# LA RICERCA E GLI STUDI CLINICI

*Informazioni per pazienti*

SERVIZIO SANITARIO REGIONALE
EMILIA-ROMAGNA
Azienda Unità Sanitaria Locale di Reggio Emilia
IRCCS Istituto in tecnologie avanzate e modelli assistenziali in oncologia

# Sommario


| | |
|---|---|
| Introduzione | 3 |
| Cos'è uno studio clinico? | 5 |
| Perché la sperimentazione clinica è importante? | 6 |
| Quali sono gli obiettivi degli studi sperimentali? | 6 |
| Quali sono le fasi della sperimentazione clinica? | 7 |
| Chi finanzia gli studi clinici? | 8 |
| Partecipazione agli studi clinici | 8 |
| Come posso partecipare ad una sperimentazione clinica? | 8 |
| Cos'è il Consenso Informato? | 8 |
| Cos'è l'autorizzazione al trattamento dei dati personali? | 9 |
| Quali sono le garanzie di ricevere il trattamento sperimentale? | 10 |
| Quali sono i vantaggi per il paziente? | 10 |
| A quali rischi e/o disagi si può andare incontro partecipando ad una sperimentazione clinica? | 11 |
| Quali tutele ci sono per chi partecipa ad una sperimentazione clinica? Il Comitato Etico | 11 |
| Sperimentazione clinica e Diritti dei pazienti | 13 |
| Quali sono i diritti del paziente in sperimentazione clinica? | 13 |
| Alcune domande da fare prima di partecipare a uno studio clinico | 13 |

## Introduzione

L'Azienda USL-IRCCS di Reggio Emilia è un Istituto di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico nell'ambito delle Tecnologie Avanzate e Modelli Assistenziali in Oncologia.
Gli Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico (*IRCCS*) sono strutture di eccellenza che offrono prestazioni di ricovero e cura di alto livello e che sono orientate all'attività di ricerca in ambito sanitario. Gli IRCCS sono le punte di diamante del SSN per quel che riguarda l'attività di ricerca, e hanno la peculiarità di poter accedere ai finanziamenti che il Ministero della Salute mette a disposizione per sostenere l'attività di ricerca.

L'IRCCS di Reggio Emilia svolge assistenza assicurando attività di prevenzione, diagnosi, cura e riabilitazione in ambito oncologico a livello di eccellenza. Svolge inoltre attività di ricerca clinica, traslazionale e sanitaria in ambito oncologico.
L'obiettivo principale della ricerca scientifica è la produzione di nuove conoscenze, con ricadute positive sulle strategie aziendali in termini di sviluppo e innovazione, qualità clinico assistenziale e cultura organizzativa, sia a livello ospedaliero che territoriale.

L'attività di ricerca rappresenta un'opportunità per tutti i servizi e per tutti i professionisti, nella consapevolezza che la partecipazione all'attività di ricerca è un valore in sé e un elemento che migliora la qualità dell'assistenza.
Ciascun professionista contribuisce al meglio delle proprie potenzialità, delle proprie aspirazioni professionali e delle proprie competenze.

La **ricerca clinica** comprende studi condotti su pazienti in cura presso l'AUSL-IRCCS. Obiettivo generale è studiare i pazienti in tutte le loro dimensioni, ponendo l'attenzione alla fase della diagnosi, della terapia e del follow up. Professionisti di discipline diverse lavorano in team per consentire una visione d'insieme del malato che tenga conto della complessità della patologia tumorale e consenta di mettere a punto e valutare interventi di medicina personalizzata.

La **ricerca traslazionale** ha l'obiettivo di trasferire i risultati ottenuti in laboratorio al letto del paziente. I progetti di ricerca traslazionale cercano di migliorare la comprensione dei meccanismi molecolari alla base della patologia oncologica al fine di sviluppare nuovi strumenti per la diagnosi, la prognosi e la cura dei pazienti.

La **ricerca sanitaria** valuta la qualità dell'assistenza in ambito oncologico, valuta l'impatto clinico, organizzativo ed economico di interventi complessi, mirati a migliorare la qualità dei servizi. Valuta inoltre l'impatto di tecnologie innovative su esiti clinici e contesti organizzativi.

Questo opuscolo si pone l'obiettivo di chiarire i principali aspetti degli studi clinici e della partecipazione dei pazienti agli studi stessi.

## Cos'è uno studio clinico?

Ogni ricerca clinica si basa su regole contenute nel protocollo di studio. Il protocollo descrive gli obiettivi dello studio, le caratteristiche dei pazienti che possono farne parte, il programma, i dati e gli esami necessari per la sua conduzione e la durata dello studio. Dal punto di vista del paziente una distinzione importante riguarda la natura dello studio che può essere osservazionale oppure sperimentale. In uno **studio osservazionale** i ricercatori seguono i pazienti durante il percorso clinico-assistenziale e raccolgono i dati necessari.

