

Studi Clinici in Fibrosi Cistica: Informativa per i Pazienti

Quale può essere il contributo dei pazienti nello sviluppo
di nuovi farmaci?



European Cystic Fibrosis Society
(Società Europea di Fibrosi Cistica)
Clinical trials Network
(Network di Studi Clinici)



Versione 1, Maggio 2011 (Italian)

Indice

Esclusione di responsabilità.....	2
1. Introduzione	3
3. Cos'è uno studio clinico, quali sono gli scopi ?	5
4. Qual' è il processo di sviluppo di un nuovo farmaco?.....	6
5. Perché i bambini sono coinvolti negli studi clinici?	8
6. Come viene garantita la partecipazione volontaria?.....	8
7. Come viene monitorata la sicurezza?	9
8. Cosa mi viene chiesto quando partecipo ad uno studio clinico?.....	11
10. Qual'è il ruolo della società Europea di fibrosi cistica – network di studi clinici (ECFS-CTN)	13
11. Cosa devo fare per partecipare ad una sperimentazione clinica? Come posso reperire informazioni relative agli studi clinici in programma e in corso?	14
12. Glossario	16
13. Riferimenti utili informazioni aggiuntive:	18
14. Elenco dei siti internet di alcune associazioni fc nazionali (organizzazioni di pazienti) in Europa:.....	19

Esclusione di responsabilità

Le informazioni contenute in questa brochure informativa di ECFS-CTN “Test Clinici nella Fibrosi Cistica: informazioni per i Pazienti” sono a fini di informazione generale. ECFS-CTN non fa rappresentazioni o garanzie di alcun tipo, espressa o implicita, circa la completezza, l’accuratezza, l’affidabilità, l’ idoneità o la disponibilità rispetto ai contenuti di questa brochure informativa. Qualsiasi forma di affidamento, riposta su tali informazioni, è esclusivamente a proprio rischio.

In nessun caso saremo responsabili per qualsiasi perdita o danno inclusi, senza limitazioni, la perdita o danno indiretta o consequenziale, o qualsiasi altra perdita o danno derivante dalla perdita di dati o profitti derivanti da o in connessione con l'uso di queste informazioni.

La brochure informativa fornisce i link ad altri siti che non sono sotto il controllo di ECFS-CTN. Non abbiamo alcun controllo sulla natura, i contenuti e la disponibilità di tali siti. L'inclusione di qualsiasi link non implica necessariamente una raccomandazione né avalla le opinioni espresse all'interno di essi.

1. Introduzione

Lo scopo di questa brochure è di spiegare come si sperimenta un nuovo farmaco e come i pazienti con fibrosi cistica (FC) possono contribuire al progresso della ricerca nel modo più rapido e sicuro possibile.

La Fibrosi Cistica (CF) è una malattia ereditaria. Frequenti infezioni polmonari e cattiva digestione sono i sintomi principali. Grazie ai moderni farmaci, la sopravvivenza fino all'età media, anche dopo una diagnosi nell'infanzia, è oramai comune, purché siano rispettate determinate condizioni. La malattia ancora oggi accorca le possibilità di vita. Man mano che le condizioni di salute dei pazienti peggiorano, la complessità e i costi delle cure aumentano mentre si riduce la qualità della vita. La malattia si manifesta in tutto il mondo in maschi e femmine ed è la più comune malattia genetica ereditaria e mortale che colpisce principalmente le popolazioni di origine caucasica. La malattia viene ancora classificata come rara (o "orfana").

In 27 paesi dell'UE, la diffusione è dello 0.74 per 10.000 e circa 30.000 pazienti CF sono registrati in 35 paesi Europei.

L'origine genetica della malattia è nota da 20 anni e riguarda le mutazioni su entrambe le copie del gene che codifica la proteina CFTR. La fibrosi cistica è infatti una **malattia autosomica recessiva**. Questo significa che si manifesta in entrambe i sessi ("autosomica" significa che il gene non si trova sui cromosomi sessuali. "Recessiva" indica che solo le persone con un errore in entrambe le copie del gene CFTR sono affette da questa malattia. I malati con FC infatti hanno ereditato un gene CFTR anomalo da entrambi i genitori. I genitori sono sani, sono solo portatori di una copia difettosa del gene CFTR. Sono definiti portatori. Quando entrambi i partner sono portatori di una copia difettosa del gene CFTR, per ogni gravidanza esiste 1 probabilità su 4 che il feto ne sia colpito.

