



Trials clinici

Cosa sono, Le fasi, Il ruolo del paziente

Daniela Cavallaro –vicepresidente AMAF e Paziente Esperto

Marta Consoli –biotecnologa e volontaria AMAF

27 giugno 2024

LO STUDIO CLINICO O SPERIMENTAZIONE CLINICA

Definizione, ruoli e fasi

Lo studio clinico o sperimentazione clinica rappresenta un lungo percorso destinato all'individuazione di un nuovo farmaco o test diagnostico efficace.

2 CATEGORIE DI STUDI

STUDI OSSERVAZIONALI

utili per descrivere cause e conseguenze delle malattie, identificare fattori che ne modificano l'andamento, valutare l'impatto di malattie o condizioni di vita

STUDI SPERIMENTALI

utili per valutare una nuova procedura diagnostica o una nuova terapia

Scopo di un trial clinico su un farmaco

- valutare la sua efficacia
- valutare i possibili effetti collaterali
- valutare gli effetti sul decorso della malattia (arresta/rallenta il decorso della malattia)
- compararlo con altri farmaci simili
- valutare la sua somministrazione in contemporanea ad altri farmaci

RISULTATI EFFETTIVI

ottenibili solo con il coinvolgimento dei pazienti

Caratteristiche di un trial clinico

1. ETICO

2. promosso per migliorare e innovare

3. INDIPENDENTE

risponde solo agli interessi dei pazienti e non ad interessi commerciali, di carriera o altro

4. TRASPARENTE

tutti i risultati della ricerca devono essere pubblici e accessibili
Prima di iniziare uno studio clinico, bisogna ben valutare che:

- APPROVATO
il miglior trattamento disponibile non sia soddisfacente
- da un Comitato etico e dal partecipante che deve essere informato adeguatamente firmando un consenso informato
- esista una ragionevole aspettativa che il nuovo trattamento funzioni meglio del vecchio
- il disegno dello studio clinico sia adeguato alla domanda a cui si vuole rispondere

Gli studi clinici sono frutto di una complessa organizzazione che coinvolge diverse figure professionali e necessita di un perfetto coordinamento tra i diversi attori (GCP-good clinical practise).



Comitato etico

“un organismo indipendente, composto da personale sanitario e non, incaricato di garantire la tutela dei diritti, della sicurezza e del benessere dei soggetti della sperimentazione e di fornire pubblica garanzia di questa tutela, emettendo, ad esempio, pareri sul protocollo di sperimentazione, sull’idoneità dello o degli sperimentatori, sulle strutture e sui metodi e documenti da impiegare per informare i soggetti della sperimentazione prima di ottenere il consenso informato”

AIFA –Agenzia Italiana del Farmaco

L'Agenzia Italiana del Farmaco è un ente pubblico che opera in autonomia, trasparenza e economicità, sotto la direzione del Ministero della Salute e la vigilanza del Ministero della Salute e del Ministero dell’Economia

- cura l’applicazione delle direttive europee e delle normative nazionali
- favorisce la ricerca internazionale
- garantisce il funzionamento dell'Osservatorio Nazionale sulle Sperimentazioni Cliniche per verificare il grado di innovatività e le aree della ricerca pubblica e privata in Italia.

Fasi di una sperimentazione clinica



FASE PRE-CLINICA durata: diversi anni

Studio delle caratteristiche di una molecola in esame in laboratorio con studi in vitro, per comprendere le caratteristiche della molecola, e in vivo, per verificarne l'efficacia sul modello animale.

FASE I SICUREZZA -durata: 1-2 anni

Avvio della sperimentazione sull'uomo per fornire una prima valutazione della sicurezza e tollerabilità del medicinale (effetti collaterali); si identifica la dose più appropriata, si studiano assorbimento ed eliminazione del farmaco dall'organismo, si valuta il livello di tossicità accettabile.

