

XI FORUM NAZIONALE
AIPaSiM



Associazione Italiana
Pazienti Sindrome Mielodisplastica

**SINDROMI
MIELODISPLASTICHE:
INIZIO DI UNA NUOVA
ERA PER I PAZIENTI?**



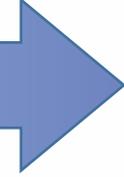
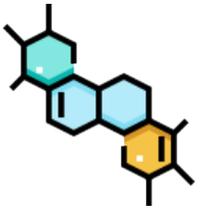
REGGIO CALABRIA

Il ruolo dei pazienti nelle sperimentazioni

Ilaria Delfino, GOM "BMM", Reggio Calabria

Sperimentazione Clinica: cos'è?

Qualsiasi studio finalizzato a **scoprire** o **verificare** gli effetti di un nuovo farmaco o di uno già esistente per **nuove indicazioni terapeutiche** con l'obiettivo di accertarne la **sicurezza** ed **efficiacia** prima dell'immissione in commercio.



Le fasi della sperimentazione clinica



Fase I: Tollerabilità, sicurezza



Fase II: Sicurezza, proprietà terapeutiche



Fase III: Conferma dell'efficacia



Fase IV: Conferma dell'utilizzo del farmaco in pratica clinica

Gli attori della sperimentazione clinica

Tutti indispensabili, operano in stretta collaborazione con l'obiettivo primario di offrire nuove opportunità terapeutiche ai pazienti



Lo sponsor



Detto anche promotore, è l'**ideatore dello studio clinico** ed è definito come “un individuo, una società, un'istituzione, oppure un'organizzazione che, sotto la propria responsabilità, dà inizio, gestisce e/o finanzia uno studio clinico” (*e.g. azienda farmaceutica, università, ospedale, associazioni per la ricerca, etc.*)



E' l'unico **responsabile** della **qualità** ed **integrità** dei dati

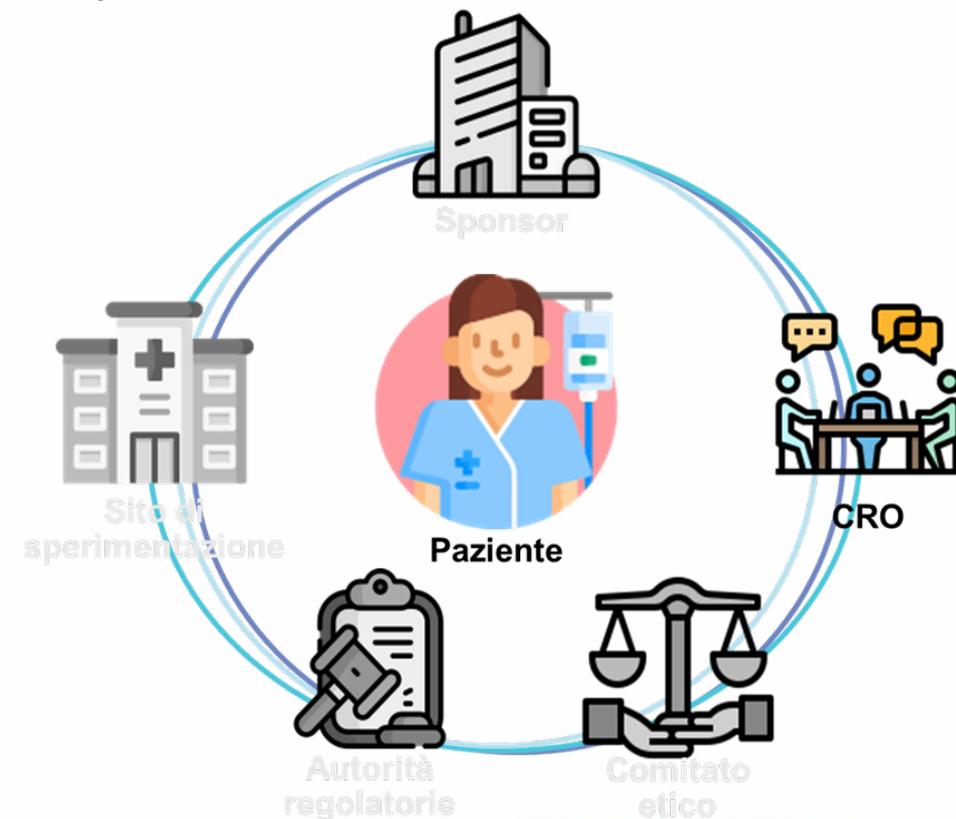


La CRO (Organizzazione di ricerca a contratto)



