- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.14.70.203 Thu, 25 Apr 2024, 19:43:09

[TUTTO SU]

Cure primarie e ruolo della ricerca: un'esperienza di "health learning system"

Una proposta, elaborata da un gruppo di docenti della Scuola di Specializzazione in Pediatria dell'Università Federico II, di un progetto dedicato alle cure primarie e centrato sulla ricerca nell'ambito della formazione sul campo dello specializzando in Pediatria.

Il percorso formativo della Scuola di Specializzazione in Pediatria prevede un triennio di base e un biennio con più indirizzi: Pediatria delle cure primarie, Pediatria delle cure secondarie e Pediatria specialistica; quest'ultima comprende tutte le subspecialità pediatriche inclusa la neonatologia. Per tutti gli indirizzi, incluso quello della Pediatria delle cure primarie, la legge definisce gli obiettivi formativi, le conoscenze e le abilità che il discente dovrà acquisire nel biennio.

La recente pandemia ha messo in luce le opportunità e i limiti delle cure primarie sul territorio e il nuovo impegno del PNRR promuove uno straordinario investimento in risorse e conoscenze per il completo rinnovamento della medicina territoriale. Lo specializzando potrà partecipare direttamente a questa nuova fase dell'assistenza sanitaria, se l'iter formativo saprà adeguarsi al rinnovamento. In questo contesto un aspetto fondamentale della formazione sarà la ricerca, insieme ai pediatri di libera scelta tutori.

Scopo di questo lavoro è la presentazione di una proposta, elaborata da un gruppo di docenti della Scuo-

Riccardo Troncone, Annamaria Staiano, Luigi Greco, Salvatore Auricchio
Scuola di Specializzazione in Pediatria, Università Federico II, Napoli

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.14.70.203 Thu, 25 Apr 2024, 19:43:09

la di Specializzazione in Pediatria dell'Università Federico II, e finalizzata a:

- sviluppare un sistema di apprendimento nel biennio delle cure primarie che vede la ricerca su temi importanti per la salute e protezione del bambino come elemento essenziale dell'iter formativo;
- razionalizzare le procedure ordinarie di raccolta e gestione dei dati per affrontare grandi temi di ricerca sulla salute e protezione del bambino;
- realizzare una interazione operativa tra la Pediatria di famiglia, l'Università ed i centri specialistici (universitari e ospedalieri) regionali;
- qualificare e migliorare in tal modo la cura del bambino sano e malato, facilitando la comunicazione, centrata sul bambino e la sua famiglia, tra i diversi gradi di assistenza.

La ricerca oggi e i *"pragmatic trials"*

La ricerca, oggi, anche quella pediatrica, si basa sulla raccolta di un gran numero di dati (*big-data*), derivanti da approcci diversi, tutti di tipo "omico", che richiedono una potente capacità di analisi. La necessità di grandi numeri vale per gli studi di popolazione così come per i trial clinici. Per quanto riguarda questi ultimi i numeri sono spesso non sufficienti e i risultati non generalizzabili. A ciò va aggiunto che l'attuale sistema degli studi clinici controllati, necessitando di impegni economici di notevoli dimensioni, è necessariamente gestito, in larga maggioranza, dalle case produttrici di farmaci e presidi. Per questo una serie di quesiti, rilevanti per la salute del bambino e le sue patologie, non ricevono la priorità che meritano.

Oggi si affaccia la possibilità di condurre *"pragmatic trials"*, trial randomizzati integrati nelle cure primarie, che descrivono l'efficacia sul campo di nuovi interventi, fuori dai complessi sistemi controllati dei grandi trial clinici. È questo un campo possibile di applicazione della "*Embedded Research*" (*"Ricerca incorporata nella clinica"*).[1] Questi studi sono gestiti da clinici già operativi, invece che da staff professionalmente dedicato alla ricerca, e sono basati su dati clinici raccolti routinariamente.

La raccolta di dati, attraverso le schede informatizzate, crea un enorme potenziale per fare studi clinici e ricerca traslazionale, valutare la qualità delle cure, applicare sorveglianza sulla salute della popolazione. I sistemi sanitari di apprendimento (*"learning health system"*) sono sistemi sanitari in cui i processi di generazione della conoscenza sono integrati nella pratica quotidiana per produrre un miglioramento continuo delle cure.

