



Il paziente e la ricerca: cosa sapere



1 Perché è importante la ricerca?

Negli ultimi decenni la ricerca scientifica ha conseguito importanti risultati nella lotta contro i tumori. La qualità e l'eccellenza della ricerca biomedica sono tra i principali impegni dell'Istituto Oncologico Veneto. Con le più attuali tecniche di immunologia, genetica e oncologia molecolare, l'Istituto si propone di validare e applicare ai pazienti percorsi diagnostici e terapeutici di avanguardia, secondo le linee guida internazionali più avanzate, sempre sotto il rigoroso controllo del Ministero della Salute.

Tutte le nuove terapie, prima di entrare nella pratica clinica, vengono valutate attraverso programmi specifici di ricerca. Quest'ultima è infatti indispensabile per l'avanzamento della conoscenza scientifica.

Le terapie innovative sono il risultato di sperimentazioni precedenti ed è grazie a questo approccio che in oncologia assistiamo ad un aumento del numero di persone che guariscono.

La ricerca è alla base delle scienze mediche ma spesso è fraintesa poiché molte persone ricevono informazioni poco adeguate dai media o da altre fonti non attendibili.



Attraverso questo opuscolo si intende dare delle informazioni corrette ai pazienti che spesso non hanno informazioni complete ed appropriate.

2 Lo studio clinico: miti da sfatare

2.1 Come nasce la sperimentazione clinica: le fasi di una sperimentazione.

Fase pre-clinica: prima di arrivare alla sperimentazione sull'uomo viene intrapreso un lungo percorso di ricerca in laboratorio per accertarsi che il farmaco sia attivo e soprattutto sicuro. Questa fase è definita **pre-clinica**.



Fase clinica: quando la sperimentazione viene effettuata sull'uomo si parla invece di sperimentazione clinica. Quest'ultima è un processo lungo e costoso e procede per fasi. Le prime tre fasi comprendono quegli studi clinici che permettono di ottenere la registrazione dei nuovi farmaci da parte delle autorità competenti e la loro immissione sul mercato. La quarta fase si attua quando il farmaco è già in commercio ed ha lo scopo di approfondire i dati sull'efficacia e soprattutto sulla sicurezza del farmaco.

- **Studi di fase I:** lo scopo principale di questa fase è quello di capire il dosaggio massimo del farmaco tollerato dal paziente senza provocare tossicità. Questa fase fornisce una prima valutazione sulla sicurezza e i pazienti che partecipano a questa fase sono pochi.
- **Studi di fase II:** L'obiettivo è quello di valutare l'attività del farmaco e gli eventuali effetti collaterali
- **Studi di fase III:** L'obiettivo è quello di stabilire l'efficacia del nuovo trattamento rispetto a quello convenzionale. I farmaci che superano questa fase ottengono l'autorizzazione per la commercializzazione.
- **Studi di fase IV:** tali studi sono detti anche studi post registrativi in quanto il farmaco è già in commercio ma si raccolgono maggiori informazioni sulla sua sicurezza e sull'efficacia.



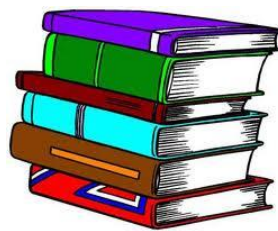
2.2 Cos'è uno studio clinico? A cosa serve?

Uno studio clinico è un programma di ricerca pianificato e controllato che ha lo scopo di valutare uno o più trattamenti applicati ad una determinata popolazione di pazienti.

In generale, in oncologia, la sperimentazione clinica di un farmaco ha lo scopo di valutare l'efficacia e la tollerabilità di un farmaco e/o della combinazione di più trattamenti.

I dati derivati dalla sperimentazione clinica, se favorevoli, permettono di portare il nuovo farmaco alla commercializzazione. Tutte le terapie entrate nell'uso comune sono il risultato di uno studio clinico. Si pensi che anche un farmaco semplice e molto usato come la tachipirina è stato sperimentato sull'uomo attraverso un protocollo di ricerca o studio clinico.

Il medico sperimentatore dello studio, di solito, elabora un documento, chiamato protocollo sperimentale che descrive l'obiettivo dello studio, la metodologia usata, le considerazioni statistiche. Una sperimentazione clinica è effettuata su gruppi di persone con caratteristiche simili, infatti ogni studio prevede dei criteri di inclusione ed esclusione per selezionare i pazienti in modo omogeneo. Questa selezione aiuta a produrre risultati affidabili.



2.3 Cos'è il protocollo Sperimentale?

Il protocollo sperimentale è un documento redatto da uno o più sperimentatori e ha lo scopo di descrivere: l'obiettivo dello studio, la metodologia, le considerazioni statistiche e tutto ciò che concerne l'organizzazione dello studio stesso.

