

Chronic inflammatory immune-mediated diseases and immunosuppressive drugs: What evidence would you like to see generated from real-world data?

Background

Immune-mediated inflammatory diseases (IMIDs) are a broad group of disorders sharing immune system dysregulation and chronic inflammatory status. IMIDs may affect a variety of organs and tissues, examples are psoriasis, rheumatoid arthritis, Crohn's disease, ulcerative colitis, and many others.¹

The pharmacological management of IMIDs has historically relied on immunosuppressive strategies, including corticosteroids, conventional Disease-Modifying Antirheumatic Drugs (DMARDs) such as methotrexate, azathioprine, and hydroxychloroquine, as well as non-steroidal anti-inflammatory drugs (NSAIDs) including ibuprofen and naproxen. Given the growing global burden of IMIDs, therapeutic innovation in this field has expanded substantially over the past decades.² The introduction of biologic therapies such as monoclonal antibodies targeting specific cytokines (e.g. TNF- α inhibitors and anti-interleukin agents) and, more recently, small-molecule drugs including Janus kinase (JAK) inhibitors, has significantly broadened treatment options across IMIDs.

Despite these advances, substantial unmet needs persist. Evidence from the scientific literature highlights important gaps in treatment effectiveness and durability of response, with high rates of both primary and secondary therapeutic failure. In inflammatory bowel disease, loss of response to biologic therapies remains frequent³ while up to three-quarters of patients with rheumatoid arthritis report dissatisfaction despite treatment with biologic DMARDs.⁴ These findings underscore the need for better evidence to inform their optimal use in clinical practice.

In this context, real-world data (RWD) offer a unique opportunity to address a wide spectrum of clinically relevant research questions that cannot be fully answered by randomized controlled trials alone. Observational data can inform comparative effectiveness, long-term safety, treatment sequencing, persistence, and outcomes in patient subgroups typically under-represented in clinical trials. However, it is often unclear which outcomes should be prioritized to generate evidence that is both clinically meaningful and aligned with patient needs.

Importantly, patients and clinicians often disagree on the prioritization of outcomes.⁵ Patients particularly emphasise insufficient control of pain, fatigue and day-to-day functioning, as well as profound psychological burden, while clinicians tend to prioritise objective markers of inflammation and structural damage.

As such, there is a need for a structured, stakeholder-informed approach to identify and prioritize real-world evidence outcomes across IMIDs treated with immunosuppressive therapies. Understanding which outcomes are considered most relevant by clinicians and patients is a necessary first step to ensure that future RWD studies address questions of practical relevance.

Purpose/Aim

This work aims to identify and characterise current clinical areas that should be prioritized using RWD from both patient and clinician perspectives in IMIDs, using a dedicated survey administered to both groups. As a secondary objective, differences in prioritization distributions between clinicians and patients will be analyzed.

2. Methods

Study Design

This study will employ a cross-sectional observational survey design conducted entirely online using Google Forms, capturing priorities and unmet needs among patients with IMIDs and clinicians (gastroenterologists, rheumatologists, dermatologists). This protocol is designed through the CROSS checklist.⁶

Questionnaire Development

The questionnaire structure will employ a conditional branching based on respondent type (31 total questions across 5 sections), with prioritisation scales (0-5 ranking), multiple-choice, Likert-type scoring, and open-ended items for additional endpoints.

The development of the items is based on literature search and expert opinions. Firstly, the questions have been defined. Secondly, they have been validated by experts and patient organizations. To allow comparison between clinicians and patients regarding the unmet needs and the prioritization of real-world evidence, the same questions were provided but with some differences in terms of language:

- Clinician version: Technical language with precise medical terminology;
- Patient version: Simplified, accessible language tailored for non-technical comprehension.

Full questionnaire in Appendix.

Sample Characteristics

The target population for this survey consisted of patients with a diagnosis of an IMID and clinicians involved in the management of IMIDs. For patients, the survey link will be distributed through patient associations, using newsletters and the association's official website; for clinicians, the survey will be disseminated via scientific societies through their newsletters and institutional websites.