L'idea della *'Embedded Research'* vede la interazione tra l'operatore sanitario (in questo ambito anche il medico in formazione specialistica), con l'idea d'impatto (obiettivo della ricerca), i sistemi di analisi rapida e le opportune collaborazioni operazionali. Si tratta di una ricerca che coinvolge pienamente l'area delle cure primarie su grandi obiettivi di salute e di servizio, che ha potenzialità che nessun singolo attore professionale accademico può raggiungere.[2]

Quale tipo di studi si presta a questo approccio?

I vantaggi di questo approccio, come già accennato, risiedono nella utilizzazione di attività già integrate nelle cure standard, gestite da clinici già operativi con l'utilizzazione di materiale raccolto di routine.

Diverse tipologie di studi si prestano a questo approccio. In particolare la definizione della storia naturale delle malattie croniche e insieme l'identificazione di fattori di rischio; la validazione dell'efficacia di procedure e infine la valutazione di nuovi protocolli terapeutici. In generale si tratta di interventi che hanno il potenziale di migliorare la qualità delle cure ed alcuni di questi, essendo procedure/servizi aggiunti alle cure ordinarie, possono soddisfare bisogni di salute pubblica che non sono immediatamente compresi nelle priorità del sistema sanitario.

Un elemento esemplificativo dell'interesse di queste metodologie è proprio quello offerto dal bambino che cresce, dal soggetto primario delle cure pediatriche: la longitudinalità, così difficilmente ottenibile nella medicina dell'adulto, è insita nelle cure primarie del bambino, ed in essa sta scritta la storia naturale delle malattie croniche ed il perché dell'insorgenza di anomalie dello sviluppo. Un esempio di ricerca longitudinale è lo screening anticorpale a tempi definiti di pazienti a rischio per celiachia o diabete: "good practice" consigliabile per una diagnosi precoce, ma al tempo stesso ricerca volta ad identificare fattori di rischio e mettere a punto nuovi biomarker.

Difficoltà e opportunità

Naturalmente esistono possibili difficoltà nella realizzazione di un simile programma. In primo luogo i costi insieme con la generale mancanza di infrastrutture di ricerca per raccolta e analisi dati. Ma anche sul piano relazionale rappresentano →

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.14.70.203 Thu, 25 Apr 2024, 19:43:09

barriere la difficoltà nel coinvolgere nella ricerca clinici e dall'altra parte la resistenza dei pazienti a lasciarsi coinvolgere nella ricerca, per esempio quando questa comporta randomizzazione.

L'Italia, pur offrendo lo straordinario vantaggio di un sistema nazionale sanitario di libero accesso, ha condiviso solo marginalmente la partecipazione ai grandi studi clinici controllati. Per questa ragione, specie nelle cure primarie del bambino, ci siamo resi dipendenti dalle conoscenze e sperimentazioni svolte in paesi con diversa cultura, antropologia familiare e livelli di assistenza al bambino. Il nostro sistema ha in ogni caso garantito un livello di salute e sviluppo dei nostri bambini tra i migliori del mondo. Dunque non esiste più la necessaria dipendenza dai grandi studi clinici, comunque di eccezionale valore scientifico e da perseguire in ogni modo, ma si possono adottare strategie meglio adattate al nostro contesto. In questo ambito la HSER (*Health Services Evaluation Research*), la ricerca sul funzionamento delle procedure ed attività del servizio sanitario, è una priorità del nostro Servizio Sanitario Nazionale sin dalla sua fondazione con la legge 833.

Per gestire i dati clinici è stato introdotto il concetto di "*meaningful use*" dei dati dei pazienti per accelerare questo processo.[3] L'"*uso utile*' del debito informativo (definito in: 'Contenuti e modalità di utilizzo degli indicatori di efficienza e qualità *nel Servizio sanitario nazionale*", pubblicato nella *Gazzetta Ufficiale* del 10 novembre 1995, n. 263) richiede l'adozione di schede informatizzate (cosa che già avviene per i bambini nel nostro paese), trasferimento sicuro dei dati, valutazione della qualità dell'informazione.

