



Biblioteca On-Line

L'informazione fornita è un'informazione scientifica generale: soltanto il medico può, in base alla storia clinica e familiare di ogni paziente, dare informazioni e consigli per il singolo caso specifico.

L'informazione contenuta in queste pagine ha pertanto lo scopo di chiarire alcune problematiche ed alcuni concetti generali per fare in modo che nel rapporto medico-paziente possa instaurarsi più facilmente un dialogo costruttivo basato sulla fiducia reciproca.

Gli studi clinici

Ciò che i pazienti devono sapere

INDICE

1. Scopo di questa guida ***pag. 2***
2. Cosa sono gli studi clinici? ***pag. 2***
 - Perché gli studi clinici sono importanti? ***pag. 3***
3. Cosa avviene nel corso di uno studio clinico? ***pag. 3***
 - Cosa comporta ricevere il trattamento nell'ambito di uno studio clinico? ***pag. 3***
 - Come sono condotte le ricerche? Come vengono tutelati i pazienti? ***pag. 4***
 - Perché negli studi clinici di terza fase vengono confrontati gruppi di pazienti che ricevono trattamenti diversi? ***pag. 6***
4. E' opportuno prendere parte ad uno studio clinico? ***pag. 7***
 - Studi clinici: valutare i pro e i contro ***pag. 7***
 - I vostri diritti, le vostre garanzie ***pag. 8***
 - Domande da porre ***pag. 9***
5. A chi rivolgersi per ottenere informazioni? ***pag. 11***
6. Chiedere e ottenere informazioni presso l'Istituto Nazionale per la Ricerca sul Cancro ***pag. 11***
7. Glossario ***pag. 12***

1. Scopo di questa guida

Questa guida è destinata alle persone affette da tumore, ai loro familiari e alle altre persone che si prendono cura di loro. È divisa in tre sezioni. Ciascuna sezione risponde alle principali domande che la maggior parte delle persone si pongono sugli studi clinici:

- Cosa sono gli studi clinici?
- Cosa avviene nel corso di uno studio clinico?
- E' opportuno prendere parte ad uno studio clinico?

Le prime due sezioni contengono informazioni sull'importanza del ruolo svolto dagli studi clinici per il miglioramento della cura contro il cancro. Viene anche spiegato il significato di alcuni dei termini tecnici che potrebbero essere utilizzati da medici e personale infermieristico.

La terza sezione di questa guida vi aiuterà a rispondere da soli alla terza domanda. Vengono infatti presentate alcune problematiche sulle quali è necessario riflettere quando si sta decidendo se partecipare ad uno studio clinico: ad esempio, quali sono i pro e i contro della partecipazione ad uno studio clinico dal punto di vista del paziente. Vengono anche elencate alcune domande da porre ai medici o al personale infermieristico a proposito dello studio a cui si sta pensando di partecipare.

2. Cosa sono gli studi clinici?

Gli *studi clinici* (chiamati anche *clinical trials* o sperimentazioni cliniche), studiano l'effetto di nuovi trattamenti sulle persone affette da cancro. Lo scopo di queste ricerche è trovare metodi più efficaci per trattare i tumori e aiutare i pazienti colpiti dalla malattia. Nel corso degli studi clinici vengono sperimentati molti tipi di trattamenti, come nuovi farmaci, nuove tecniche chirurgiche e radioterapiche di una specifica forma tumorale, nuove combinazioni di trattamenti, o nuovi metodi di cura come la terapia genica.

Lo studio clinico è uno degli stadi finali di un lungo e attento processo di ricerca per migliorare il trattamento dei pazienti affetti da tumore.

La ricerca di nuovi trattamenti inizia in laboratorio, dove gli scienziati inizialmente sviluppano nuove idee e ne sperimentano i possibili risultati. Se un approccio sembra promettente, lo stadio successivo può essere rappresentato dalla sperimentazione del trattamento sugli animali per vedere qual'è il suo effetto sul cancro negli esseri viventi e se ha effetti dannosi.

Naturalmente trattamenti che si dimostrano efficaci in laboratorio o sugli animali non sempre sono altrettanto efficaci sulle persone. Perciò, una volta che il nuovo trattamento si è dimostrato utile in laboratorio, vengono condotti studi sui pazienti affetti da cancro per vedere se i trattamenti promettenti sono sicuri ed efficaci anche sull'uomo.

