



Guida per il Paziente

A cura del prof. Matteo Giovanni Della Porta

LE SPERIMENTAZIONI CLINICHE NELLE **SINDROMI MIELODISPLASTICHE**

Una iniziativa congiunta



Associazione Italiana
Pazienti Sindrome Mielodisplastica

Una guida per il paziente *consapevole*

Annamaria Nosari

Vicepresidente AIPaSiM



Terapia sperimentale

VANTAGGI

Esponde il paziente ad un farmaco innovativo e promettente

- Possibilità di beneficio “anticipato”

Il paziente viene osservato da tante persone (il suo medico, altri componenti dello staff presso il centro di cure, persone esperte addette alla sperimentazione che ricevono le informazioni e monitorizzano il comportamento degli sperimentatori

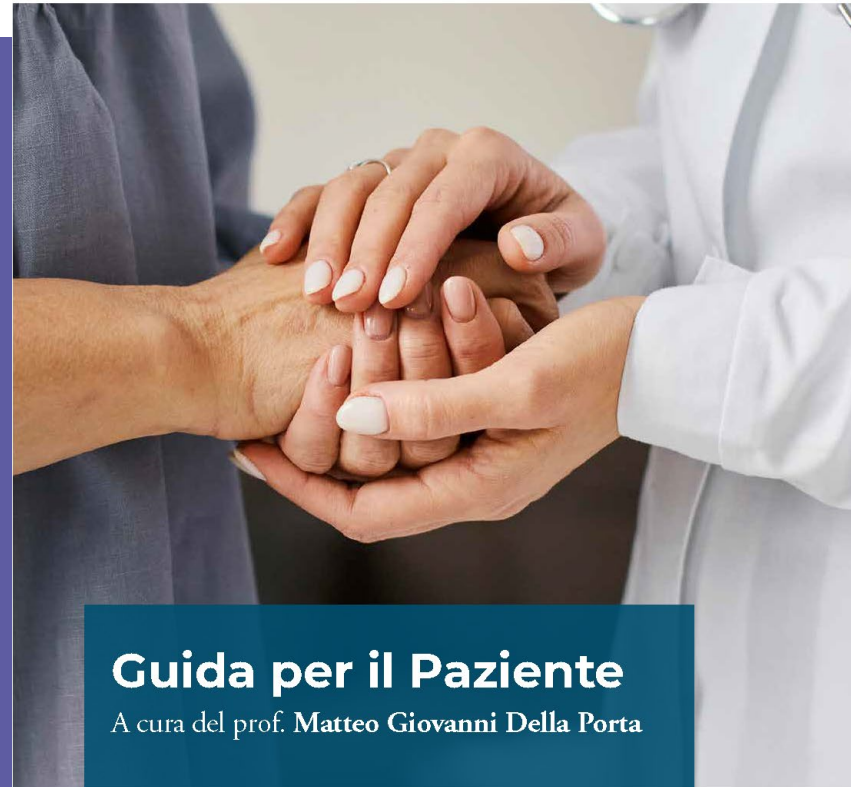
RISCHI

- Tossicità
- Inefficacia (futilità) o risultati peggiori

Perché una guida per il paziente “consapevole”?



La proposta di partecipare a una sperimentazione clinica può suscitare interesse ed entusiasmo, ma anche a volte perplessità ed indecisione



Guida per il Paziente

A cura del prof. Matteo Giovanni Della Porta

LE SPERIMENTAZIONI
CLINICHE NELLE
SINDROMI
MIELODISPLASTICHE

La guida per il paziente, vuole assicurare la piena consapevolezza di chi è coinvolto nella sperimentazione di nuove terapie superando i timori, legati all'incertezza sui benefici e sui possibili rischi di una nuova terapia definita “sperimentale”.



La pubblicazione utilizza un linguaggio che vuole essere semplice e chiaro, ed è organizzata secondo “parole chiave” che ci guideranno nell’approccio e nella comprensione di questo mondo in grandissima espansione.

PAROLE CHIAVE

“Non possiamo aspettarci che le cure piovano dal cielo.

