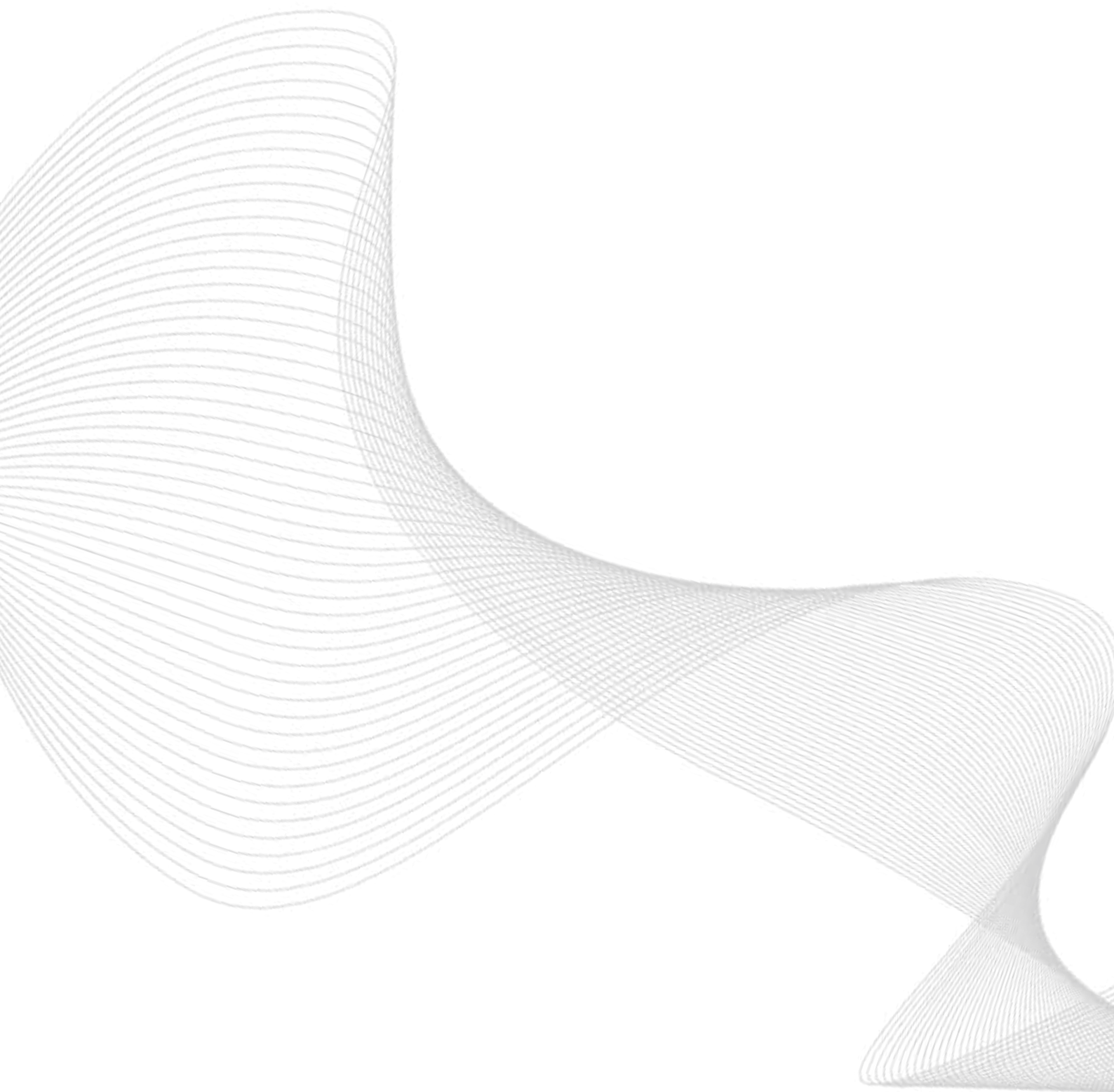




Che cos'è uno studio clinico in medicina

Informazioni per pazienti e familiari







Introduzione

In Europa, nel primo decennio di questo secolo, l'aspettativa di vita dei pazienti affetti da neoplasie è in continuo aumento. La ragione di questo miglioramento deriva da vari fattori, non ultimo l'enorme progresso della medicina e della ricerca. Oggi, molte malattie possono essere portate a guarigione o nei casi in cui la diagnosi venga fatta in una fase avanzata di malattia, possono essere curate ottenendone una cronicizzazione con aspettative di vita più lunghe

L'arruolamento dei pazienti negli studi clinici è essenziale per garantire questo progresso poiché forniscono il background scientifico per ottenere l'approvazione nella pratica clinica di nuovi farmaci, di nuove strategie terapeutiche e di procedure diagnostiche innovative.