Survey Administration

The survey was administered as a web-based questionnaire using the Google Forms platform, which allowed respondents to participate from any device. The survey link was distributed via targeted electronic channels, with reminder messages sent to potential participants from February 2025 onwards to encourage completion.

Study Preparation

Preliminary questions of the survey were then defined through structured discussions within a multidisciplinary expert panel composed of six clinicians (two dermatologists, two gastroenterologists, and two rheumatologists), two researchers with expertise in real-world data and observational study design, and representatives of patient associations with direct experience of IMIDs and long-term immunosuppressive treatment. The involvement of both clinical and patient stakeholders was intended to ensure that the survey captured priorities that are not only scientifically relevant but also meaningful from a patient perspective. The expert panel

contributed to the definition of survey domains, wording of items, and selection of response formats. Consensus on the final set of questions was achieved through iterative review and revision, with modifications implemented when items were considered unclear, redundant, or insufficiently relevant by either clinicians or patient representatives.

The survey underwent testing and technical validation using the Google Forms platform. This phase was conducted to verify the correct functioning of the platform, as well as to assess the clarity of instructions and overall completion time.

Ethical Considerations

This study will be conducted in the context of the VALORE project, and as part of the VALORE project, the ethical committees of the Academic Hospitals Messina (June 2020, prot. 75/20) and Verona (February 2023, 2022-3467CESC) approved it.

All data collected are completely anonymized (no possibility of re-identification of the clinician or patients, no identifiable data stored)

Statistical Analysis Plan

All respondents who completed at least one question will be included in the analysis.

Analyses will be stratified by respondent type (clinician, patients) and, where applicable, clinician responses may be further stratified by specialty (dermatology, gastroenterology, rheumatology) and patients responses by area of the disease (gastroenterological, dermatological, rheumatological, multiple-IMIDs)

a. Missingness

For each survey item, the proportion of missing responses will be calculated as the number of missing responses divided by the total number of respondents within each stakeholder group (clinicians and patients). Missingness will be assessed at the item level and summarized descriptively using absolute counts and percentages. For those items for which the same questions were provided to both clinicians and patients (appendix 2), number of missing responses will be compared qualitatively between clinicians and patients in order to identify potential differences in item comprehensibility across stakeholder groups. Items with a high proportion of missing responses (defined a priori as >20%) will be flagged and interpreted with caution in the discussion of results.

No imputation of missing data is planned. All analyses will be conducted using available responses on an item-by-item basis (complete-case analysis at the item level), consistent with the exploratory and descriptive nature of the survey.

Dummy table 1. Missingness

Section / item	Clinicians: N missing / N total response (%)	Patients: N missing / N total response (%)
Cl_area	XX	
Cl_exp	XX	
Pz_pat	–	Xx
Pz_age	–	Xx

Pz_	-	xx
...		
cl_indagine_eff_comp/ pz_indagine_eff_comp		
cl_indagine_sic_comp/ pz_indagine_eff_comp		
...		

b. Description of the characteristics of clinicians and patients

Characteristics of survey respondents will be described separately for clinicians and patients. Categorical variables will be summarized using absolute frequencies and percentages. Clinician characteristics will include clinical specialty and years of professional experience. Patient characteristics will include disease area, age category, and the knowing of the difference between originator and biosimilar treatments.

Dummy table 2. Characteristics of clinicians and patients

Clinicians (n=)	
Area, N (%)	
Derma	
Rheuma	
Gastro	
Expierise, N (%)	
0-5	
6-14	
15-24	
25+	
Patients (n=)	
Area, N (%)	
Derma	
Rheuma	
Gastro	
Multiple IMID	
Age, N (%)	
<30	
31-45	
46-64	
65+	
Difference originator biosimilar, yes - N (%)	

c. What outcome prioritize in clinicians and patients

Ranking results will be summarized using descriptive methods. For each outcome domain, the position assigned by each respondent will be retained and summarized across respondents within each subgroup.

