

IL COINVOLGIMENTO ATTIVO DEI PAZIENTI NELLA RICERCA CLINICA IN ONCOLOGIA

Marco Cefali, Alessandro Ceschi, Paola Cestari, Matteo Oleggini, Cristiana Sessa, Angela Tolotti

Ricevuto: 04.11.2025
revisionato: 02.01.2026
accettato: 07.01.2026

© The Author(s) 2026

Open Access This article is licensed under a Creative Commons Attribution–NonCommercial–NoDerivatives License

ISSN print: 1421-1009
ISSN online: 3042-6138

DOI: 10.63648/j1db5568

Che cosa è il coinvolgimento attivo dei pazienti nella ricerca (PPI)

È ormai riconosciuta l'importanza di coinvolgere i pazienti e la comunità nei diversi stadi di sviluppo della ricerca clinica. In questo ambito, il termine "comunità" indica chi fa uso dei servizi sanitari e sociali, e include i pazienti, chi si prende cura di loro (caregivers), il personale sanitario e i rappresentanti di organizzazioni di pazienti, secondo il National Institute for Health and Care Research (NIHR) [1]. Questa attività viene indicata con il termine PPI (Patient and Public Involvement), ed è ben distinta dalla partecipazione come paziente ad uno studio clinico.

Con il termine di "engagement" si intende, oltre al coinvolgimento, anche la promozione della ricerca e dei suoi risultati da parte dei pazienti, ad esempio intervenendo in eventi pubblici o sui social media, per sensibilizzare la comunità sull'importanza della ricerca e sul contributo che i pazienti e i caregivers possono dare.

I pazienti possono contribuire alla ricerca sia a livello individuale, con il loro vissuto, o come rappresentanti di organizzazioni di pazienti, definite dall'Agenzia Europea del farmaco (EMA) come organizzazioni no-profit focalizzate sui pazienti e in cui i pazienti e i caregivers costituiscono più della metà dei membri degli organi direttivi [2].

Gli avvocati dei pazienti (patient advocates) sono persone, non necessariamente pazienti, con competenza ed esperienza in una determinata patologia, che difendono gli interessi dei pazienti, li guidano attraverso i servizi sanitari, li aiutano nella scelta del trattamento più adeguato e interagiscono con il personale curante e i rappresentanti delle casse malati [3].

L'importanza dell'interazione e della collaborazione fra i pazienti/consumatori e chi fa ricerca e sviluppo di nuove terapie è stata riconosciuta da EMA già nel 2006 con la costituzione di un gruppo di lavoro di pazienti e consumatori per la valutazione dei rischi / benefici dei farmaci, sul loro impiego, revisione delle informazioni scritte per i pazienti e nello sviluppo e autorizzazione alla messa in commercio dei farmaci [4].

Ad oggi i pazienti fanno parte di cinque comitati scientifici di EMA: per i medicinali orfani (COMP), quello pediatrico (PDCO), per le terapie avanzate (CAT), di valutazione dei rischi per la farmacovigilanza (PRAC), per i medicinali per uso umano (CHMP), dove vengono valutati e discussi i rischi e i benefici delle nuove terapie. Sono definiti farmaci orfani quelli con indicazione per il trattamento di patologie rare (<5/10000 casi EU), per patologie pericolose per la vita o debilitanti cronicamente o per patologie in cui non vi siano opzioni terapeutiche disponibili, come in oncologia, o per

A cura dell'Istituto di medicina di famiglia USI



le patologie metaboliche o per quelle del sistema immunitario. I medicinali per le terapie avanzate per uso umano (ATMP) si basano sui geni, cellule o tessuti. Oggi si sta lavorando molto anche per stabilire una partecipazione diretta dei pazienti e della comunità alla procedura dell'health technology assessment (HTA), dalla segnalazione delle nuove tecnologie e definizione delle priorità alla disseminazione ed implementazione [5].

