

SERVIZIO SANITARIO REGIONALE
EMILIA-ROMAGNA
Azienda Ospedaliero - Universitaria di Parma
U.O. RICERCA E INNOVAZIONE

STUDI CLINICI

le informazioni utili per i pazienti



Indice

Prefazione

◆ Che cosa sono gli studi clinici?

Come nasce uno studio clinico?

Perché le sperimentazioni cliniche sono importanti?

Come si svolge uno studio?

◆ Come fare a partecipare ad uno studio clinico?

Quali sono le fasi di uno studio clinico?

◆ Quali sono i rischi e i vantaggi?

◆ Com'è garantito uno studio clinico?

Come viene tutelata la sicurezza del paziente?

Il colloquio con il medico?

Chi segue il paziente durante lo studio clinico?

◆ Perché una donna dovrebbe partecipare?

◆ Quali domande può essere utile rivolgere al medico?

◆ Glossario

◆ Siti web utili



Prefazione

L'opuscolo, realizzato dalla struttura Ricerca e Innovazione dell'Azienda Ospedaliero-Universitaria di Parma, vuole fornire ai pazienti e ai loro familiari, le informazioni necessarie per la comprensione degli studi clinici: che cosa sono, perché partecipare, quali sono le domande da porre al medico e i possibili rischi e benefici.

L'idea nasce dalla convinzione che le persone abbiano una scarsa conoscenza degli studi clinici, degli obiettivi che perseguono e delle modalità di accesso, e questo troppo spesso contribuisce a scoraggiare i pazienti alla partecipazione. E' perciò necessario rafforzare la **consapevolezza in tema di attività di ricerca** per poter abbassare le barriere ideologiche e abbattere falsi pregiudizi e diffidenze.

Gli studi clinici si pongono come obiettivo di contrastare la malattia e migliorare la qualità della vita, avvalendosi di soluzioni innovative e sempre più efficaci nel tempo. Partecipare ad uno studio clinico è un'opportunità importante per accedere a nuove terapie, ricevere trattamenti migliori e ottenere maggiore controllo medico.

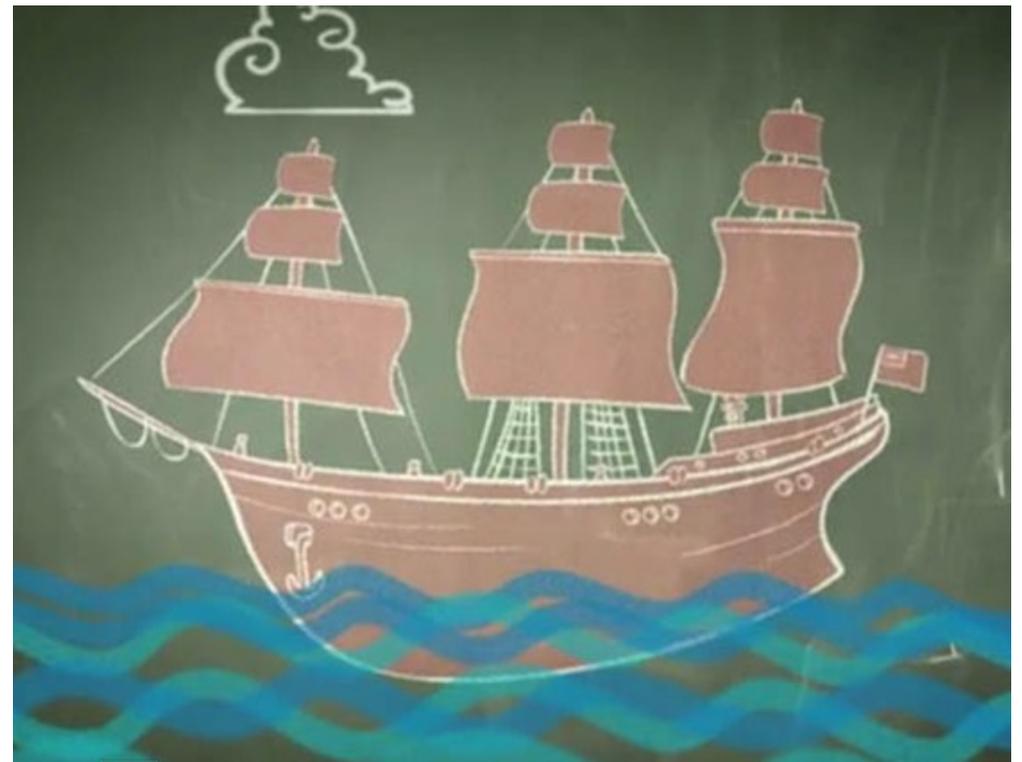
La scelta di aderire ad uno studio resta comunque una decisione personale, da assumere in maniera consapevole ed informata, dopo il confronto con il proprio medico di riferimento. Questo opuscolo vuole essere un punto di partenza per stimolare l'interesse dei pazienti nel dialogo con il proprio medico, consapevoli che oggi gli studi clinici sono alla base delle cure che potremmo avere domani.