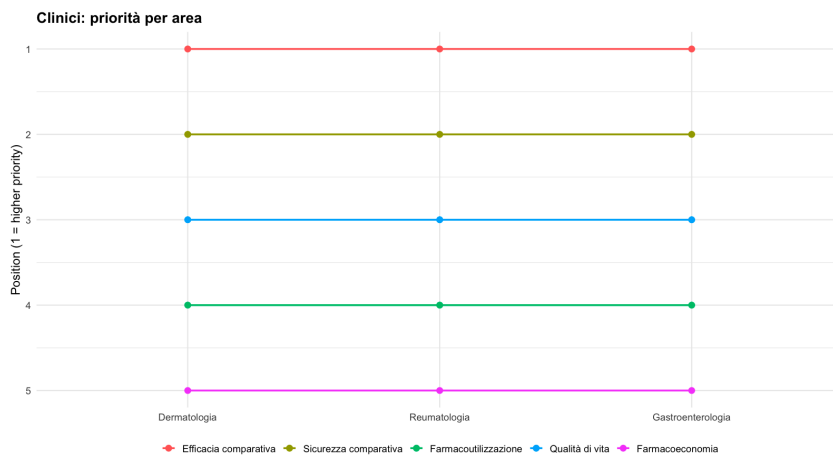
Results will be presented graphically using line-based rank plots, displaying the relative position of each outcome domain across clinical or disease areas. In these plots:

- the y-axis represents the ranking position (with lower values indicating higher priority);
- the x-axis represents clinical or disease area;
- each line corresponds to a specific outcome domain.

For clinicians, rankings will be summarized separately by clinical specialty area (dermatology, rheumatology, gastroenterology) while for patients, rankings will be summarized by disease area (e.g. psoriatic disease, rheumatologic disease, inflammatory bowel disease, other).

Variables: cl_indagine* and pz_indagine*

Dummy figure 1. Prioritization of outcome (ranking)



d. Prioritization of specific effectiveness, safety outcomes and drug and special population of interest

For outcome domains assessed through independent prioritization scores (effectiveness outcomes, safety outcomes, drugs/classes of interest, and special populations), responses will be analysed using descriptive statistics stratified by stakeholder group (clinicians and patients). For each item, priority scores will be summarized using medians and interquartile ranges. Results will be graphically displayed using dumbbell plots, with points representing median scores and horizontal bars representing interquartile ranges for clinicians and patients.

These plots are intended to facilitate direct visual comparison of prioritization patterns between stakeholder groups. For each question (effectiveness, outcomes, safety outcomes, drug/classes of interest, special population)

Commentato [AS1]: Campo testuale forse possiamo pensare di fare un'altra cosa da mettere in supplementary in cui categorizziamo

Variables:

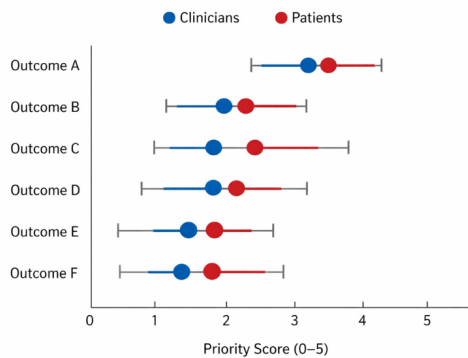
effectiveness outcomes : cl_eff* and pz_eff*