E' un'organizzazione commerciale o accademica che viene assunta da uno sponsor per eseguire uno o piu compiti legati ai trial clinici che promuove, tra cui:

-  **Gestione** dei rapporti finanziari ed amministrativi con i centri (ospedali)
-  **Elaborazione e stesura** dei protocolli di ricerca, del consenso informato e fogli informativi
-  **Ideazione ed elaborazione** della scheda raccolta dati del paziente
-  **Gestione** dei dati ricevuti ed elaborati
-  **Monitoraggio** clinico presso i singoli centri
-  **Invio** materiale di studio (kit di laboratorio, strumentazione varia) presso il centro di ricerca, raccolta dei campioni biologici e loro analisi



Il comitato etico

-  Organo indipendente, costituito da almeno 5 professionisti, che ha il compito di **tutelare i diritti e garantire** la sicurezza del soggetto partecipante ad uno studio.
-  Può esprimere un parere sul protocollo di studio, revisiona i consensi informati, le schede raccolta dati ed i documenti allegati per valutarne l'eticità, la legalità e la sicurezza per i pazienti



Le autorità regolatorie



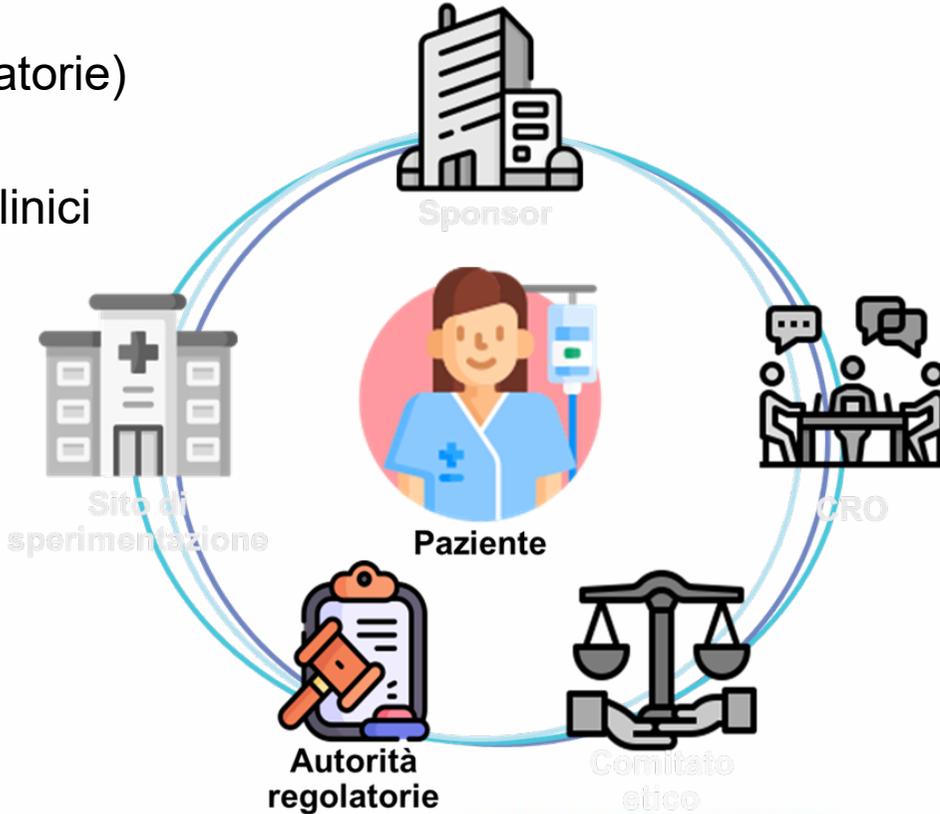
AIFA: Agenzia Italiana del Farmaco



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA: Agenzia Europea per i Medicinali

-  Possono emanare disposizioni normative (azioni regolatorie)
-  Effettuano la revisione dei dati provenienti dagli studi clinici
-  Valutano i farmaci prima che questi possano essere commercializzati ed utilizzati in una popolazione più ampia