Perché gli studi clinici sono importanti?

Gli studi clinici sono importanti da due punti di vista.

Gli studi clinici contribuiscono ad aumentare le conoscenze e a realizzare progressi nella lotta contro il cancro. Se un nuovo trattamento si rivela efficace in uno studio, può diventare un nuovo *trattamento standard* in grado di aiutare molti pazienti. Molti dei trattamenti standard più efficaci oggi utilizzati sono basati sui risultati di studi precedenti. Alcuni esempi sono costituiti dai trattamenti contro il cancro della mammella, del colon, del retto e contro i tumori che colpiscono i bambini. Gli studi clinici possono anche dare risposte a importanti quesiti scientifici e orientare le future ricerche. Grazie ai progressi compiuti attraverso gli studi clinici molti pazienti sottoposti a trattamenti contro il cancro oggi vivono più a lungo.

In secondo luogo i pazienti che prendono parte agli studi clinici possono essere aiutati in prima persona dal trattamento o dai trattamenti a cui sono sottoposti: i nuovi trattamenti possono anche presentare rischi sconosciuti, ma, se il nuovo trattamento si rivela efficace, i pazienti che partecipano allo studio clinico possono essere tra i primi a beneficiarne.

In passato gli studi clinici erano talvolta considerati come l'ultima spiaggia, per pazienti che non avevano altra opportunità, o perché colpiti da un tumore raro o perché con malattia avanzata. Oggi i pazienti affetti da tipi di cancro comuni spesso scelgono di ricevere il primo trattamento nell'ambito di uno studio clinico.

3. Cosa avviene nel corso di uno studio clinico?

Nel corso di uno studio clinico i pazienti ricevono un trattamento e i medici conducono una ricerca sugli effetti che il trattamento può avere. Come è già stato detto gli studi clinici possono comportare dei rischi, ma ciascun studio prevede che vengono prese delle precauzioni per proteggere i pazienti dagli eventuali rischi.

Cosa comporta ricevere il trattamento nell'ambito di uno studio clinico?

Quando si prende parte a uno studio clinico, si riceve il trattamento in un centro oncologico, in ospedale, in clinica e/o nell'ambulatorio del medico. Dell'équipe che si occupa

del trattamento fanno parte medici, personale infermieristico, assistenti sociali e altri operatori sanitari: essi seguiranno da vicino i vostri progressi. E' possibile che siate sottoposti ad un numero di esami e visite mediche superiore a quello che ricevereste se non partecipaste allo studio. Dovrete seguire il programma di trattamento prescritto dai medici e può darsi che vi venga chiesto di tenere un diario o di compilare dei moduli sul vostro stato di salute. Alcuni studi prevedono controlli sui pazienti anche dopo la fine del trattamento.

Come sono condotte le ricerche? Come vengono tutelati i pazienti?

Negli studi clinici, sia l'esito della ricerca che il benessere dei pazienti sono importanti. Per tutelare i pazienti e produrre risultati corretti, le ricerche sono condotte in base a rigorosi principi scientifici ed etici. Tra di essi ricordiamo:

1. *Ciascun studio clinico prevede un piano organizzativo (protocollo).*

Lo *sperimentatore* responsabile (solitamente un medico) elabora un piano d'azione per lo studio. Questo piano è detto *protocollo* e spiega cosa verrà fatto nel corso dello studio e perché. Specifica inoltre quante e quali persone prenderanno parte allo studio, a quali e a quanti esami medici verranno sottoposte e a quale schema di trattamento il paziente sarà soggetto. Lo stesso protocollo è seguito da ciascun medico che partecipa alla ricerca.

Per garantire la sicurezza dei pazienti, ciascun protocollo deve essere approvato dall'organizzazione che sostiene lo studio e da uno speciale comitato (Comitato Etico) in ciascun ospedale o centro in cui si svolge lo studio. Questo comitato, di cui possono far parte consumatori, membri del clero e operatori sanitari verifica il protocollo per assicurare che la ricerca non esponga i pazienti a rischi estremi o contrari all'etica.