Una volta superate le diverse fasi di uno studio clinico (fase I FASE II fase III) che dimostrano l'efficacia e la sicurezza del farmaco verso la terapia standard, esso ottiene la registrazione prima dell'EMA e poi degli enti regolatori italiani (AIFA agenzia italiana del farmaco). Molto spesso dall'approvazione di uno studio all'immissione in commercio del farmaco possono anche trascorrere 10 anni. Da qui la necessità di informare il paziente sull'importanza degli studi clinici soprattutto in oncologia e in particolare nei tumori ginecologici.

Questo opuscolo ha l'obiettivo di fornire informazioni complete sugli studi clinici nei tumori ginecologici ed è stato elaborato per aiutarti a decidere se prendere parte ad uno studio clinico a cui ti è stata proposta la partecipazione ed i rischi e i benefici ad esso legati.

L'adesione ad uno studio non è obbligatoria ma volontaria ed in qualsiasi momento è possibile uscire dalla sperimentazione.



*Birthe Lemley,
Paziente di carcinoma ovarico, Danimarca
Membro del Comitato Direttivo di ENGAGE*

“

Le pazienti affette da tumori ginecologici dovrebbero essere invitate a partecipare agli studi clinici perché questo permetterebbe loro di ricevere cure di migliore qualità rispetto agli standard di trattamento e di poterne usufruire prima dell'approvazione. Per dimostrare efficacia ma soprattutto la sicurezza (o tossicità) del farmaco le pazienti arruolate vengono sottoposte a un maggior numero di esami biochimici (ematici) e strumentali (tac, risonanze etc) che normalmente non si eseguono nella pratica clinica quotidiana o comunque non così frequentemente come richiesto negli studi. Viene studiata in parallelo, attraverso la somministrazione di questionari, la qualità di vita della paziente che è un obiettivo fondamentale da raggiungere per l'approvazione della terapia sperimentale. Esistono diverse fasi di uno studio e diversi bracci di confronto della terapia sperimentale, proviamo a conoscerle e interpretarle insieme.

”



Che cosa è uno studio clinico?

Le sperimentazioni cliniche, dette anche studi clinici, sono una forma di ricerca che coinvolge le persone. Sono la fase finale in un lungo processo che inizia con la ricerca di laboratorio e, normalmente, ogni studio si sviluppa in tre fasi:

Le tre fasi dello studio clinico

1

Nella Fase I, l'obiettivo è, supposta l'efficacia in studi preclinici, di determinare la dose massima tollerata. Il nuovo farmaco è somministrato di solito in dosi molto basse nei primi pazienti, vengono poi aumentate progressivamente fino a capire la dose massima tollerata in base alla segnalazione delle tossicità. La dose individuata sarà la dose utilizzata nella fase successiva dello studio la fase II. I pazienti previsti nella FASE I sono all'incirca 15-30 pazienti.

2

Nella Fase II, vengono studiati l'efficacia del farmaco e la sua sicurezza ossia gli effetti collaterali. Gli studi di Fase II coinvolgono un numero maggiore di pazienti rispetto alla Fase I, ma di solito non più di 100.

Se durante lo studio di fase due si raggiungono gli obiettivi prefissati dallo sperimentatore si passa alla fase III che ne porterà alla registrazione. Qualora non si dovessero raggiungere gli obiettivi o nel caso in cui lo studio venisse sospeso per tossicità i clinici abbandonano la sperimentazione. Purtroppo molto spesso non si raggiunge l'obiettivo perché l'arruolamento dei pazienti è molto lento sia per mancanza di informazione corretta verso di esso sia perché non sempre sono accessibili ad esempio per problemi logistici.

Nella Fase III vengono valutate la sicurezza e l'efficacia del nuovo farmaco rispetto a un trattamento ottimale già utilizzato o rispetto a uno standard terapeutico ufficiale.

3

la Fase III è una fase comparativa. Durante questa fase vengono valutate l'efficacia e la sicurezza del braccio sperimentale verso la terapia standard utilizzata nella pratica clinica. Molto spesso sono studi randomizzati e nel braccio di confronto può essere presente placebo (farmaco non attivo).