I pazienti possono contribuire in prima persona in diverse fasi dello sviluppo di un progetto di ricerca, indicando ad esempio quali sono le loro necessità e le loro richieste, e quindi contribuendo a definire il disegno dello studio ed alcuni suoi aspetti, ad esempio lo schema degli accertamenti (tipo e frequenza), migliorandone la fattibilità ed accettabilità [6]. I pazienti sono importanti nella preparazione del materiale informativo del progetto, del testo di consenso informato, dei diari e questionari di qualità di vita. La partecipazione dei pazienti alla discussione dei risultati, anche nel corso delle analisi effettuate durante lo studio, è importante perché fornisce la loro valutazione del rapporto rischio/beneficio, che può essere anche molto diversa da quella degli operatori di salute, perché include l'esperienza diretta del trattamento e della malattia. Ad esempio, in uno studio di fase III in pazienti con leucemia linfatica cronica condotto dal gruppo cooperativo americano ECOG (Eastern Cooperative Oncology Group) sono stati valutati come rilevanti dai pazienti anche gli eventi avversi di grado 2 con sintomi, che invece non erano stati riportati dal promotore perché la prassi vuole che vengano raccolti e analizzati solo gli eventi avversi più gravi o con sintomi [7]. Il ruolo dei pazienti è fondamentale nella scrittura e diffusione dei risultati tramite la preparazione di una sinossi (lay summary) che viene caricata su un portale per gli studi clinici

di EMA, accessibile anche alla comunità; si tratta di un documento che deve riportare in un modo semplice, comprensibile anche ai non esperti, ma contenente tutte le informazioni rilevanti per i pazienti, cioè il tipo di studio condotto, i risultati e le conseguenze per il trattamento della relativa patologia.

Infine i pazienti hanno un ruolo importante nella comunicazione, sia nei confronti dei potenziali partecipanti ad uno studio, sia per dare informazioni ed aggiornamenti a chi è in corso di trattamento sia a chi vi ha partecipato per comunicare i risultati.

Il coinvolgimento attivo dei pazienti ha anche degli aspetti etici importanti quali il diritto e la volontà dei pazienti di contribuire a migliorare il trattamento dei futuri pazienti, contribuire ad aumentare la trasparenza della ricerca e l'affidabilità dei risultati.

Attività di PPI in Svizzera

A differenza di altri paesi europei, quali il Regno Unito (UK) e la Germania, in Svizzera i pazienti sono stati coinvolti in attività di ricerca e di valutazione dei servizi sanitari in tempi relativamente recenti e in modo ancora limitato.

Sono esempi la presenza di pazienti e di rappresentanti di pazienti in alcuni comitati di valutazione di ospedali, nel gruppo di lavoro di pazienti e consumatori di Swissmedic, nei comitati etici, come esperti per la valutazione di Grant al Fondo nazionale svizzero per la ricerca scientifica (FNS) (Swiss National Science Foundation, SNSF) [8], all'organizzazione privata filantropica Rising Tides [9] e al Network svizzero della medicina personalizzata (Swiss Personalized Health Network, SPHN), nel comitato consultivo dell'ufficio federale della sanità.

Nell'istituto svizzero per la ricerca cli-

nica contro il cancro (Swiss Cancer Institute, ex SAKK) è attivo da più di dieci anni un Board scientifico dei pazienti che valuta e giudica tutti i nuovi progetti di ricerca [10].

È in fase avanzata di costituzione un network svizzero di tutti i gruppi e associazioni con attività di PPI ed engagement in diversi ambiti sanitari, di cui fa parte anche l'Ente ospedaliero cantonale (EOC), e di cui è prevista la fondazione il prossimo 22 novembre. A livello nazionale, anche la Swiss Clinical Trial Organisation (SCTO) è da anni attiva focalizzando i suoi sforzi sulla promozione del PPI nella ricerca clinica, ad esempio tramite lo sviluppo di strumenti pratici a favore dei ricercatori e incentivandone la formazione.

Nel corso del 2023 l'Istituto Oncologico della Svizzera Italiana (IOSI) di Bellinzona ha avviato un'iniziativa per il coinvolgimento dei pazienti nella ricerca. Data la necessità di stabilire e mantenere una collaborazione a pari livello fra pazienti e investigatori nelle diverse fasi della ricerca clinica è stato deciso, come prima attività, di offrire un percorso formativo ai pazienti. È stato scritto un protocollo e un testo di consenso informato che sono stati approvati dal comitato etico. Il programma di formazione prevedeva 6 seminari della durata di 2.5 ore sul ruolo dei pazienti nella ricerca, gli aspetti etici della ricerca, le autorità regolatorie responsabili dell'approvazione degli studi clinici in Svizzera, l'informazione ai pazienti e la procedura del consenso informato, il ciclo di sviluppo di un nuovo farmaco, l'interpretazione dei risultati di uno studio e la loro diffusione. Sono stati contattati 18 pazienti e 11 hanno accettato di partecipare. Il motivo principale della non partecipazione è stata la mancanza di tempo, mentre le motivazioni di chi ha accettato sono state il desiderio di dare voce ai pazienti, di ricoprire un ruolo attivo e di aiutare i

ricercatori a migliorare i risultati delle terapie. Il livello medio di soddisfazione riportato dai pazienti è stato di 4.9 su una scala da 1 a 5 (dove 1 rappresenta un basso livello di soddisfazione e 5 un alto livello).