Coinvolge un numero esiguo di volontari sani, secondo criteri molto rigorosi, che vengono divisi in più gruppi, ciascuno dei quali riceve una diversa dose di farmaco.

Fasi di una sperimentazione clinica

FASE II ATTIVITA' -durata: circa 2 anni

Valutazione dell'attività terapeutica del potenziale farmaco e determinazione del suo l'effetto.

La sostanza è distribuita a soggetti volontari affetti dalla patologia specifica, divisi in più gruppi, a ciascuno dei quali è somministrata una dose differente del farmaco e, quando eticamente possibile, un placebo (una sostanza priva di efficacia terapeutica).

studio in cieco singolo : il paziente non sa di assumere il farmaco o il placebo ma il medico sì

studio in doppio cieco :né il paziente né il medico sanno se il paziente assume il farmaco o il placebo

FASE III EFFICACIA -durata: circa 3-5 anni

Valutazione dell'efficacia del farmaco, dei benefici rispetto ai farmaci già in commercio e del rapporto rischio/beneficio (insorgenza-frequenza-gravità degli effetti indesiderati).

L'efficacia del farmaco è confrontata somministrando la molecola, il placebo, altri farmaci già in uso o nessun trattamento a centinaia o migliaia di pazienti.

studio clinico controllato randomizzato: assegnazione casuale (random) del nuovo principio attivo o un farmaco di controllo a due gruppi eterogeni di pazienti