2. *Ciascun studio è condotto su persone che presentano specifiche caratteristiche.*

Il protocollo di ciascun studio descrive le caratteristiche che tutti i pazienti che partecipano allo studio devono avere. Queste indicazioni sono dette criteri di eleggibilità e differiscono da uno studio all'altro, a seconda dello scopo della ricerca. Possono comprendere l'età, il sesso, il tipo e lo *stadio* del tumore, e specificare se pazienti che sono stati sottoposti in precedenza a trattamenti antitumorali o che hanno altri problemi di salute, possono partecipare allo studio.

L'utilizzo di criteri di eleggibilità è un principio importante della ricerca medica in quanto aiuta a garantire l'affidabilità dei risultati. Nel corso dello studio servono a tutelare la sicurezza dei pazienti, impedendo a persone che potrebbero subire danni dai farmaci o dagli altri trattamenti di correre rischi. Una volta conosciuti i risultati, i criteri adottati per individuare i pazienti che possono partecipare allo studio servono anche ai medici per capire quali pazienti trarranno benefici dal trattamento, se questo si rivelerà efficace. Ad esempio, un nuovo trattamento può essere efficace per un tipo di tumore ma non per un altro, oppure può essere più efficace per gli uomini che per le donne.

3. *Gli studi clinici sul cancro prevedono tre diverse fasi di ricerca. Ciascuna fase ha lo scopo di rispondere a domande diverse a proposito del nuovo trattamento.*

- Gli studi di **prima fase** rappresentano il primo passo del processo di sperimentazione di un trattamento sugli esseri umani. In questi studi i ricercatori cercano il modo migliore per somministrare un nuovo trattamento (ad es. per bocca, tramite infusione endovenosa, tramite iniezioni, e quante volte al giorno). Tentano anche di scoprire se e in che modo il trattamento può essere somministrato senza pericolo (ad es. qual'è il dosaggio migliore), e controllano l'insorgere di *effetti collaterali* dannosi. Poiché la prima fase è quella in cui si sa meno sui possibili rischi e sui benefici, questi studi solitamente coinvolgono solo un numero limitato di pazienti che non potrebbero essere aiutati da nessuno dei trattamenti conosciuti.
- Gli studi di **seconda fase** mirano ad accertare se il nuovo trattamento ha un effetto antitumorale (ad es. se consente di ridurre le dimensioni del tumore o di migliorare i risultati degli esami del sangue). Come nella prima fase sono coinvolti solo un numero limitato di pazienti a causa delle scarse conoscenze sui rischi e sui possibili effetti collaterali.
- Gli studi di **terza fase** confrontano i risultati ottenuti su pazienti sottoposti al nuovo trattamento con quelli ottenuti su persone che hanno ricevuto un trattamento standard (ad es. quale gruppo ha una più lunga sopravvivenza e

il minor numero di effetti collaterali). Nella maggior parte dei casi, si programmano studi di terza fase solo dopo che un trattamento ha dato risultati promettenti nelle prime due fasi. Gli studi di terza fase possono coinvolgere centinaia di persone in tutto il paese.

4. *Negli studi clinici di terza fase viene scelto casualmente chi riceverà il nuovo trattamento e chi il trattamento standard.*

I ricercatori assegnano i pazienti o a un gruppo che riceverà il nuovo trattamento (chiamato *gruppo di trattamento*) o a un gruppo che riceverà il trattamento standard (chiamato *gruppo di controllo*) secondo una sequenza casuale generata tramite un computer. Questo metodo, chiamato *randomizzazione*, serve ad evitare la *distorsione*, cioè ad evitare che i risultati dello studio possano essere influenzati dalle scelte delle persone o da altri fattori non collegati al trattamento che si sta sperimentando.

In alcuni studi i ricercatori non dicono al paziente se fa parte del gruppo di trattamento o di quello di controllo (il cosiddetto *studio a singolo cieco*). Questo è un altro modo per ridurre la probabilità che si verifichi distorsione: se le persone sanno quali farmaci stanno prendendo questo potrebbe modificare le loro reazioni. Ad esempio i pazienti che sanno di ricevere il nuovo trattamento potrebbero aspettarsi che funzioni meglio dell'altro e riferire segnali positivi perché vogliono credere di stare meglio. Questo potrebbe distorcere i risultati dello studio, facendoli apparire migliori di quelli che in realtà sono stati.

