



# Sperimentazioni cliniche

I nuovi farmaci e trattamenti con ottime aspettative in laboratorio possono essere inseriti in una sperimentazione clinica. L'obiettivo di una sperimentazione clinica è di valutare la sicurezza e l'efficacia della nuova terapia. Gli studi clinici offrono speranza a molte persone e l'opportunità di aiutare i ricercatori a trovare trattamenti migliori. Gli studi in corso stanno valutando una serie di risultati importanti per la comunità delle persone affette da LM, da una maggiore mobilità al recupero dell'autonomia.



## D: Cosa succede durante una sperimentazione clinica?

Sotto la direzione di un ricercatore principale (PI), che spesso è un medico, gli studi clinici seguono dei protocolli specifici che descrivono i pazienti idonei, la durata dello studio e le informazioni raccolte, nonché l'obiettivo, il design e l'approccio utilizzato nello studio. La ricerca clinica di solito inizia con un piccolo numero di partecipanti che aumenta progressivamente nel tempo. Ognuna delle quattro fasi regolamentate di una sperimentazione clinica risponde a delle domande importanti e fornisce le prove necessarie per ricevere l'approvazione della Food and Drug Administration (FDA) statunitense.

Fase I: valuta la sicurezza e i potenziali effetti collaterali in un piccolo gruppo di persone (20-80).

Fase II: si espande a un gruppo più ampio (100-300) in diversi centri per testare la sicurezza e l'efficacia su una scala più ampia e valutare diversi dosaggi o varie tecniche di trattamento.

Fase III: aumenta il numero dei centri e dei partecipanti (1.000-3.000) che vengono poi divisi in due gruppi randomizzati in doppio cieco. Medici e partecipanti non conoscono i dettagli del loro gruppo sperimentale; quindi, i risultati possono essere confrontati e confermati in modo imparziale. Il successo della Fase III porta all'approvazione da parte della FDA per l'uso clinico.

Fase IV: si continuano a monitorare la sicurezza, i rischi, i benefici e l'uso ottimale del trattamento approvato dalla FDA non appena diventa disponibile per uso pubblico.

Si tenga presente che i farmaci o i trattamenti potrebbero non essere disponibili dopo la fine del periodo di sperimentazione. Il farmaco o la terapia potrebbero rivelarsi un fallimento durante la sperimentazione e non arrivare mai sul mercato, oppure potrebbero avere successo ma non essere disponibili fino a quando non ricevono l'approvazione della FDA, il che può richiedere anni.

### **Domande importanti da prendere in considerazione quando si presenta una domanda per una sperimentazione clinica**

- Perché viene fatta questa ricerca, qual è l'obiettivo della sperimentazione e chi la sta sponsorizzando?
- In che modo i possibili rischi e benefici sono comparabili ai trattamenti approvati per me?
- Quali sono i possibili effetti collaterali immediati e a lungo termine?
- In che fase si trova la sperimentazione?
- Dovrò pagare i viaggi o l'alloggio per partecipare allo studio?
- Se partecipo a una fase iniziale della sperimentazione, sarò idoneo per partecipare alle fasi successive?

Fonte: National Institutes of Health (Istituto Sanitario Nazionale)

## **D: Come posso partecipare a una sperimentazione clinica?**

Mentre le ricerche promettenti continuano ad espandersi, ci sono molti studi clinici in fase di sviluppo e in corso negli Stati Uniti e in tutto il mondo. La partecipazione non comporta nessun costo; non viene offerto nessun pagamento o stipendio per evitare di influenzare i risultati potenziali. Tutti i partecipanti devono soddisfare le specifiche linee guida di ammissibilità basate su fattori quali età, tipo di malattia, anamnesi medica e condizione attuale. Un database delle sperimentazioni cliniche finanziate privatamente e pubblicamente in tutto il mondo è disponibile all'indirizzo [clinicaltrials.gov](https://www.clinicaltrials.gov).

