

NATURA DEGLI STUDI

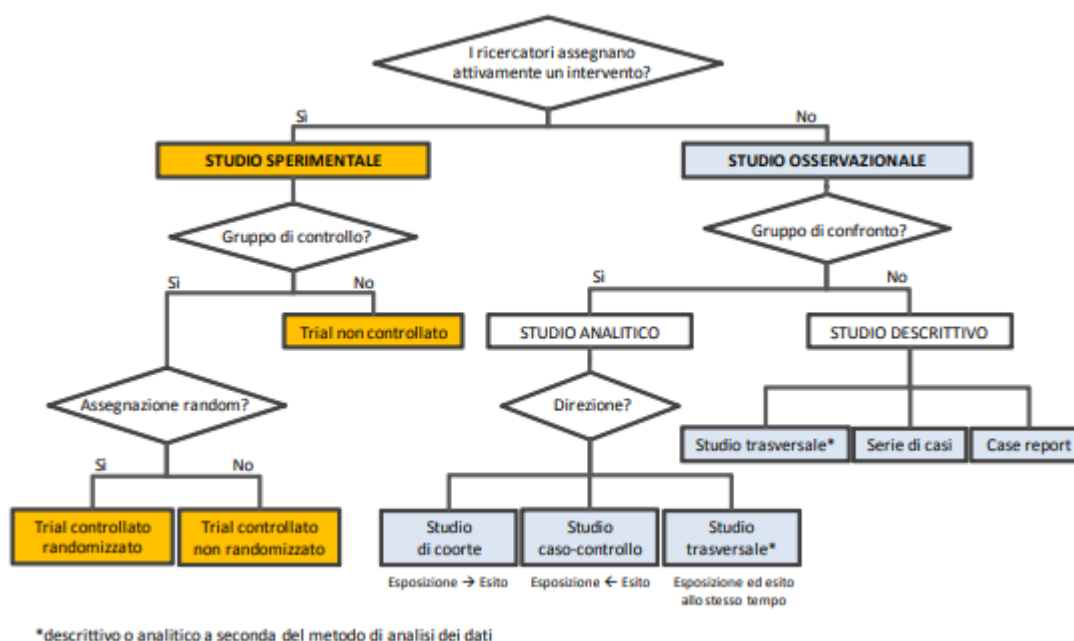
OSSERVAZIONALE (farmacologico o non farmacologico)

SPERIMENTALE (farmacologico o non farmacologico)

TISSUTALE (detto anche studio con campioni biologici)

La figura mostra le principali tipologie di studio.

Gli studi tissutali non rientrano in questa distinzione.



STUDI OSSERVAZIONALI

Sono caratterizzati dall'assenza di intervento attivo da parte dei ricercatori, che rilevano i fenomeni di interesse su pazienti osservati nella consueta pratica clinica, senza introdurre alcun elemento di novità. Gli studi osservazionali, non condizionando in alcun modo la pratica clinica ordinaria, consentono di analizzare l'efficacia nella pratica clinica delle strategie terapeutiche, di implementare e valutare i percorsi diagnostici e terapeutici, la qualità delle prestazioni sanitarie e di cura, nonché ad identificare i determinanti della condizione di salute. I risultati di questi studi sono fondamentali per offrire una migliore qualità di assistenza ai pazienti, per verificare l'efficienza del sistema

sanitario e i suoi costi. I dati raccolti in questi studi possono risultare talvolta utili per lo sviluppo di un nuovo esame diagnostico o un nuovo trattamento.

Sono suddivisi in:

1.1. Studi descrittivi

I ricercatori osservano e descrivono i fenomeni di interesse: classicamente comprendono i *case reports* e le *serie di casi* (*case series*); gli studi descrittivi rivestono un ruolo importante nel riconoscimento di nuove malattie e di presentazioni insolite in malattie frequenti, oltre che per l'identificazione di nuovi fattori di rischio, inclusi gli effetti avversi dei farmaci e di altri interventi sanitari, nonché per l'identificazione di possibili effetti benefici ai farmaci.

1.2. Studi analitici

In questi studi i ricercatori osservano, descrivono e analizzano la relazione tra i fenomeni osservati, in modo retrospettivo o prospettico.

