



Che cos'è un trial clinico?

Una guida per le pazienti e i famigliari

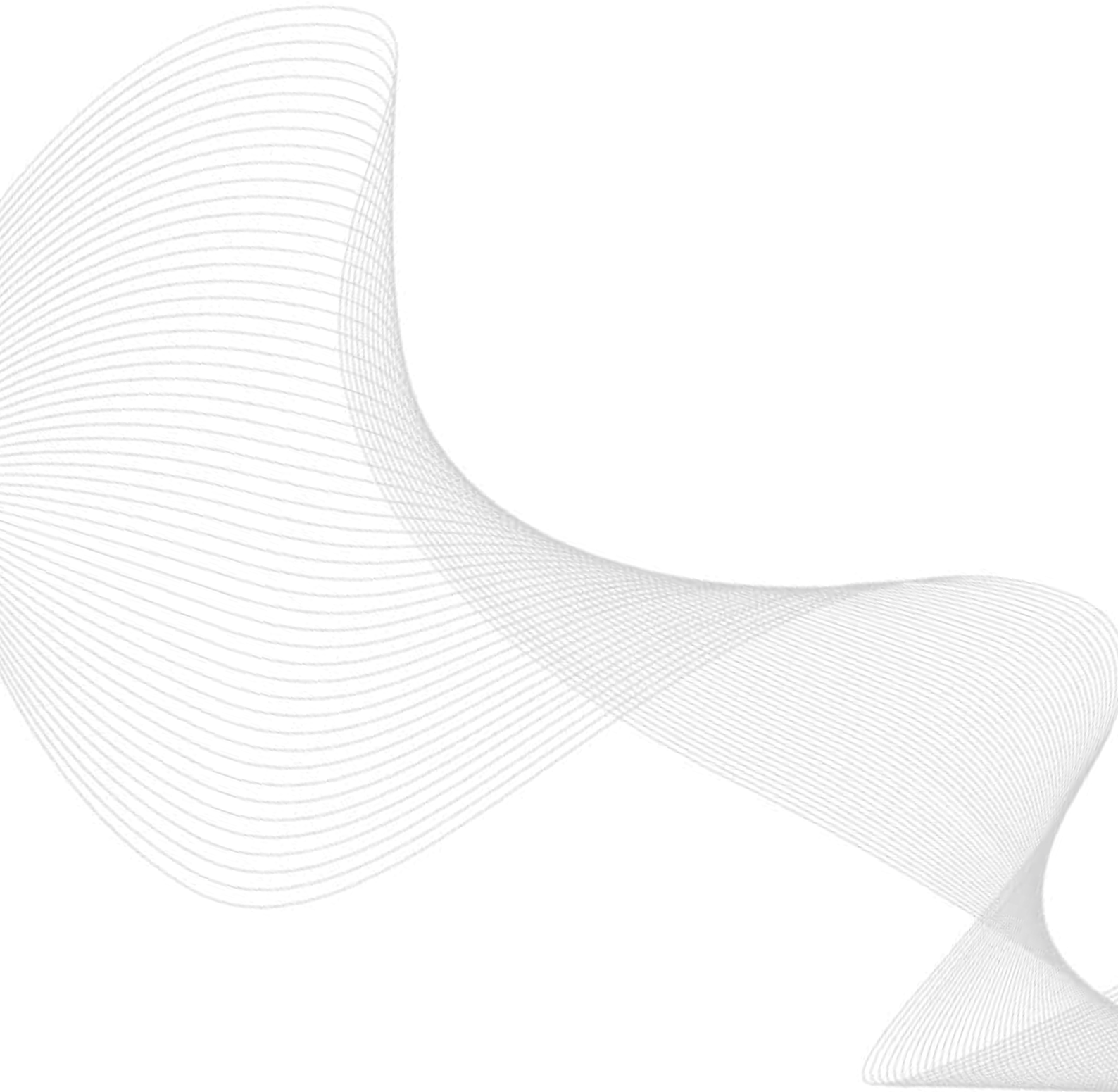


Loto

Uniti contro
il tumore ovarico

ONLUS







Introduzione

Nella prima decade di questo secolo si è assistito a un ulteriore miglioramento dell'aspettativa di vita in Europa. Vari fattori hanno contribuito, non da ultimo l'enorme progresso in campo medico. Al giorno d'oggi, molte malattie possono essere curate o almeno trattate allo scopo di prolungare l'aspettativa di vita. I trial clinici hanno un ruolo fondamentale nel favorire questo progresso, fornendo il background scientifico per nuovi farmaci, nuove strategie terapeutiche e innovative procedure diagnostiche.