Fasi di una sperimentazione clinica



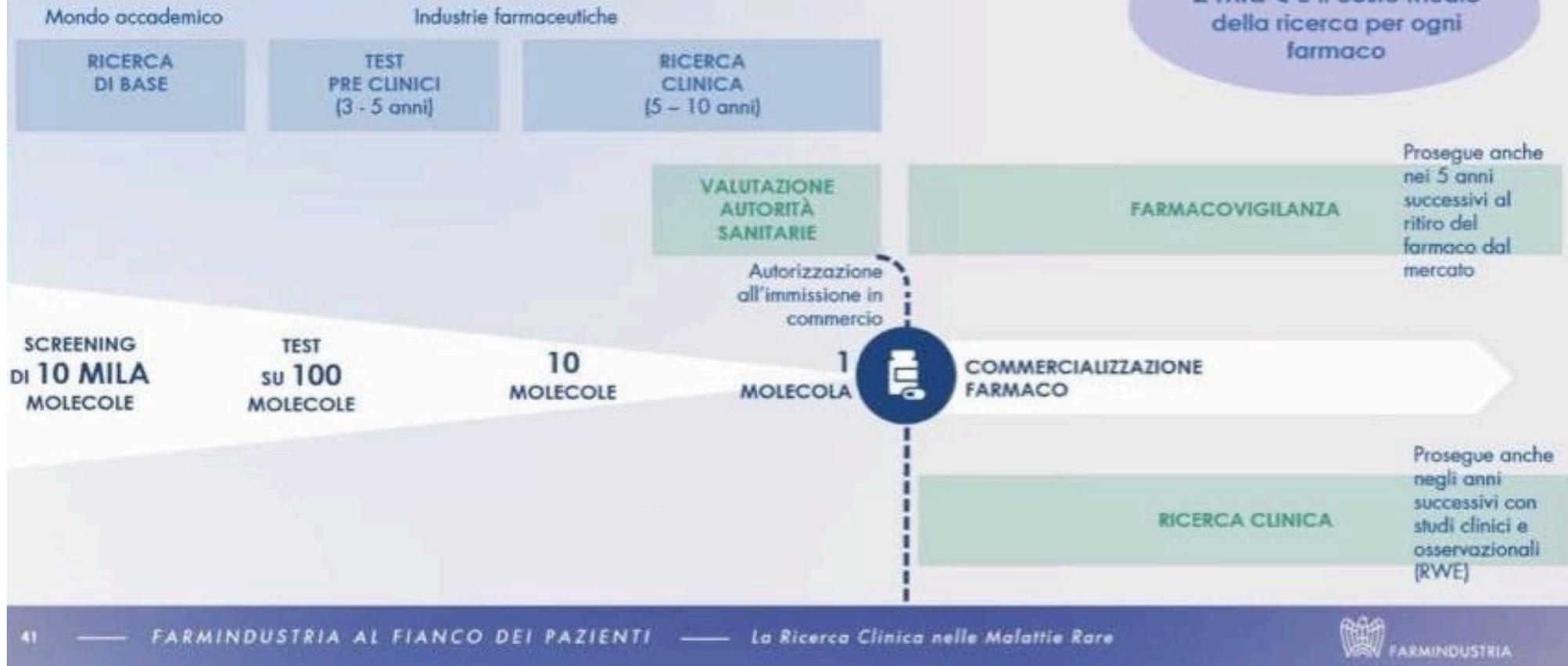
FASE IV -durata: qualche anno

Ultima fase, solo dopo che il farmaco è stato autorizzato dalle autorità sanitarie competenti, con l'obiettivo di confermare l'efficacia e osservare le reazioni più rare del farmaco in un elevato numero di persone.

sorveglianza post marketing : attuata dopo l'immissione in commercio del farmaco

La Nascita Di Un Nuovo Farmaco

UN PROCESSO LUNGO, COMPLESSO, COSTOSO



Come partecipare?

La decisione finale spetta solo al paziente.
È diritto fondamentale ricevere e chiedere tutte le informazioni possibili e disponibili.
Durante il colloquio viene chiesto al paziente di firmare il Consenso Informato;
prima di firmare il paziente può riflettere per tutto il tempo che desidera.

Com'è tutelata la sicurezza del paziente?

Ogni studio clinico deve essere approvato da un Comitato Etico che ne valuta serietà, correttezza scientifica ed etica e l'applicazione.
Criteri di eleggibilità: criteri di inclusione ed esclusione che comprendono un lungo elenco di caratteristiche (età, sesso, tipo e stadio della malattia, ecc).
In ogni momento dello studio il paziente è seguito da personale specializzato, viene preso in carico da una equipe che sarà sempre a disposizione.

Perché partecipare a uno studio clinico?

Gli studi clinici rappresentano una scelta importante per la persona malata. Partecipare allo studio clinico potrebbe voler dire avere accesso a terapie innovative e potenzialmente efficaci.
Si può contribuire allo sviluppo di conoscenze che possono migliorare la quotidiana battaglia dell'umanità contro le malattie.

E' SEMPRE POSSIBILE CAMBIARE IDEA!

ACCADEMIA EUPATI

Il Paziente Esperto ed il PatientEngagement



“

Accademia del Paziente Esperto EUPATI (AdPEE) nasce con l'obiettivo di **promuovere la Ricerca Scientifica e Coinvolgere attivamente Pazienti e Caregivers** nel processo di ricerca, sperimentazione e sviluppo dei farmaci, per un confronto costante e produttivo con gli enti decisionali.

AdPEE offre una **Formazione** specialistica, di alto livello, per trasmettere ai partecipanti conoscenze e competenze sia **in ambito scientifico che regolatorio**.

Strumenti grazie ai quali potranno portare avanti le proprie istanze e dare un contributo autorevole e consapevole allo sviluppo di terapie innovative.

”

Il corso “Paziente Esperto EUPATI”



“

Il Corso per Paziente Esperto EUPATI garantisce una formazione di grande valore, altamente qualificata ed unica nel suo genere, rendendo il Paziente Esperto un partner autorevole ed imprescindibile per tutti gli interlocutori coinvolti nel mondo della sanità.

E' in questo senso che diventerà quindi una persona esperta e competente su questioni cruciali e potrà avviare un dialogo diretto e alla pari con le Istituzioni e gli Enti decisionali.

Giunto al termine di questo percorso di alta formazione, il Paziente Esperto EUPATI potrà inoltre trasferire le diverse conoscenze acquisite all'interno della comunità dei pazienti e in generale alla Cittadinanza.