Che cosa sono gli studi clinici?

Gli studi clinici o sperimentazioni cliniche (*clinical trials*) sono ricerche che coinvolgono le persone malate. Rappresentano la tappa fondamentale di un lungo percorso che in molti casi porta all'individuazione di un nuovo farmaco o test diagnostico efficace, che potrà essere registrato e quindi potrà diventare una nuova cura o la diagnosi di una malattia specifica.

Come nasce uno studio clinico?

La ricerca di una nuova molecola per la cura del cancro, ad esempio, comincia in laboratorio. In questa fase, definita pre-clinica, i ricercatori studiano le caratteristiche farmacologiche e tossicologiche della molecola. La fase pre-clinica può durare molti anni e serve a valutare alcuni aspetti del farmaco che, una volta studiato e definito nelle sue caratteristiche di eventuale potenzialità terapeutica, può proseguire la sua valutazione attraverso l'avvio di studi clinici nell'uomo.



Perché le sperimentazioni cliniche sono importanti?

I progressi ottenuti nel trattamento delle patologie sono dovuti alla ricerca di base in laboratorio e alla successiva implementazione nella ricerca clinica. Grazie agli studi clinici che oggi si stanno facendo in tutto il mondo sarà possibile disporre di farmaci innovativi a beneficio dei pazienti, della loro qualità di vita e sopravvivenza.

Come si svolge uno studio?

Gli studi clinici sono il risultato di una complessa organizzazione che coinvolge diverse figure professionali e di un perfetto coordinamento tra diversi centri di ricerca nazionali e internazionali. I ricercatori preparano un documento, chiamato *protocollo di sperimentazione*, nel quale è descritto nei minimi dettagli tutto lo svolgimento dello studio:

- ◆ **gli obiettivi** della ricerca
- ◆ **i criteri** con cui si valuteranno i risultati
- ◆ **il numero di pazienti** e le caratteristiche richieste
- ◆ **gli esami clinici** cui verranno sottoposti e la frequenza con cui saranno ripetuti
- ◆ le modalità e i tempi di **somministrazione del farmaco** in sperimentazione
- ◆ **i centri coinvolti**

Il protocollo di ogni studio clinico viene sempre valutato dal *Comitato etico* a cui afferisce il Centro clinico nel quale si svolge la sperimentazione.

Come fare a partecipare ad uno studio clinico?

Di solito è il medico curante che propone al malato di partecipare a uno studio clinico, ma la decisione finale di partecipare o meno spetta solo al paziente. È diritto fondamentale del paziente al momento del colloquio con il medico che si occuperà dello studio clinico, ricevere e chiedere tutte le informazioni possibili e disponibili prima di prendere una **decisione** affinché essa sia il più **consapevole e serena** possibile. Durante il colloquio viene chiesto al paziente di firmare il *Consenso informato*, un documento che spiega in dettaglio gli obiettivi dello studio, gli esami e i controlli cui sarà sottoposto il paziente periodicamente, i possibili effetti indesiderati, i rischi e benefici. Prima di firmare è opportuno che il paziente rifletta per tutto il tempo che desidera, magari chiedendo consiglio e confrontandosi con una persona di fiducia come il medico curante e i propri familiari. E' molto importante per un malato avere un ruolo attivo nelle decisioni che riguardano la propria vita.



Quali sono le fasi di uno studio clinico?