Perché negli studi clinici di terza fase vengono confrontati gruppi di pazienti che ricevono trattamenti diversi?

Confrontare gruppi di persone simili che ricevono trattamenti diversi per lo stesso tipo di tumore è un altro modo di assicurarsi che i risultati dello studio siano reali e derivino dal trattamento piuttosto che dal caso o da altri fattori. Confrontando tra di loro i trattamenti si vede spesso chiaramente quale è più efficace o ha meno effetti collaterali. Un'altra ragione per cui negli studi di terza fase il nuovo trattamento viene confrontato con il trattamento standard è che *in uno studio clinico, nessuno è lasciato senza trattamento, quando il trattamento standard è disponibile, in quanto questo sarebbe contrario all'etica*. Quando non esiste alcun trattamento standard per un tumore, alcuni

studi confrontano il nuovo trattamento con un *placebo* (una pillola all'apparenza simile a quella che contiene il farmaco sperimentato, ma che non contiene principi attivi). Comunque verrete informati se esiste questa possibilità prima di decidere se prendere parte allo studio.

4. E' opportuno prendere parte ad uno studio clinico?

Questa è una domanda a cui potete rispondere solo voi con l'aiuto delle persone che vi stanno vicino e degli operatori sanitari. Sapere di avere un tumore e dover decidere cosa fare spesso è opprimente. Questa sezione della guida contiene informazioni che potranno aiutarvi a riflettere sulle vostre scelte e a prendere una decisione.

Studi clinici: valutare i pro e i contro

Uno studio clinico può essere una buona scelta per alcune persone, ma si tratta comunque di una opzione che presenta sia vantaggi che svantaggi. Ecco alcuni fattori da considerare. Se desiderate potete discuterne con i medici e con le persone che vi stanno vicine.

Possibili vantaggi

- Gli studi clinici assicurano cure antitumorali di qualità elevata. Se partecipate a uno studio e non ricevete il nuovo trattamento che si sta sperimentando, riceverete comunque il miglior trattamento standard disponibile. L'efficacia di quest'ultimo può essere pari a quella del nuovo trattamento, se non maggiore.
- Se ricevete il nuovo trattamento e questo si dimostra efficace potete essere tra i primi a beneficiarne.
- Considerando i pro e i contro degli studi clinici e delle altre opportunità di trattamento che vi vengono indicate, avrete un ruolo attivo in una decisione che riguarda la vostra vita.
- Avete la possibilità di aiutare gli altri e di collaborare a migliorare i metodi di cura dei tumori.

Possibili svantaggi

- I nuovi trattamenti che si stanno studiando non sempre sono migliori, o solamente altrettanto efficaci, rispetto ai trattamenti standard, e possono avere effetti collaterali che i medici non si attendono o peggiori di quelli dovuti ai trattamenti standard.

- Anche se un nuovo trattamento porta dei benefici, potrebbe non essere efficace per voi. Anche i trattamenti standard che si sono rivelati efficaci per molte persone non aiutano tutti.
- Se invece del nuovo trattamento che si sta sperimentando, ricevete il trattamento standard questo potrebbe non essere altrettanto efficace.

I vostri diritti, le vostre garanzie

Prima e durante lo studio di un trattamento antitumorale ogni paziente ha i propri diritti. Conoscerli può aiutare a proteggervi da possibili danni. E' importante sapere che:

- Siete voi a decidere se partecipare a uno studio clinico. La partecipazione ad uno studio clinico può essere solo una delle possibilità di trattamento che avete. Parlatene con il vostro medico. Insieme potete prendere la decisione migliore per voi.
- Se decidete di partecipare ad uno studio, medici e personale infermieristico controlleranno attentamente la vostra risposta al trattamento per tutta la durata della ricerca.
- Se i ricercatori si accorgono che un trattamento è dannoso per voi, sarete immediatamente tolti dallo studio.
- Avete il diritto di abbandonare spontaneamente lo studio in qualsiasi momento.

