

Intervista a Stefano Mazzariol, Paziente Esperto EUPATI

Il 13 dicembre si è svolta a Bruxelles la cerimonia per il conferimento ufficiale della “Laurea di Paziente Esperto” ai 98 pazienti che tra il 2014 e il 2016 hanno partecipato al corso europeo EUPATI sul processo di Ricerca e Sviluppo (R&S) dei farmaci. Sono cinque i pazienti italiani che hanno raggiunto questo importante traguardo. Uno di loro è Stefano Mazzariol, papà di un bambino con la Distrofia muscolare di Duchenne e, oltre a lavorare in un’azienda nel settore industriale, è Vice Presidente di Parent Project Onlus.

Stefano ci racconta la sua esperienza, il suo percorso e le sue future aspettative come Paziente Esperto e patient advocate.

Come sei venuto a conoscenza del progetto EUPATI e come è nata la tua partecipazione al corso per Pazienti Esperti?

La mia esperienza è quella di una persona comune che di punto in bianco nel 2013 si è ritrovato ad essere genitore di un bambino con la distrofia muscolare di Duchenne. Da quel momento ho deciso che avrei fatto tutto il possibile per contribuire in qualche modo alla ricerca medico-scientifica focalizzata su questa patologia. Nel 2014 grazie a Parent Project Onlus, un’associazione di genitori di bambini affetti da Distrofia Muscolare Duchenne e Becker, sono venuto a conoscenza del progetto EUPATI che in quel momento era in pieno sviluppo. È maturata in me la decisione di provare a iscrivermi al corso per Pazienti Esperti sul tema della Ricerca e Sviluppo (R&S) dei farmaci che sarebbe partito da lì a poco. Sinceramente, dato il grande numero di richieste e le posizioni importanti dei vari candidati, sono stato davvero sorpreso e felice quando è arrivata la comunicazione dai responsabili europei di EUPATI che sarei stato incluso nel primo corso.

Come si è svolto il corso EUPATI e in cosa pensi sia stato utile?

Il corso è stato molto impegnativo, 14 mesi molto intensi di acquisizione di informazioni di ogni genere che vanno da aspetti tecnico-scientifici per lo studio di nuove terapie agli aspetti più burocratici e regolatori sull’immissione dei farmaci sul mercato. Il corso è interamente in inglese, e già questa è una prima difficoltà per chi come me non è madrelingua, e basato su una piattaforma online di tipo e-learning. Gli argomenti affrontati nel corso sono strutturati in 6 diversi moduli e comprendono: la scoperta dei farmaci, la pianificazione del loro sviluppo, le verifiche pre-cliniche e le sperimentazioni

cliniche, le questioni regolatorie, la sicurezza dei medicinali e la farmacovigilanza, la farmaco-economia e la valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA). Sono tutti argomenti molto complessi ma fondamentali se si vuole capire bene come avviene il processo di sviluppo e approvazione di nuove terapie. Oltre al corso online, sono stati organizzati due incontri, di 5 giorni ognuno, in cui tutti i partecipanti si sono riuniti a Barcellona per lezioni didattiche, approfondimenti e esercitazioni pratiche. Queste giornate sono state ricche di input e mi hanno permesso di avere un confronto diretto con i docenti e con gli altri partecipanti. Il corso ha richiesto tempo, costanza e molta energia. Tuttavia, l'attinenza dei contenuti trattati a quella che è poi la situazione reale della ricerca scientifica sulla Duchenne è stato un movente più che sufficiente per dare il massimo e immergermi appieno nello studio.

Cosa ti ha dato il corso EUPATI e cosa è cambiato concretamente nella tua vita quotidiana di papà di un bambino affetto da una malattia rara?

