

Development of a shared decision-making tool for gene therapy in hemophilia A in Italy

Giovanni Di Minno,¹ Sarah Bigi,² Serena Barello,^{3,4} Enrico Ferri Grazzi,⁵
Marco Follino,⁶ Maria Francesca Mansueto,⁷ Mariasanta Napolitano,⁸
Rita Carlotta Santoro,⁹ Giancarlo Castaman¹⁰

1Regional Reference Centre for Hemo-Coagulation Diseases, Federico II University, Naples; 2Department of Linguistic Sciences and Foreign Literatures, Università Cattolica del Sacro Cuore, Milan; 3WHYpsy Lab, Department of Brain and Behavioral Sciences, University of Pavia; 4Applied Psychology Lab, IRCCS Fondazione Mondino, Pavia; 5Federazione delle Associazioni Emofilici (FedEmo), Rome; 6Fondazione Paracelso Onlus, Milan; 7Azienda Ospedaliera Universitaria Policlinico Paolo Giaccone, Palermo; 8Department of Health Promotion, Mother and Child Care, Internal Medicine and Medical Specialties (PROMISE), University of Palermo; 9Hemostasis and Thrombosis Unit, Hemato-Oncology Department, Azienda Ospedaliero-Universitaria Renato Dulbecco, Catanzaro; 10Center for Bleeding Disorders, Department of Oncology, Careggi University Hospital, Florence, Italy

Corresponding author: Serena Barello, WHYpsy Lab – Department of Brain and Behavioral Sciences, University of Pavia, Piazza Botta 11, 27100, Pavia, Italy; Applied Psychology Lab, IRCCS Fondazione Mondino, Via Mondino, 2, 27100 Pavia, Italy. E-mail: serena.barello@unipv.it

Bleeding, Thrombosis and Vascular Biology 2026; 5:426

doi:10.4081/btvb.2026.426

Supplementary Figure S1. Control Preference Scale regarding the decision to start gene therapy for Hemophilia A in A) English, and B) Italian.

*Adapted from Solari and colleagues.²⁸


Below are 5 images that depict the possible situations regarding the decision on the therapy to be started. Please carefully consider each situation and indicate the one that best describes your choice.

A




I prefer that the final decision on which treatment I will receive be up to me

B




I prefer to make a final decision on the treatment after seriously considering my doctor's opinion

C




I prefer to share with my doctor the final decision on which treatment is best for me

D



I prefer that my doctor chooses the treatment for me, but takes my opinion into consideration as well

E



I prefer to leave all decisions regarding my treatment to my doctor

A

Di seguito sono rappresentate 5 immagini che raffigurano possibili situazioni riguardanti la decisione sulla terapia da iniziare. Consideri attentamente ogni situazione e indichi quella che meglio descrive la Sua scelta.

A



Preferisco che la scelta finale su quale trattamento riceverò spetti a me

B



Preferisco fare una scelta finale sul trattamento dopo aver considerato seriamente l'opinione del mio medico

C



Preferisco condividere con il mio medico la scelta finale su quale sia il trattamento migliore per me

D



Preferisco che il mio medico scelga il trattamento per me, ma che tenga in considerazione anche la mia opinione

E



Preferisco lasciare tutte le decisioni riguardanti il mio trattamento al mio medico

Solari A, et al. Role Preferences of People with Multiple Sclerosis: Image-Revised, Computerized Self-Administered Version of the Control Preference Scale. PLoS One. 2013;8(6):e66127.

B

Supplementary Figure S2. Assessment Questionnaire for Evaluating Priorities in Therapy Choice to treat Hemophilia A in A) English, and B) Italian.

Regarding the treatment for HEMOPHILIA A, what aspects do you consider most important?
Please indicate the order of priority for the following statements (from most relevant to least relevant in your opinion):

- Being able to perform daily activities without discomfort or pain
- Being able to perform daily activities without worrying about bleeding
- Reducing the impact on relationships with friends, family, or caregivers
- Make the treatment simpler by choosing one that doesn't need to be taken as often
- Be able to benefit from the medication's effects for as long as possible
- Increase my level of physical activity
- Be able to handle minor injuries without needing further interventions
- Reduce joint impairment
- Improve the quality of my emotional relationships and my intimacy
- Be able to make family planning arrangements
-

Custom-developed scale.