Il sito di sperimentazione

-  Struttura (ospedale pubblico o privato, IRCCS, fondazione) in cui si svolge la sperimentazione clinica
-  Deve possedere tutte le attrezzature, strutture, tempi e mezzi necessari alla conduzione della sperimentazione
-  Il personale coinvolto deve essere competente e con una comprovata esperienza nella conduzione di sperimentazioni cliniche secondo la GCP (Good Clinical Practice)



Gli attori della sperimentazione clinica: Il principal investigator



“Una persona responsabile della conduzione dello studio clinico presso un centro di sperimentazione” (GCP 1.34)

-  Deve essere qualificato per formazione ed esperienza, fornendo un Curriculum Vitae dettagliato
-  Deve conoscere molto bene il protocollo di studio
-  Ha l'obbligo di garantire un adeguato supporto allo studio
-  Può nominare un co-sperimentatore al quale delegare tutte o alcune funzioni
-  Il protocollo di studio deve essere scrupolosamente seguito, senza apportare alcuna modifica o deviazione
-  Informa il paziente e ottiene il consenso informato scritto, firmato e datato
-  Lo sperimentatore, o suo delegato, è responsabile dell'affidabilità del prodotto sperimentale presso il proprio centro



Gli attori della sperimentazione clinica: Gli study nurses



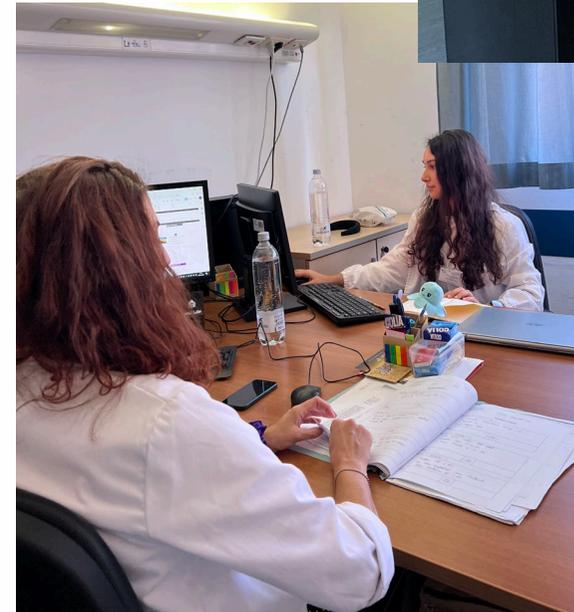
-  Vengono designati dallo sperimentatore, sempre sulla base di un CV comprovante formazione ed esperienza in ambito di ricerca clinica
-  Assistono i pazienti che partecipano ai trial clinici
-  Eseguono specifiche procedure richieste dal trial clinico
-  Si occupano della preparazione e somministrazione del farmaco sperimentale



