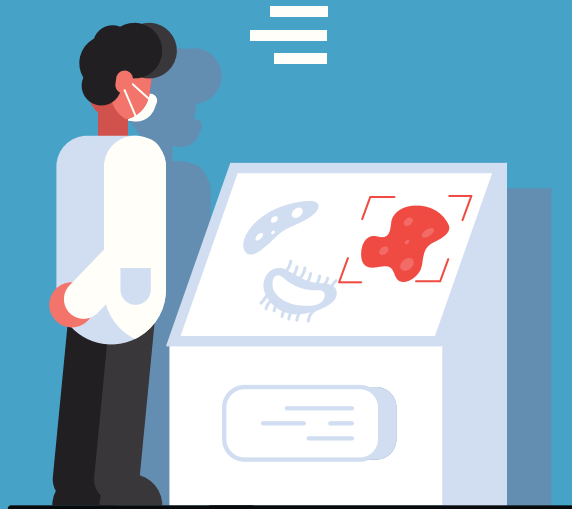




STUDI CLINICI

Partecipa
in modo
consapevole






Clinica Oncologica

A.O.U. Ospedali Riuniti
di Ancona

Centro accreditato AIFA
per Studi di Fase I



UNIVERSITÀ
POLITECNICA
DELLE MARCHE



**STUDI
CLINICI**

Prefazione

Questo opuscolo è stato realizzato grazie al sostegno di tanti pazienti e delle loro famiglie, che con le loro domande e le loro risposte ci hanno aiutati a perseguire l'obiettivo di migliorare l'informazione riguardo ad un importante tema: quello delle sperimentazioni cliniche. Questo al fine di poter fornire informazioni utili per aiutare ad affrontare il percorso di cura della malattia oncologica che può prevedere la possibilità di accedere a protocolli terapeutici sperimentali che rappresentano importanti opportunità terapeutiche per alcuni pazienti.

La Clinica Oncologica è accreditata per la conduzione degli studi sperimentali, inclusi quelli di fase precoce, ovvero di fase I, da parte dell'AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco). Presso la Clinica Oncologica è attivo da anni un nucleo di professionisti esperti che si occupano della gestione delle sperimentazioni cliniche attive nella struttura i cui contatti sono riportati nell'opuscolo. Potremo essere contattati per valutare se per la condizione di un paziente può essere indicato e disponibile uno studio clinico, nel caso ci prenderemo cura di Lei/Lui e organizzeremo tutti gli appuntamenti per esami o visite mediche che lo studio dovesse richiedere. Tutto sarà organizzato dal nostro team, con il minor disagio per i pazienti.

Questo opuscolo non è stato condotto con lo scopo di realizzare una esaustiva trattazione sull'argomento, ma rappresenta un tentativo di approfondire con semplicità un tema sul quale è stato scritto tanto e che è in continua evoluzione fornendo informazioni chiare, pragmatiche ed utili per i pazienti. Le informazioni contenute in questo opuscolo saranno d'aiuto per capire cos'è e come funziona uno studio clinico e saranno utili a partecipare, in modo attivo e consapevole, al percorso di cura fornendo indicazioni utili riguardo la partecipazione consapevole ad una sperimentazione clinica. Potranno anche costituire un utile spunto per domande per cui ci si potrà riferire al personale della Clinica Oncologica e ai medici responsabili degli studi clinici che rimangono sempre il punto di riferimento.

Prof.ssa Rossana Berardi

Direttrice Clinica Oncologica

Responsabile Unità Clinica di Fase I

Indice

Che cos'è uno studio clinico? pag. 6

Perché scegliere di partecipare ad una sperimentazione clinica e cosa significa? pag. 7

Cos'è il protocollo di studio? pag. 8

Come si partecipa ad uno studio clinico? pag. 8

Cos'è il Consenso Informato? pag. 9

Come viene condotto lo studio clinico? pag. 10

Cos'è un gruppo di controllo? pag. 10

Cos'è il trattamento in cieco? pag. 11

Chi è il personale coinvolto nella sperimentazione? pag. 11

Come viene tutelato il paziente? pag. 13

Contatti Clinica Oncologica pag. 14

Che cos'è uno studio clinico?