safety outcomes: cl_sic* and pz_sic*

drugs/classes of interest: cl_farm* and pz_farm*

special populations: cl_sotto* and pz_sotto*

Dummy figure 2. Prioritization of specific outcomes



References

1. ElAbd H, Mahdy AKH. Decoding the etiology of immune-mediated inflammatory diseases statistically. *Front Immunol.* 2025;16. doi:10.3389/fimmu.2025.1610662
2. McInnes IB, Gravallesse EM. Immune-mediated inflammatory disease therapeutics: past, present and future. *Nat Rev Immunol.* 2021;21(10):680-686. doi:10.1038/s41577-021-00603-1
3. Gordon JP, McEwan PC, Maguire A, Sugrue DM, Puelles J. Characterizing unmet medical need and the potential role of new biologic treatment options in patients with ulcerative colitis and Crohn’s disease: a systematic review and clinician surveys. *Eur J Gastroenterol Hepatol.* 2015;27(7):804-812. doi:10.1097/MEG.0000000000000378
4. Radawski C, Genovese MC, Hauber B, et al. Patient Perceptions of Unmet Medical Need in Rheumatoid Arthritis: A Cross-Sectional Survey in the USA. *Rheumatol Ther.* 2019;6(3):461-471. doi:10.1007/s40744-019-00168-5
5. Sacristán JA, Dilla T, Díaz-Cerezo S, Gabás-Rivera C, Aceituno S, Lizán L. Patient-physician discrepancy in the perception of immune-mediated inflammatory diseases: rheumatoid arthritis, psoriatic arthritis and psoriasis. A qualitative systematic review of the literature. *PLoS One.* 2020;15(6):e0234705. doi:10.1371/journal.pone.0234705
6. Sharma A, Minh Duc NT, Luu Lam Thang T, et al. A Consensus-Based Checklist for Reporting of Survey Studies (CROSS). *J Gen Intern Med.* 2021;36(10):3179-3187. doi:10.1007/s11606-021-06737-1

Appendix I : Struttura survey

Sezione 1. Tipologia di responder

SEZIONE I: TIPOLOGIA DI RESPONDER e INFORMAZIONI GENERALI	
Domanda	Risposte possibili
<i>Selezionare tipologia di responder</i>	<input type="checkbox"/> Clinico <input type="checkbox"/> Paziente <input type="checkbox"/> Ente regolatore <input type="checkbox"/> Ricercatore
SEZIONE Ia: INFORMAZIONI CLINICO	
<i>Selezionare la sua area terapeutica di riferimento:</i>	<input type="checkbox"/> Gastroenterologia <input type="checkbox"/> Reumatologia <input type="checkbox"/> Dermatologia
Anni di professione	<input type="checkbox"/> 0-5 <input type="checkbox"/> 6-14 <input type="checkbox"/> 15-24 <input type="checkbox"/> 25+
SEZIONE Ib: INFORMAZIONI PAZIENTE	
<i>Selezionare da quale delle seguenti patologie elencate qui sotto lei è affetto/a? (Possibile selezionare più di una risposta)</i>	<input type="checkbox"/> Colite Ulcerosa <input type="checkbox"/> Morbo di Crohn <input type="checkbox"/> Artrite reumatoide <input type="checkbox"/> Artrite psoriasica <input type="checkbox"/> Spondilite anchilosante <input type="checkbox"/> Artrite idiopatica giovanile <input type="checkbox"/> Psoriasi <input type="checkbox"/> Idrosadenite suppurativa <input type="checkbox"/> Dermatite atopica <input type="checkbox"/> Altro [Specificare scrivendo tra le parentesi] <input type="checkbox"/> Preferisco non rispondere
<i>Selezionare età</i>	<input type="checkbox"/> <30 <input type="checkbox"/> 30-45 <input type="checkbox"/> 46-64 <input type="checkbox"/> 65+
<i>Lei conosce la differenza tra farmaco biologico biosimilare e originator?</i>	<input type="checkbox"/> Sì <input type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Preferisco non rispondere

