati (per dimensione) di quelli della ricerca clinica sponsorizzata, sono però più vicini alla realtà del paziente. Per fare solo alcuni esempi di possibili applicazioni dell'OR, si pensi all'effetto di un management intensificato del paziente rispetto a quello standard, alla frequenza ottimale del follow-up, allo studio della relazione tra endpoint surrogati e finali, alla tossicità di medio-lungo periodo delle vaccinazioni, alla valutazione dei costi dei trattamenti rilevati sui pazienti che vengono quotidianamente gestiti, alla migliore definizione della storia naturale della malattia che li ha colpiti (ad es., tipi di malattie concomitanti o successive, ricoveri ospedalieri, trattamenti terapeutici, prognosi).

L'OR si concretizza così in studi clinici non sponsorizzati, più spesso osservazionali, ma anche randomizzati, in cui vale la sola limitazione (peraltro non assoluta) di non poter testare nuovi farmaci.

Oltre all'acquisizione di nuove conoscenze in campo medico, i vantaggi di studi di OR sono evidenti:

- per il paziente, consente di accrescere la probabilità di ottenere i risultati che desidera per mezzo di migliori informazioni, migliori decisioni, migliore erogazione della cure;

- per il SSN, permette di ottenere notevoli risparmi pur garantendo le cure più efficaci;
- per il manager della sanità, oltre ad ottenere risparmi nella erogazione delle cure, può conoscere esattamente il costo dei trattamenti in relazione alla loro efficacia nei pazienti che vengono quotidianamente seguiti nella pratica clinica.

L'OR non richiede risorse aggiuntive, essendo sufficiente impegnare per tale attività parte dei fondi che vengono raccolti con la ricerca sponsorizzata (mediamente, circa il 30% del budget complessivo), ottemperando così alle norme di legge sulla loro destinazione.

Vantaggi indiretti vanno a ricadere anche sulle strutture che conducono studi di OR, in termini di aggiornamento e motivazione dei medici e, soprattutto, di sviluppo del *Research Nursing* che nel nostro paese è ancora così poco diffuso.

Da ultimo, occorre avvertire che finalità e metodi dell'OR sono annoverati nell'*Health Technology Assessment (HTA)*, mentre, a nostro avviso, l'OR ha tutto il diritto alla più completa autonomia scientifica, anche perché riteniamo che, in quanto ricerca clinica, non abbia molto a che vedere con i metodi più specifici dell'HTA.

Il campo delle terapie di supporto si presta particolarmente a studi di OR, per svariate ragioni, le più importanti delle quali sono:

- a. la risposta è quasi sempre di tipo soft e valutabile nel breve periodo. Quest'ultima condizione semplifica notevolmente il management dello studio favorendone la fattibilità. La natura soft della risposta può essere meglio indagata attraverso un più stretto contatto con il paziente, il che è proprio specifico degli studi di OR;
- b. la mancanza di terapie efficaci, o comunque non sufficientemente investigate, nel controllo di una pluralità di sintomi (*orphan symptoms*), dal prurito al singhiozzo, dalla tosse alla dispnea, dalla tossicità cutanea a quella cardiaca rende vaste aree del campo delle terapie di supporto terreno privilegiato per studi di OR.

La lettura di una rivista come *CASCO*, così autorevole per lo spessore scientifico dei suoi collaboratori, è anche utile per generare idee, o risvegliare interessi latenti che possono trovare una fase attuativa per mezzo di studi di OR.

Data l'importanza dell'argomento, se ci sarà richiesta da parte dei Lettori, potremmo pensare all'apertura di un Forum in cui sarà possibile approfondire alcune tematiche adombrate nel presente editoriale, mettere in contatto domanda ed offerta di partecipazione a studi di OR, fornire consulenze per singoli progetti di ricerca.

Enzo Ballatori
Fausto Roila