Nella FC, si verifica un'anomalia del codice genetico e la proteina chiamata CFTR non è in grado di funzionare in modo appropriato.

La proteina CFTR consente il trasporto del sale in vari organi. Nelle vie aeree, quando la proteina CFTR non funziona correttamente, i batteri inalati a altri organismi che possono causare malattie vengono scarsamente eliminati e provocano l'infezione cronica delle vie aeree. Nel sistema digestivo, l'anomalo trasporto di sale si manifesta con una ridotta capacità di secernere gli enzimi digestivi, pertanto incorrono problemi di digestione e situazioni di sottopeso.

Conoscere come l'errore nel gene porta ad assenza o disfunzione della proteina, ha aperto una nuova fase della ricerca. Sono stati individuati diversi composti chimici in grado di superare il difetto di base della Fibrosi Cistica nelle colture cellulari. Queste nuove tecniche stanno per essere sperimentate sui pazienti. Inoltre, anche le ricerche

volte a migliorare le cure terapeutiche nelle infezioni polmonari e i problemi digestivi sono molto importanti.

Nel caso di una malattia rara come la Fibrosi Cistica, le compagnie farmaceutiche sanno che il mercato potenziale di riferimento del farmaco, è relativamente piccolo. Fortunatamente, **sono stati emanati provvedimenti legislativi che incoraggiano la ricerca sulle malattie rare e le possibili cure.**

Nel 2008 è stata raggiunta una pietra miliare nella nostra lotta contro la Fibrosi Cistica. Per la prima volta in assoluto farmaci volti a correggere le cause della malattia, chiamati “farmaci correttori della malattia” hanno dimostrato di non essere tossici, anzi ben tollerati e avere una certa efficacia su una limitata quantità di studi. Questi e nuovi farmaci che rallentano la progressione della malattia, ora hanno bisogno essere testati su un elevato numero di pazienti.



2. Tipologie di farmaci

- **Modulatori CFTR:** queste terapie mirano a correggere le disfunzioni della proteina CFTR difettosa. Ci sono differenti modalità d'intervento, che sono relative ad uno specifico sottoinsieme di mutazioni genetiche nel gene CFTR. Queste terapie sono promettenti in quanto lavorano sul difetto di base della proteina (infatti sono denominati “farmaci correttori della malattia”). Questo significa che lo scopo è di correggere le cause della Fibrosi Cistica e non solo di alleviarne le conseguenze come le infezioni polmonari. Esempi di farmaci che stanno per essere sperimentati sui pazienti sono il VX-770 e VX-809 (Vertex) e Ataluren® (PTC Therapeutics).
- **Ripristino del liquido periciliare delle vie aeree:** Queste terapie bersagliano proteine differenti dalla CFTR ma che hanno una funzione simile (movimento di sali all'interno o all'esterno delle cellule). Questo può portare ad una migliore idratazione e fluidificazione del muco nelle vie aeree.
- **Alterazioni del muco:** Meglio conosciuto da tutto voi è rhDNase or Pulmozyme®. RhDNase riduce alcune parti di muco così che risulta meno viscoso. Questo farmaco è ora disponibile dopo anni di test su un ampio gruppo di pazienti con FC. L'ipertonica salina è disponibile anche come farmaco e altri prodotti sono nella fase di sperimentazione clinica.

- **Antinfiammatori:** Questi farmaci hanno lo scopo di alleviare il processo d'infiammazione nei polmoni, utilizzando differenti metodi. Un esempio di prodotto è l'Ibuprofen. Altre molecole stanno per essere testati nelle sperimentazioni cliniche.
- **Antinfettivi:** Questi farmaci sono gli antibiotici che attaccano i micro-organismi che causano infezioni polmonari acute e croniche. Esempi di questi prodotti sono il Tobramicina (TOBI®) e Azitromicina. Altri prodotti sono stati testati nei test clinici, per lo più antibiotici ben noti per essere attivi contro lo Pseudomonas aeruginosa e formulati per l'aerosol terapia. Poiché un organismo come lo Pseudomonas aeruginosa può diventare resistente è importante avere differenti tipologie di antibiotici disponibili.
- **Nutrizione:** Questo include integratori come le vitamine, ma anche gli enzimi come il Creon®, che favoriscono la digestione.
- **Altre strategie di cura:** La terapia genetica è ancora nella fase iniziale del suo sviluppo. Le sfide sono trovare un modo di introdurre nelle vie aeree copie normali del gene che è difettoso in FC e ottenere l'espressione genica (conversione delle informazioni codificate nel gene in una proteina CFTR corretta).