Sezione II. Esiti terapie immunosoppressive

SEZIONE IIb: ESITI CLINICO																	
Domande	Risposte																
<i>Quale indagine secondo lei dovrebbe essere condotta con maggiore priorità utilizzando i dati generati dalla pratica clinica quotidiana in merito alle terapie immunosoppressive?</i>	<p>Ordinare in base alla priorità da 1 (minor priorità) a 5 (massima priorità)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Efficacia comparativa delle terapie immunosoppressive • Sicurezza comparativa delle terapie immunosoppressive • Farmacoutilizzazione delle terapie immunosoppressive • Valutare qualità della vita • Farmacoeconomia delle terapie immunosoppressive 																
<i>Relativamente all'efficacia delle terapie farmacologiche immunosoppressive, quali endpoint clinici vorrebbe che fossero esplorati utilizzando i dati generati dalla pratica clinica quotidiana?</i>	<p>Assegnare un punteggio ad ogni risposta da 0 (nessuna importanza) a 5 (prioritario)</p> <table style="width: 100%; border-collapse: collapse;"> <thead> <tr> <th style="width: 80%;"></th> <th style="text-align: center;">Punteggio</th> </tr> <tr> <td></td> <td style="text-align: center;">0 5</td> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>• Variazione dello score di patologia a lungo termine</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>• Riduzione delle visite ambulatoriali/ospedalizzazione</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>• Durata (persistenza) del trattamento farmacologico al lungo termine come proxy di efficacia</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>• Fattori predittivi di efficacia (età, sesso, utilizzo farmaci concomitanti...)</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>• Efficacia comparativa biologici vs biosimilari e tra singoli biosimilari</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>• Efficacia farmacologica sulla base della linea di trattamento</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></td> </tr> </tbody> </table>		Punteggio		0 5	• Variazione dello score di patologia a lungo termine	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>	• Riduzione delle visite ambulatoriali/ospedalizzazione	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>	• Durata (persistenza) del trattamento farmacologico al lungo termine come proxy di efficacia	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>	• Fattori predittivi di efficacia (età, sesso, utilizzo farmaci concomitanti...)	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>	• Efficacia comparativa biologici vs biosimilari e tra singoli biosimilari	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>	• Efficacia farmacologica sulla base della linea di trattamento	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>
	Punteggio																
	0 5																
• Variazione dello score di patologia a lungo termine	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>																
• Riduzione delle visite ambulatoriali/ospedalizzazione	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>																
• Durata (persistenza) del trattamento farmacologico al lungo termine come proxy di efficacia	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>																
• Fattori predittivi di efficacia (età, sesso, utilizzo farmaci concomitanti...)	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>																
• Efficacia comparativa biologici vs biosimilari e tra singoli biosimilari	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>																
• Efficacia farmacologica sulla base della linea di trattamento	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>																
<i>Relativamente alla sicurezza delle terapie farmacologiche immunosoppressive, quali endpoint clinici vorrebbe che fossero esplorati utilizzando i dati generati dalla pratica clinica quotidiana?"</i>	<p>Assegnare un punteggio ad ogni risposta da 0 (nessuna importanza) a 5 (prioritario)</p> <table style="width: 100%; border-collapse: collapse;"> <thead> <tr> <th style="width: 80%;"></th> <th style="text-align: center;">Punteggio</th> </tr> <tr> <td></td> <td style="text-align: center;">0 5</td> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>• Sicurezza a lungo termine</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>• Rischio di infezioni</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>• Rischio di reazioni cardiovascolari</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>• Rischio di tumori</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>• Fattori predittivi</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>• Sicurezza comparativa biologico vs biosimilare e tra singoli biosimilari</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></td> </tr> </tbody> </table>		Punteggio		0 5	• Sicurezza a lungo termine	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>	• Rischio di infezioni	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>	• Rischio di reazioni cardiovascolari	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>	• Rischio di tumori	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>	• Fattori predittivi	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>	• Sicurezza comparativa biologico vs biosimilare e tra singoli biosimilari	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>
	Punteggio																
	0 5																
• Sicurezza a lungo termine	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>																
• Rischio di infezioni	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>																
• Rischio di reazioni cardiovascolari	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>																
• Rischio di tumori	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>																
• Fattori predittivi	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>																
• Sicurezza comparativa biologico vs biosimilare e tra singoli biosimilari	<input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>																