Il paziente ha la possibilità (che varia tendenzialmente dal 50% al 75%) di eseguire la terapia sperimentale o di ricevere la terapia standard associata o meno al placebo.

Il gruppo in studio riceve il nuovo farmaco che deve essere testato, il gruppo di controllo riceve una terapia ottimale già utilizzata o una terapia standard ufficiale.

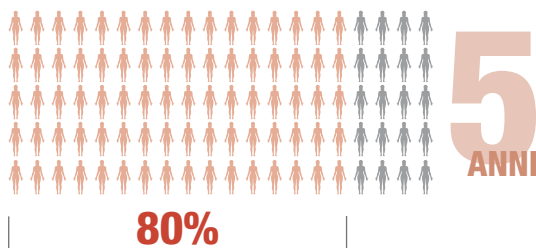
E' importante sapere che sia il paziente che il clinico non possono scegliere il braccio di trattamento che è quindi affidato al caso. Molto spesso si tratta di studi in doppio cieco ossia neanche lo sperimentatore sa in quale braccio il paziente è stato assegnato, può a volte intuirlo dalla tossicità segnalata.

Gli studi di fase III che hanno come obiettivo l'approvazione del farmaco, prevedono l'arruolamento di un numero maggiore di pazienti anche a centinaia e spesso si concludono in un tempo maggiore rispetto a quello preventivato.

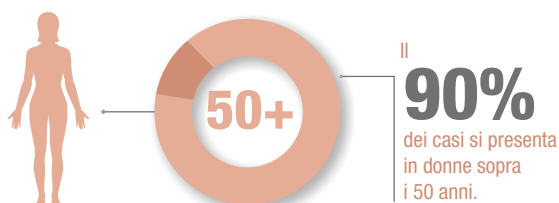
Indipendentemente dalla fase dello studio, al paziente deve essere fornita tutta la documentazione necessaria per informarsi e confrontarsi con parenti e medici di riferimento riguardo all'inserimento nella sperimentazione. Importante un continuo e rigoroso confronto con il medico di riferimento incaricato dello studio per poter collaborare in maniera sinergica con il paziente, elemento fondamentale per il raggiungimento dell'obiettivo.

CARCINOMA DELL'ENDOMETRIO IN CIFRE

In media, l'**80%** delle donne è vivo a 5 anni dalla diagnosi.

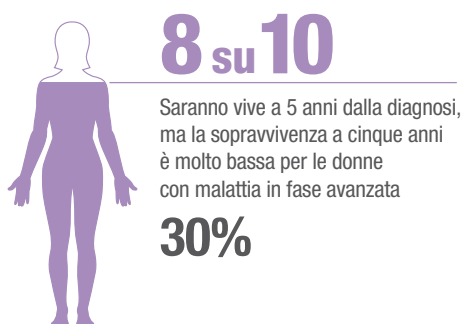


In più di una donna su **20** il tumore colpisce l'endometrio e le percentuali sono in crescita parzialmente a causa dell'invecchiamento e dell'obesità.



CARCINOMA DELLA VAGINA/VULVA

Il **95%** delle pazienti sono vive a 5 anni dalla diagnosi se diagnosticato in stadio precoce.



Le donne sopra i **65+** anni hanno il rischio maggiore di ammalarsi di cancro della vulva.

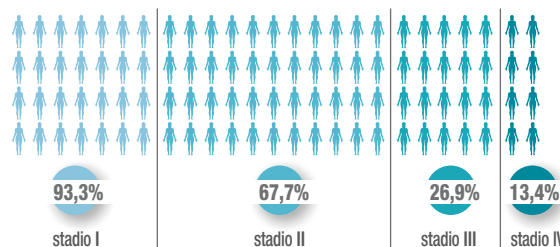
CARCINOMA DELL'OVAIO IN CIFRE

Il **6°** tumore più comune tra le donne in Europa. L'Europa, in generale, ha il tasso più elevato di tumore dell'ovaio a livello mondiale.