Dobbiamo darci da fare per trovarle.”

Michael J. Fox

La conoscenza è il primo diritto dei pazienti riguardo alla partecipazione ad una sperimentazione clinica.

La carta dei diritti del partecipante alla sperimentazione clinica

- ricevere informazioni sullo scopo della sperimentazione clinica
- ricevere informazioni su tutti i rischi, gli effetti collaterali o i disagi ragionevolmente prevedibili
- ricevere informazioni sui benefici ragionevolmente attesi
- ricevere informazioni sulle opzioni disponibili e su come tali opzioni possono essere migliori o peggiori rispetto all'oggetto di studio nella sperimentazione clinica
- avere la possibilità di rivolgere tutte le domande ritenute necessarie sulla sperimentazione prima di esprimere il proprio consenso, nonché in qualsiasi momento nel corso della sperimentazione
- avere tutto il tempo necessario, senza pressioni, per decidere se acconsentire a partecipare
- avere la possibilità di rifiutare la partecipazione, per qualsiasi motivo, prima e dopo l'inizio della sperimentazione

I PAZIENTI SONO GLI ESPERTI



*Le sperimentazioni cliniche moderne
si fanno non “sui” pazienti ma “con”
i pazienti*

La partecipazione dei pazienti ai processi di realizzazione e approvazione di una sperimentazione clinica è preziosa ed è anche stata sancita dal Regolamento Europeo n° 536 del 2014, nel quale si afferma che, “in sede di determinazione degli organismi appropriati ai fini della valutazione della domanda di autorizzazione a condurre una sperimentazione clinica per i medicinali per uso umano, gli Stati membri dovrebbero assicurare la partecipazione di persone non addette ai lavori, in particolare di pazienti o di organizzazioni di pazienti

SICUREZZA

Gli studi vengono rivisti e approvati dai Comitati Etici. Il Comitato Etico (CE) ha la funzione di proteggere i diritti e il benessere delle persone che partecipano agli studi clinici.

COS'È IL COMITATO ETICO



**Garanzia pubblica della tutela della persona come bene primario benessere delle persone
rispetto della loro volontà e della loro privacy (dati sensibili)**

in Italia non è possibile sperimentare un farmaco / dispositivo sull'uomo senza parere favorevole da parte di CE

Documenti e strumenti giuridici condivisi a livello internazionale

- **Dichiarazione di Helsinki (2013)**
- **Convenzione di Oviedo sui diritti dell'Uomo e la Biomedicina (2008)**

a normative vigenti a livello nazionale e (in teoria) sovranazionale (Comunità Europea)

- **Norme di buona pratica clinica (Good Clinical Practice - GCP)**
- **Linee guida dell'European Medicines Agency (EMA).Co**

Definizione

- organismo **indipendente** presente in sedi istituzionali (ISS), in strutture sanitarie pubbliche e in IRCCS
- creazione negli anni 90 (CNB) , prima normativa nel 1998, sottoposto a nuova normativa con legge 11 gennaio 2018, n. 3 (legge Lorenzin).
- composto da professionisti e rappresentanti di pazienti e cittadini (15-25) in possesso delle qualifiche e dell'esperienza necessarie.
- medici, farmacisti, bioeticisti, statistici, infermieri, metodologi, rappresentanti dei pazienti, rappresentanti dei cittadini

Compito

- valutazione attenta e competente degli aspetti etici e scientifici di studi retrospettivi e prospettici e di richieste per uso compassionevole di farmaci

Finalità

- Garanzia pubblica della tutela di **diritti, sicurezza** (compresa la tutela della privacy, con DPO (Data Protection Officer) e **benessere delle persone** coinvolte nello studio/ sperimentazione/ uso compassionevole di farmaci,
 - capaci di intendere e volere (esprimere un consenso,(*competent*)
 - temporaneamente o continuativamente incapaci di esprimere il consenso (*non competent*)

SICUREZZA

Gli studi vengono rivisti e approvati dai Comitati Etici. Il Comitato Etico (CE) ha la funzione di proteggere i diritti e il benessere delle persone che partecipano agli studi clinici.