Uno dei vostri diritti fondamentali è quello al *consenso informato*. Consenso informato significa che dovete essere messi al corrente di tutto ciò che comporta partecipare ad uno studio prima di decidere in merito. Dovrete ricevere informazioni dettagliate sui trattamenti e sugli esami a cui potreste essere sottoposti, e sui possibili benefici e rischi. I medici o il personale infermieristico vi consegneranno un modulo di consenso informato che contiene tutte le informazioni fondamentali. Se siete d'accordo a partecipare allo studio vi sarà chiesto di porre una firma su questo modulo.

Questo processo di consenso informato continua anche durante lo studio. Ad esempio verrete informati di eventuali nuove scoperte riguardanti lo studio clinico a cui partecipate, come anche degli eventuali nuovi rischi. È possibile che vi chiedano di firmare un nuovo modulo di consenso se desiderate continuare a partecipare allo studio.

Firmare un modulo di consenso non significa che dovete continuare a partecipare allo studio sino alla fine. Di fatto, potete ritirarvi in qualunque momento. Se scegliete di abbandonare lo studio avrete la possibilità di discutere altri trattamenti e cure con il vostro medico o con uno dei medici che partecipano allo studio.

Domande da porre

Trovare delle risposte e fare delle scelte può essere difficile tanto per le persone affette da cancro quanto per chi si occupa di loro. È importante discutere le possibilità di scelta del trattamento con il vostro medico, con uno specialista nella cura del cancro (un *oncologo*) a cui il vostro medico può indirizzarvi e con lo staff dello studio clinico a cui state valutando se partecipare.

Ponete domande sulle informazioni che ricevete durante il processo di consenso informato e su ogni altra questione che vi riguarda. Le risposte che riceverete possono aiutarvi a lavorare meglio insieme al medico. Se lo desiderate potete portare con voi un amico o un parente quando parlate con il medico. Può anche essere utile scrivere le vostre domande e le risposte che riceverete. Quando si tratta della cura della vostra salute nessuna domanda è stupida. È molto importante capire le possibilità di scelta che avete.

Ecco alcune domande che potreste voler fare:

Lo studio

- *Qual è lo scopo dello studio? In che fase si trova questo studio?*
- *Perché i ricercatori ritengono che il nuovo trattamento che si sta sperimentando possa essere efficace? È già stato sperimentato prima?*
- *Chi sostiene lo studio?*
- *Chi lo ha verificato e approvato?*
- *Come vengono controllati i dati dello studio e la sicurezza dei pazienti?*
- *Quando e dove saranno resi pubblici i risultati dello studio e le informazioni ad esso relative?*

Possibili rischi e benefici

- *Quali sono i possibili rischi a breve e lungo termine, quali gli effetti collaterali e i benefici per me?*
- *Ci sono trattamenti standard per il mio tipo di tumore?*

5. A chi rivolgersi per ottenere informazioni?

Queste ed altre domande su come funzionano gli studi clinici, rivolgetele ai medici, al personale infermieristico o agli altri operatori sanitari. Potreste anche portare con voi questa guida e discutere i punti che desiderate chiarire meglio.

Potrebbe inoltre esservi utile ritornare alla home page di questo sito:

- www.sostumori.org

Oppure consultare il sito della Lega Italiana per la Lotta Contro i Tumori

- www.legatumori.it

CHIEDERE E OTTENERE INFORMAZIONI PRESSO L'ISTITUTO NAZIONALE PER LA RICERCA SUL CANCRO di Genova

L'Istituto mette a disposizione dei pazienti e dei loro familiari i seguenti servizi:

Telefono oncologico: 800 422 412

Il servizio fornisce informazioni oncologiche aggiornate ai pazienti, ai loro familiari, ai medici e al pubblico in generale.

Internet: (<http://www.sostumori.org/>)

Il sito contiene materiale informativo per i pazienti, per i loro familiari, per i medici e per il pubblico in generale: semplici, ma esaustive descrizioni di varie patologie oncologiche, FAQ (una serie di veloci domande e risposte su svariati argomenti oncologici), elenchi di Centri Oncologici e di Associazioni, ricerche bibliografiche, riviste elettroniche, ecc.

E-mail: quesitomedico@sostumori.org

Come il telefono oncologico anche questo servizio fornisce, in formato elettronico, informazioni oncologiche aggiornate su richiesta di pazienti, familiari, medici.