Lo **studio clinico** (Clinical Trial) è una ricerca scientifica condotta su pazienti allo scopo di identificare risposte specifiche a nuove terapie, oppure nuove modalità di impiego di terapie già note.



Le sperimentazioni cliniche danno un grande contributo alla conoscenza ed al progresso nella lotta contro molte malattie ed i progressi terapeutici dell'oncologia dei nostri giorni sono il risultato di studi di sperimentazione clinica che hanno suggerito nuove direzioni per la ricerca.

Gli studi possono essere rivolti a vari ambiti della ricerca, tra cui **prevenzione, diagnosi e trattamento dei tumori, qualità di vita.**

Lo studio clinico è una ricerca scientifica rivolta a pazienti e avente il fine ultimo di identificare nuove terapie o modalità di utilizzo di terapie/ trattamenti già noti.

Le Sperimentazioni Cliniche terapeutiche vengono classificate in fasi. Ogni fase dipende dalla precedente e viene realizzata sulla base delle scoperte fatte di volta in volta. Si distinguono studi di:

- **Fase I:** volti alla valutazione della sicurezza del nuovo farmaco ed alla identificazione del dosaggio ottimale. Sono studi condotti su un piccolo gruppo di pazienti accuratamente selezionati per la nuova opportunità terapeutica.

- **Fase II:** il trattamento sperimentale viene somministrato ad un numero più ampio di pazienti che riceveranno la dose ottimale e sicura e sono studi finalizzati ad ampliare la conoscenza della sicurezza del farmaco ed in particolare la sua efficacia.

- **Fase III:** sono studi finalizzati a confermare l'efficacia emersa negli studi di fase 2 ed a confrontare i risultati della nuova terapia rispetto al trattamento standard della pratica clinica, laddove presente. Sono condotti su numeri molto più ampi di persone, oltre l'efficacia consentono di monitorare gli effetti collaterali al fine di ottimizzare l'utilizzo della terapia massimizzando il beneficio dei pazienti.

- **Fase IV:** fase di controllo e sorveglianza dei farmaci dopo l'ingresso in commercio. E' applicabile alla popolazione generale e sono studi finalizzati ad ottenere informazioni aggiuntive sui rischi e sui benefici del farmaco.

Perchè scegliere di partecipare ad una sperimentazione clinica e cosa significa?

Partecipare ad uno studio clinico vuol dire assumere un ruolo attivo nei confronti della propria salute in un'alleanza medico-paziente volta all'innovazione. Infatti i Trial Clinici sono una potenziale **opportunità** per accedere a **nuovi trattamenti** prima che siano resi disponibili a tutti e beneficiare dei progressi della ricerca scientifica, attraverso il proprio contributo dato dalla partecipazione.

I pazienti che accettano di partecipare ad una sperimentazione clinica seguiranno uno specifico protocollo, eseguiranno gli esami e le visite richieste, sotto attento controllo del personale dedicato.

La priorità della sperimentazione clinica rimane sempre la tutela della sicurezza e del benessere del paziente che viene costantemente monitorato e seguito durante tutto lo studio.



Gli studi clinici offrono pertanto ai partecipanti idonei la possibilità di accedere a nuovi trattamenti sperimentali prima che vengano resi disponibili a tutti, ma al tempo stesso possono comportare dei rischi in quanto i trattamenti in atto potrebbero non apportare l'efficacia sperata e avere degli effetti collaterali di entità variabile, conosciuti o non ancora noti. Per questo gli studi clinici vengono condotti sulla base di un **protocollo** che viene valutato dal Comitato Etico competente in centri qualificati.

Cos'è il protocollo di studio?