La Pediatria di famiglia è un mezzo potente di cura e di studio del bambino, consentendone il follow-up dalla nascita, con possibilità, per esempio, di attuare programmi di prevenzione e di terapia di malattie croniche nell'ambito delle reti di assistenza regionale di tali malattie, sotto la guida e il coordinamento dei centri di riferimento regionali per queste. Altro prodotto importante può essere la raccolta di dati longitudinali di grande valore per la conoscenza della storia naturale delle malattie.

Per rispondere a diversi quesiti irrisolti alla base di gran parte delle patologie che impegnano il pediatra, basta l'osservazione di routine con l'accurata raccolta dati dei Bilanci di Salute, senza un aggravio aggiuntivo all'operatore sanitario. Nella regione Emilia-Romagna l'elaborazione dei dati di Bilanci di Salute per un biennio 2014-2016 ha prodotto una serie di risultati preziosi sia per la cura del singolo bambino che per una stima della morbosità e dei problemi di sviluppo di una intera comunità regionale.[4]

Infine, l'attuale pandemia ha dimostrato la straordinaria efficienza di piattaforme universali di raccolta e condivisione di dati sanitari, che testimoniano la concreta possibilità di sviluppare siti orientati alla protezione e gestione della salute del bambino.[5] E non si tratta di 'ricerca minore' affatto: l'esempio di '*All-of-Us*' negli Stati Uniti[6] dimostra la inderogabile necessità del coinvolgimento della base delle cure primarie per affrontare i più rilevanti quesiti della scienza.

I possibili attori del progetto

Le associazioni di pediatri di famiglia

Le rappresentanze e le associazioni dei pediatri di famiglia hanno un ruolo importante nel rinnovamento dei progetti di formazione per le cure primarie sul territorio. Già da molti anni sono impegnati nel riconoscimento della figura del pediatra di famiglia con particolari interessi per la formazione e la ricerca. Già partecipano infatti alla gestione della formazione continua; questi momenti rappresentano occasioni preziose per concepire e sviluppare temi di ricerca da realizzare sul territorio.

Il sistema sanitario regionale

Fondamentale è l'intervento del SSR nel fornire supporto finanziario per le extra attività dei medici di base. Per rendere stabile e sostenibile questo progetto è necessario che il Ministero della Salute ed il governo regionale approvino un riconoscimento economico del tempo dedicato dal pediatra di famiglia alla ricerca. Occorre anche rivedere, con il sindacato, il sistema di attribuzione della qualifica di 'pediatra sperimentatore' come attività da svolgere nel suo tempo di lavoro e retribuita, in collaborazione con le strutture di riferimento regionale per la cura delle malattie croniche dell'infanzia. Appare infine necessaria la creazione di un team regionale per raccolta, banca ed analisi dati.

È anche necessario rafforzare le strutture distrettuali e regionali per la raccolta e la banca dati, stimolando gli operatori del territorio addetti a queste funzioni. Il Ministero della Salute ha da tempo definito l'"*Obbligo Informativo*' ascendente, che impegna a trasmettere dati dall'utente del SSN all'operatore, da esso al Distretto ed alla ASL e da essi al Ministero ('Contenuti e modalità di utilizzo degli indicatori di efficienza e qualità nel Servizio sanitario nazionale", pubblicato nella *Gazzetta Ufficiale* del 10 novembre 1995, n. 263). Esiste dunque una normativa che facilita, incorag-

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.14.70.203 Thu, 25 Apr 2024, 19:43:09

La recente pandemia ha messo in luce le opportunità e i limiti delle cure primarie sul territorio e il nuovo impegno del PNRR promuove uno straordinario investimento in risorse e conoscenze per il completo rinnovamento della medicina territoriale.

gia ed obbliga alla costituzione di una straordinaria raccolta dati sulla salute dell'individuo e della comunità.

Occorre infine rafforzare i Centri di riferimento per malattie croniche perché coordinino la ricerca e ne valutino i risultati. Un importante limite attuale è la scarsa integrazione sinergica tra Pediatria di famiglia e Centri di riferimento universitari ed ospedalieri. La ricerca potrebbe dunque essere il collante anche sul piano operativo, del miglioramento e della personalizzazione della assistenza clinica.