L'EMA (European Medicines Agency) autorizza nuovi trattamenti se vi è evidenza provata di una maggiore efficacia rispetto agli standard di cura e se è garantito uno stretto monitoraggio della sicurezza di tali trattamenti in ogni Paese.

Prima di poter essere usati nella pratica clinica, i farmaci necessitano di uno sviluppo di anni per testare che siano trattamenti sicuri e efficaci. In media passano 10 anni dall'ipotesi iniziale al loro utilizzo nella pratica clinica.

L'intento di questa brochure è quello di fornire informazioni circa i trial clinici inerenti i tumori ginecologici. Vuole essere d'aiuto nel decidere se partecipare o meno a un trial, qualora venga proposto, e nel saperne di più se si dice di prenderne parte.

La partecipazione a uno studio clinico è su base completamente volontaria e ogni paziente è libero di abbandonare il trial in qualsiasi momento e senza alcuna giustificazione.



*Birthe Lemley,
paziente con diagnosi di tumore ovarico,
membro EEG di ENGAGE*

“

Le pazienti affette da tumori ginecologici dovrebbero essere incoraggiate all'arruolamento in studi clinici perché quest'ultimi potrebbero apportare miglioramenti alla cura rispetto al trattamento standard. Nell'ambito di un trial, è garantito uno stretto monitoraggio, esami ematici e strumentali sono eseguiti a cadenza regolare come da protocollo dello studio. Valutazioni della sicurezza e della qualità di vita sono effettuate tramite un follow-up. Le pazienti sono solitamente randomizzate a bracci differenti di trattamento e non riceveranno mai placebo in un trial se è disponibile un trattamento standard. Nel caso in cui lo studio raggiunga l'obiettivo, ne beneficerà la singola paziente che ha partecipato al trial e tutte le pazienti in futuro. Al giorno d'oggi, rispetto a pochi anni fa, il potenziale di successo dei trial è molto più elevato, ma i progressi nella ricerca di nuovi farmaci sono possibili solo se noi, come pazienti oncologiche, siamo desiderose di partecipare ai trial clinici. I trial offrono speranza alla singola paziente e speranza di nuovi trattamenti più efficaci in futuro.

”



Che cos'è un trial clinico?

I trial clinici, a volte chiamati studi, costituiscono una forma di ricerca che coinvolge le persone. Rappresentano lo step finale di un lungo processo sperimentale che inizia in laboratorio. In ogni sperimentazione, ci sono 3 fasi.

Le 3 fasi di un trial clinico

1

Nella fase 1, il nuovo farmaco è solitamente somministrato ai primi pazienti a dosi molto basse, che vengono progressivamente aumentate nei pazienti successivi. Lo scopo di questa fase di studio è quello di valutare gli effetti del farmaco sull'organismo umano, trovare la dose sicura da testare in fase 2 e determinare la modalità di somministrazione. In un trial di fase 1 sono solitamente arruolati 15-30 pazienti.

2

Nella fase 2, viene valutata l'efficacia del farmaco così come gli effetti avversi. I pazienti arruolati sono un numero maggiore rispetto ai trial di fase 1, ma solitamente meno di 100.

3

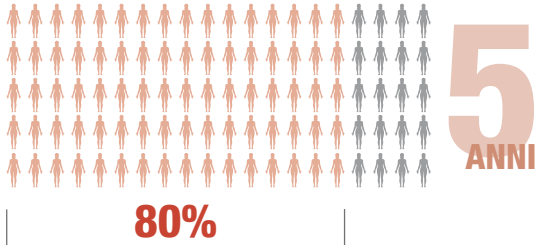
Nella fase 3 il nuovo farmaco è confrontato in termini di efficacia e sicurezza con il trattamento che rappresenta lo standard di cura nella pratica clinica. In un trial di fase 3, i pazienti sono casualmente assegnati ai diversi bracci di trattamento tramite un procedimento che è simile al lancio di un dado, detto "randomizzazione". Ai pazienti del braccio sperimentale viene applicato il trattamento sperimentale (nuovo farmaco o procedura che deve essere testata); ai pazienti del braccio di controllo, invece, il trattamento che è riconosciuto come lo standard di cura in quel momento. È importante capire che il paziente non può scegliere in che braccio di trattamento essere e che, anche se arruolato nel trial, potrebbe non ricevere il trattamento sperimentale. In alcuni trial, i pazienti potrebbero ricevere una sostanza farmacologicamente inattiva chiamata placebo e questo viene specificato nel foglio informativo.