A

Pensando alla terapia per l'EMOFILIA A, quali sono gli aspetti che ritiene maggiormente rilevanti?
Indichi l'ordine di priorità delle seguenti affermazioni (dalla più rilevante alla meno rilevante per Lei):

- poter occuparmi delle attività quotidiane senza provare disagio o dolore
- essere in grado di svolgere le attività quotidiane senza preoccuparmi dei sanguinamenti
- ridurre l'impatto sulle relazioni con amici, familiari o *caregiver*
- semplificare il trattamento con uno che possa essere assunto meno frequentemente
- poter beneficiare degli effetti del farmaco per un periodo più lungo possibile
- poter aumentare il mio livello di attività fisica
- essere in grado di sostenere traumi minori senza ulteriori interventi
- ridurre la compromissione articolare
- migliorare la qualità delle mie relazioni affettive e della mia intimità
- poter fare progetti di pianificazione familiare
-

Scala sviluppata ad hoc.

B

Supplementary Figure S3. Assessment Questionnaire for Evaluating Willingness to Change Therapy for Haemophilia A in A) English, and B) Italian.

When considering **the possibility of changing the therapy for the treatment of HEMOPHILIA A**, please indicate your opinion on each of the following questions on a scale from 0 to 10 (0 = not at all; 10 = very much).

How important is it for you to change therapy?

0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10

How confident do you feel in managing a change in therapy?

0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10

How willing are you to accept the possibility that you may need to return to your current therapy in the future?

0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10

Custom-developed scale.

A

Pensando alla **possibilità di cambiare la terapia per il trattamento dell'EMOFILIA A**, per ciascuna domanda riportata di seguito indichi la Sua opinione su una scala da 0 a 10 (0 = per nulla; 10 = moltissimo).

Quanto è importante per Lei cambiare la terapia?

0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10

Quanto si sente in grado di gestire il cambiamento di terapia?

0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10

Quanto è disposto ad accettare la possibilità che nel futuro sia necessario tornare ad assumere la sua terapia attuale?

0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10

Scala sviluppata ad hoc.

B

Supplementary Figure S4. Adapted version of the Assessment Questionnaire of the Motivation to Manage Disease/Therapy for Hemophilia A in A) English, and B) Italian.

*Adapted from Arnett and Worley.²⁹

Considering your **condition** and **treatment path**, please rate your opinion on each of the following statements on a scale from 0 to 10 (0 = not at all; 10 = very much).

- I am aware of the nature of my condition, its causes, symptoms, progression, and the consequences if left untreated 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- I am knowledgeable about my personal care plan, the treatment options available, and I understand how each treatment works and the potential side effects I might experience 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- Regardless of whether I feel down, tired, or anxious, I am still able to cope with difficulties and I do not let my condition stop me from doing the things I want to do 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- I am aware of my role in my personal care, I feel capable of participating in treatment decisions, and I know when to seek medical advice 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- I am not worried about discussing any questions I might have about my condition or treatment with my doctor/nurse 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- I am confident that I can take any prescribed tablets and/or administer any injections required 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- I can self-manage my condition, relieve symptoms, and overcome some of the difficulties that may arise between hospital visits 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- I'm happy to be able to find a way to solve any new problems related to my condition to prevent them from interfering with my daily activities 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- I am confident that I can continue with any changes I make to my lifestyle, such as diet, work, exercise, alcohol consumption, or smoking, even if it becomes challenging 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- I am confident that I can find reliable and useful sources of information to educate myself about my condition, treatment, and health choices 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10

A

Pensando alla Sua **condizione** e al **percorso terapeutico**, per ciascuna delle affermazioni riportate di seguito indichi la Sua opinione su una scala da 0 a 10 (0 = per nulla; 10 = moltissimo).