ADPEE è un progetto **multistakeholders**, che opera in collaborazione con AIFA ed è sostenuto da numerose ed importanti **Aziende Farmaceutiche**.

”

“

PATIENT ENGAGEMENT IN RICERCA E SVILUPPO DELLE TERAPIE INNOVATIVE

Il Corso di Formazione “Patient Engagement in Ricerca e Sviluppo delle Terapie Innovative” è un training di alta formazione sul percorso di ricerca e sviluppo dei farmaci. I partecipanti (Pazienti, Caregiver e rappresentanti dei Pazienti) vengono preparati a dialogare e collaborare attivamente con le Istituzioni, gli enti di ricerca e le aziende farmaceutiche, per la messa a punto di protocolli di ricerca per ottenere nuove ed efficaci terapie.

OBIETTIVI

Fornire conoscenze approfondite del processo di Sviluppo e Ricerca dei Farmaci.

Permettere ai partecipanti di migliorare le proprie skills ed acquisirne di nuove, per diventare così un interlocutore ancora più competente ed autorevole, pronto a fornire consulenze alle aziende farmaceutiche, alle autorità e nei comitati etici, assicurando una proficua partnership tra pazienti e tutte le parti interessate nella ricerca e sviluppo dei farmaci.

Aiutare i Pazienti Esperti EUPATI a trasmettere la conoscenza sulla R&S dei farmaci all'interno delle loro organizzazioni.

”

IL RUOLO DELL'ASSOCIAZIONE DI PAZIENTI VERSO I PAZIENTI

Supporto, informazione e rappresentanza

Il ruolo dell'associazione verso i pazienti



Informa e sensibilizza

ed accompagna le persone alla comprensione sui trials e diffonde informazioni sulle opportunità di partecipazione.

Orienta alla consapevolezza delle procedure

ad esempio chiarifica ed assiste nel processo di consenso informato, informa sull'importanza dell'aderenza terapeutica o l'aderenza a visite ed esami di controllo.

Offre ascolto attivo e supporto

tramite il confronto con le persone dell'associazione e con altri pazienti e caregiver.

Il team dedicato

Un punto importante per noi quindi è sviluppare sempre più conoscenza in merito ai vari trial di sperimentazione e proprio per questo abbiamo formato un **TEAM DEDICATO** a supportare i nostri pazienti attraverso la relazione con le case farmaceutiche, i **centri clinici di ricerca** e gli **enti europei ed internazionali**

Il nostro team è composto da:

Un biotecnologo

figura di interfaccia con i centri di riferimento,
un ponte al fine di informare i pazienti stessi sulle varie possibilità

Un paziente esperto

figura a supporto del paziente
ed interfaccia con lo stesso per le informazioni più tecniche

Un referente per i rapporti internazionali

Figura di contatto con gli enti europei (come l' ERN) ed internazionali
per essere aggiornati e favorire le collaborazioni

The background features a series of vertical, wavy lines in a light orange or gold color, creating a textured, fabric-like appearance. On the right side, there is a circular pattern of concentric, slightly irregular lines, resembling a stylized eye or a decorative motif.

Grazie!



AMAFaps ets



via Perosi 9, 20835 Muggiò – MB



www.amaf.it



AMAF - Associazione Malattie Autoimmuni del Fegato



[amaf_aps](https://www.instagram.com/amaf_aps)



info@amaf.it

IL 5xMILLE NON TI COSTA NULLA !!!Scegli di destinare il tuo 5xMille (sul mod. 730 o mod. UNICO o mod. CU) firmando e indicando il nostro codice fiscale 94635730156 nel riquadro "Sostegno del volontariato, delle Organizzazioni Non Lucrative di Utilità Sociale".

COME SOSTENERCI: CREDEM Agenzia di Muggiò IBAN:
IT69A0303233430010000004495