Un trial di fase 3, che coinvolge centinaia se non migliaia di pazienti, è il prerequisito fondamentale per l'approvazione ufficiale da parte di EMA (European Medicines Agency) di nuovi farmaci in Europa. Si noti come la randomizzazione, procedimento tipico degli studi di fase 3, sta iniziando ad essere utilizzato sempre più di frequente anche negli studi di fase 2 per evitare l'influenza sui risultati di fattori diversi dal trattamento.

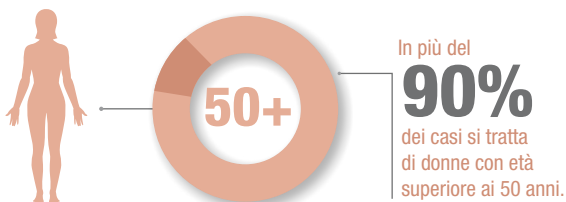


IL CARCINOMA DELL'ENDOMETRIO IN NUMERI:

In media, circa l' **80%** delle pazienti è viva a 5 anni dalla diagnosi.

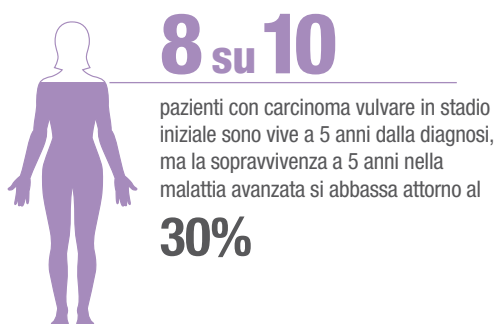


Più di 1 tumore femminile su **20** riguarda l'endometrio e i tassi stanno aumentando in relazione all'invecchiamento della popolazione e all'obesità.



IL CARCINOMA DELLA VAGINA E DELLA VULVA IN NUMERI:

Il **95%** delle donne è viva a 5 anni dalla diagnosi se il carcinoma vaginale è diagnosticato negli stadi iniziali.



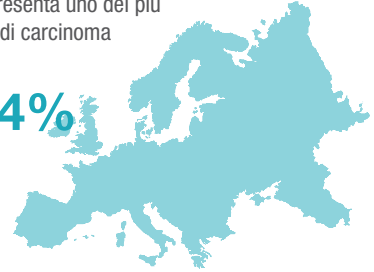
Le donne con età superiore ai **65** anni sono più a rischio di sviluppare un cancro vulvare.

IL CARCINOMA OVARICO IN NUMERI:

E' il **sesto** tumore per incidenza tra le donne in Europa. L'Europa presenta uno dei più alti tassi di incidenza di carcinoma ovarico nel mondo.

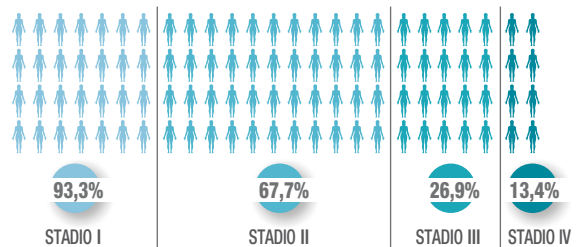
Più del 4%

delle donne europee svilupperà un cancro all'ovaio.

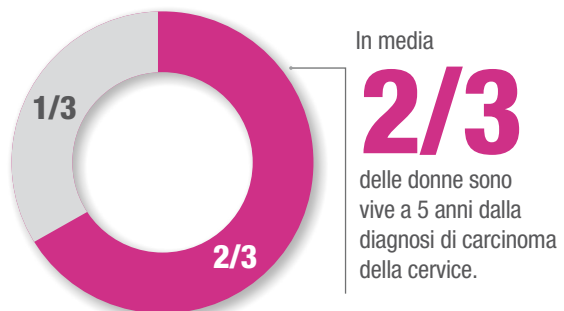


La probabilità di sopravvivenza a 5 anni

DECESCE IN MANIERA SIGNIFICATIVA dallo stadio.