Ogni protocollo di sperimentazione prevede dei criteri di inclusione ed esclusione, ovvero dei parametri che consentono ad un paziente di entrare o meno in una sperimentazione; tanto più questi parametri sono dettagliati tanto più sarà omogeneo il gruppo di pazienti che parteciperà alla sperimentazione. Questo sarà a vantaggio di una maggiore affidabilità dei dati raccolti.



3 I possibili rischi

- Come qualsiasi altra terapia c'è la possibilità che il nuovo farmaco in sperimentazione non apporti alcun beneficio alla malattia anche se nessun trattamento sperimentale potrà essere inferiore alla terapia standard. In alcuni studi clinici il paziente potrebbe ricevere la terapia standard e non quella sperimentale, in quanto il nuovo trattamento può essere assegnato in modo casuale (randomizzazione) ad un paziente e non ad un altro. Questo modo di procedere viene spiegato in modo esauritivo al momento dell'arruolamento nello studio.
- E' possibile che, durante il trattamento, ci siano effetti collaterali dovuti alla terapia, per questo è importante riportarli al medico di riferimento.

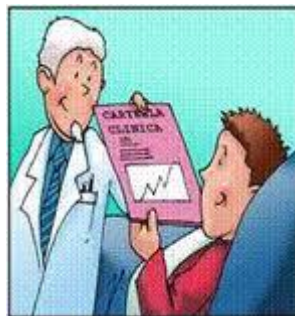
4 Perché firmare il consenso informato?

Dal momento in cui il medico propone una Sperimentazione Clinica è importante chiedere il maggior numero di informazioni possibili, così da poter scegliere se partecipare, con assoluta serenità.

Il consenso informato spiega con esattezza l'obiettivo dello studio, la sua metodologia, gli esami a cui verrà sottoposto il paziente e con quale periodicità, i possibili benefici e i possibili effetti collaterali. Questo documento verrà fatto sottoscrivere al paziente al momento del colloquio con lo sperimentatore.

Prima di firmare il consenso c'è la possibilità di leggere tutto con attenzione, prendendosi il tempo che serve per capire esattamente ogni cosa.

Se nel corso dello studio si dovesse venir a conoscenza di eventuali scoperte sul farmaco o su nuovi effetti collaterali il paziente sarà informato nuovamente e verrà così sottoposto un nuovo consenso informato.



Domande che aiutano a capire di più da sottoporre al medico:

- Qual è lo scopo dello studio?
- Che tipo di trattamento sarà?
- Chi promuove lo studio?
- Quali sono i vantaggi e gli svantaggi del nuovo trattamento?

- Quali alternative esistono per il trattamento della malattia?
- A quali accertamenti ci si deve sottoporre?
- Quanto dura lo studio?
- A chi ci si può rivolgere in caso di necessità? C'è qualcuno che può rispondere?
- C'è un'assicurazione che copre i possibili rischi derivanti dalla sperimentazione?



5 Perché viene richiesta la partecipazione ad uno studio clinico?

Perché ci si può trovare in una condizione di malattia e con requisiti tali da poter rientrare nei criteri di inclusione ovvero avere caratteristiche cliniche tali da essere un soggetto su cui studiare il nuovo farmaco o dispositivo o di una nuova tecnica chirurgica.

Nel rispetto della volontà e delle libere scelte dell'individuo la partecipazione alla sperimentazione clinica è di fondamentale importanza per il progredire delle conoscenze mediche per quei pazienti che potrebbero trovarsi nella stessa situazione. La partecipazione non comporta spese.

6 Ci si può rifiutare?

Si. Non ci sono e non ci devono essere forzature per la partecipazione ad uno studio clinico.

In qualsiasi momento il paziente è libero di abbandonare la sperimentazione ritirando il consenso.

Anche il medico potrebbe fare interrompere lo studio al paziente nel caso in cui si presentino degli effetti collaterali gravi, oppure, ci siano dei motivi clinici che permettano di dare maggior beneficio per il paziente.

7 Quali sono i doveri del paziente?

Rispetto delle terapie proposte, se effettuate a domicilio, compilazione accurata di eventuali schede o diari, rispetto delle visite e degli esami proposti.

Tutto ciò è importante per garantire un'analisi dei dati veritiera che consenta di trarre conclusioni importanti per lo sviluppo della medicina.

8 Chi garantisce che lo studio sia condotto in modo corretto?



Nel 1991 la Comunità Europea ha emanato le linee guida sulle norme di Buona Pratica Clinica.

In Italia è stata emanata una normativa che impone l'applicazione delle norme di Buona Pratica Clinica. Questo comporta una buona qualità scientifica ed etica degli studi e l'attendibilità dei dati raccolti e dei risultati pubblicati. In Europa è stata istituita una struttura, l'EMA (Agenzia Europea per la Valutazione dei Prodotti Medicinali) che ha lo scopo di coordinare tutti i paesi dell'Unione Europea per quanto riguarda le Sperimentazioni Cliniche. Negli Stati Uniti lo stesso compito è affidato alla FDA (Food and Drug Administration).