Prima del corso EUPATI cercavo di avere quante più informazioni possibile sullo stato dell'arte della ricerca sulla Duchenne un po' da autodidatta e un po' appoggiandomi ai materiali e alle attività di Parent Project. Ma, nonostante la mia preparazione scientifica proveniente dalla mia formazione universitaria, mi mancavano le basi per capire realmente come si muove la ricerca scientifica. L'esperienza che ho vissuto durante il corso, e che sto vivendo tuttora come Paziente Esperto ha cambiato molto la mia visione sul complesso e difficile percorso regolatorio di nuove terapie. Il corso mi ha permesso di avere una visione più oggettiva del mondo della ricerca, mi ha dato gli strumenti fondamentali per capirne i meccanismi e le motivazioni. Il corso di formazione si sta rivelando importantissimo e le cose per me stanno cambiando rapidamente. Innanzitutto, ora posso approfondire molto meglio tutti gli aspetti della patologia di Marco, sia dal punto di vista medico-biologico, sia dal punto di vista della ricerca e delle sperimentazioni in corso. Posso interagire più facilmente con gli specialisti che lo hanno in cura, a volte collaborando assieme a loro nello stabilire il percorso terapeutico da seguire. Inoltre, ora riesco a leggere con analisi critica alcune pubblicazioni scientifiche, e a districarmi nella marea di articoli che escono sui media sulla ricerca scientifica riuscendo a discernere quelle troppo ottimistiche e entusiastiche da quelle effettivamente realistiche e obiettive. Infine, aver studiato quali sono i tempi e le regole sui quali si basa lo sviluppo di una potenziale nuova terapia mi aiuta a capire meglio le tante novità che ruotano intorno ai trial clinici per la Duchenne.

In qualità di Paziente Esperto hai già dato un tuo contributo concreto nell'ambito del R&S farmaci e per la comunità dei pazienti?

Innanzitutto, ho iniziato a dare il mio contributo a Parent Project Onlus. Le conoscenze acquisite mi hanno dato la competenza e la possibilità di diventare Vice Presidente di un'associazione, che è molto attiva nel campo della ricerca scientifica, e nella quale potrò mettere a disposizione le nozioni sui temi di R&S dei farmaci e di terapie innovative. Far parte del progetto EUPATI mi sta inoltre offrendo la grande opportunità di entrare in contatto con altre organizzazioni di pazienti, in Italia e all'estero. Le conoscenze trasversali che mi ha fornito il corso mi hanno permesso di diventare un punto di riferimento anche per associazioni che si occupano di patologie diverse dalla Duchenne. Mi chiedono di partecipare ai loro convegni e di illustrare alle loro comunità quale sia l'importanza di avere una rappresentanza di pazienti formati ed informati e come i pazienti possono partecipare attivamente al processo di ricerca scientifica e di sviluppo dei farmaci. Gli strumenti che ho acquisito mi stanno consentendo di colloquiare e interagire a vari livelli tecnici, in modo da potermi sempre porre "alla pari" con i diversi interlocutori con cui mi capita di interfacciarmi. Ho la possibilità di utilizzare linguaggi e competenze tecniche con ricercatori, aziende farmaceutiche o con i clinici, ma posso contemporaneamente tradurre i "tecnicismi" in parole più semplici quando mi rivolgo ai pazienti, alle persone comuni o alla stampa.

Quali pensi siano i punti cardini nei quali potrebbe essere coinvolto attivamente ed efficacemente il Paziente Esperto?

In realtà il contributo di un paziente formato può essere prezioso per tutte le fasi del processo di sviluppo di una terapia. Ad esempio, la collaborazione dei pazienti per la progettazione delle sperimentazioni cliniche può essere determinante per definire, insieme ai clinici, i parametri prioritari nella valutazione della sperimentazione clinica. Addirittura sempre più studi clinici prevedono la compilazione di PROs (Patient Reported Outcomes). Si tratta di una raccolta di dati clinici forniti direttamente dai pazienti nel corso della sperimentazione clinica. Queste informazioni hanno un valore più qualitativo che quantitativo e sono utilizzate per ottenere le misure di esito centrate sui pazienti (PCOM). I PCOM definiscono cosa dovrebbe essere misurato e riportato durante gli studi clinici con l'obiettivo di determinare se una terapia sia in grado o meno di migliorare la qualità di vita dei malati. E' fondamentale che i PROs siano stabiliti in collaborazione con i pazienti stessi. Inoltre, i pazienti dovrebbero dare il proprio contributo alla stesura dei consensi informati, soprattutto per le categorie più deboli, in modo da ottenere condizioni e accordi equilibrati e corretti dal punto di vista etico. I testi dei consensi informati sono troppo spesso complicati, scritti con un linguaggio "tecnico-burocratese" e non illustrano in maniera adeguata gli obiettivi dello studio clinico, o i rischi e i vantaggi di partecipare