Il ruolo dell'Università

In un ambito di formazione e ricerca l'Università ha un ruolo primario e insostituibile. Il suo compito precipuo è la creazione degli specialisti. Uno sforzo particolare deve essere posto a livello della consulta dei Direttori delle Scuole di Specializzazione in Pediatria e dell'Osservatorio Nazionale delle Scuole perché sia definito in maniera più stringente e omogenea sul territorio nazionale il percorso formativo dei bienni specialistici, in questo caso della pediatria delle cure primarie. In questo ambito va valorizzato il ruolo della ricerca concretizzata nello svolgimento di tesi sperimentali sul tenitorio in stretto contatto con i centri di terzo livello.

Il ruolo delle società scientifiche

I dati nazionali ed internazionali dimostrano una progressiva riduzione del numero dei cosiddetti *"physician-scientists"*. In un editoriale pubblicato su *Journal of Pediatrics* nel 2014[7] veniva evidenziato come negli ultimi 30 anni, si sia assistito ad una progressiva riduzione dei medici ricercatori, passando da circa il 5% nel 1980 all'1,5% dei nostri giorni. Più di recente la problematica è stata ripresa anche dal *New England Journal of Medicine* che in un editoriale[8] ha analizzato quali siano i fattori che intervenuti nel ridurre drasticamente il numero di medici impegnati attivamente nella ricerca negli USA. Nel dettaglio, la rivista evidenzia fattori individuali, istituzionali e nazionali. Tra quelli nazionali viene rimarcata la progressiva riduzione dei finanziamenti per la ricerca, ritenuta essere tra i fattori preponderanti. E questa rappresenta certamente una problematica riscontrabile nel nostro paese, anche in misura maggiore. Secondo i dati rilasciati nel 2021 dall'*Organisation for Economic Cooperation and Development* (Oecd), l'Italia è il secondo Paese europeo che investe meno nella ricerca in Europa dopo la Spagna ed ha il minore numero di ricercatori. In questo scenario, le società scientifiche devono necessariamente giocare un ruolo da protagonista ed intraprendere specifiche iniziative per rilanciare la ricerca scientifica pediatrica su scala nazionale. A questo proposito occorre un piano pluriennale di investimenti dei proventi societari sugli specializzandi in formazione e sui giovani ricercatori. Il primo tassello per riportare entusiasmo e stimolare i giovani medici alla ricerca è rappresentato dalla creazione di awards, che consentano di partecipare a congressi nazionali ed internazionali e di presentare e difendere il proprio lavoro di ricerca davanti ad esperti della materia. In aggiunta, lo stanziamento di premi da attribuire alle migliori comunicazioni scientifiche nel corso delle stesse riunioni congressuali, permette di incentivare ulteriormente il giovane collega alla continuità nella propria attività di ricerca. Analogamente, ma in modo più strutturale e sulla stregua delle società pediatriche europee e nord-americane, occorre che le società scientifiche nostrane istituiscano borse di studio per consentire fellowship di ricerca presso centri di terzo livello nazionali o internazionali, che consentano, a chi ne usufruisce, di implementare i propri *skill* di ricerca clinica e di base, e possibilmente di apprendere tecniche di laboratorio innovative che possano essere utilizzate presso i propri centri al termine dell'esperienza formativa. Sulla stessa stregua, le Società scientifiche dovrebbero garantire lo stanziamento di fondi specifici che premino lo sviluppo di ricerche scientifiche originali per giovani ricercatori all'inizio della carriera. Tale iniziativa consentirebbe di fornire fonti di finanziamento alternative agli ultra competitivi bandi nazionali ed internazionali e pertanto darebbe al ricercatore l'opportunità di proseguire la propria attività nell'attesa di riuscire ad ottenere finanziamenti →

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.14.70.203 Thu, 25 Apr 2024, 19:43:09

Le società scientifiche devono necessariamente giocare un ruolo da protagonista ed intraprendere specifiche iniziative per rilanciare la ricerca scientifica pediatrica su scala nazionale.