- Sono consapevole della natura della mia condizione, delle cause, dei sintomi, del loro decorso e delle conseguenze se non trattate 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- Ho conoscenza del mio piano di assistenza personale, delle opzioni di trattamento disponibili per me, comprendo come funziona ciascun trattamento che sto seguendo e i possibili effetti collaterali che potrei avere 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- Indipendentemente dal fatto che mi senta giù, stanco o ansioso, sono comunque in grado di far fronte alle difficoltà e non permetto alla mia malattia di fermarmi dal compiere le cose che desidero fare 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- Sono consapevole del mio ruolo nella mia cura personale, mi sento in grado di partecipare alle decisioni sul trattamento e so quando cercare consiglio medico 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- Non sarei preoccupato nel discutere con il mio medico/infermiere eventuali domande che posso avere sulla mia condizione o sul trattamento 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- Sono sicuro di poter prendere qualsiasi compressa e/o somministrare qualsiasi iniezione prescritta per me 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- Posso autogestire la mia condizione, alleviare i sintomi e superare alcune delle difficoltà che potrebbero svilupparsi in associazione alla mia malattia tra una visita in ospedale e l'altra 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- Sono felice di poter trovare un modo per risolvere qualsiasi nuovo problema legato alla mia condizione per evitare che interferisca con le mie attività quotidiane 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- Sono sicuro di poter continuare con qualsiasi cambiamento che apporto al mio stile di vita, come dieta, lavoro, esercizio fisico, consumo di alcolici o fumo, anche se diventa difficile 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10
- Sono sicuro di poter trovare fonti d'informazione affidabili e utili per istruirmi sulla mia condizione, sul trattamento e sulle scelte di salute 0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10

B

Arnett OW, et al. The Treatment Motivation Survey: Defining patient motivation for treatment. Am J Orthod Dentofacial Orthop. 1999;115(3):233-8.

Supplementary Figure S5. Assessment Questionnaire for Evaluating Expectations Towards Gene Therapy for Hemophilia A in A) English, and B) Italian.

*Adapted from Shedden-Mora and colleagues.³⁰

Reflecting on your expectations regarding the treatment, please **indicate your level of agreement with each of the following statements, evaluating them as realistically as possible.**

I expect the treatment to help me **manage my symptoms**

Totally disagree Partially disagree Partially agree Agree Totally agree

I expect the treatment to **eliminate my symptoms**

Totally disagree Partially disagree Partially agree Agree Totally agree

I expect the treatment to **improve my energy levels**

Totally disagree Partially disagree Partially agree Agree Totally agree

I expect the treatment to **improve my physical performance**

Totally disagree Partially disagree Partially agree Agree Totally agree

I expect that after the treatment, **my symptoms will improve significantly**

Totally disagree Partially disagree Partially agree Agree Totally agree

A

Riflettendo sulle Sue aspettative riguardo al trattamento, **indichi il grado di accordo per ciascuna delle seguenti affermazioni, valutandole nel modo più realistico possibile.**

Mi aspetto che il trattamento mi aiuti a **gestire i miei sintomi**

Totalmente in disaccordo Parzialmente in disaccordo Parzialmente in accordo In accordo Totalmente in accordo

Mi aspetto che il trattamento **faccia sparire i miei disturbi**

Totalmente in disaccordo Parzialmente in disaccordo Parzialmente in accordo In accordo Totalmente in accordo

Mi aspetto che il trattamento **migliorerà il mio livello di energia**

Totalmente in disaccordo Parzialmente in disaccordo Parzialmente in accordo In accordo Totalmente in accordo

Mi aspetto che il trattamento **migliorerà le mie prestazioni fisiche**

Totalmente in disaccordo Parzialmente in disaccordo Parzialmente in accordo In accordo Totalmente in accordo

Mi aspetto che dopo il trattamento **i miei disturbi miglioreranno notevolmente**

Totalmente in disaccordo Parzialmente in disaccordo Parzialmente in accordo In accordo Totalmente in accordo

B

Shedden-Mora MC, et al. The Treatment Expectation Questionnaire (TEX-Q): Validation of a generic multidimensional scale measuring patients' treatment expectations. PLoS One. 2023;18(1):e0280472.