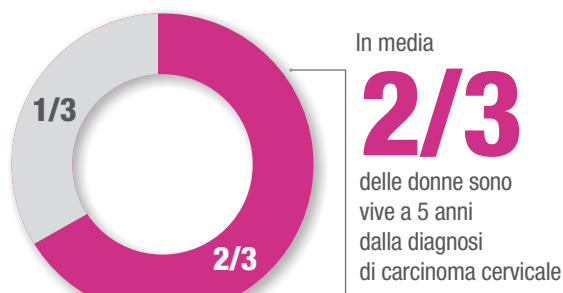
Più del 4% delle donne in Europa si ammalerà di tumore dell'ovaio



La sopravvivenza a 5 anni **DIMINUISCE SIGNIFICATIVAMENTE** negli stadi avanzati



CARCINOMA DELLA CERVICE UTERINA



C'è molta variabilità nel rischio: le donne in Romania hanno una probabilità di morire per il carcinoma della cervice 10 volte superiore alle donne in Finlandia.

Chi effettua gli studi clinici?

Sono differenti gli scenari in cui i ricercatori effettuano le sperimentazioni cliniche. Molti studi clinici vengono svolti nei centri oncologici perché le loro strutture sono di solito le più avanzate. Normalmente, i centri oncologici collaborano tra loro all'interno di network clinici, e rispettano gli stessi criteri di buona qualità delle cure, esecuzione degli studi clinici e condivisione dei risultati. Il team di ricerca che conduce uno studio clinico può essere composto da ricercatori, medici, infermiere, assistenti sociali, nutrizionisti ed altri professionisti sanitari.

Quale è l'iter approvativo di uno studio clinico?

Per condurre uno studio clinico è essenziale predisporre un protocollo di studio, cioè una descrizione scritta predefinita dello scopo e dell'obiettivo, dei possibili effetti collaterali e dello sviluppo preciso dello studio, dei diritti e doveri dei pazienti e degli schemi di analisi da eseguire per estrarre i risultati. Un Comitato Etico di esperti indipendenti, di formazione scientifica e non, esamina il protocollo di studio e decide se, sulla base delle più aggiornate conoscenze mediche, condurre lo studio è eticamente corretto e ha un obiettivo reale.

Il Comitato Etico valuta anche se i medici e le istituzioni che svolgono questi studi hanno la conoscenza e le strutture necessarie per somministrare la terapia in esame. Ogni modifica del protocollo, anche se minima, deve essere discussa con la persona globalmente responsabile dello studio e va sottoposta al Comitato Etico. Questi elevati standard assicurano che i principi guida del trial siano sempre la sicurezza e la riservatezza dei pazienti che prendono parte allo studio per sviluppare nuovi farmaci.

Ogni paziente che partecipa a uno studio clinico deve ricevere una informativa completa orale e scritta (consenso informato) prima di accedere allo studio e deve avere a disposizione tempo sufficiente per valutarla.

Perché entrare in uno studio clinico?

Il principio fondamentale di ogni studio clinico è la sicurezza e il benessere dei partecipanti. Questo è prioritario rispetto agli scopi della ricerca scientifica.

Ci sono numerose buone ragioni per entrare in uno studio clinico. Per le pazienti è incoraggiante essere consapevoli che come partecipanti allo studio avranno accesso a una terapia nuova e probabilmente migliore che non sarebbe disponibile in altro modo. Inoltre, essere in grado di contribuire attivamente al progresso della medicina e al miglioramento delle conoscenze che daranno un beneficio alle pazienti future è una motivazione valida.



Prof. Philippe Maurice
Presidente ESGO

“

Se parliamo di pazienti che entrano negli studi clinici, di solito ricevono un'assistenza medica migliore, perché la terapia viene erogata all'interno di un protocollo secondo criteri di buona qualità assistenziale, con un monitoraggio di follow up eseguito per valutare la sicurezza e con la possibilità di ricevere una terapia potenzialmente più efficace.

”

I benefici della partecipazione a uno studio clinico



Prof. Murat Gultekin,
Co-Presidente ENGAGE

Un altro grande vantaggio è il monitoraggio stretto dei partecipanti allo studio. Questi pazienti vengono sottoposti a esami medici particolarmente accurati e frequenti e il progredire della cura è monitorato con precisione, sulla base di uno schema adattato allo studio e al farmaco che viene valutato.