Un protocollo è il documento che descrive in maniera dettagliata ogni parte dello studio clinico. Contiene tutte le informazioni per lo svolgimento dello studio, i requisiti necessari per la partecipazione (criteri di inclusione/esclusione), la programmazione degli esami e le procedure previste (ad esempio esami di laboratorio, controlli TC, ecc.). **Il protocollo viene seguito durante la sperimentazione nella tutela e nel rispetto della salute e del benessere dei pazienti**



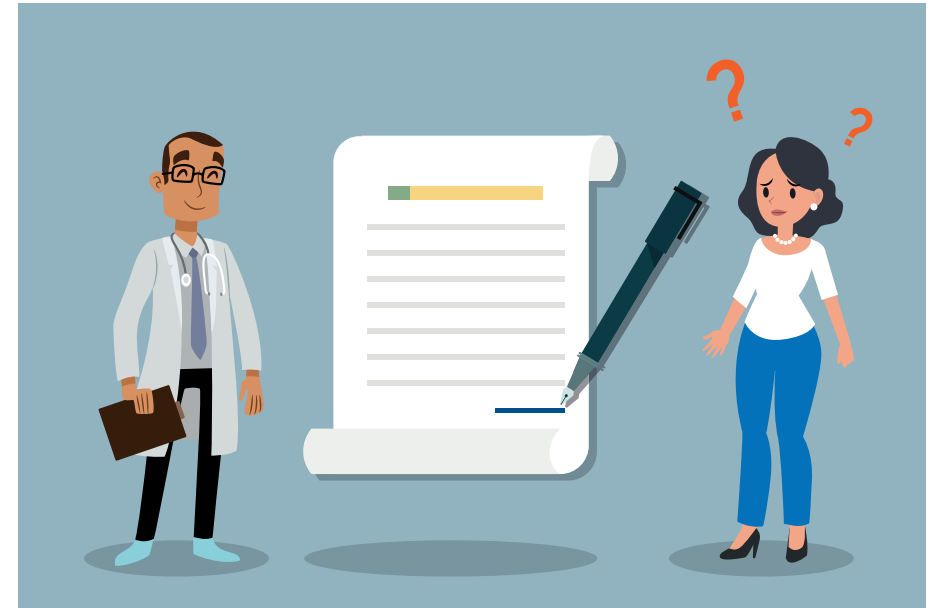
Come si partecipa ad uno studio clinico?

Ogni studio clinico prevede una prima verifica dell'idoneità del paziente da parte del medico che valuta i **"criteri di inclusione"** e quelli di **"esclusione"** (screening), questi rappresentano tutti quei fattori che rispettivamente permettono o escludono l'inclusione del soggetto nello studio. L'osservazione di tali criteri permette di **individuare le persone più adatte, tutelandone allo stesso tempo la sicurezza**. Pertanto tali criteri non hanno alcun intento discriminatorio, ma soltanto l'obiettivo di ottenere risultati affidabili, proteggendo la salute dei pazienti.

Cos'è il consenso informato?

Il paziente si considera arruolato nella sperimentazione dal momento della firma del Consenso Informato.

Il Consenso Informato è l'espressione libera e volontaria di un soggetto alla partecipazione ad uno studio clinico, dopo aver ricevuto tutte le informazioni fondamentali relative allo stesso, cui acconsente.



È documentato mediante un modulo dedicato, in cui sono descritti potenziali rischi e benefici del trattamento.