Questo tipo di studi serve ad esempio a identificare fattori di rischio o fattori protettivi nei confronti di una malattia. I pazienti che accettano di partecipare a uno studio osservazionale non ottengono alcun beneficio né si sottopongono a procedure o rischi aggiuntivi, rispetto alla normale pratica clinica. In uno **studio sperimentale** *(detto anche sperimentazione clinica o clinical trial)*, i ricercatori *(sperimentatori)* non si limitano ad osservare i pazienti e raccogliere dati di interesse ma propongono un intervento diverso da quelli previsti dalla normale pratica clinica *(ad es. un nuovo trattamento)*.
Questo perché l'obiettivo dello studio sperimentale è quello di confrontare gli esiti di un trattamento sperimentale con gli esiti che si osservano durante la normale pratica clinica.

I pazienti che accettano di partecipare a uno studio sperimentale possono seguire un percorso di cura differente dalla normale pratica clinica, accedendo a trattamenti/tecnologie potenzialmente più efficaci di quelle disponibili.
Solo alla conclusione della sperimentazione si avranno informazioni disponibili *(risultati dello studio)* che permetteranno di valutare se il trattamento o percorso di cura sperimentale è più efficace del trattamento o percorso di cura previsto dalla normale pratica clinica.

## Perchè la sperimentazione clinica è importante?

Le sperimentazioni cliniche contribuiscono alla conoscenza ed al progresso nella lotta contro le malattie. Le terapie più efficaci sono il risultato di sperimentazioni cliniche che hanno permesso di valutarne la sicurezza e l'efficacia prima dell'utilizzo in pratica clinica e anche dopo l'utilizzo su larga scala.

## Quali sono gli obiettivi degli studi sperimentali?

Gli studi sperimentali possono avere obiettivi diversi, che vanno dalla prevenzione alla diagnosi e alla cura delle malattie.

Di seguito vengono indicati alcuni tipi di studi e i loro obiettivi:

- gli **studi di screening** valutano la capacità di un esame di scoprire la presenza di una malattia prima che la malattia stessa provochi sintomi;
- gli **studi diagnostici** valutano la capacità di un determinata tecnica o esame diagnostico di rilevare una certa malattia *(sensibilità)* e la capacità di scoprire questa malattia solo quando è effettivamente presente *(specificità)*;
- gli **studi terapeutici** valutano l'efficacia di un nuovo farmaco o, in generale, di un nuovo trattamento;
- gli **studi sulla qualità della vita** valutano il modo in cui la malattia o gli interventi medici influenzano i vari ambiti *(compreso quello psicologico)* della vita quotidiana del malato.

## Quali sono le fasi della sperimentazione clinica?

Una sperimentazione clinica può durare diversi anni durante i quali il trattamento sperimentale subisce una serie di verifiche secondo regole ben precise. Per questo motivo gli studi clinici attraversano diverse fasi. Ad esempio, nel caso della sperimentazione di un nuovo farmaco:

- Gli studi di **fase I** hanno come obiettivo quello stabilire la dose massima tollerata di un farmaco e la dose più appropriata in rapporto agli effetti collaterali che provoca. In alcuni studi di fase I si valuta anche la tollerabilità di una nuova via di somministrazione di una certo farmaco *(ad es. via endovenosa invece che per bocca)*;

- Gli studi di **fase II** valutano l'efficacia di una cura e registrano gli eventuali effetti collaterali. La valutazione dell'efficacia generalmente si basa sui seguenti elementi:
  1. quanti pazienti hanno tratto beneficio dalla cura *(sia completamente, che in modo parziale);*
  2. la durata di questi benefici *(cioè il tempo di assenza della malattia);*
  3. il tempo medio di sopravvivenza dei pazienti;

- Gli studi di **fase III** confrontano una nuova cura con una cura comunemente usata, considerando sia l'efficacia sia gli effetti collaterali;

- Gli studi di **fase IV** o studi "post marketing" continuano a raccogliere informazioni successivamente all'immissione in commercio di un farmaco. Queste informazioni riguardano l'efficacia, i rischi dovuti all'uso del farmaco stesso e il suo uso ottimale.

### Chi finanzia gli studi clinici?

Gli studi clinici possono essere finanziati da fondazioni, istituti di ricerca pubblici o privati, ospedali, industrie farmaceutiche, associazioni di pazienti.

## PARTECIPAZIONE AGLI STUDI CLINICI

### Come posso partecipare ad una sperimentazione clinica?

Di solito il medico che segue un paziente nel suo percorso clinico/assistenziale valuta la possibilità che un paziente partecipi ad una sperimentazione clinica. Per partecipare ad una sperimentazione è prevista una accurata serie di valutazioni da parte del medico sperimentatore per verificare se un paziente possiede i requisiti richiesti dallo studio. Questi requisiti, definiti nel protocollo di studio **criteri di inclusione/esclusione**, sono essenziali per individuare i pazienti idonei alla partecipazione e garantirne la sicurezza. I criteri di inclusione definiscono se un paziente può partecipare alla sperimentazione clinica; i criteri di esclusione definiscono la non idoneità alla sua partecipazione alla sperimentazione.