Questo monitoraggio dei pazienti non solo evidenzia importanti deduzioni in termini scientifici, ma aiuta anche il tuo medico curante a prendere nota di ogni cambiamento della tua condizione clinica così da poter intervenire velocemente in modo corretto. Nella maggior parte degli studi clinici, il medico responsabile dello studio e della tua situazione raccoglie, analizza e controlla non solo gli importanti dati ricavati dallo studio, ma anche molti altri dati. Il vantaggio è che gli effetti collaterali della terapia e le modifiche del tuo stato di salute possono essere individuati e trattati immediatamente. Inoltre, uno studio clinico coinvolge clinici esperti di una vasta gamma di specializzazioni che sono formati per trattare specificatamente questa malattia. Questo assicura un trattamento ottimale qualunque sia il braccio dello studio nel quale il paziente è inserito.

“ Gli studi clinici offrono speranza a molte persone e un’opportunità per aiutare i ricercatori a trovare terapie migliori per le altre persone in futuro.

”

La partecipazione agli studi clinici è sempre volontaria e richiede sempre il tuo consenso scritto. I pazienti dovrebbero capire gli obiettivi dello studio, le sue caratteristiche speciali e quali rischi implica, nel caso ce ne fossero. Si dovrebbe anche capire che i nuovi farmaci che vengono testati non sempre sono migliori, o efficaci tanto quanto i trattamenti già esistenti e potrebbero avere effetti collaterali inaspettati.

Chiunque sia eleggibile a entrare in un particolare studio clinico deve essere rassicurato che non può essere forzato a fare nulla contro la propria volontà e che si può ritirare dallo studio in ogni momento.



Stai valutando di partecipare a uno studio clinico?



Ecco alcune domande che potresti voler porre al tuo oncologo o al tuo team curante:

- Sono adatta a entrare in uno studio clinico?
- Quale è lo scopo dello studio?
- Quali sono i benefici?
- Quali sono gli effetti collaterali e i rischi?
- Quante persone verranno inserite nello studio?
- Che cosa implica e quanto durerà?
- Quando spesso dovrò venire in ospedale?
- Mi verranno comunicati i risultati?
- Come posso informarmi su quali studi clinici sono disponibili?
- A quale tipo di terapie, procedure, e/o esami dovrò sottopormi durante lo studio?
- Come influirà lo studio sul mio programma terapeutico attuale e sulla mia vita quotidiana?
- Dovrò sospendere la mia terapia attuale o la continuerò durante lo studio?
- Se la persona incaricata di curarmi durante lo studio è diversa dal medico che ha elaborato il mio piano terapeutico attuale, che tipo di comunicazione/interazione ci sarà tra i due medici?
- Posso parlare con altre persone inserite nello studio?
- Quale è la procedura per lasciare questo studio una volta che è iniziato?
- Se partecipo, dovrò affrontare dei costi?
- La mia assicurazione sanitaria (privata o pubblica) coprirà i costi?
- Quali sono le mie responsabilità se partecipo?
- Per quanto tempo sarò incluso nello studio?
- Sono disponibili per me altre o diverse opzioni terapeutiche invece dello studio clinico?



Prof. Antonio González,
Presidente ENGOT

“

Le pazienti di tumori ginecologici non dovrebbe esitare a offrirsi volontarie per gli studi clinici perché questi ultimi hanno portato molti benefici alle pazienti **in tutto il mondo e dato accesso alle terapie più innovative.** Tuttavia, la nostra raccomandazione è che esse chiariscano bene i vari punti con il proprio team clinico in modo da essere informate su ogni aspetto prima di prendere qualunque decisione.

”

Come si può partecipare a uno studio clinico?

Sono molti i modi utilizzabili dai pazienti per informarsi su uno studio clinico

Alcuni Paesi hanno siti web nazionali. Il modo più rapido è chiedere al tuo oncologo. Puoi trovare informazioni sugli studi clinici anche nei seguenti siti:

European Union Clinical Trials Register: <http://tinyurl.com/khewfg4>

ENGOT: <https://engot.esgo.org/discover/for-patients/>

Target Ovarian Cancer: <http://clinicaltrials.targetovariancancer.org.uk>

NIH (National Institute of Health, USA) – database di studi clinici in tutto il mondo, sia a finanziamento privato che pubblico: clinicaltrials.gov



Icó Tóth,

Co-President ENGAGE

Gli studi clinici sono progetti di ricerca studiati per valutare la sicurezza e l'efficacia di nuovi farmaci o altri tipi di terapie.

Questo opuscolo è stato scritto specificatamente come strumento educativo per i pazienti e le loro famiglie per fornire loro un approfondimento su come funzionano gli studi clinici. E' una risorsa per coloro che potrebbero valutare di offrirsi volontari per uno studio clinico su consiglio del loro medico curante.