CERVICAL CANCER IN NUMBERS:



C'è un'ampia variabilità nel rischio: la probabilità di morire per carcinoma della cervice è 10 volte più alta nelle donne rumene che in quelle finlandesi.

Chi conduce i trial clinici?

I ricercatori portano avanti i trial clinici in realtà differenti. Molti trial clinici si svolgono nei Centri Oncologici dato che le strutture disponibili sono le più all'avanguardia. Solitamente, i centri oncologici collaborano tra di loro nell'ambito di reti cliniche, applicando gli stessi criteri di qualità di cura, svolgendo studi clinici e condividendone i risultati. Il team di ricercatori che svolge un trial include biologi, medici, infermieri, assistenti sociali, dietisti e altre figure sanitarie.

Come viene approvato un trial clinico?

Il prerequisito per svolgere ogni trial clinico è un protocollo dettagliato di studio, ossia una descrizione scritta dello scopo, possibili effetti avversi e preciso sviluppo dello studio, dei diritti e dei doveri dei pazienti e dell'analisi statistica che deve essere effettuata per ottenere i risultati. Un Comitato Etico di esperti indipendenti e laici dovrà esaminare il protocollo di studio e decidere, sulla base delle evidenze scientifiche, se il trial sia utile e etico.

Il Comitato Etico valuta anche che i medici e le istituzioni che portano avanti questi studi abbiano le appropriate conoscenze e strutture per somministrare i trattamenti. Qualsiasi modifica apportata al protocollo, anche la più piccola, deve essere discussa con il Responsabile dello studio e sottomessa al Comitato Etico per l'approvazione.

Queste procedure di alta qualità garantiscono la sicurezza e la riservatezza dei pazienti partecipanti, principi cardine di ogni trial. Ad ogni paziente deve essere fornita un'informativa, sia in forma orale che scritta, prima dell'arruolamento nel trial, come anche il tempo sufficiente per decidere se partecipare o meno.

Perché partecipare a un trial clinico?

Al centro di ogni trial c'è la sicurezza e la salute dei pazienti partecipanti. Ciò è prioritario rispetto agli interessi della ricerca scientifica. Numerose le ragioni per cui è bene partecipare ad un trial clinico. Per i pazienti è motivo di conforto avere accesso a nuovi farmaci potenzialmente efficaci, che al di fuori del trial non sarebbero disponibili. Inoltre, sentire di contribuire attivamente al progresso medico e al miglioramento delle conoscenze per il bene dei pazienti futuri è un'ulteriore motivazione positiva.



Prof. Philippe Morice,
Presidente ESGO

“

I pazienti arruolati nei trial clinici spesso ricevono cure mediche migliori. Questo perché il trattamento è somministrato nell'ambito di un protocollo che rispetta i criteri di buona qualità assistenziale, viene effettuato un follow-up per valutare la sicurezza e vi è la possibilità di ricevere un trattamento potenzialmente più efficace.

”

Quali i benefici dal partecipare a un trial clinico?



Prof. Murat Gultekin,
co-Presidente ENGAGE

“ I trial clinici offrono speranza a molte persone e un’opportunità per aiutare i ricercatori a trovare terapie migliori per i pazienti del futuro. ”

Un altro significativo vantaggio dei trial è il monitoraggio stretto a cui vengono sottoposti i partecipanti. Visite mediche accurate e frequenti sono effettuate in corso di trattamento secondo la schedula del protocollo.

Questo monitoraggio favorisce non solo la ricerca scientifica, ma consente anche ai medici di riconoscere ogni eventuale cambiamento delle condizioni cliniche e di attuare i provvedimenti del caso.

Nella maggior parte dei trial clinici, il medico responsabile raccoglie, analizza e riporta non solo i dati clinici necessari, ma anche altri dati. Il vantaggio è che gli effetti avversi del trattamento e i cambiamenti dello stato di salute possono essere riconosciuti rapidamente e trattati in tempo.

Inoltre, i pazienti nell’ambito dei trial sono gestiti da un team multidisciplinare di Specialisti, che garantisce il trattamento ottimale in entrambi i bracci.

