



LA SPERIMENTAZIONE CLINICA: COS'È E COME VI SI ACCEDE

Di Stefano Mazzariol – Paziente Esperto EUPATI

La sperimentazione clinica. Quali sono le sue caratteristiche e peculiarità?

La SC è una delle macro-fasi riguardanti l'intero percorso di Ricerca e sviluppo (R&S) di un farmaco o di una potenziale terapia. Si parla di SC anche in riferimento ad una nuova metodica diagnostica, ma per semplicità, questa relazione si concentrerà sul nuovo sviluppo di un farmaco.

La SC è quindi la macro fase più importante della Ricerca in quanto è condotta sull'essere umano e quindi deve necessariamente basarsi su una forte evidenza scientifica preclinica che giustifichi la possibilità di poter testare una potenziale terapia anche sull'uomo.

Con questa finalità la SC è vincolata da una serie di regole molto rigide: normative, linee guida e buone prassi che devono essere assolutamente rispettate, in modo da cercare di minimizzare, per quanto possibile, i rischi della somministrazione di una nuova molecola all'uomo.

Per fare questo si è deciso di procedere per step, in conformità alla normativa vigente. La sperimentazione clinica prevede pertanto 3 FASI:

FASE 1 – FASE 2 - FASE 3

Nella FASE 1 si utilizzano dei volontari sani ed è una fase il cui scopo principale è quello di testare la molecola dal punto vista della **sicurezza**: verranno analizzati gli eventuali effetti collaterali, la sua farmacocinetica, la farmacodinamica, tutta una serie di parametri correlati, ma non verrà ancora valutata la sua **efficacia**.

Se i dati della FASE 1 saranno effettivamente confortanti e soddisfacenti, si potrà passare alla **FASE 2**.

A questo punto, si comincia a somministrare la molecola ai primi pazienti che verranno seguiti dal punto di vista clinico, per verificare gli effetti della molecola (ovvero se questa possa avere degli effetti sulla patologia a cui è riferita), ma tenendo costantemente sotto controllo l'aspetto della sicurezza. Anche in questo caso ci troviamo infatti in una fase primordiale di somministrazione sull'uomo.

Se anche i risultati della FASE 2 dovessero dare degli esiti positivi, che possano giustificare il proseguimento della sperimentazione, si passerà alla **FASE 3**: la più importante, in quanto, in

caso di effettivo successo, potrebbe portare alla richiesta di autorizzazione del farmaco agli Enti regolatori.

Nella FASE 3, molto spesso i pazienti vengono **randomizzati**, ovvero divisi in 2 gruppi: un gruppo verrà assegnato al farmaco vero e proprio, l'altro verrà invece assegnato al **placebo**, un farmaco macroscopicamente identico, ma che non contiene il principio attivo. Lo scopo della randomizzazione è infatti quello di poter confrontare i dati dei due gruppi e cercare effettivamente di estrapolare la migliore evidenza scientifica di efficacia e sicurezza di questa molecola sulla malattia.

Ogni fase di sperimentazione ha un proprio **Protocollo**, in cui verranno indicate le procedure adottate nelle 3 FASI e che deve essere autorizzato dagli enti regolatori, prima di partire con la sperimentazione stessa.

Criteri di inclusione ed esclusione da una SC.

Il protocollo deve contenere tutti i criteri di inclusione ed esclusione dei pazienti. Esistono dei criteri di inclusione (parametri generici come la semplice età anagrafica del paziente fino a dei dati clinici molto più complessi) che devono essere soddisfatti per poter partecipare alla SC. Inoltre, esistono spesso i criteri di esclusione (una serie di parametri ed ottime motivazioni per le quali il paziente non può partecipare alla sperimentazione clinica in oggetto). In questo caso, un paziente che volesse partecipare alla SC, non dovrà soddisfare nemmeno uno dei parametri di esclusione.

Se a seguito del confronto medico si dovesse valutare che le caratteristiche del paziente corrispondono sia i criteri di inclusione e a nessuno dei criteri di esclusione, egli potrà eventualmente partecipare ad una visita molto approfondita, chiamata **visita di screening** in cui verrà testato tutto ciò che è necessario sapere prima di partire per la sperimentazione e si cercherà di capire se effettivamente il paziente in oggetto potrà essere arruolato per lo studio clinico di cui si sta parlando. Il paziente è quindi definito "arruolabile" e sarà invitato a seguire la procedura del **consenso informato**.

Di cosa si tratta? è un confronto tra il medico o i medici che seguiranno la sperimentazione clinica nel quale saranno esposte al Paziente tutte le procedure utilizzate durante la SC, gli eventuali rischi e si risponderà a tutte le possibili domande, dubbi in merito.

Se il Paziente si riterrà soddisfatto delle risposte e confermando la volontà di partecipare allo studio clinico, firmerà il modulo di consenso informato e potrà partecipare allo studio nei tempi che verranno definiti dallo stesso.

E' infine importante sottolineare che lo scopo vero e principale di una sperimentazione clinica è quello di fornire dei dati che producano un'**evidenza scientifica**, che confermerà se la molecola in studio possa rappresentare o meno una potenziale speranza di cura per tutti i pazienti che ne beneficeranno.

COME PUO' UN PAZIENTE VENIRE A CONOSCENZA DI UNA SPERIMENTAZIONE CLINICA ATTINENTE ALLA PROPRIA PATOLOGIA?

Ci sono diversi modi per avere queste informazioni: per le patologie più diffuse, in genere, gli specialisti che hanno in cura il paziente lo informano sulla possibilità di accedere ad una sperimentazione.

Nel caso in cui si tratti di patologia ad alta complessità, o rara, occorre fare riferimento a dei centri specializzati. Nel caso di patologie rare è inoltre molto utile contattare le Associazioni dei

pazienti, che rappresentano un ottimo accentratore di tutte le informazioni relative alle sperimentazioni cliniche in corso.

Esistono poi dei registri di patologia, ai quali sarebbe molto utile essere iscritti perché questo permette di essere convocati nel caso di sperimentazioni che richiedono che richiedano determinati soggetti quello con caratteristiche idonee ad una determinata sperimentazione. Per chi dovesse avere delle conoscenze tecniche più approfondite, esistono degli ottimi portali sul web dove si possono ricercare anche le sperimentazioni in corso e in partenza.

QUANDO UNA SPERIMENTAZIONE CLINICA RAGGIUNGE IL PROPRIO OBIETTIVO?

In effetti, nel momento in cui la sperimentazione non dovesse raggiungere gli obiettivi che si era prefissata, nel Paziente nasce un senso di sconforto e una forte delusione delle proprie aspettative. E' pur vero che una sperimentazione, in quanto tale, deve fornire una risposta e non ho detto che questa sia sempre quella desiderata da noi pazienti. Rimane il fatto che spesso le sperimentazioni che non raggiungono l'obiettivo primario, rappresentano una base di partenza per capire che cosa non è andato bene, correggere il tiro e partire con nuove ricerche e nuove sperimentazioni che possono portare a risultati migliori.

Ed al Paziente che vi ha partecipato, a prescindere dall'esito, rimane la certezza di aver contribuito in prima persona all'avanzamento delle conoscenze e della ricerca scientifica nella propria patologia di competenza.