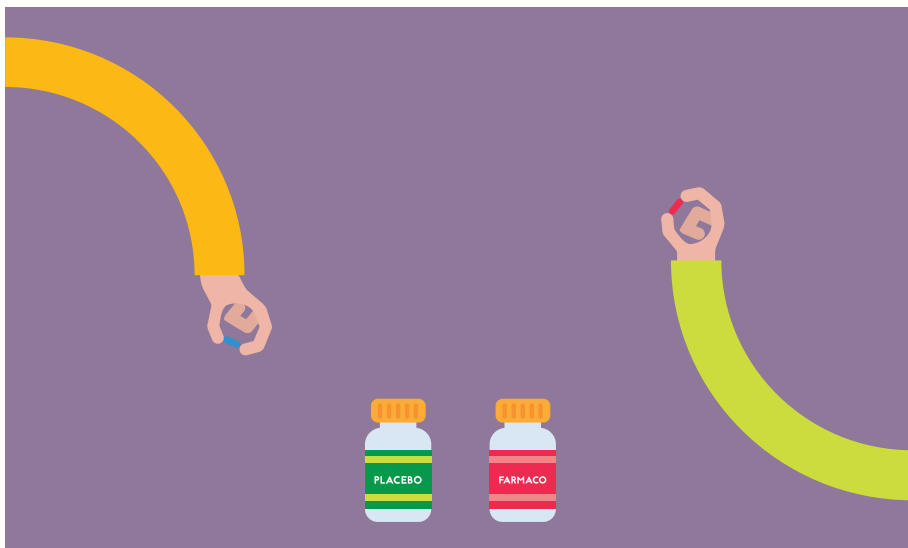
Tale documento viene firmato e datato rispettivamente dal medico responsabile dello studio e dal paziente, a dimostrazione che tutte le informazioni necessarie relative alla sperimentazione sono state fornite e che il paziente è tutelato nella scelta.

Il paziente può decidere in qualunque momento di revocare il proprio consenso, ritirandosi dallo studio.

Il ritiro del consenso informato non comporta penalizzazioni nel percorso terapeutico standard.

Come viene condotto lo studio clinico?

I pazienti che firmano il consenso informato inizieranno le procedure previste dal protocollo ed il trattamento, sotto monitoraggio ed assistenza del personale medico/infermieristico dedicato. A seconda del tipo di studio, i pazienti potrebbero ricevere il farmaco in sperimentazione o entrare a far parte del gruppo di controllo.



Cos'è un gruppo di controllo?

Un gruppo di controllo è un insieme di partecipanti alla sperimentazione che non riceveranno il farmaco in sperimentazione, bensì il miglior trattamento standard per la patologia in atto o, nel caso in cui per la patologia non vi sia una cura, potranno ricevere una sostanza inerte (il **placebo**). I dati clinici raccolti da questo gruppo verranno confrontati con quelli del gruppo che ha ricevuto il farmaco sperimentale.

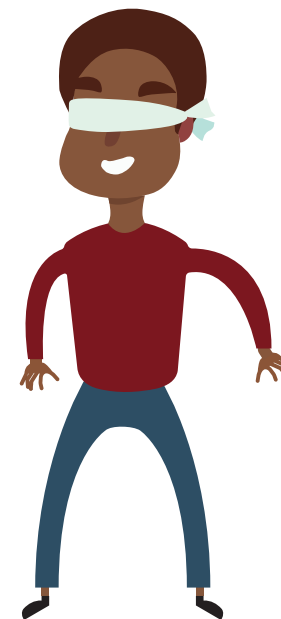
L'assegnazione dei partecipanti allo studio ad un gruppo o all'altro avviene in maniera casuale secondo un processo detto di **randomizzazione**.

Gli studi di fase I non prevedono un gruppo di controllo e tutti i pazienti coinvolti riceveranno il trattamento sperimentale.

Cos'è il trattamento in cieco?

È la condizione in cui il paziente (singolo cieco) oppure il paziente e il personale coinvolto nello studio (doppio cieco) non conoscono il tipo di trattamento assegnato al paziente, non sanno quindi chi riceve il farmaco attivo e chi il placebo. In alcuni casi lo studio può prevedere un "triplo cieco", quando anche una terza figura professionale (farmacista, statistico) non conosce il tipo di trattamento.

Lo studio clinico in cieco ha l'intento di ridurre al massimo i possibili condizionamenti che potrebbero avere ripercussioni sui risultati dello studio.



Chi è il personale coinvolto nella sperimentazione?