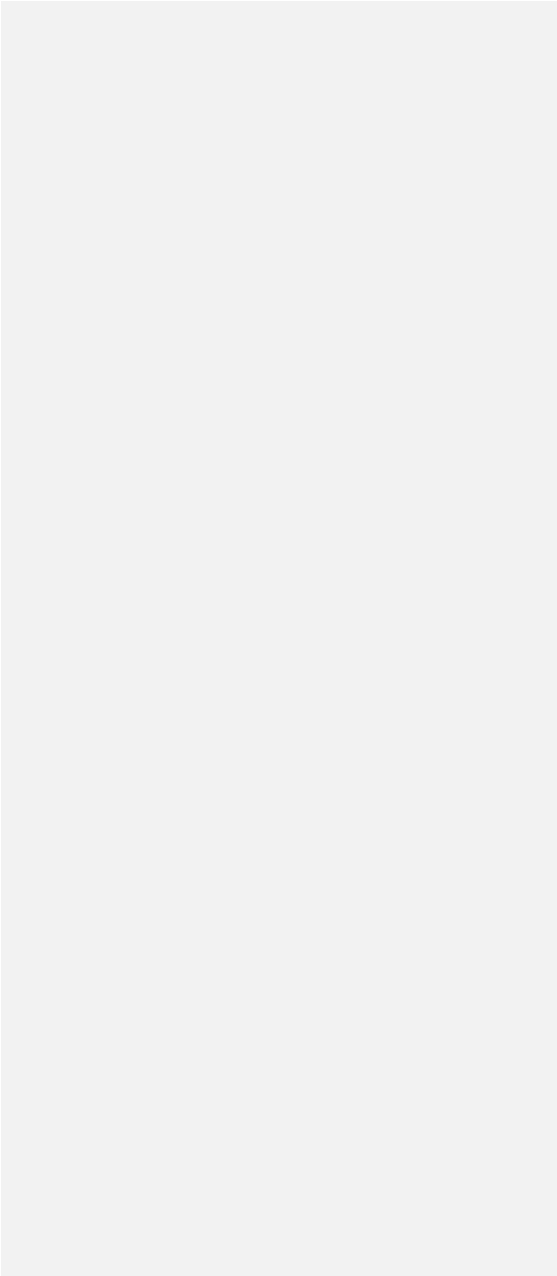
	<ul style="list-style-type: none"> • Sicurezza terapia farmacologica sulla base della linea di trattamento <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> 	
<i>Ci sono altri endpoint clinici di sicurezza e efficacia relativamente alle terapie farmacologiche immunosoppressive che secondo lei è necessario valutare?</i>	Risposta campo di testo libero	
<i>“Per quali farmaci vorrebbe che il profilo di efficacia/sicurezza nella malattie immuno-mediate infiammatorie croniche sia investigato utilizzando i dati generati dalla pratica clinica quotidiana?”</i>	Assegnare un punteggio ad ogni risposta da 0 (nessuna importanza) a 5 (prioritario) <ul style="list-style-type: none"> • TNF-alpha <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> • Anti-IL <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> • Farmaci biosimilari <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> • JAK-inibitori (tofacitinib, upadacitinib...) • Corticosteroidi (prednisone, desametasone...) • Farmaci anti-infiammatori non steroidei (naprossene, ibuprofene...) • Farmaci immunosoppressori convenzionali (metotrexato, sulfasalazina, mesalazina...) 	Punteggio 0 5
<i>Ci sono altri farmaci per i quali vorrebbe che il profilo di efficacia/sicurezza nella malattie immuno-mediate infiammatorie croniche sia investigato utilizzando i dati generati dalla pratica clinica quotidiana?”</i>	Risposta campo di testo libero	
<i>“Per quali sottocategorie di pazienti ritiene più importante valutare la sicurezza/efficacia dei farmaci immunosoppressori?”</i>	Assegnare un punteggio ad ogni risposta da 0 (nessuna importanza) a 5 (prioritario) <ul style="list-style-type: none"> • Donne in gravidanza e allattamento <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> • Bambini <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> • Pazienti anziani <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> • Pazienti trapiantati <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> • Pazienti affetti da malattie rare <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> • Analisi genere specifiche (differenza tra uomini e donne) <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> 	Punteggio 0 5