La partecipazione ai trial clinici è sempre volontaria e richiede un consenso scritto. I pazienti devono comprendere lo scopo dello studio, le caratteristiche specifiche e quali rischi può comportare prenderne parte.

E’ anche fondamentale comprendere che i nuovi trattamenti non sempre si rivelano poi migliori dei trattamenti già esistenti e che possono presentare eventi avversi inattesi.

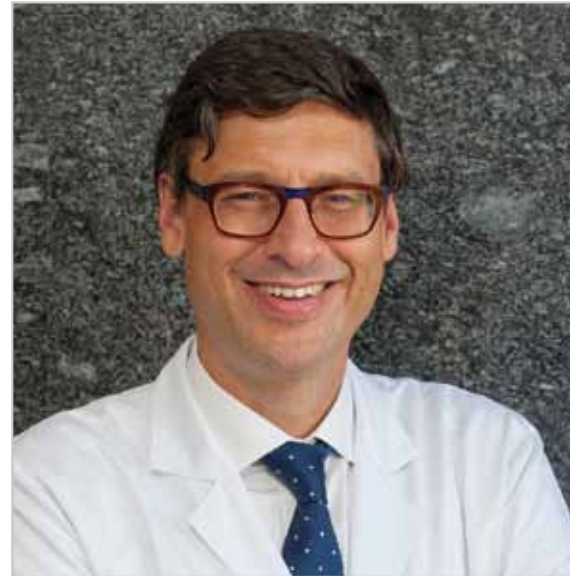
Ogni partecipante a un trial può star certo che non sarà forzato a fare nulla contro la propria volontà e potrà ritirarsi dallo studio in qualsiasi momento.

Stai pensando di prender parte a un trial clinico?



Ecco alcune domande che potresti voler rivolgere al tuo oncologo o al tuo team di cura:

- Sono eleggibile per un trial clinico?
- Qual è lo scopo del trial?
- Quali sono i benefici?
- Quali sono gli effetti collaterali e i rischi?
- Quanti pazienti vengono arruolati nel trial?
- Che cosa comporta e quanto tempo durerà?
- Con che cadenza si svolgeranno le visite?
- Sarò informato dei risultati?
- Come possono trovare i trial disponibili?
- Quali terapie, procedure e/o test prevede il trial?
- La partecipazione al trial impatterà sul piano di trattamento attuale e sulla mia vita quotidiana?
- Dovrò sospendere la terapia che sto facendo o potrò proseguirla?
- Se il medico che mi prenderà in carico per il trial è diverso rispetto a quello che mi sta attualmente seguendo, ci sarà comunicazione/interazione tra i due?
- Posso confrontarmi con altre persone arruolate nello studio?
- Come posso uscire dal trial una volta che ho iniziato il trattamento?
- Comporta dei costi partecipare?
- La mia assicurazione coprirà i costi?
- Se partecipo, quali responsabilità avrò?
- Per quanto tempo sarò partecipante del trial?
- Ho altre opzioni di trattamento oltre al trial clinico?



Prof. Antonio González,
Presidente ENGOT



Le pazienti affette da tumori ginecologici non dovrebbero esitare a proporsi per l'arruolamento in trial clinici perché quest'ultimi hanno apportato beneficio a tante pazienti nel mondo e consentito l'accesso a terapie innovative. Pertanto noi consigliamo alle pazienti di parlare con il proprio team di cura di modo di avere l'informazione più completa possibile prima di prendere una decisione.



Come partecipare a un trial clinico?

I pazienti possono ottenere informazioni circa i trial clinici in diversi modi.

Alcuni Paesi hanno siti web nazionali. Il modo più facile è chiedere al proprio oncologo. Informazioni sui trial clinici si possono ottenere anche consultando i seguenti siti:

European Union Clinical Trials Register: <http://tinyurl.com/khewfg4>

ENGOT: <https://engot.esgo.org/discover/for-patients/>

Target Ovarian Cancer: <http://clinicaltrials.targetovariancancer.org.uk>

NIH - database of privately and publicly funded clinical studies conducted around the world: clinicaltrials.gov



Ico Tóth,
co-Presidente ENGAGE

I trial clinici sono studi di ricerca finalizzati a valutare sicurezza ed efficacia di nuovi farmaci o altri tipi di terapie. Questa brochure vuole essere uno strumento educativo per le pazienti e le loro famiglie fornendo una panoramica su come funzionano i trial clinici. Potrebbe quindi essere una risorsa utile per coloro che stanno considerando la partecipazione a un trial suggerita dal proprio medico.