Gli studi clinici, che hanno come obiettivo lo sviluppo di farmaci innovativi si articolano in quattro fasi:

Fase I - I ricercatori identificano la dose più appropriata da somministrare, studiano come il farmaco è assorbito ed eliminato dall'organismo. Questa fase è condotta in un numero limitato di volontari ed i criteri per essere ammessi sono molto rigorosi. Solo al termine di questa fase i ricercatori decidono il passaggio alle successive fasi di ricerca clinica.

Fase II - In un numero ancora definito di persone ammalate, si valuta l'attività del farmaco, si individuano meglio i dosaggi e gli eventuali effetti collaterali.

Fase III - Se la nuova molecola ha superato le prime due fasi i ricercatori passano alla terza fase per confermare e documentare l'efficacia del nuovo farmaco e il suo profilo di sicurezza. In questa fase si mettono a confronto su un numero consistente di pazienti il farmaco in sperimentazione e i migliori farmaci disponibili. Dopo un periodo variabile di osservazione (*follow-up*) dei due gruppi di pazienti si saprà se il nuovo farmaco è migliore rispetto al farmaco convenzionale. Agli studi di Fase III partecipano centinaia o migliaia di pazienti arruolati in molti centri di ricerca nazionali e internazionali. Se il farmaco sperimentale supera la Fase III è pronto per essere sottoposto alla valutazione delle autorità competenti per poi essere reso disponibile per la cura delle persone ammalate.

Fase IV - Questa ultima fase si realizza solo dopo che il farmaco è stato autorizzato dalle autorità sanitarie competenti. Obiettivo di questa fase è la conferma in un elevato numero di persone ammalate, dell'efficacia e della tollerabilità.

Quali sono i rischi e i vantaggi?

E'opportuno ricordare sempre che gli studi clinici sono condotti e gestiti da medici di elevata esperienza in Centri di eccellenza, e rappresenta una buona scelta per molti pazienti. Tuttavia costituiscono un'opzione terapeutica che offre vantaggi e svantaggi.

PRO

Partecipare agli studi clinici significa avere accesso terapie innovative potenzialmente efficaci. Se il paziente è inserito in uno studio e non riceve il *farmaco sperimentale*, sarà comunque sottoposto al miglior trattamento convenzionale disponibile

Se il nuovo farmaco si dimostra efficace e il paziente ha aderito allo studio, potrebbe essere tra i primi a trarne vantaggio

Il paziente inserito nello studio è sottoposto a cadenza regolare di visite ed esami, pertanto la malattia e lo stato di salute sono molto controllati

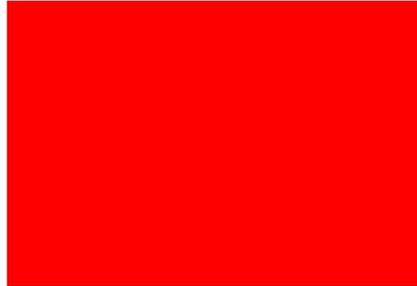
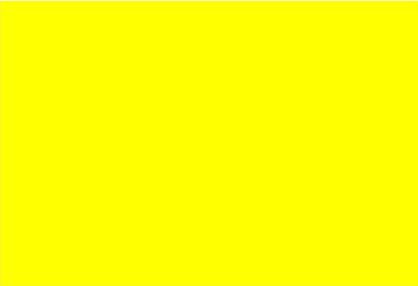
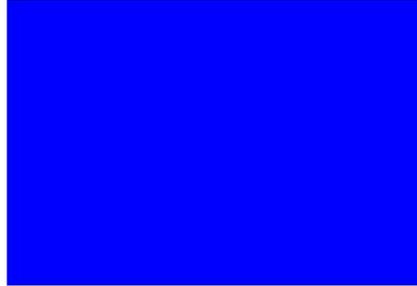
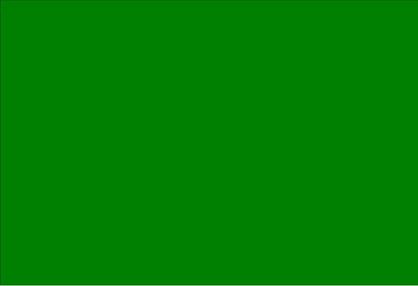
Il paziente ha la possibilità di contribuire in prima persona allo sviluppo di conoscenze che possono aiutare i malati e contribuire al progresso della medicina