In Italia invece gli Organismi preposti al controllo delle sperimentazioni cliniche sono tre: il Ministero della Sanità, l'Istituto Superiore della Sanità, ed i Comitati Etici presenti nei vari centri.

In Istituto Oncologico Veneto (IRCCS) esiste un Comitato Etico che ha la responsabilità di garantire la tutela dei diritti, della sicurezza e del benessere dei soggetti in sperimentazione.

Non è possibile iniziare uno studio clinico senza aver ottenuto il parere favorevole del Comitato Etico.

Il personale coinvolto nella ricerca si impegna affinché:

- lo studio venga condotto in modo corretto;
- vengano fornite informazioni esaustive;
- i pazienti abbiano la garanzia di essere tutelati;
- sia garantita la protezione dei dati personali;

9 Glossario

Questo glossario contiene la definizione di una serie di parole utilizzate in questa guida (scritte in grassetto nel testo). Viene anche spiegato il significato di alcuni altri termini, collegati agli studi clinici, che potreste udire dai medici o dal personale infermieristico.

Consenso informato: Il processo nel corso del quale una persona viene informata su aspetti chiave di uno studio clinico o di una ricerca, e poi decide volontariamente se prendervi parte o meno. Questo processo comprende la discussione dei contenuti e la firma di un modulo che descrive i benefici e i rischi a cui il paziente può andare incontro se decide di prendere parte allo studio.

Compliance: aderenza al trattamento da parte del soggetto partecipante allo studio.

Distorsione: Scelte umane (dei medici, del personale infermieristico, dei pazienti) o altri fattori estranei al trattamento che si sta sperimentando, che possono influenzare i risultati di uno studio. Gli studi clinici utilizzano molti metodi per evitare che si verifichino fenomeni che possono causare distorsione, perché i risultati distorti possono non essere corretti.

Effetti collaterali: Problemi che si verificano quando il trattamento danneggia le cellule sane. Tra gli effetti collaterali comuni dei trattamenti antitumorali standard ci sono spossatezza, nausea, vomito, diminuzione del numero delle cellule ematiche, perdita dei capelli e ulcere alla bocca. I nuovi trattamenti sperimentati possono avere questi effetti collaterali o altri ancora sconosciuti.

Follow up: valutazione clinica intermedia o finale del trattamento.

Gruppo di controllo: In uno studio clinico è il gruppo di persone che riceve il trattamento standard per lo specifico tipo di tumore (vedere Gruppo di trattamento).

Gruppo di trattamento: Il gruppo che riceve il nuovo trattamento che si sta sperimentando durante lo studio. (Vedere Gruppo di controllo).

Oncologo: Un medico specializzato nel trattamento dei tumori

Placebo: Una compressa, una capsula o una iniezione simili nell'aspetto al farmaco o alle altre sostanze sperimentate, ma che non contengono principi attivi (cioè sostanze con attività farmacologica).

Protocollo: Un piano di azione per uno studio clinico. Il piano descrive cosa verrà fatto nel corso dello studio e perché. Specifica quante persone parteciperanno allo studio, che caratteristiche dovranno avere i pazienti che potranno prendervi parte, a quali esami verranno sottoposti e con che frequenza, e il piano di trattamento.

Randomizzazione: Un metodo utilizzato per prevenire fenomeni di distorsione in una ricerca. Le persone vengono assegnate casualmente al gruppo di trattamento o a quello di controllo.

Remissione: scomparsa dei segni e sintomi del cancro. Quando ciò si verifica si dice che la malattia è "in remissione". Può essere temporanea o definitiva.

Sperimentatore: Un ricercatore in uno studio clinico.

Stadio: Definisce le dimensioni del tumore e se la malattia si è estesa dalla posizione originaria ad altre parti del corpo. Per definire gli stadi di sviluppo del cancro vengono utilizzati numeri romani con o senza lettere (ad es. Stadio IIb).

Studi clinici: Studi di ricerca medica svolti allo scopo di valutare l'efficacia su pazienti volontari di nuovi trattamenti. Ogni studio prende in esame nuovi metodi di screening, prevenzione, diagnosi o terapie antitumorali.

Studio a singolo cieco: Un metodo utilizzato per evitare la distorsione negli studi clinici. In uno studio a singolo cieco, al paziente non viene detto se sta ricevendo il trattamento standard o il nuovo trattamento che si sta sperimentando. Solo i medici lo sanno.

Trattamento standard: Il miglior trattamento al momento conosciuto per uno specifico tipo di tumore utilizzato nella normale pratica clinica dopo che precedenti ricerche ne hanno provato e definito l'efficacia.

Rev:00 del 03/06/2013