Jedním z klíčových přínosů zapojení pacientů je možnost lépe definovat výzkumné otázky tak, aby odrážely skutečné potřeby pacientské populace. Zatímco výzkumníci se často zaměřují na biologické mechanismy onemocnění nebo regulatorní požadavky, pacienti mohou upozornit na aspekty onemocnění, které mají zásadní dopad na jejich každodenní život (12, 13), funkční schopnosti nebo kvalitu života. Zapojení pacientů tak může přispět k identifikaci dosud nenaplněných potřeb (unmet needs) a pomoci zaměřit výzkum na klinicky relevantní problémy.

2) Design klinických studií

Pacienti mohou rovněž významně přispět k optimalizaci designu klinických studií. Jejich perspektiva může být cenná při výběru klinicky významných endpointů (4, 12), zejména v případě ukazatelů zaměřených na kvalitu života nebo funkční stav pacientů (11). Současně mohou pomoci identifikovat prvky protokolu, které představují nadměrnou zátěž pro účastníky, například časté studijní návštěvy, invazivní vyšetření nebo logisticky náročné postupy.

Zohlednění těchto faktorů může vést k realistickému nastavení studijních procedur a přispět ke zlepšení náboru a retence účastníků (1). Praktické zkušenosti ukazují, že studie, jejichž design reflektuje potřeby a možnosti pacientů, dosahují často vyšší míry náboru i lepší adherence k protokolu.

3) Studijní dokumenty a komunikace s účastníky

Materiály určené účastníkům klinických hodnocení a náborové dokumenty představují klíčové rozhraní mezi výzkumným týmem a pacientem. Jejich kvalita, srozumitelnost a praktická použitelnost mají přímý dopad na úspěšnost náboru, informovanost účastníků i jejich dlouhodobou spolupráci ve studii. Zapojení pacientů do jejich přípravy umožňuje identifikovat nejasné formulace, nadměrnou administrativní zátěž a postupy, které jsou v reálných podmínkách obtížně proveditelné. Pacienti mohou například pomoci upravit jazyk informovaných souhlasů tak, aby byl srozumitelný pro širší populaci, nebo upozornit na informace, které jsou pro potenciální účastníky studie zvláště důležité.

Zapojení pacientů při vývoji nástrojů hodnocení výsledků

Jedním z klíčových aspektů patient-centric přístupu v klinickém vývoji je validace nástrojů pro hodnocení výsledků (Clinical Outcome Assessments, COA), zejména pacientem hlášených výstupů (Patient-Reported Outcomes, PRO). Regulační autority považují rané fáze klinického vývoje (fáze I–II) za optimální období pro ověření jejich „vhodnosti pro daný účel" (fit-for-purpose) (7, 13, 14). Hodnocení srozumitelnosti dotazníku až v registrační studii může představovat významné vědecké i regulatorní riziko, protože případné nedostatky mohou negativně ovlivnit interpretaci klíčových cílových ukazatelů.

V raných fázích vývoje se proto využívají kognitivní rozhovory (3, 14) (cognitive interviews, cognitive debriefing), jejichž cílem je ověřit, že pacienti správně rozumějí instrukcím, jednotlivým položkám i odpovědním škálám a že hodnocené parametry odpovídají jejich zkušenosti s onemocněním. Tento postup umožňuje včas identifikovat nejasné formulace, nevhodně nastavené škály či nepřiměřené období pro vybavení si příznaků (recall period), odhalit rozdíly v interpretaci mezi skupinami pacientů a snížit zátěž respondentů (13). Včasné testování tak významně snižuje regulatorní riziko a posiluje vědeckou robustnost klinického programu.

V pediatrické populaci vyžaduje testování srozumitelnosti vývojově přiměřený přístup. U mladších dětí se používají jednodušší jazykové formulace, obrázkové škály nebo alternativní techniky, například formou hry či kresby. Současně se ověřuje vhodnost hodnoticích škál i nastavení recall period. Pokud to věk a kognitivní schopnosti umožňují, dítě by mělo odpovídat samostatně. Není-li spolehlivý self-report možný, přechází se k hodnocení pečovatelem (Observer-Reported Outcome, ObsRO), které se zaměřuje pouze na objektivně pozorovatelné projevy.

Role pacientského advokáta v klinickém výzkumu

Klíčovou postavou PPI je pacientský advokát, jehož roli je nutné přesně vymezit. V kontextu klinického výzkumu nejde o právního zástupce, ale o školeného experta s přímou žitou zkušeností s konkrétním onemocněním a jeho léčbou anebo znalostí procesů klinického výzkumu. Na rozdíl od běžného účastníka klinické studie, který zůstává zdrojem dat, vystupuje pacientský advokát jako aktivní člen výzkumného týmu, často v roli Patient Research Partner (5, 11).

Pacientský advokát přináší do výzkumu perspektivu pacientské komunity a pomáhá identifikovat aspekty, které jsou pro nemocné skutečně významné. Vedle tradičních klinických ukazatelů se tak do popředí dostávají parametry kvality života, funkční zdatnosti, psychosociálních dopadů léčby a zvládnutelnosti nežádoucích účinků. Tyto faktory mohou zásadně ovlivňovat nejen ochotu pacientů účastnit se klinických studií, ale i jejich důvěru ve smysl výzkumu a praktickou využitelnost výsledků.

Pacientské organizace představují důležitý zdroj zpětné vazby a zkušeností pacientské komunity. Jejich zapojení podporuje komunikaci mezi pacienty a zdravotnickými pracovníky a přispívá k rozvoji péče orientované na potřeby pacientů.

Výzvy a limity zapojení pacientů

Navzdory rostoucí podpoře PPI přetrvávají významné překážky jeho efektivní implementace, včetně dominance vědeckého žargonu, nerovné dynamiky moci a omezené diverzity zapojených pacientů. V některých případech může zapojení pacientů zůstávat spíše formální než skutečně partnerské.

V literatuře je tento fenomén popisován jako riziko tokenismu, kdy jsou pacienti do výzkumu zapojováni primárně za účelem naplnění formálních požadavků grantových schémat či institucionálních standardů, aniž by měli reálný vliv na rozhodovací procesy (7, 14), definování výzkumných priorit nebo interpretaci výsledků. Takový přístup může oslabovat důvěru pacientské komunity a snižovat skutečný přínos participace pro kvalitu výzkumu.

Další významnou výzvu představuje riziko kooptace pacientských zástupců, kdy pacient postupně přebírá perspektivu výzkumného týmu a ztrácí schopnost reprezentovat zkušenosti širší pacientské komunity (1). Další výzvou je opakované zapojování stejného okruhu zkušených pacientských zástupců, což může vést k omezené reprezentativnosti