3. Cos'è uno studio clinico, quali sono gli scopi ?

Un test clinico è uno studio condotto su un campione di volontari per testare la sicurezza e l'efficacia di nuove potenziali cure.

“Efficace” vuol dire che un farmaco produce maggiori effetti rispetto alle normali terapie e aiuta il paziente a sentirsi meglio.

Nessun farmaco è privo di controindicazioni, ma un farmaco si reputa affidabile se i benefici che ne derivano dall'assunzione hanno maggior peso degli effetti negativi. Al fine di garantire che un test clinico previsto sia fondato ci sono varie agenzie di regolamentazione in ciascun paese. Il loro lavoro consiste nel valutare l'affidabilità e l'efficacia dei risultati dei test preclinici e controllare che gli scopi e le procedure dei test siano fondati e accettabili. La loro approvazione è obbligatoria affinché un test clinico possa avere inizio. Un esempio è il Comitato Etico che esiste in ogni paese e che è preposto a controllare che la sperimentazione clinica rispetta i diritti e il benessere dei pazienti che partecipano allo studio (vedi sotto).

4. Qual' è il processo di sviluppo di un nuovo farmaco?



Quando un nuovo farmaco sta per essere sviluppato, i primi studi condotti sono chiamati **fase pre-clinica**. Vuol dire che il farmaco viene testato principalmente in laboratorio, in cellule e studi condotti su animali. Se questi studi evidenziano dei possibili benefici senza tossicità, può entrare nella successiva fase clinica in cui viene testato in studi clinici sugli individui.

Dopo una fase pre-clinica, ci sono altre 3 su successive fasi di sperimentazione prima che il farmaco possa essere approvato dalle autorità e successivamente commercializzato.



Nella Fase 1, i ricercatori testano per la prima volta un farmaco sperimentale o una terapia in un piccolo gruppo di persone (circa 20, volontari di solito sani) per valutarne la sicurezza, determinarne il dosaggio adatto e identificare gli effetti collaterali. Il periodo di trattamento per paziente va da un paio di giorni a un paio di settimane



Nella Fase 2, il farmaco o la terapia sperimentale in fase di studio viene sottoposta a un ampio gruppo di pazienti affetti dalla malattia, in questo caso FC (20-400) per vedere come funziona e valutarne la sicurezza.

Il periodo terapeutico per il paziente è circa di 1-3 mesi.



Nella Fase 3, sono coinvolti più pazienti (100-1000) al fine di approfondire i dati di efficacia, monitorare gli eventuali effetti collaterali, fare confronti con le terapie comunemente usate (se il farmaco sperimentato produce risultati più soddisfacenti, potrebbe diventare la nuova terapia standard) e raccogliere informazioni che permetteranno di usare in modo sicuro il nuovo farmaco sperimentale o terapia.

Il periodo di trattamento per il paziente può variare da circa un mese a più di 1 anno.

I farmaci che passano con successo la Fase 3 della sperimentazione, sono sottoposti all'approvazione dalle autorità e successivamente commercializzati.



Il farmaco è ora nella Fase 4 nella quale si acquisiscono dai pazienti a cui è stato prescritto il farmaco le informazioni sui rischi a lungo termine e sui benefici

Possono essere necessari 10-15 anni prima che un nuovo farmaco, che è stato scoperto in laboratorio, sia pronto per essere prescritto ai pazienti. Sono una piccola percentuale di candidati che hanno testato il farmaco, arriveranno alla fine del processo. Questo rende lo sviluppo di un nuovo farmaco molto costoso per le compagnie, specialmente perché la fibrosi cistica è una "malattia rara" e pertanto il mercato di riferimento del farmaco (anche chiamato "farmaco orfano") sarà relativamente piccolo. Fortunatamente la Comunità Europea ha creato una speciale regolamentazione per cui ci sono ancora dei vantaggi per le compagnie che lavorano allo sviluppo di farmaci orfani. Se vuoi acquisire maggiori informazioni in merito a questa materia, puoi visitare il sito dell'Eurodis <http://www.eurordis.org>