Degli 11 pazienti formati, 6 hanno poi attivamente collaborato a diverse attività dell'iniziativa

- revisione di 5 opuscoli per pazienti (indicazioni per la gestione dei liquidi biologici a domicilio dopo chemioterapia, opuscolo informativo del servizio di dietologia, informazioni per i pazienti in dimissione con patologia coloretale o tumore prostatico, opuscolo informativo per i pazienti portatori di catetere permanente periferico tipo PICC o Midline);
- progettazione, revisione dei moduli di consenso informato e divulgazione dei risultati di due ricerche infermieristiche;
- realizzazione del Forum per il coinvolgimento attivo dei pazienti nella ricerca nel mese di aprile 2024 e maggio 2025, quest'ultimo con più di 100 partecipanti;
- collaborazione alla preparazione di un protocollo e del relativo testo di consenso informato di uno studio per valutare l'efficacia della musica nel ridurre l'ansia e il dolore in pazienti con diagnosi di carcinoma del polmone sottoposti a chirurgia per via toracoscopica;
- organizzazione di corsi di aggiornamento per gli infermieri.

I pazienti formati (chiamati anche pazienti esperti) hanno dato al gruppo il nome di "I pazienti per i pazienti. Gruppo IOSI".

È in corso allo IOSI una formazione rivolta al personale sanitario (medici e infermieri) sul coinvolgimento dei pazienti nella ricerca dal titolo "Educating healthcare personnel on the implementation of patient involve-

ment in oncological research". Questo progetto formativo della durata di un anno ha ricevuto un finanziamento dallo Swiss Cancer Institute). La formazione prevede 3 incontri, l'ultimo dei quali nel dicembre 2025, con workshop bimestrali di feedback e aggiornamento delle attività. Alla formazione prendono parte 1 capoclinica, 2 assistenti, 1 assistente in formazione, 2 infermieri, 5 pazienti esperti.

Dato l'interesse suscitato dal primo corso di formazione per pazienti, ne è stato previsto un secondo non solo per i pazienti oncologici, ma per tutti i pazienti indipendentemente dalla patologia, ed anche per i caregivers. Il corso, che è iniziato alla fine di settembre e si concluderà nel maggio 2026, prevede ancora i sei seminari del corso precedente con l'aggiunta di un seminario conclusivo, tenuto dal gruppo dei pazienti esperti formati nel 2023, che riporteranno le loro esperienze.

L'Area Formazione medica e Ricerca EOC, e con essa la Clinical Trial Unit EOC (CTU-EOC), promuove con convinzione il PPI nella ricerca clinica e, facendo tesoro dell'esperienza e grande lavoro svolto nell'ambito dallo IOSI, si sta impegnando per estendere le attività ad altri settori della ricerca biomedica, coinvolgendo attualmente l'Istituto Cardiocentro ed il Neurocentro; altri Istituti e Dipartimenti seguiranno prossimamente.

La testimonianza di due pazienti sul loro contributo al PPI

Paziente 1

Ho accolto con curiosità e interesse la proposta di una formazione che mi permetta essere portavoce dei pazienti e di partecipare attivamente a percorsi di PPI. Un impegno, direi quasi un servizio, ancor più importante quando sempre più spesso si sente ripetere la necessità e la volontà di mettere «il paziente al centro» non solo della ricerca

ma anche delle scelte di politica sanitaria (non da ultimo con un occhio attento al controllo dei costi delle cure).

Come prima riflessione mi sono chiesto quale potesse essere il mio contributo. Come paziente credo di poter portare la mia esperienza nel percorso dalla scoperta di un tumore alla prostata, attraverso le cure e fino ad una nuova qualità di vita pur condizionata da disagi ormai cronici. Sono convinto che chi è (o è stato) ammalato possa portare e condividere un vissuto ed esperienze che sono «qualcosa in più» che può essere utile ai medici e al personale curante che la malattia, le cure, la convalescenza e il ritorno alla normalità li hanno «solo» studiati.

Mi auguro però di poter contribuire a percorsi di PPI portando anche l'esperienza professionale e l'attenzione che ho sempre riservato ad una comunicazione efficace e, soprattutto, chiara e facilmente comprensibile.