Fax: 010 5600327

Chi non può mandare una e-mail e non desidera parlare al telefono può porre i propri quesiti tramite fax: riceverà sempre una risposta veloce ed aggiornata redatta da personale esperto.

Booklets:

Sono libretti informativi accessibili anche attraverso il sito Web <http://www.sostumori.org/>, ma che la biblioteca, su richiesta, fornisce in formato cartaceo. I libretti forniscono, in un linguaggio semplice, informazioni esaustive su diversi tipi di tumore e su alcune problematiche oncologiche.

6. Glossario

Questo glossario contiene la definizione di una serie di parole utilizzate in questa guida (scritte in grassetto nel testo). Viene anche spiegato il significato di alcuni altri termini, collegati agli studi clinici, che potreste udire dai medici o dal personale infermieristico.

Consenso informato: *Il processo nel corso del quale una persona viene informata su aspetti chiave di uno studio clinico o di una ricerca, e poi decide volontariamente se prendervi parte o meno. Questo processo comprende la discussione dei contenuti e la firma di un modulo che descrive i benefici e i rischi a cui il paziente può andare incontro se decide di prendere parte allo studio.*

Distorsione: *Scelte umane (dei medici, del personale infermieristico, dei pazienti) o altri fattori estranei al trattamento che si sta sperimentando, che possono influenzare i risultati di uno studio. Gli studi clinici utilizzano molti metodi per evitare che si verifichino fenomeni che possono causare distorsione, perché i risultati distorti possono non essere corretti.*

Effetti collaterali: *Problemi che si verificano quando il trattamento danneggia le cellule sane. Tra gli effetti collaterali comuni dei trattamenti antitumorali standard ci sono stanchezza, nausea, vomito, diminuzione del numero delle cellule ematiche, perdita dei capelli e ulcere alla bocca. I nuovi trattamenti sperimentati possono avere questi effetti collaterali o altri ancora sconosciuti.*

Gruppo di controllo: *In uno studio clinico è il gruppo di persone che riceve il trattamento standard per lo specifico tipo di tumore (vedere Gruppo di trattamento).*

Gruppo di trattamento: *Il gruppo che riceve il nuovo trattamento che si sta sperimentando durante lo studio. (Vedere Gruppo di controllo).*

Oncologo: *Un medico specializzato nel trattamento dei tumori*

Placebo: *Una compressa, una capsula o una iniezione simili nell'aspetto al farmaco o alle altre sostanze sperimentate, ma che non contengono principi attivi (cioè sostanze con attività farmacologica).*

Protocollo: *Un piano di azione per uno studio clinico. Il piano descrive cosa verrà fatto nel corso dello studio e perché. Specifica quante persone parteciperanno allo studio, che caratteristiche dovranno avere i pazienti che potranno prendervi parte, a quali esami verranno sottoposti e con che frequenza, e il piano di trattamento.*

Randomizzazione: Un metodo utilizzato per prevenire fenomeni di distorsione in una ricerca. Le persone vengono assegnate casualmente al gruppo di trattamento o a quello di controllo.

Remissione: scomparsa dei segni e sintomi del cancro. Quando ciò si verifica si dice che la malattia è "in remissione". Può essere temporanea o definitiva.

Sperimentatore: Un ricercatore in uno studio clinico.

Stadio: Definisce le dimensioni del tumore e se la malattia si è estesa dalla posizione originaria ad altre parti del corpo. Per definire gli stadi di sviluppo del cancro vengono utilizzati numeri romani con o senza lettere (ad es. Stadio IIb).

Studi clinici: Studi di ricerca medica svolti allo scopo di valutare l'efficacia su pazienti volontari di nuovi trattamenti. Ogni studio prende in esame nuovi metodi di screening, prevenzione, diagnosi o terapie antitumorali.

Studio a singolo cieco: Un metodo utilizzato per evitare la distorsione negli studi clinici. In uno studio a singolo cieco, al paziente non viene detto se sta ricevendo il trattamento standard o il nuovo trattamento che si sta sperimentando. Solo i medici lo sanno.

Trattamento standard: Il miglior trattamento al momento conosciuto per uno specifico tipo di tumore utilizzato nella normale pratica clinica dopo che precedenti ricerche ne hanno provato e definito l'efficacia