5. Perché i bambini sono coinvolti negli studi clinici?

- La FC è una malattia che **colpisce i bambini sin dalla nascita**. I controlli e le terapie a cui vengono sottoposti mirano a prevenire l'avanzamento della malattia sin dall'età infantile
- **“Un bambino non è un piccolo adulto”**: in base all'età del bambino si riscontrano specifiche differenze metaboliche che gli consentono di reagire in modo differente allo stesso farmaco. Pertanto non è sicuro o efficace adattare semplicemente il dosaggio di un farmaco che è raccomandato per un adulto. Inoltre, spesso è necessaria una differente formulazione per i bambini più piccoli (ad esempio sciroppo contro pillole).
- Pertanto, conformemente ai **regolamenti Europei**, le compagnie farmaceutiche devono presentare un “piano d'indagine pediatrica” (PIP) quando testano un nuovo farmaco. Si tratta di un piano di sviluppo volto ad assicurare che i dati necessari sono ottenuti attraverso gli studi sui bambini, solo quando è sicuro farlo, per facilitare l'autorizzazione dei farmaci per bambini. Puoi reperire maggiori informazioni sul tema al sito dell'EMA (Agenzia Europea di Medicina) <http://www.ema.europa.eu>



Gli studi clinici in Fibrosi Cistica coinvolgono anche i (piccoli) bambini. Sicuramente questo non viene mai fatto senza informare preventivamente i genitori e aver ricevuto il loro consenso (consenso informato). Inoltre, ai bambini più grandi e agli adolescenti viene richiesto di esprimere il proprio consenso a partecipare. Viene definito “assenso”.

6. Come Viene Garantita La Partecipazione Volontaria?

Informazioni e Consenso Informato

Il consenso informato è una procedura di acquisizione delle conoscenze sui punti fondamentali delle sperimentazioni cliniche prima di decidere se partecipare o meno. Per facilitare la decisione di partecipare o no, il personale medico e infermieristico coinvolto nella sperimentazione forniscono al paziente una spiegazione dettagliata dello studio. In seguito il gruppo di ricerca fornisce un documento con l'informativa per i pazienti con i dettagli in merito allo studio, come ad esempio obiettivi, durata, procedure richieste, e contatti utili. I rischi e i potenziali benefici sono spiegati nell'informativa per i pazienti. I partecipanti decidono se firmare il documento.



Il consenso informato non è un contratto, e i partecipanti possono ritirarsi in qualsiasi momento. Il consenso informato consente ai partecipanti di fare domande e ricevere delle risposte, durante e dopo la sperimentazione. Puoi parlare del Modulo di Consenso Informato con la tua famiglia o amici e portare qualcuno agli incontri.

Un soggetto che si rifiuta di partecipare allo studio non corre alcun rischio che le sue cure mediche presenti e future siano compromesse e non subirà alcuna sanzione o perdita di benefici a cui sono contrariamente titolati.

Ogni individuo ha il diritto di comprendere la natura, i rischi e i benefici della ricerca e può essere favorevole sfavorevole a prendervi parte.

7. COME VIENE MONITORATA LA SICUREZZA?

Gli sponsor e i ricercatori che partecipano ad una sperimentazione clinica si assumono la responsabilità finale sulla condotta della sperimentazione. Ci sono comunque dei regolamenti e comitati che aiutano a monitorare quanto segue:

a. Regolamenti per le sperimentazioni cliniche

Sono state fissate regole precise per assicurare che le persone che acconsentono di partecipare agli studi siano trattate nel modo più sicuro possibile. In Europa, è uno dei compiti dell'Agencia Europea per i Medicinali (EMA). Negli Stati Uniti, è gestita dall'Amministrazione per il cibo e i farmaci (FDA)

Le regole sono definite **“Norme di Buona Pratica Clinica”** o **“GCP”**.



Le istituzioni sopra menzionate possono disporre ispezioni degli ambienti in cui vengono condotte le sperimentazioni cliniche per controllare se le regole GCP vengono rispettate e vengono tutelati i diritti dei pazienti. Viene sottoposta a verifica anche la qualità e integrità dei dati.

b. Comitato Etico – Consiglio di Revisione Istituzionale (IRB)

Il Comitato Etico è un organo indipendente incaricato di **tutelare i diritti, la sicurezza e il benessere** dei soggetti coinvolti nella ricerca. Tutte le istituzioni coinvolte nella ricerca (luoghi come accademie e ospedali), devono nominare tale comitato o consiglio. I membri sono allo stesso tempo medico/scientifici e professionisti non medico / non scientifico (ad esempio gli specialisti etici). Un IRB possiede l'autorità per approvare, richiedere modifiche, o disapprovare la ricerca.