Gli attori della sperimentazione clinica: Lo study coordinator/data manager



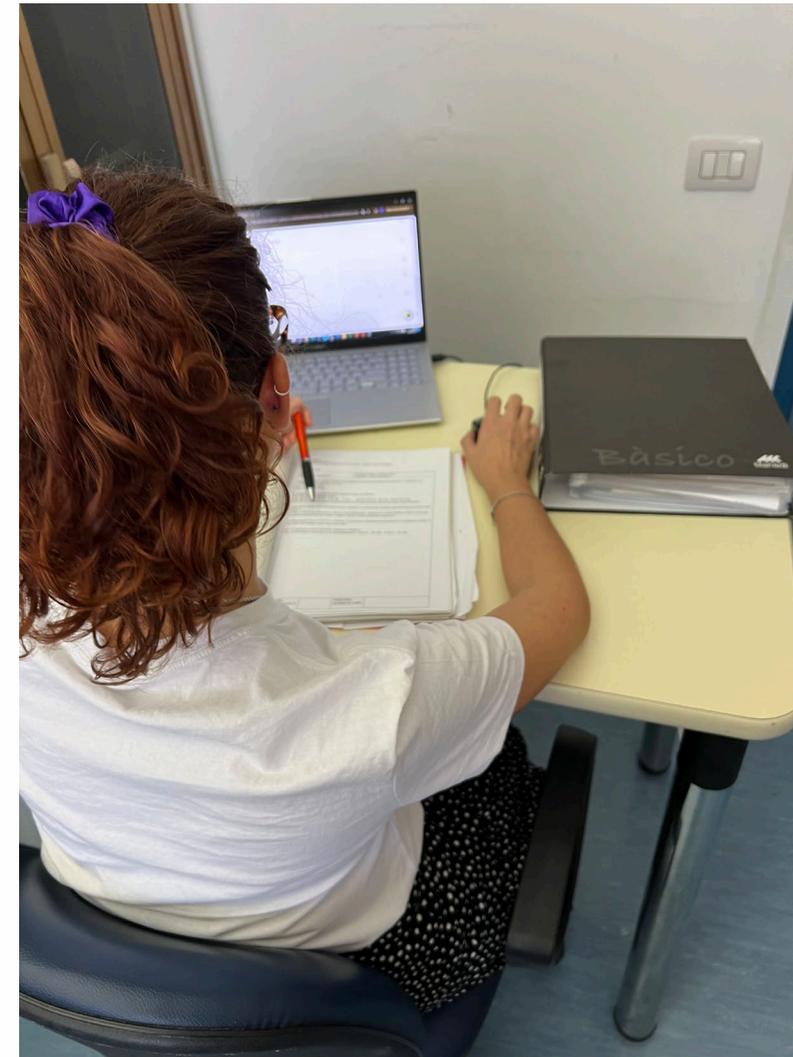
-  Supporta lo staff nelle attività specifiche previste dal protocollo
-  Prepara e invia i campioni biologici ai laboratori centralizzati
-  Gestisce i sistemi elettronici per l'assegnazione del farmaco sperimentale
-  Archivia i documenti di studio e prepara quelli propedeutici all'attivazione di uno studio clinico
-  Comunica gli AE/SAE
-  Somministra i questionari di qualità della vita ai pazienti (ePRO)
-  Raccoglie i dati clinici dei pazienti e li inserisce nelle eCRF



Gli attori della sperimentazione clinica: Il Clinical Research Associate (il 'monitor')



-  Fa da tramite tra lo sponsor e lo sperimentatore
-  Garantisce che la sperimentazione venga condotta e documentata in modo appropriato
-  Mantiene i contatti con gli sperimentatori al fine di assicurarsi che tutte le comunicazioni (e.g. variazioni del protocollo) avvengano nel modo corretto
-  Deve comunicare il mancato rispetto del protocollo ed agire nel modo migliore e suggerire attività di miglioramento per evitare che si ripetano



Gli attori della sperimentazione clinica: Il paziente

 E' colui/colei che **nessita** di cure e attenzioni

 **Contribuisce** alla raccolta dati indispensabili per validare il beneficio di un nuovo trattamento

 **Contribuisce** all'immissione in commercio di un farmaco che potrà dare benefici ad altri pazienti



Il paziente e la partecipazione alla sperimentazione clinica

-  I partecipanti vengono scelti sulla base della malattia e di determinate caratteristiche clinico-biologiche
-  I partecipanti **devono rispettare tutti i criteri di inclusione ed esclusione** definiti dal protocollo sperimentale
-  Il mancato rispetto di anche un solo criterio di inclusione/esclusione non consente al paziente di partecipare alla sperimentazione



Il consenso informato



Regolamento (UE) 536/2014: “ **l’espressione libera e volontaria** di un soggetto della propria disponibilità a partecipare a una determinata sperimentazione clinica, dopo essere stato informato di tutti gli aspetti della sperimentazione clinica rilevanti per la decisione del soggetto di partecipare (..)

“Le informazioni fornite consentono al soggetto o al suo rappresentante legalmente designato di comprendere”:

-  la natura, gli obiettivi, i benefici, le implicazioni, i rischi e gli inconvenienti della sperimentazione clinica
-  i diritti e le garanzie riconosciuti al soggetto in relazione alla sua protezione, in particolare il suo diritto di rifiutarsi di partecipare e il diritto di **ritirarsi dalla sperimentazione clinica in qualsiasi momento** (..)
-  le condizioni in base alle quali è condotta la sperimentazione clinica (...)
-  i possibili trattamenti alternativi, comprese le misure di follow-up qualora la partecipazione del soggetto alla sperimentazione clinica sia sospesa.