Negli studi clinici sono coinvolti diversi professionisti: medici, infermieri e altri operatori sanitari.

Lo staff medico-infermieristico controlla lo stato di salute del paziente dall'inizio dello studio, fornisce istruzioni dettagliate sul protocollo, sottopone il paziente alle visite e agli esami richiesti e potrebbe rimanere in contatto anche al termine dello studio.

Nello specifico, presso la Clinica Oncologica dell'A.O.U. Ospedali Riuniti di Ancona, lo staff della sperimentazione clinica è così composto:

- Sperimentatore Principale (Principal Investigator - PI): è il responsabile ultimo della conduzione dello studio clinico e del gruppo di lavoro;
- Sub-Investigators: sono gli sperimentatori delegati dal PI a condurre il protocollo di studio, dalle attività clinico-assistenziali e terapeutiche alle attività gestionali nelle singole fasi di screening, randomizzazione, trattamento e follow up (se applicabile). Il PI

rimane comunque il responsabile ultimo della gestione dello studio clinico.

- **Coordinatore di Ricerca Clinica (CRC) o Study Coordinator:** coordina le attività di gestione dello studio clinico dal punto di vista non medico, in accordo con le Norme di Buona Pratica Clinica, le Procedure Operative Standard e le normative vigenti, interfacciandosi con il personale medico-infermieristico e con le strutture regolatorie ed amministrative (Comitato Etico, Direzioni Sanitarie, Promotori, Contract Research Organization). Il CRC è altresì responsabile della gestione dei dati.
- **Data Manager:** si occupa dell'inserimento dei dati dalla cartella clinica dei pazienti arruolati nel trial ai sistemi di raccolta dati protocollo-specifici (CRF: Case Report Form)
- **Infermiere di ricerca (Study Nurse):** l'infermiere di ricerca gestisce i trattamenti dei pazienti e ne pianifica l'assistenza infermieristica, contribuisce alla raccolta e alla gestione dei campioni biologici e dei dati, interfacciandosi con il team di ricerca e con i pazienti.

12



Come viene tutelato il paziente?



Scrupolose linee guida hanno il compito di tutelare chi sceglie di partecipare ad una Sperimentazione Clinica. Tutti gli Studi condotti presso la Clinica Oncologica sono tenuti per legge ad essere approvati e monitorati dal Comitato Etico della Regione Marche (CERM), allo scopo di garantire che i possibili rischi siano ridotti al minimo e che siano minori dei potenziali benefici.

Il Comitato Etico è un organo indipendente, composto da medici, farmacologi, infermieri, bioetici, esperti in materia giuridica ad altri professionisti ed è preposto a:

- garantire l'eticità dello studio;
- tutelare i diritti dei pazienti;
- valutare per ogni studio la rilevanza scientifica, l'adeguatezza del piano sperimentale, l'analisi statistica e il rapporto rischio/beneficio.

13

Gli studi clinici sono regolati da codici etici e tutti gli operatori sanitari e non coinvolti nella conduzione della sperimentazione operano in accordo con le Norme di Buona Pratica Clinica (GCP: Good Clinical Practice), della Dichiarazione di Helsinki nel rispetto della normativa vigente, del protocollo di studio e sotto la supervisione dello Sperimentatore Principale.

I nomi dei partecipanti alla sperimentazione clinica non vengono diffusi ed i dati sono utilizzati nel pieno rispetto della privacy ai sensi delle linee guida per i trattamenti di dati personali nell'ambito delle sperimentazioni cliniche di medicinali - adottate dal Garante per la protezione dei dati personali con Deliberazione n.52 del 24 luglio 2008 G.U. n. 190 del 14 agosto 2008, in conformità con il Testo unico D.L. 30 giugno 2003 n. 196 "Codice in materia di protezione dei dati personali" e in conformità con il Regolamento Generale sulla Protezione dei Dati (GDPR), UE 2016/679)

Il paziente può decidere di abbandonare lo studio in qualsiasi momento, informando il personale della sperimentazione e dando preferibilmente spiegazioni dei motivi che lo hanno portato a tale scelta.