- Le sperimentazioni cliniche moderne si eseguono in Centri specializzati, che hanno strutture dedicate e personale medico e infermieristico che ha ricevuto una formazione specifica. Con la Legge n° 3 dell'11 gennaio 2018,
- l'Italia si è allineata allo standard europeo prevedendo l'individuazione dei requisiti dei centri autorizzati che vengono sottoposti a monitoraggio annuale
- e di pubblicazione dell'elenco dei centri autorizzati nel sito internet dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA).
- Inoltre, chi partecipa ad uno studio clinico viene sottoposto a controlli estremamente rigorosi (in molti casi ancora più accurati rispetto a quelli che normalmente si eseguono nella pratica clinica)

Le agenzie regolatorie del farmaco (EMA, FDA)

Le agenzie regolatorie insieme a parametri obiettivi clinici quali:

- Prolungamento della sopravvivenza
- Miglioramento dei parametri clinici

richiedono la misurazione di qualità di vita e la percezione soggettiva del paziente:

- Miglioramento fisico, della fatigue e della dispnea
- Miglioramento delle aspettative e del senso di angoscia

come misure di efficacia e di sicurezza.

UN LUNGO PERCORSO



Dal momento in cui un nuovo farmaco viene testato in laboratorio a quando arriva ad essere a disposizione di tutti i pazienti affetti da sindrome mielodisplastica, possono occorrere decine di anni, miliardi di euro, migliaia di volontari, di medici e di ricercatori. Anche prima che una terapia possa essere sperimentata sugli esseri umani occorrono anni di ricerche di base e precliniche per stabilire se possa funzionare e se sia sicura.

Le fasi della sperimentazione

- **Fase 1:** sperimentazione per trovare la dose massima tollerata di un farmaco sperimentale. E' disegnato per aumentare le dosi (generalmente vengono osservati per eventi avversi 3 pazienti per ogni livello di incremento di dose)
- **Fase 2:** generalmente a singolo braccio (tutti i pazienti inseriti nella sperimentazione ricevono il farmaco) per confermare la sicurezza e studiare l'efficacia del farmaco (la proporzione che raggiunge l'obiettivo desiderato)

UN LUNGO PERCORSO



Dal momento in cui un nuovo farmaco viene testato in laboratorio a quando arriva ad essere a disposizione di tutti i pazienti affetti da sindrome mielodisplastica, possono occorrere decine di anni, miliardi di euro, migliaia di volontari, di medici e di ricercatori. Anche prima che una terapia possa essere sperimentata sugli esseri umani occorrono anni di ricerche di base e precliniche per stabilire se possa funzionare e se sia sicura.

Le fasi della sperimentazione

- **Fase 3:** *sperimentazione “randomizzata”*. Un gruppo di pazienti a caso riceve il farmaco sperimentale e un gruppo a caso riceve un placebo (aspetto identico al farmaco ma privo di sostanza attiva) oppure la terapia di riferimento del momento. L’assegnazione viene espletata da un sistema elettronico per non introdurre “bias”.
- Il processo di randomizzazione rende i 2 gruppi simili per caratteristiche di base e quindi confrontabili.
- **Fase 4:** *studio di conferma dopo approvazione del farmaco per controllare rigorosamente la sicurezza ed efficacia nel mondo reale*

QUALI DOMANDE FARE AL MEDICO SPERIMENTATORE PER UNA SCELTA CONSAPEVOLE



- Qual è lo scopo dello studio?
- Quali sono i potenziali rischi e benefici?
- In uno studio randomizzato, quante sono le probabilità di essere assegnati al gruppo che riceve il farmaco sperimentale?
- Quali sono i possibili effetti collaterali?
- Con quale frequenza è necessario venire in ospedale per le visite?
- È necessario farsi accompagnare da qualcuno alle visite presso il centro?
- È necessario il ricovero in ospedale?
- Quanto dura lo studio?
- Se il trattamento risulta utile, si potrà continuare dopo la fine della sperimentazione?



Grazie a tutti per l'attenzione