Parlare e scrivere in «lingua facile» nelle comunicazioni tra medico, personale curante e paziente (e i suoi familiari) deve essere un'attenzione costante. Offrire a tutti la possibilità di capire le spiegazioni sull'intervento e le cure è, a mio avviso, una necessità non solo per la chiarezza ma anche per evitare domande superflue e, soprattutto errori ad esempio nelle terapie dopo il ritorno a casa. A chi volesse saperne di più, consiglio l'ascolto della testimonianza di Luisa Carrada nell'episodio no. 14 di Klara, un podcast sulla scrittura chiara (lo si trova facilmente su Spotify o piattaforme simili).

In Ticino dobbiamo poi essere attenti anche alle persone che non sono di madre lingua italiana.

Per questo, a mio avviso, la chiarezza e la preoccupazione che l'informazione sia correttamente compresa dovrebbe avere la precedenza sulla precisione dei termini tecnici. Così, ad esempio, mi sembra più comprensibile scrivere «Di regola, anche se minorenni, le cure proposte devono esserle spiegate e lei deve essere d'accordo» piuttosto che

«Se lei ha la capacità di discernimento nessun trattamento può essere eseguito senza il suo consenso libero e informato, che lei sia adulto o minorenne».

Paziente 2

Quando mi è stata offerta la possibilità di frequentare il primo corso organizzato dallo IOSI per la formazione di pazienti esperti ho avuto - potrei dire oggi - la fortuna di accettare subito. Spinta soprattutto dalla curiosità ma anche dal desiderio di restituire un po' di quello che avevo ricevuto, mi sono trovata a osservare con uno sguardo diverso il mondo della ricerca e della cura dei tumori, che fino a quel momento avevo vissuto solo passivamente. E ho scoperto che il malato di cancro non esiste.

Esistono in realtà persone molto diverse fra loro a cui viene diagnosticato un tumore. Persone che si distinguono le une dalle altre per genere, colore della pelle, formazione, situazione familiare ed economica, cultura e sensibilità. Anche le aspettative possono variare, a seconda dell'età e delle convinzioni personali e religiose. Se le variabili sono quindi praticamente infinite, tutte queste persone hanno però in comune una cosa: il diritto ad essere informate, in modo chiaro e onesto, sul proprio stato di salute, sulle terapie che la scienza offre, sulla speranza di cura e guarigione. Quando il malato non vuole sapere, o non è in grado di capire, cosa gli sta succedendo, saranno i famigliari o chi gli è vicino ad avere questo diritto. È fondamentale che il messaggio che viene trasmesso alla persona e/o ai suoi famigliari sia il più chiaro e comprensibile possibile, onesto senza essere brutale. Ed è qui che il paziente esperto può svolgere un ruolo importante: farsi portavoce verso i curanti dei sentimenti che una persona qualunque, senza formazione medico-scientifica, prova di fronte ad una diagnosi, una proposta di terapia, di intervento chirurgico. Quali parole usare per essere capiti? Con quali termini proporre un

intervento oppure una terapia, magari innovativa, per non spaventare ma anche per non sottovalutarne i rischi? E, una volta tornati a casa, cosa potrà/dovrà fare il paziente e chi si prende cura di lui nel quotidiano? Sono tutte fasi che vengono discusse insieme al paziente e per le quali esistono precisi protocolli oppure brochure e piccoli manuali che vengono consegnati alla dimissione. Su questi il gruppo pazienti esperti IOSI ha lavorato e lavorerà in futuro per farne degli strumenti utili e di facile comprensione a tutti i pazienti. Perché tutti abbiano le stesse possibilità di cura e guarigione.

Un'ultima nota: sul sito della Tribuna Medica Ticinese (che ho visitato per la prima volta pochi giorni fa, quando mi è stato chiesto di scrivere questo piccolo contributo), ho visto un bellissimo opuscolo, pubblicato in Ticino dal DSS, sui diritti e doveri del malato. Quaranta pagine a colori con illustrazioni "divertenti". In una di queste, sugli errori medici, si vede un paziente furibondo con una gamba ingessata e un medico che guarda inorridito una lastra in cui si notano il ginocchio del paziente e una pinza dimenticata durante l'intervento. Capisco l'intenzione di alleggerire il tono, ma non credo che abbia fatto ridere nessun paziente vittima di un errore medico. Anche sottolineare questi aspetti è compito dei pazienti esperti.