CONTRO

Il nuovo farmaco in sperimentazione non sempre è più efficace del farmaco normalmente utilizzato nella pratica clinica, e potrebbe provocare effetti collaterali non previsti dai medici o talvolta peggiori di quelli che si verificano con l'utilizzo del *farmaco convenzionale*

Il nuovo farmaco potrebbe non funzionare. Nemmeno il farmaco convenzionale, dimostratosi efficace per molti, genera benefici a tutti i pazienti

Se il paziente inserito nello studio riceve il farmaco convenzionale e non quello sperimentale, non avrà benefici derivanti da quest'ultimo



Com'è garantito uno studio clinico?

A partire dagli anni '90 le sperimentazioni cliniche devono attenersi alle norme di Buona Pratica Clinica (Good Clinical Practice) che sono applicate a tutti gli studi clinici. Esse sono finalizzate a garantire un elevato livello scientifico ed etico, dati e risultati attendibili che devono poi essere resi pubblici. In Italia tutti gli studi clinici sono sotto il controllo dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) e dei **Comitati Etici** presenti negli ospedali e nei centri di ricerca.

Come viene tutelata la sicurezza del paziente?

Ogni studio clinico deve essere approvato da un Comitato etico che ne valuta attentamente la serietà e la correttezza scientifica, etica e di applicazione, affinché i pazienti non siano esposti a rischi. Ogni studio prevede i cosiddetti *criteri di eleggibilità*, ovvero criteri di inclusione ed esclusione che comprendono un lungo elenco di caratteristiche che i pazienti devono avere per poter partecipare allo studio, tra cui l'età, il sesso, la storia personale, il tipo di patologia e lo stadio della malattia, i trattamenti eseguiti, altre malattie concomitanti.



Il colloquio con il medico?

Prima di firmare il Consenso informato è bene chiarire ogni dubbio. È consigliabile presentarsi al colloquio accompagnati da un familiare, da un amico o persona di fiducia. Durante il colloquio può essere opportuno annotare dubbi e questioni che lasciano perplessi per poi chiedere chiarimenti e fare domande senza vergognarsi per ricevere il maggior numero possibile di informazioni. Un paziente ben informato è più consapevole e instaura col proprio medico un'intesa migliore.

Chi segue il paziente durante lo studio clinico?

Gli studi clinici si svolgono all'interno delle strutture ospedaliere e in centri di ricerca universitari o privati autorizzati. Il paziente per tutta la durata della sperimentazione clinica è affidato a personale medico e paramedico esperto e competente che lo prende in carico; spesso al paziente viene chiesto di collaborare in maniera fattiva. Ad esempio, può capitare che gli venga richiesto di tenere un diario sul quale riportare giorno per giorno certi dati, o la comparsa di disturbi; oppure di rispondere a una serie di domande attraverso un apposito questionario. L'équipe che prende in carico il paziente lo seguirà anche dopo la conclusione dello studio clinico. Medici, infermieri e tutte le altre figure professionali coinvolte nello studio clinico sono a disposizione del malato e della famiglia per qualsiasi evenienza e chiarimento.

Perché una donna dovrebbe partecipare?

Le terapie utilizzate negli studi possono avere un impatto diverso sugli uomini e sulle donne, possono infatti causare differenti effetti collaterali. Pur essendo le donne le maggiori utilizzatrici di farmaci, la popolazione femminile spesso rimane ancora sottorappresentata negli studi clinici per ragioni sociali, economiche ed etiche. E' importante, pertanto, che anche le donne partecipino alla ricerca, per poter verificare l'efficacia e la sicurezza di un trattamento in entrambi i generi, così che il farmaco, una volta entrato in commercio, possa essere utilizzato indiscriminatamente limitando gli effetti collaterali inaspettati in particolare nel genere femminile.

Anche le donne in età fertile o in stato di gravidanza possono partecipare agli studi clinici, ma è necessario valutare rischi e benefici con il medico di riferimento dello studio, ed eventualmente il proprio partner, in modo da trovare una soluzione efficace e condivisa da intraprendere.



Quali domande può essere utile rivolgere al medico?

Qual è lo **scopo** dello studio?

Quanto **tempo** durerà?