Il consenso informato: le caratteristiche



-  Utilizzare un linguaggio **comprensibile, non equivoco, personalizzato e contestualizzato**
-  Essere adattato ai particolari bisogni di ciascun partecipante allo studio
-  **Spiegare** gli aspetti sperimentali, la randomizzazione, le procedure e le visite



La compliance/aderenza allo studio del paziente

E' l'attitudine del paziente a seguire le procedure del protocollo sperimentale

-  **Impegno** (puntualità negli orari degli appuntamenti)
-  **Spostamenti** (viaggi)
-  **Tempi di attesa** tra una procedura e un'altra
-  **Ansia e paura** (peggioramento delle condizioni cliniche o legate a qualche procedura specifica)
-  **Rapporto con lo staff coinvolto**
-  **Aspettative** (speranza, delusione, etc.)



Il Caregiver

E' la persona che si **prende cura del paziente** (coniuge, figlio, amico)

-  Impegno (gestione della malattia e della terapia, svoglimento delle visite e delle procedure)
-  Impatto **psicologico/sociale/fisico** (supporto emotivo, capacità di adattarsi alle esigenze del paziente, aiuto nello svolgimento delle attività quotidiane)
-  Spostamenti (viaggi)
-  Tempi di attesa tra una procedura e un'altra

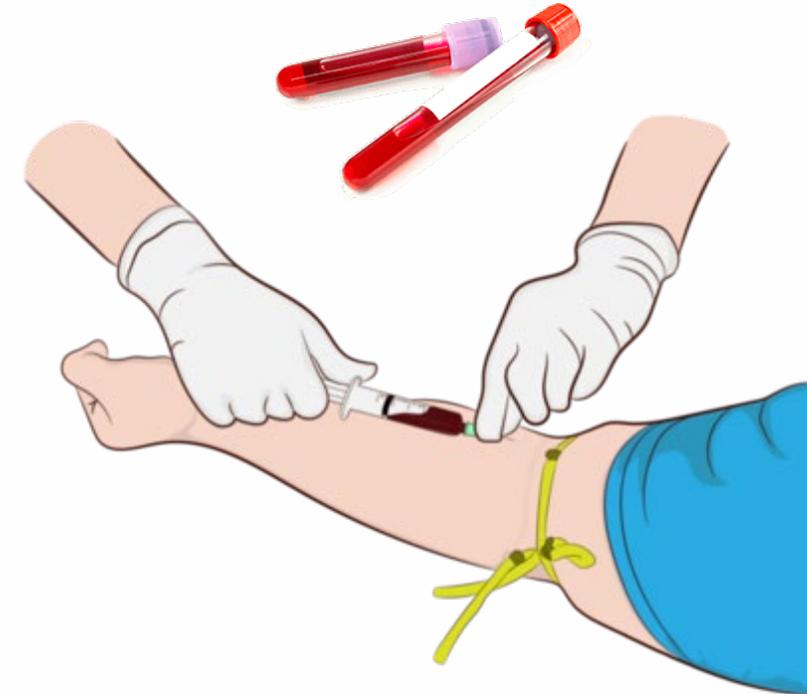
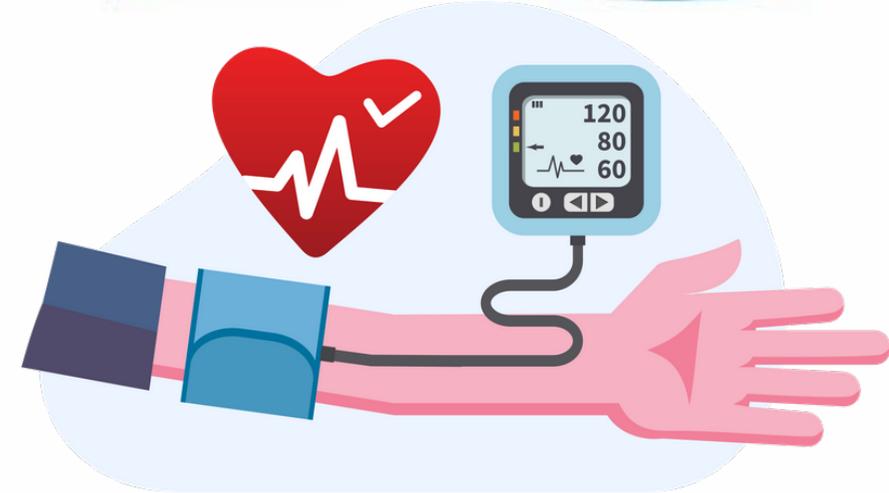