### Cos'è il Consenso Informato?

La partecipazione ad uno studio clinico è possibile soltanto se il paziente concede il "Consenso Informato" alla partecipazione allo studio. Il paziente può quindi scegliere liberamente se partecipare allo studio, o se rifiutare.
Lo sperimentatore è la figura che può valutare se un paziente è idoneo a partecipare alla sperimentazione ma la **decisone finale spetta al paziente.**

Il paziente potrà prendere tale decisione solo dopo che lo sperimentatore gli avrà consegnato il **modulo di informativa dello studio**, che contiene tutte le informazioni sullo studio, avrà spiegato in che cosa consiste lo studio, quali sono le potenzialità e gli eventuali rischi connessi alla sua partecipazione e avrà risposto a tutte le eventuali domande da parte del paziente.
Il paziente potrà chiedere di consultarsi con i famigliari, persone di fiducia o con il suo medico curante prima di prendere una decisione.

Per poter partecipare alla sperimentazione il paziente **dovrà necessariamente firmare e datare il modulo di consenso informato alla partecipazione,** modulo che dovrà essere contestualmente firmato e datato anche dallo sperimentatore. Una copia del modulo sarà consegnata al paziente mentre l'altra sarà archiviata nel fascicolo dello studio.

## Cos'è l'autorizzazione al trattamento dei dati personali?

Insieme al modulo di informativa dello studio/consenso informato alla partecipazione, il medico sperimentatore consegna al paziente un documento per l'autorizzazione al trattamento dei dati personali durante e al termine della studio.

Ogni dato concernente il paziente, **indispensabile** in relazione all'obiettivo dello studio, viene trattato garantendone la riservatezza dell'identità e l'anonimato. Il paziente potrà accedere ai suoi dati personali, opporsi al loro trattamento, esercitare il diritto all'oblio ed altri diritti rivolgendosi direttamente al centro di sperimentazione, nella delegata al trattamento dei dati. Anche questo modulo dovrà essere firmato dal paziente e sarà archiviato nel fascicolo dello studio.

## Quali sono le garanzie di ricevere il trattamento sperimentale?

Poiché l'obiettivo dello studio sperimentale è confrontare un trattamento sperimentale con la normale pratica clinica, i pazienti che accettano di partecipare a uno studio sperimentale vengono solitamente suddivisi in due gruppi: un gruppo riceverà il trattamento sperimentale mentre l'altro gruppo *(detto gruppo di controllo)* riceverà il trattamento migliore in uso per quella malattia.

L'assegnazione dei pazienti ad uno dei due gruppi di solito viene fatta tramite estrazione casuale. Ciò implica che la partecipazione ad una sperimentazione non garantisce che un paziente riceverà il trattamento sperimentale. Nelle sperimentazioni cliniche spesso né i pazienti né lo sperimentatore sanno quale trattamento è stato assegnato ai pazienti.

## Quali sono i vantaggi per il paziente?

Curarsi in una struttura che fa ricerca vuol dire avere la possibilità di accedere a tecnologie diagnostiche, terapeutiche e assistenziali innovative e potenzialmente migliori, che non sono ancora disponibili altrove.

Partecipare ad una ricerca/sperimentazione clinica offre la possibilità al paziente di essere protagonista della ricerca: egli contribuisce personalmente al progresso scientifico in ambito sanitario.

Non è possibile affermare se il paziente che partecipa ad una sperimentazione clinica possa avere dei vantaggi se non al termine della ricerca *(vedasi: Cosa si intende per ricerca clinica?)*.

## A quali rischi e/o disagi si può andare incontro partecipando ad una sperimentazione clinica?

I rischi non sono maggiori di quelli che si corrono per il trattamento migliore in uso per quella malattia. Tuttavia, in alcune sperimentazioni cliniche il trattamento sperimentale proposto potrebbe provocare effetti collaterali, anche gravi e imprevedibili. La possibilità che esitano rischi particolari legati al trattamento sperimentale viene comunicata al paziente dallo sperimentatore nel processo che prevede l'adesione allo studio *(vedasi: Cos'è il Consenso Informato?)*.

Inoltre, la terapia sperimentale potrebbe rivelarsi meno efficace di quelle già in uso. I protocolli sperimentali prevedono l'istituzione di un comitato indipendente di monitoraggio della sicurezza che valuta regolarmente l'andamento dello studio al fine di ridurre i rischi per i partecipanti.