<p>“Ci sono altre sottocategorie di pazienti per le quali lei ritiene più importante valutare la sicurezza/efficacia dei farmaci immunosoppressori?”</p>	<p>Risposta campo di testo libero</p>
--	---------------------------------------

SEZIONE IIb: ESITI PAZIENTE		
Domande	Risposte	
<p>Quali aspetti lei ritiene che debbano essere prioritizzati nelle ricerche future relativamente al trattamento delle malattie infiammatorie immuno-mediate?</p>	<p>Ordinare in base alla priorità da 1 (minor priorità) a 5 (massima priorità)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Valutare efficacia delle terapie immunosoppressive nel trattamento dei sintomi e della patologia da cui lei è affetto • Valutare eventi avversi delle terapie farmacologiche che lei sta assumendo • Valutare come le terapie vengono utilizzate a livello della popolazione (ad esempio in popolazioni speciali come donne in gravidanza) • Valutare qualità della vita • Valutare impatto economico sul sistema sanitario nazionale e regionale 	
<p>Quali risultati clinici lei ritiene più importanti per valutare l'efficacia del trattamento della sua malattia?</p>	<p>Assegnare un punteggio ad ogni risposta da 0 (nessuna importanza) a 5 (prioritario)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Efficacia della terapia a lungo termine • Riduzione delle visite ambulatoriali/ospedalizzazione • Interruzione del trattamento farmacologico per periodi più o meno estesi • Riduzione dei sintomi • Prevenzione delle complicazioni 	<p>Punteggio 0 5</p> <p><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></p> <p><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></p> <p><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></p> <p><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></p> <p><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></p>
<p>Quali aspetti della sicurezza dei farmaci che lei assume per la sua malattia sono per lei più preoccupanti?</p>	<p>Assegnare un punteggio ad ogni risposta da 0 (nessuna importanza) a 5 (prioritario)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Effetti collaterali a lungo termine • Sopraggiunta di infezioni in seguito a utilizzo della terapia farmacologica 	<p>Punteggio 0 5</p> <p><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></p> <p><input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/></p>

	<ul style="list-style-type: none"> • Sopraggiunta di eventi cardiovascolari (ad esempio infarti, ictus) in seguito a utilizzo della terapia farmacologica <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> • Valutare sopraggiunta di tumori in seguito a utilizzo della terapia farmacologica <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> • Sicurezza dei farmaci biosimilari <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> 	
<i>Ci sono altri aspetti relativi alla sicurezza ed efficacia delle terapie farmacologiche immunosoppressive che secondo lei è necessario valutare?</i>	Risposta campo di testo libero	
<i>Tra i farmaci che lei utilizza per la gestione della sua malattia, su quali ritiene che sia più importante raccogliere ulteriori dati riguardo alla loro efficacia e sicurezza?</i>	Assegnare un punteggio ad ogni risposta da 0 (nessuna importanza) a 5 (prioritario) <ul style="list-style-type: none"> • Farmaci biologici (adalimumab, etanercept, infliximab, secukinumab...) • Farmaci biosimilari • JAK-inibitori (tofacitinib, upadacitinib...) • Corticosteroidi (prednisone, desametasone...) • Farmaci anti-infiammatori non steroidei (naprossene, ibuprofene...) • Farmaci immunosoppressori convenzionali (metotrexato, sulfasalazina, mesalazina...) 	Punteggio 0 5 <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>
<i>Ci sono altri farmaci che lei utilizza per la gestione della sua malattia per i quali ritiene che sia necessario raccogliere ulteriori dati riguardo alla loro efficacia e sicurezza?</i>	Risposta campo di testo libero	
<i>Lei ritiene che ci siano particolari gruppi di pazienti con malattie infiammatorie immuno-mediate croniche, come giovani adulti, donne in gravidanza, o anziani, per i quali è cruciale approfondire l'efficacia e la sicurezza delle terapie attualmente in uso?</i>	Assegnare un punteggio ad ogni risposta da 0 (nessuna importanza) a 5 (prioritario) <ul style="list-style-type: none"> • Donne in gravidanza e allattamento • Bambini • Pazienti anziani • Pazienti trapiantati 	Punteggio 0 5 <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> <input type="checkbox"/>