La nostra realtà: Clinica Oncologica

A.O.U. Ospedali Riuniti di Ancona

(Centro accreditato AIFA per Studi di Fase I)

In Clinica Oncologica un team dedicato di professionisti esperti si occupa quotidianamente di coordinare e gestire gli studi clinici per il trattamento dei pazienti affetti da tumori solidi con terapie innovative condotti secondo la normativa di "Good Clinical Practice". Le GCP sono uno standard internazionale di etica e qualità scientifica per progettare, condurre, registrare una sperimentazione clinica che coinvolga soggetti umani. La maggior parte degli studi prevede l'impiego di farmaci biologici e di immunoterapici, da soli o in combinazione con le terapie tradizionali avendo come principale scopo garantire le cure più sicure ed efficaci per ciascun paziente.

Nella Clinica Oncologica sussiste un'Unità Clinica di Fase 1 che ha ottenuto l'accreditamento dell'Agenzia Italiana del Farmaco per le sperimentazioni cliniche di fase I. Un particolare interesse è rivolto agli studi clinici precoci di fase I-IIa che prevedono un disegno di dose finding ed analisi farmacocinetiche complesse e rappresentano il primo passo nella sperimentazione del nuovo farmaco nell'uomo.

Gli sperimentatori lavorano per individuare il profilo di sicurezza e la migliore modalità di somministrazione del nuovo farmaco, studiando la dose più appropriata, in rapporto alla tossicità della nuova molecola. Questi studi, in modo particolare, consentono di offrire ai pazienti nuove opportunità terapeutiche.

L'accesso ai nuovi farmaci è possibile per i pazienti afferenti alla Clinica Oncologica, ma anche per coloro provenienti dall'intera Regione Marche e da fuori regione.

Contatti



Sperimentatore Principale (Principal Investigator - PI):

Prof.ssa Rossana Berardi

Tel.: 071 596 4169 **Fax** 071 5964192

E-mail: rossana.berardi@ospedaliriuniti.marche.it



Sperimentatore delegato (Sub Investigator - Sub-I):

Dott.ssa Zelmira Ballatore

Tel.: 071 596 4982 **Fax** 071 5965093

E-mail: zelmira.ballatore@ospedaliriuniti.marche.it



Dott.ssa Francesca Morgese

Tel.: 071 596 4167 **Fax** 071 5965093

E-mail: francesca.morgese@ospedaliriuniti.marche.it



Coordinatore di Ricerca Clinica (Study Coordinator - SC)

Dott.ssa Michela Burattini

Tel.: 071 596 5093 **Fax** 071 596 5053

E-mail: michela.burattini@ospedaliriuniti.marche.it



Dott.ssa Alessandra Lucarelli

Tel.: 071 596 5093 **Fax** 071 596 5053

E-mail: alessandra.lucarelli@ospedaliriuniti.marche.it



Data Manager (DM)

Dott.ssa Giulia Ricci

Tel.: 071 596 4169 **Fax** 071 596 4192

E-mail: giulia.ricci@ospedaliriuniti.marche.it



Infermiere di Ricerca (Study Nurse - SN):

Dott. Lorenzo Mariotti

Tel.: 071 596 5093 **Fax** 071 596 5053

E-mail: lorenzo.mariotti@ospedaliriuniti.marche.it

Per scaricare questo opuscolo informativo consultare:
<https://www.oncologiamarche.it>

*Opuscolo informativo a cura del Centro accreditato AIFA per Studi di Fase I
Clinica Oncologica - Università Politecnica delle Marche - A.O.U. Ospedali Riuniti di Ancona
Questo opuscolo è stato valutato per chiarezza e comprensibilità da Marcangola,
rete di associazioni di volontariato attiva per l'oncologia marchigiana*



Progettazione grafica by