La partecipazione ad uno studio può infine richiedere più tempo rispetto ad una terapia tradizionale, perché è necessario sottoporsi a più esami e trascorrere più tempo in ospedale.

## Quali tutele ci sono per chi partecipa ad una Sperimentazione Clinica? Il Comitato Etico

Chi sceglie di partecipare ad una sperimentazione clinica viene adeguatamente tutelato. Tutti i protocolli di studio condotti presso l'Azienda USL-IRCCS sono preventivamente approvati e monitorati dal Comitato Etico competente e dall'Autorità regolatoria nei casi previsti dalla normativa, allo scopo di garantire che i rischi siano ridotti al minimo e che siano minori dei potenziali benefici. Il Comitato Etico è l'organismo preposto alla salvaguardia dei diritti dei pazienti ed è un organismo indipendente, la cui composizione minima è stabilita per legge.

La composizione dei Comitati Etici deve garantire le qualifiche e l'esperienza necessarie a valutare gli aspetti etici, scientifici e metodologici degli studi proposti e ad assolvere alle funzioni attribuite. I componenti dei Comitati Etici devono essere in possesso di una documentata conoscenza ed esperienza nelle sperimentazioni cliniche dei medicinali e dei dispositivi medici e nelle altre materie di competenza del Comitato Etico.

**L'Autorità Competente regolatoria è l'istituzione che, a livello nazionale, tutela i pazienti che partecipano a uno studio clinico, assicurando che esso venga condotto in condizioni di sicurezza e con tutte le garanzie previste dalla normativa europea e italiana. Essa varia a seconda della tipologia dello studio. In Italia le principali autorità competenti sono l'Agenzia Italiana del Farmaco, il Ministero della Salute e l'Istituto Superiore di Sanità.**

Nessuno studio può essere avviato presso l'AUSL-IRCCS se non ha ricevuto il parere favorevole dal **Comitato Etico competente e l'Autorità regolatoria, per i casi applicabili**, in seguito ad una valutazione del merito scientifico del protocollo di studio, la rilevanza scientifica, il rapporto rischio/beneficio, l'analisi statistica, la fattibilità dello e l'eticità dello studio e se non ha ricevuto il nulla osta dell'AUSL-IRCCS.

# SPERIMENTAZIONE CLINICA E DIRITTI DEI PAZIENTI

## Quali sono i diritti del paziente in sperimentazione clinica?

- Il paziente deve essere informato su tutti gli aspetti dello studio *(vedasi: Cos'è il Consenso Informato);*
- Il paziente ha diritto alla riservatezza. I suoi dati vanno trattati in modo anonimo e per nessuna ragione diffusi *(vedasi: Cos'è l'autorizzazione al trattamento dei dati personali?)*;
- Il paziente dovrà essere costantemente informato per tutta la durata dello studio, qualora emergessero nuove informazioni di cui debba essere messo a conoscenza;
- Il paziente può decidere di interrompere la partecipazione ad uno studio in qualsiasi momento e per qualsiasi ragione senza doverne dare spiegazione *(vedasi: Cos'è il Consenso Informato);*
- Il paziente che decide di interrompere la partecipazione ad uno studio riceverà la miglior assistenza come da pratica clinica.

## Alcune domande da fare prima di partecipare a uno studio clinico..

Prima di decidere di partecipare a uno studio è bene, prima di tutto, leggere attentamente la documentazione che viene data e farsi spiegare dallo sperimentatore tutto ciò che non è chiaro.

Alcune domande possono facilitare il dialogo con lo sperimentatore:

- Qual è lo scopo dello studio?
- Perché i ricercatori credono che il trattamento proposto possa essere utile?

- Il trattamento è già stato sperimentato?
- Se sì, che risultati hanno dato gli altri studi?
- Quali sono gli effetti collaterali del trattamento?
- Quanto dura lo studio?
- Qual è oggi l'alternativa disponibile per me? È altrettanto efficace?
- Dovrò essere ricoverato in ospedale?
- Chi finanzia lo studio?
- I miei dati personali e sensibili saranno salvaguardati?
- Se la terapia proposta risultasse efficace, mi verrà fornita gratuitamente anche una volta terminato lo studio?
- Posso essere rimborsato per eventuali spese sostenute?

Per chiarimenti rivolgersi al:
**Servizio In-Forma Salute**
1° piano del CORE Centro Oncologico ed Ematologico Reggio Emilia

Dal lunedì a venerdì dalle 9 alle 13
**Tel 0522 296497 – 0522 295992**
informasalute@ausl.re.it

A cura della Direzione Scientifica

SERVIZIO SANITARIO REGIONALE
EMILIA-ROMAGNA
Azienda Unità Sanitaria Locale di Reggio Emilia
IRCCS Istituto in tecnologie avanzate e modelli assistenziali in oncologia

*Ultima revisione: settembre 2025*