ENGAGE sta lavorando con i professionisti sanitari, le istituzioni politiche e le stesse pazienti per meglio comprendere il ruolo delle pazienti nel fornire input nel disegno dei trial e per mettere in luce quelle che costituiscono le barriere alla partecipazione alla ricerca.

Le pazienti hanno una conoscenza "unica" della loro malattia, del trattamento e della qualità di vita. Il loro punto di vista deve essere tenuto in grande considerazione dai ricercatori e dalle istituzioni politiche quando le priorità vengono definite.



ESGO (European Society of Gynaecological Oncology) è un'organizzazione di formazione professionale e la principale società europea di ginecologia oncologica, apportando contributi allo studio, alla prevenzione e al trattamento dei tumori ginecologici. Ad oggi, ESGO annovera oltre 1800 membri in più di 40 Paesi europei e si batte per migliorare la condizione delle donne europee affette da tumori ginecologici puntando sulla prevenzione, l'eccellenza nella cura, la ricerca di alta qualità e la formazione.



ENGOT (European Network of Gynaecological Oncological Trial groups) è una rete di gruppi di ricerca europei dell'ESGO e una piattaforma che favorisce il progresso medico, specie nella ricerca dei tumori ginecologici, consentendo la partecipazione attiva di tutte le pazienti e Paesi europei. Lo scopo di ENGOT è far sì che tutte le pazienti affette da tumori ginecologici abbiano il miglior trattamento possibile e che ogni paziente in qualsivoglia Paese europeo possa accedere ai trial clinici. ENGOT include 21 gruppi di ricerca in 25 Paesi europei. Questi gruppi coordinano lo sviluppo di nuovi trattamenti, rimanendo sempre aggiornati sulla ricerca di base nell'ambito dei tumori ginecologici.



ENGAGe (European Network of Gynaecological Cancer Advocacy Groups), istituita nel 2012 da ESGO, è una rete di associazioni di tutela delle pazienti affette da tutti i tumori ginecologici (ovaio, endometrio, cervice uterina, vulva e tumori ginecologici più rari). C'è un'ampia variabilità di cura in Europa con pazienti che non sono adeguatamente informate circa i tumori ginecologici e il loro trattamento. Ci sono anche problematiche inerenti il supporto psicosociale delle pazienti, che spesso è carente.

Gli obiettivi di ENGAGe sono:

- Facilitare la creazione di associazioni di pazienti affette da tumori ginecologici nei vari Paesi europei e il collegamento e la collaborazione tra queste.
- Favorire la diffusione di informazione e la condivisione della pratica migliore per potenziare le associazioni di pazienti e migliorare la qualità di cura in tutta Europa.
- Aumentare il ruolo di rappresentanza delle pazienti nelle attività educazionali di ESGO su ricerca e assistenza.
- Sostenere le politiche di cura delle pazienti e l'accesso ad un'adeguata assistenza sia a livello nazionale che europeo.
- Educare le associazioni di pazienti, i professionisti sanitari, coloro che prendono decisioni in materia di sanità pubblica.

Ringraziamenti

*ENGAGe ringrazia gli autori, i collaboratori,
i membri del Gruppo Esecutivo di ENGAGe,
i rappresentanti di ENGOT per il loro lavoro e la costante disponibilità.*

**„Engage desidera rivolgere un ringraziamento particolare
a Loto e alla dottoressa Francesca Abbati
per la traduzione in lingua italiana
e per la revisione scientifica della scheda.“**

Le informazioni contenute in questa guida non sono da intendersi come consigli medici o legali e non possono sostituire la consultazione con un medico o con una struttura sanitaria autorizzata. I pazienti che hanno necessità di fare domande sulla loro salute personale devono rapidamente rivolgersi al proprio medico o a struttura sanitaria autorizzata. Conseguentemente non devono ignorare le indicazioni mediche ricevute o attendere per l'applicazione delle stesse, sulla base di quanto indicato in questa guida. La menzione di qualsiasi prodotto, servizio o trattamento presente in questa guida non deve essere interpretata come un'approvazione dello stesso da parte di ESGO.