ENGAGE collabora con professionisti sanitari, decisori politici e con gli stessi pazienti per approfondire il ruolo dei pazienti nel fornire il loro punto di vista nel disegno degli studi clinici e per capire meglio le attuali barriere alla partecipazione alla ricerca.

I pazienti hanno una conoscenza unica della propria malattia, delle terapie e della qualità di vita. Questi punti di vista hanno un grande valore per i ricercatori e i decisori politici al momento di definire le priorità.

La European Society of Gynaecological Oncology (ESGO) – Società Europea di Ginecologia Oncologica

è una organizzazione professionale e educativa e la maggiore Società europea di ginecologia oncologica che collabora allo studio, prevenzione e cura dei tumori ginecologici. Oggi ESGO ha più di 1800 membri in oltre 40 paesi in Europa e si impegna a migliorare la salute e il benessere delle donne Europee affette da tumori ginecologici (dell'apparato genitale e del seno) attraverso la prevenzione, l'eccellenza nella cura, la ricerca di alto livello e la formazione.



L' European Network of Gynaecological Oncological Trial groups (ENGOT) - Network Europeo di gruppi di ricerca in Ginecologia Oncologica

Oncologica è una rete di gruppi di ricerca Europei di ESGO e una piattaforma che garantisce che lo spirito e la cultura europee vengano inserite nel progresso clinico, specialmente nella ricerca sui tumori ginecologici, e che tutti i pazienti e gli Stati Europei possano partecipare in modo attivo alla ricerca e al progresso in medicina. L'obiettivo di ENGOT è di portare le migliori cure a tutti le pazienti europee di tumori ginecologici e di fare in modo che ogni paziente in ogni paese Europeo abbia accesso agli studi clinici. La rete ENGOT comprende 21 gruppi di ricerca da 25 paesi europei. Questi gruppi di ricerca coordinano lo sviluppo di nuove terapie anticancro ma anche apprendono dalla ricerca di base nel campo dei tumori ginecologici.



Fondata da ESGO nel 2012, European Network of Gynaecological Cancer Advocacy Groups (ENGAGe)

– è il network Europeo di associazioni pazienti che rappresenta tutti i tumori ginecologici, cioè ovaio, endometrio, cervice, vulva e i più rari tumori ginecologici sotto l'egida di ESGO. Ci sono ampie differenze nella cura delle pazienti nei vari paesi Europei, e molte pazienti non sono informate adeguatamente sui tumori ginecologici e sul loro trattamento. Ci sono anche problemi collegati allo scarso o carente sostegno psicosociale nel percorso di cura.

Gli obiettivi di ENGAGe sono:

- Facilitare la Formazione e crescita di Associazioni nazionali di pazienti di tumori ginecologici e facilitare la collaborazione e l'interconnessione fra di loro.
- Diffondere l'informazione e condividere le buone norme per rafforzare le Associazioni pazienti e migliorare la qualità della cura in tutta Europa.
- Aumentare la rappresentanza dei pazienti nelle attività di ESGO con la formazione sulla ricerca attuale e sulle politiche sanitarie.
- Difendere i diritti dei pazienti quanto a politiche e pratiche sanitarie e accesso alle cure più appropriate sia livello nazionale che Europeo.
- Informare e formare le Associazioni pazienti, i professionisti sanitari, e le istituzioni sanitarie.

Ringraziamenti

*ENGAGe ringrazia gli autori, i collaboratori,
I membri del Comitato Esecutivo ENGAGe e i rappresentanti di ENGOT
per il loro contributo e per la costante disponibilità.*

*ENGAGe ringrazia gli autori e i collaboratori, il consiglio direttivo di ENGAGe
e i rappresentanti di ENGOT per il loro lavoro e la disponibilità continua.*

*Versione italiana a cura di Acto Onlus,
revisione a cura di Dr.ssa Maria Cristina Petrella*

Le informazioni contenute in questa guida non sono da considerare come una consulenza medica o legale o in sostituzione di un consulto con un medico o un altro professionista sanitario autorizzato. Le pazienti con quesiti medici dovrebbero chiamare o incontrare prontamente il proprio medico o altri professionisti sanitari e non dovrebbero trascurare un responso medico professionale, o tardare a chiederlo, a causa delle informazioni qui contenute. La citazione di ogni prodotto, servizio o terapia in questa guida non dovrebbe essere considerato come un riconoscimento da parte di ESGO.