Le procedure sul paziente

-  Raccolta dei segni vitali
-  Prelievi ematici
-  Procedure per la rivalutazione di malattia
-  Specifiche procedure (ECG, etc.)
-  Questionari di qualità della vita

PROs – Patient Reported Outcomes

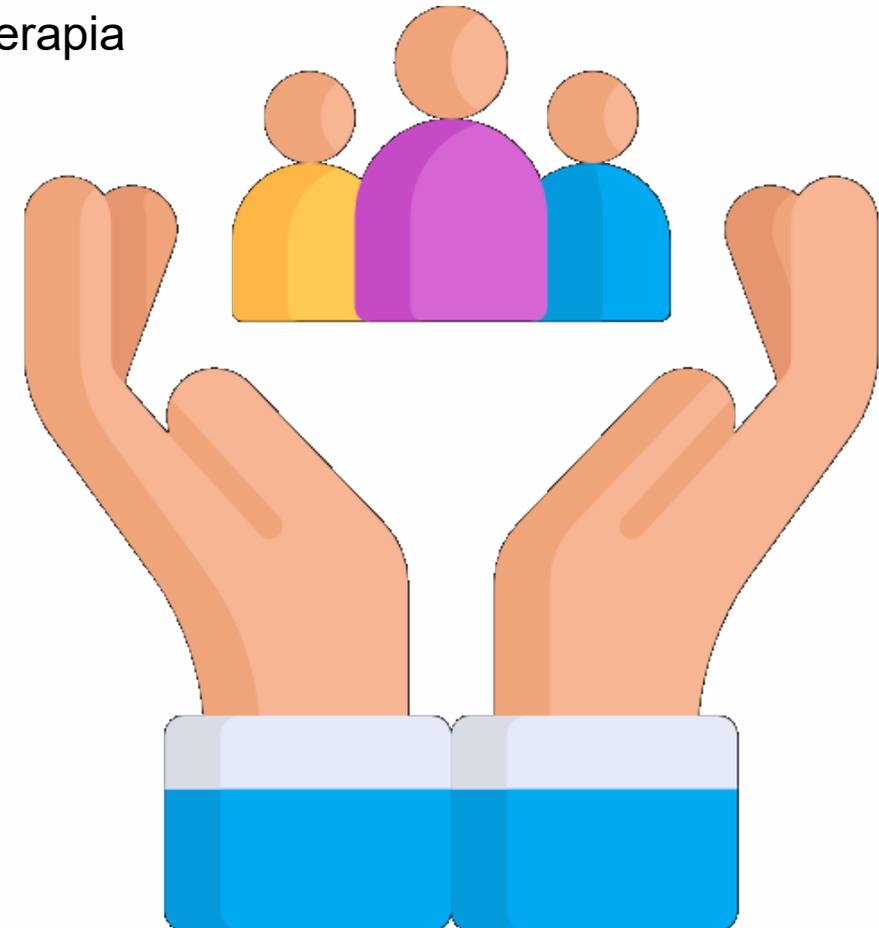
-  E' un **esito sanitario** riferito direttamente dal **paziente** che **lo ha sperimentato**.
Si contrappone a un esito riferito da altri, come un esito riferito da un medico, infermiere, etc.



La voce dei pazienti

L'esito riportato dai pazienti è quindi **essenziale** per:

-  **Capire** come gestire la malattia e i sintomi legati ad essa
-  Trovare il giusto **equilibrio** tra efficacia e sicurezza della terapia
-  **Migliorare** la diagnosi e la comunicazione tra medico e paziente
-  **Personalizzare** e **ottimizzare** le strategie terapeutiche
-  **Imparare** a conoscere le variabili che impattano sulla vita



Conclusioni

-  I pazienti che partecipano alle sperimentazioni cliniche compiono un atto di **generosità** verso la comunità e contribuiscono al progresso della scienza
-  La sperimentazione consente ai pazienti di accedere a trattamenti **innovativi** e a nuovi farmaci
-  Gli esiti riportati dai pazienti possono integrare i dati di efficacia e tossicità utilizzati per registrare un nuovo farmaco e valutarne l'impiego in pratica clinica
-  Gli studi clinici si svolgono entro rigide regole internazionali, normative ed etiche che assicurano la **massima tutela del paziente**



Grazie per l'attenzione!