al trial. Il Paziente esperto dovrebbe anche figurare all'interno dei comitati etici. Un altro punto importante riguarda l'adeguata e corretta divulgazione dei risultati dei trial clinici, argomento sul quale i pazienti potrebbero fare la differenza. Inoltre, va assolutamente sottolineato il coinvolgimento dei pazienti nell'ambito della farmacovigilanza, dato che alla fine chi vive sul proprio organismo i benefici e gli effetti collaterali di una qualsiasi terapia, anche dopo la sua immissione sul mercato, è proprio il paziente. E ancora, ritengo molto importante il contributo del Paziente Esperto sui complessi temi di HTA, ovvero di tutte le implicazioni sociali ed economiche correlate all'approvazione di un farmaco. Tema ancora poco conosciuto dalle comunità dei pazienti, che invece è fondamentale per i meccanismi di accesso a una nuova terapia. Insomma, i punti sui quali i pazienti, adeguatamente formati, possono avere un ruolo determinante sono veramente tanti.

Quanto reputi sia importante la formazione dei pazienti e il loro coinvolgimento nelle decisioni sul tema della salute?

Viviamo in un momento in cui ricercatori, clinici e aziende farmaceutiche si stanno rendendo conto che la comunità dei pazienti può portare un contributo importantissimo alla pianificazione, all'ottimizzazione e alla buona riuscita del processo di ricerca e sviluppo di potenziali terapie. Però, dobbiamo anche noi pazienti renderci conto che le nostre indicazioni e le nostre opinioni saranno effettivamente considerate utili, e prese in considerazione, solo nel momento in cui ci dimostreremo affidabili e competenti nel fornirle. E in questo una formazione di alto livello è fondamentale.

Forse ci vorrà ancora un po' di tempo per vedere i pazienti seduti ai tavoli decisionali "alla pari" con clinici, aziende farmaceutiche e agenzie regolatorie ma le cose si stanno muovendo. Tutti gli stakeholder coinvolti nel processo di sviluppo di nuove terapie sono consapevoli della necessità del coinvolgimento di Pazienti Esperti. Nel nuovo regolamento europeo 536/2014 sulle sperimentazioni cliniche del Parlamento e del Consiglio Europeo, che deve ancora entrare in vigore, è indicato espressamente che per i tavoli decisionali "gli stati membri dovrebbero assicurare la partecipazione di persone non addette ai lavori, in particolare di pazienti o di organizzazioni di pazienti". Un'ottima opportunità per dimostrare che la scelta migliore come "non addetti ai lavori" sarà quella di includere i Pazienti Esperti.

Aspirazioni per il tuo futuro come Paziente Esperto?

Mettere sempre più al servizio della comunità dei pazienti e degli altri stakeholder ciò che ho imparato con il corso EUPATI e ciò che sto continuando a imparare sul campo. Essere di supporto a chi volesse conoscere e approfondire il complesso mondo della ricerca e



sviluppo dei farmaci e di terapie avanzate. Vorrei inoltre riuscire a collaborare sempre più attivamente sui temi della ricerca medico-scientifica e, se mi sarà possibile, sedere in comitati etici, ai tavoli di pianificazione o decisionali. Il tutto con l'unico scopo di portare un contributo utile a far avanzare la "buona" ricerca scientifica a vantaggio dei pazienti e delle loro famiglie.

Francesca Ceradini

Responsabile Comunicazione Accademia dei Pazienti Onlus