Possono prevedere un gruppo di confronto/controllo, in particolare quando si intende studiare i determinanti della salute. Sono sostenuti dalla metodologia epidemiologica e statistica, in modo da fornire risultati validi e riproducibili.

STUDI SPERIMENTALI

Definiti anche *trial* o sperimentazioni cliniche sono caratterizzati dall'intervento attivo dello sperimentatore e sono sempre prospettici. In questi studi l'assegnazione del soggetto alla strategia terapeutica sperimentale dipende dall'inclusione del soggetto nello studio, non rientrando nella normale pratica clinica. I pazienti assegnati in maniera casuale a diverse strategie terapeutiche vengono seguiti nel tempo per valutare e comparare la variazione della loro condizione di salute.

II REGOLAMENTO (UE) N. 536/2014 definisce una sperimentazione clinica come uno studio clinico che soddisfa una delle seguenti condizioni:

- a) l'assegnazione del soggetto a una determinata strategia terapeutica è decisa anticipatamente e non rientra nella normale pratica clinica dello Stato membro interessato;
- b) la decisione di prescrivere i medicinali sperimentali e la decisione di includere il soggetto nello studio clinico sono prese nello stesso momento; o
- c) sono applicate ai soggetti procedure diagnostiche o di monitoraggio aggiuntive rispetto alla normale pratica clinica.

Tali studi comprendono tre varianti:

i) ***Trial non controllati***. Il trattamento sperimentale viene assegnato a tutti i pazienti eleggibili consecutivamente osservati. In assenza del gruppo di controllo, l'efficacia del trattamento sperimentale viene riportata come beneficio assoluto (ad es. il 95% dei pazienti è guarito). In alcuni casi ci si può avvalere di un cosiddetto controllo storico (ad esempio in base ai dati di letteratura, o dati retrospettivi da cartelle cliniche).

ii) ***Trial controllati non randomizzati***. Sono caratterizzati dalla presenza di un gruppo di controllo (es, placebo o altro farmaco/intervento), i cui esiti vengono confrontati con quelli del gruppo dei pazienti trattati. L'assegnazione dei pazienti non è casuale.

ii) ***Trial controllati randomizzati***. Oltre che dalla presenza di un gruppo di controllo sono caratterizzati dall'assegnazione casuale dei pazienti attraverso le procedure di randomizzazione. Questa assicura che tutti i fattori - sia noti che sconosciuti - si distribuiscano uniformemente nei gruppi di trattamento. Costituiscono il gold standard della sperimentazione clinica per valutare l'efficacia degli interventi sanitari.

STUDI CHE PREVEDONO L'IMPIEGO DI TESSUTI UMANI IN VITRO

Ogni progetto di ricerca per il quale sia richiesto l'utilizzo dei campioni biologici e degli eventuali dati a essi collegati, raccolti ex novo o già conservati presso una biobanca, deve essere oggetto di autorizzazione da parte del CE

Campione biologico umano:

Si definiscono campioni biologici umani i tessuti e i liquidi biologici umani – sangue, saliva, urina, cellule, incluse tutte le frazioni molecolari (proteine, RNA, DNA, etc.) da essi derivabili, originati da soggetti sani o affetti da malattia. I campioni biologici possono essere stati raccolti attraverso procedure mediche di routine o attraverso interventi mirati. Essi possono dare accesso all'informazione contenuta nel genoma umano, con l'implicazione che da tale materiale può essere estratto un profilo genetico della singola persona. L'informazione genetica di ogni campione è legata alla storia medica dell'individuo e può essere collegata a dati sullo stile di vita (ad esempio la dieta, il fumo, etc.).

Biobanca:

istituzione no profit che raccoglie, conserva e apre all'accesso di terzi campioni biologici umani per scopi di ricerca scientifica. Non sono da considerare biobanche le raccolte di campioni biologici effettuate nell'ambito di una sperimentazione e utilizzate ai soli fini della stessa. Rientrano nella definizione di biobanca i campioni donati, anche nell'ambito di un progetto di ricerca (ad esempio residui derivanti da attività di ricerca, campioni aggiuntivi prelevati etc...), e conservati non ai fini di uno specifico studio. Tali campioni dovranno essere conservati in una biobanca istituita ad hoc o confluire nel materiale di una biobanca già esistente.

L'origine del campione biologico umano può essere sia volontario sano sia paziente.