	<ul style="list-style-type: none"> • Pazienti affetti da malattie rare □ □ □ □ □ □ • Donne (che spesso sono incluse in minor numero nelle sperimentazioni cliniche) □ □ □ □ □ □
<p><i>Lei ritiene che ci siano altri particolari gruppi di pazienti con malattie infiammatorie immuno-mediate croniche per i quali è cruciale approfondire l'efficacia e la sicurezza delle terapie attualmente in uso?</i></p>	<p>Risposta campo di testo libero</p>
<p><i>Quali aspetti della vita quotidiana sono stati maggiormente influenzati dal trattamento della sua malattia?</i></p>	<p>Scelta multipla (più di una risposta possibile)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Capacità di lavorare o studiare • Qualità del sonno • Alimentazione e dieta • Energia e fatica • Salute mentale (ad esempio ansia, depressione) • Relazioni personali • Attività sociali • Altro: Risposta libera
<p><i>Lei ha mai interrotto il trattamento della sua malattia a causa di effetti collaterali o altre preoccupazioni? Se sì, quali motivazioni la hanno spinta a farlo? ”</i></p>	<p>Scelta multipla (più di una risposta possibile)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Effetti collaterali gravi • Mancanza di efficacia del trattamento • Paura di effetti collaterali a lungo termine • Difficoltà economiche o problemi di accesso al farmaco • Difficoltà a seguire il regime terapeutico • Consigli di un altro medico o operatore sanitario • Preferenza per terapie alternative • Non ho mai interrotto il trattamento • Altro: risposta libera



Appendix II: Correspondence variables between clinicians and patients

Variabili clinici	Variabili pazienti	Corrispondenza
cl_indagine_eff_comp	pz_indagine_eff	ok
cl_indagine_sic_comp	pz_indagine_sic	ok
cl_indagine_fu	pz_indagine_fu	ok
cl_indagine_qv	pz_indagine_qv	ok
cl_indagine_fe	pz_indagine_fe	ok
cl_eff_long_term	pz_eff_long_term	ok
cl_eff_visite	pz_eff_visite	ok
cl_eff_persistence	pz_eff_persistence	ok
cl_eff_fattori_predittivi	pz_eff_sintomi	Other variable
cl_eff_orig_biosimi	pz_eff_prev_complicazioni	Other variable
cl_eff_linea_tratt		Other variable
cl_sic_long_term	pz_sic_long_term	ok
cl_sic_infez	pz_sic_infez	ok
cl_sic_cv	pz_sic_cv	ok
cl_sic_tumori	pz_sic_tumori	ok
cl_sic_fattori_predittivi		Other variable
cl_sic_orig_biosimi	pz_sic_biosimi	ok
cl_sic_linea_tratt		Other variable
cl_altri_endpoint	pz_sic_altri	ok
cl_farm_TNF	pz_farm_biologici	Subcategory
cl_farm_IL		Subcategory
cl_farm_biosimi	pz_farm_biosimilari	ok
cl_farm_JAK	pz_farm_JAK	ok
cl_farm_corticosteroidi	pz_farm_corticosteroidi	ok
cl_farm_FANS	pz_farm_FANS	Ok
cl_farm_cDMARDs	pz_farm_cDMARDs	Ok
cl_farm_altri	pz_farm_altri	Ok
cl_sotto_pregnancy	pz_sotto_pregnancy	ok
cl_sotto_child	pz_sotto_child	Ok
cl_sotto_elderly	pz_sotto_elderly	Ok
cl_sotto_trapiantati	pz_sotto_trapiantati	Ok
cl_sotto_rare	pz_sotto_rare	Ok
cl_sotto_gender	pz_sotto_women	Ok
cl_sotto_altro	pz_sotto_altri	ok
	pz_aspetti_vita	Other variable
	pz_discontinuation	Other variable