## **D: Cos'è il consenso informato?**

Se si prende in considerazione la partecipazione a una sperimentazione clinica, il personale

della ricerca fornirà i documenti per il consenso informato che descrivono lo scopo della sperimentazione, la durata, i rischi, i benefici, i possibili effetti collaterali, le procedure richieste e chi contattare per ulteriori informazioni. Il consenso informato è in vigore finché si partecipa allo studio, ma non è un contratto. I partecipanti sono liberi di ritirarsi dallo studio in qualsiasi momento o di rifiutare trattamenti o test particolari.

### **D: Gli studi clinici sono controllati?**

Il governo statunitense ha stabilito delle strette misure di salvaguardia per proteggere le persone che partecipano alle sperimentazioni cliniche. Ogni sperimentazione clinica negli Stati Uniti deve essere approvata e monitorata dall'Institutional Review Board [Comitato etico] (IRB) che si assicura che i rischi siano minimi e valga la pena correrli in vista dei potenziali benefici. Un IRB è un comitato indipendente di medici, esperti di statistica, rappresentanti della società civile e altri che si assicurano che le sperimentazioni cliniche siano etiche e che i diritti dei partecipanti allo studio siano protetti.

### **D: Andare all'estero per un trattamento se non posso ottenere quel trattamento negli Stati Uniti comporta dei vantaggi?**

È necessaria molta cautela quando si partecipa a uno studio al di fuori della giurisdizione della FDA (la FDA copre gli Stati Uniti) o si cerca un trattamento non collaudato o sperimentale. Le sperimentazioni cliniche legittime non addebitano mai ai pazienti i costi della partecipazione. Qualsiasi sperimentazione clinica sull'uomo deve, come minimo, aderire alle linee guida internazionali della Dichiarazione di Helsinki e agli standard del paese ospitante. I risparmi derivanti dall'utilizzo di un trattamento medico straniero potrebbero essere allettanti, ma potrebbero non essere superiori ai rischi.

### **D: Qual è la differenza tra una sperimentazione clinica e gli esperimenti sull'uomo?**

Il ricercatore di uno studio clinico registrato deve avere a disposizione informazioni immediate e dettagliate sullo studio. Non dovrebbe essere addebitato nessun costo per la partecipazione e non si dovrebbe sapere se si fa parte del gruppo sperimentale o del gruppo di controllo. Mentre gli studi clinici sono tenuti a seguire dei rigorosi protocolli etici e procedurali, gli esperimenti sull'uomo potrebbero non rispettare delle misure adeguate per ridurre al minimo i rischi e proteggere i diritti dei volontari.

Fonti: Food and Drug Administration (Agenzia per gli alimenti e i medicinali)

#### **Ha bisogno di parlare con qualcuno?**

I nostri consulenti specializzati (Information Specialist) sono a disposizione per rispondere alle sue domande. Chiama il numero verde 1-800-539-7309 dal lunedì al venerdì, dalle 9:00 alle 20:00 EST (Ora Standard Orientale USA) o invii una domanda online all'indirizzo

<https://www.ChristopherReeve.org/Ask>.

Le informazioni contenute in questo documento sono state presentate ai fini di educarla e di informarla sulle paralisi e sui loro effetti. Nulla di quanto contenuto in questo documento dovrebbe essere interpretato per, né è inteso a, essere usato ai fini di una diagnosi o trattamento medico. Non dovrebbe essere usato in sostituzione del consiglio del suo medico o di un altro operatore sanitario qualificato. Se dovesse avere qualsiasi domanda concernente la salute, chiami o si rechi prontamente dal suo medico o da un altro operatore sanitario qualificato. Consulti sempre il suo medico o un altro operatore sanitario qualificato prima di iniziare un nuovo trattamento, dieta o programma di fitness. Non dovrebbe mai ignorare i consigli medici o ritardare la ricerca di tali pareri a causa di qualcosa che ha letto in questo documento.

Questa pubblicazione è supportata dall'Amministrazione per la Vita Comunitaria (ACL), Dipartimento della Salute e dei Servizi Umani degli Stati Uniti (HHS) come parte di una sovvenzione finanziaria per un totale di \$ 8.700.000 finanziata al 100% da ACL/HHS. I contenuti sono quelli dell'autore(i) e non rappresentano necessariamente le opinioni ufficiali, né un'approvazione, da parte di ACL/HHS o del governo degli Stati Uniti.