Quali **benefici** avrò utilizzando questo farmaco sperimentale?

A quali **rischi** posso andare incontro durante lo studio clinico?

Se firmo il Consenso Informato potrò poi **uscire dallo studio** clinico?

In che modo viene garantita la mia **sicurezza**?

Si conoscono già gli **effetti collaterali** del nuovo farmaco?

Il **nuovo farmaco** è stato mai studiato prima d'ora?

Chi mi seguirà? **Dove** farò il trattamento e per quanto tempo?

Chi mi seguirà? **Dove** farò il trattamento e per quanto tempo?

A quali **esami** e indagini mi dovrò sottoporre? E con quale **frequenza**? Saranno **dolorosi**?

Sarò seguito anche dopo la **fine dello studio**? Per quanto tempo?

In caso di **bisogno** io e la mia famiglia a chi potremo rivolgerci?

Ci sono **altri pazienti** che partecipano allo studio con i quali posso parlare?

Quando si conosceranno i **risultati** dello studio clinico e quando saprò se il nuovo farmaco funziona?

Come si rifletterà il fatto di entrare nello studio clinico sulla mia **vita privata e lavorativa**?

Dovrò **pagare** terapie e controlli medici?





Glossario

Consenso informato: è un documento che rappresenta il diritto e dovere di ricevere tutte le informazioni disponibili per poter decidere se sottoporsi oppure no ad un determinato trattamento, e nel caso specifico si decide di firmare se si intende aderire allo studio.

Comitato etico: organo di consultazione multidisciplinare a garanzia dei pazienti composto da medici, rappresentanti dei pazienti, esperti di etica, religiosi, farmacologi, statistici e altri professionisti. Il Comitato etico valuta la sperimentazione tenendo presente innanzitutto i diritti, la sicurezza e il benessere dei soggetti coinvolti nello studio. Il parere favorevole del Comitato Etico è uno degli elementi essenziali per poter attivare una sperimentazione clinica.

Follow-Up: è il periodo di osservazione durante il quale il paziente che partecipa allo studio clinico è sottoposto periodicamente a esami clinici e diagnostici. L'osservazione è necessaria sia per la sicurezza del paziente e per tenere sotto controllo le sue condizioni generali di salute sia per valutare quanto è efficace il trattamento sperimentale.

Placebo: sostanza che può essere somministrata al paziente sotto forma di compressa, capsula o fiala apparentemente simile al farmaco che si sta sperimentando, ma che a differenza di questo non contiene alcun principio attivo e non ha attività farmacologica.



Glossario

Protocollo di sperimentazione: è il progetto della ricerca in cui vengono descritti in modo dettagliato gli scopi, le modalità della sperimentazione, i parametri su cui verrà valutata l'efficacia e i metodi statistici con cui verranno analizzati i risultati.

Studio randomizzato: è il confronto tra due o più trattamenti, i pazienti sono assegnati in modo del tutto casuale (*random*) al trattamento con i farmaci che si vogliono confrontare. Si indica come braccio sperimentale, il gruppo di pazienti che riceve il nuovo farmaco, mentre il braccio di controllo è rappresentato dal gruppo di pazienti che riceve il farmaco standard o convenzionale. Lo studio clinico randomizzato può essere condotto in cieco, quando il paziente non sa se sta assumendo il farmaco da sperimentare o quello standard, oppure in doppio cieco, se né il paziente né il ricercatore ne sono a conoscenza. Lo scopo è evitare il condizionamento nei risultati.

Farmaco convenzionale: trattamento validato considerato il migliore a disposizione per la cura di una determinata patologia.

Farmaco sperimentale: nuovo trattamento oggetto di sperimentazione utilizzato nell'ambito degli studi clinici.

Siti web utili

per accedere alle informazioni sugli studi clinici

In lingua Italiana:

Partecipasalute

ClinLife

Ecranproject

Aifa

In lingua inglese:

Fda

National Institutes of Health (NIH)

Testing treatments

Clinicaltrials.gov

Come contattarci:

U.O. Ricerca e Innovazione - Relazioni esterne

Azienda Ospedaliero-Universitaria di Parma

Sito web: www.ao.pr.it

E-mail: arearicerca@ao.pr.it

Tel.: 0521 703697