The active involvement of patients in clinical oncology research

Abstract

Patient and community engagement across all stages of clinical research development is now widely recognized as an essential component. This activity, referred to as Patient and Public Involvement (PPI), is distinct from participating as a study subject. Since 2006, the European Medicines Agency (EMA) has acknowledged the importance of the interaction between patients, con-

sumers, and those involved in the research and development of new therapies. Patients can contribute to clinical research by identifying their needs, helping to shape study design and assessment schedules, thus improving feasibility and acceptability. They are also involved in the preparation of the information materials for patients, informed-consent documents, patient diaries, quality-of-life questionnaires, and the lay summary that must be uploaded on the national clinical-trial portal within twelve months after study completion.

The article describes ongoing and planned initiatives at the Istituto Oncologico della Svizzera Italiana in the field of PPI. These include a training course for patients on the fundamentals of clinical research, a public patient forum to promote Patient and Public Involvement, and a training program for healthcare professionals on patient engagement in research. The Area Formazione Medica e Ricerca and the Clinical Trial Unit actively promote PPI and are working to extend these activities to other areas of biomedical research.

Keywords: Patient and Public Involvement (PPI), Oncology Clinical Research, Patient Engagement, Patient-Centered Research, Patient Advocacy and Empowerment

Bibliografia

1. National Institute for Health and Care Research (2021). Briefing notes for researchers - public involvement in NHS, health and social care research.
2. European Medicines Agency. (2022). Engagement Framework: EMA and patients, consumers and their organisations.
3. Warner K, See W, Haerry D, Klingmann I, Hunter A, May M. EUPATI Guidance for Patient Involvement in Medicines Research and Development (R&D); Guidance for Pharmaceutical Industry-Led Medicines R&D. *Front Med (Lausanne)* 2018;9 (5):270.
4. Mandate, objectives and rules of procedure for the European Medicines Agency Human Scientific Committees' Working Party with Patients' and Consumers' Organisations (PCWP) (30 May 2013).
5. <https://www.ema.europa.eu/system/files/doc->

uments/other/updated_engagement_framework_-_ema_and_patients_consumers_and_their_organisations_2022-en.pdf.

6. Lo Scalzo A. Il coinvolgimento del paziente nell'HTA tra ricerca orientata al paziente e partecipazione diretta: concetti, metodi ed esperienze. *GIHTAD* (2017) 10:5
7. Geissler J, Ryll B, Leto di Priolo S, Uhlenhopp M. Improving patient involvement in medicines research and development: a practical roadmap. *Ther Innov Regul Sci* 2017;5(5):612–619.
8. <https://www.snf.ch/en/hyaJhBfmsmd618fO/funding/programmes/iict>.
9. Costa Alencar AB, Selig WKD, Geissler J, Berczky T, Ubide A, Haerry D, Stephens R, Behan V. Adopting recommendations for implementing patient involvement in cancer research: a funder's approach. *Res Involv Engagem*. 2023 1;9(1):6.
10. Ganz-Blaettler U, Liptrott SJ, Tolotti A, Cefali M, Aeschlimann C, Berardi Vilei S, Colombo I, Hatziandreu E, Kosmidis T, Linardou H, Pfau R, Sgourou S, Sessa C. The active involvement of patients in oncology research. *Cancer Treat Rev*. 2024;130:102822.

Affiliazioni

Dr. med. Marco Cefali, Medico Oncologo, EOC/IOSI Istituto Oncologico della Svizzera Italiana, 6900 Lugano

Prof. Dr. med. Alessandro Ceschi, MSc, Capo Area Formazione medica e Ricerca, Direzione Generale EOC; Presidente, Swiss Clinical Trial Organisation (SCTO) – Berna, 6500 Bellinzona

Paola Cestari, Paziente Esperto, 6873 Corteglia

Matteo Oleggini, Paziente Esperto, 6802 Rivera

Prof. Dr.ssa med. Cristiana Sessa, Consulente Onoraria, EOC/IOSI Istituto Oncologico della Svizzera Italiana, 6500 Bellinzona

Angela Tolotti, PhD, Infermiera di Ricerca, EOC/IOSI Istituto Oncologico della Svizzera Italiana, 6500 Bellinzona

Autore corrispondente: Cristiana Sessa, email: cristiana.sessa@eoc.ch

Dichiarazioni

- Ruolo degli autori nella preparazione del manoscritto: concettualizzazione: CS, AT, MC; preparazione del manoscritto: tutti, revisione del manoscritto: CS, versione finale: tutti.
- Conflitti di interesse: nessuno.
- Fondi e sponsor: nessuno.
- Etica: nessuna immagine ma approvazione del comitato etico del protocollo e del testo di consenso informato
- Accesso ai dati grezzi: nessun dato grezzo disponibile per questo articolo.