più consistenti. Infine, attraverso la creazione di specifici Networking Grant, le Società scientifiche dovrebbero premiare lo sviluppo di progetti di studio multicentrici, collaborativi, possibilmente trasversali, coinvolgendo tutte le anime della Pediatria a partire dal territorio per arrivare al centro universitario. L'istituzione di tali grant avrebbe una doppia valenza: da un lato consentirebbe al centro di terzo livello di attingere a vaste popolazioni pediatriche, particolarmente utili per gli studi di screening e preventivi; dall'altro darebbe al pediatra del territorio l'opportunità di condurre in prima persona uno studio di ricerca e allo stesso tempo di aggiornarsi costantemente sugli ultimi sviluppi scientifici sull'argomento. Al fine di portare a compimento in maniera stabile e continuativa un piano di finanziamento alla ricerca pediatrica ciascuna Società scientifica dovrebbe costituire un vero e proprio grant office che si avvalga di diverse professionalità e che possa consentire il regolare stanziamento dei fondi previsti ed assistere continuativamente i giovani ricercatori durante tutto il processo.

Un programma di lavoro che coinvolge università, ospedali e Pediatria del territorio

Al termine del terzo anno del corso di specializzazione, un certo numero di specializzandi sceglierà l'indirizzo delle cure primarie per il loro biennio formativo. Prima dell'inizio del tirocinio pratico la Scuola, con i suoi docenti specialisti, potrà sviluppare progetti per le tesi di specializzazione di questi discenti, da condurre insieme con i pediatri di libera scelta.

Gli specializzandi iniziano a frequentare lo studio del pediatra di famiglia acquisendo autonomia nella raccolta dei dati utilizzando lo strumento dei Bilanci di Salute. Il pediatra in formazione raccoglierà questi, eventualmente integrandoli con informazioni specifiche correlate agli obiettivi del suo progetto di tesi. Riunioni del gruppo di discenti con i rispettivi tutori saranno finalizzate per ciascun progetto ad una analisi ad interim dei dati raccolti. Questa attività non solo non interferisce con l'esperienza diagnostica e terapeutica, ma migliora e facilita l'approccio gestionale alla salute del singolo bambino.

Il consolidamento della procedura, con il reciproco vantaggio dei tutori e dei discenti, potrà fornire un data base di grande interesse, che permetterà (come già accaduto in Emilia Romagna) di analizzare in tempo reale lo stato di salute del bambino e l'insorgenza di patologie croniche con immediato vantaggio sulla gestione del bambino con bisogni speciali.

A regime questo approccio utilizza i sistemi di gestione già in opera e non richiede, almeno nelle prime fasi, risorse aggiuntive, ma potrebbe costituire una solida piattaforma per la partecipazione a progetti regionali, nazionali ed europei.

In conclusione, il progetto centrato sulla ricerca nell'ambito della formazione sul campo dello specializzando in Pediatria dedicato alle cure primarie può essere innovativo, nei metodi e nella presa in carico; sostenibile, perché a basso impatto sul docente, sui tutori e sugli specializzandi essendo le attività inserite nella routine, infine efficace, nel migliorare la qualità delle cure attraverso la ricerca "embedded" nell'attività clinica. ■

Gli autori dichiarano di non avere alcun conflitto di interesse.

Bibliografia

1. **Friedman C, Rubin J, Brown JM, *et al*.** Toward a science of learning health system: a research agenda for the high-functioning learning health system. J A Med Inform Assoc 2015; 22: 43-50.
2. **Platt R, Ramsberg J.** Challenges for sharing data from embedded research. N Engl J Med 2016; 374: 1897.
3. **DesRoches CM.** Meaningful use of health information technology in U.S. Hospitals. N Engl J Med 2010; 362: 1153-5.
4. **Regione Emilia Romagna.** Direzione Generale Cura della persona, salute e welfare. Bilanci di Salute pediatrici 2014-2016, Settembre 2017.
5. **Verspoor K.** The evolution of clinical knowledge during Covid-19: towards a global learning health system. Year Med Inform 2021; 30: 176-84.
6. **Denny JC.** The All of Us research program investigators. N Engl J Med 2019; 381: 668-76.
7. **Cornfield DN, Lane R, Rosenblum ND, *et al*.** Patching the pipeline: creation and retention of the next generation of physician-scientists for child health research. J Pediatr 2014; 165: 882-4.e1.
8. **Jain MK, Cheung VG, Utz PJ, Kobilka BK, Yamada T, Lefkowitz R.** Saving the endangered physician-scientist. A plan for accelerating medical breakthroughs. N Engl J Med 2019; 381: 399-402.