IRB è conosciuto come:

- Comitato Indipendente Etico (IEC)
- Consiglio Etico di Revisione (ERB)
- Comitato Etico (EC)

Le principali responsabilità di un IRB sono:

1. Approvazione/ autorizzazione per la conduzione di uno studio clinico
2. Revisione dell'andamento dello studio
3. Assicurare che tutte le regole siano rispettate (adempienza normativa))

c. Consiglio di Monitoraggio della sicurezza dei dati

Il "Consiglio di Monitoraggio della Sicurezza dei Dati" o "DSMB" è un comitato indipendente che revisiona i dati mentre lo studio clinico è in corso per assicurare che i partecipanti non siano esposti a rischi inopportuni. Un DSMB dovrebbe suggerire di bloccare uno studio clinico qualora dovessero insorgere problemi di sicurezza o se si raggiungono gli obiettivi di una sperimentazione clinica.

Talvolta è anche chiamato "Comitato di Monitoraggio Dati" o DMC. Non tutti gli studi clini richiedono un DSMB o DMC.

8. Cosa mi viene chiesto quando partecipo ad uno studio clinico?

Il **programma completo delle visite e procedure** associate ti sarà spiegato dal gruppo di ricerca. Per ogni studio ci sarà un gruppo di ricerca differente. La durata dello studio può variare da un paio di settimane a più di un anno.

Di certo sarà molto importante **assumere il farmaco previsto dalla sperimentazione** e tuoi farmaci abituali conformemente alle indicazioni fornite. Si definisce “aderenza al protocollo”. In alcuni studi può essere uno stile di vita e/o restrizioni alimentari, ad esempio esigenze di contraccezione o restrizioni nell’uso di alcool o tabacco.

Sarai osservato durante differenti “**visite di studio**”. Se possibile alcune di queste visite verranno combinate con i tuoi normali controlli in ospedale. Spesso le visite sono fatte a casa o spesso al telefono. Per molti studi complessi, potrebbe essere richiesti il ricovero di un giorno in ospedale.

2 controlli importanti sono i controlli di screening e quelli randomizzati:

Controlli di Screening (o diagnosi precoce): è il primo controllo della sperimentazione. Non può iniziare prima che sia firmato il consenso informato. L’obiettivo di questa visita è di controllare se il candidato incontra tutti i criteri di ammissione ed esclusione di uno specifico protocollo (ad esempio se i risultati della funzione polmonare sono dentro ad un certo intervallo). Possono anche essere rilevati dei campioni di sangue, urina e saliva. Se tutte le condizioni sono rispettate, i candidati possono partecipare alla sperimentazione. Lo scopo di questi criteri di ammissione ed esclusione è di identificare i partecipanti adeguati e garantire la loro sicurezza.

Controlli Randomizzati: randomizzazione vuol dire che è deciso per caso (random) quale tipo di farmaco in fase di studio riceverà il paziente (in alcuni casi due terapie vengono confrontate); o è deciso casualmente se lui/lei riceverà il farmaco attivo o un placebo (in un gruppo di controllo placebo). Ci sono altri possibili programmi. Durante o subito dopo questo controllo il paziente inizia ad assumere i farmaci previsti dallo studio.

Un placebo è una pillola senza principio attivo, viene somministrato come sostanza liquida o in polvere e non ha alcun valore terapeutico. Negli studi clinici, i trattamenti sperimentali sono spesso comparati con i placebo per stabilire l’efficacia del trattamento sperimentale. Questo disegno viene usato solo se è stato valutato come eticamente accettabile per questo specifico studio.

Molti studi sono in doppio cieco. Significa che né i pazienti né i medici sanno quale trattamento sta assumendo il paziente, o se il paziente sta ricevendo un farmaco placebo. La cecità può essere interrotta solo in particolari condizioni.

Esempi di procedure:

Comuni:

Esami fisic
Spirometria / altri test sulle funzioni polmonari
Elettrocardiogramma
Prelievi di sangue e urine
Prelievi di saliva
Questionario
...

Meno comuni:

Test specifici come il test delle Differenze dei Potenziali Nasali (NPD)
Audiogramma
Test del sudore
Raccolta delle feci
...

9. Cosa dovrebbero tenere in considerazione le persone prima di partecipare ad una sperimentazione?

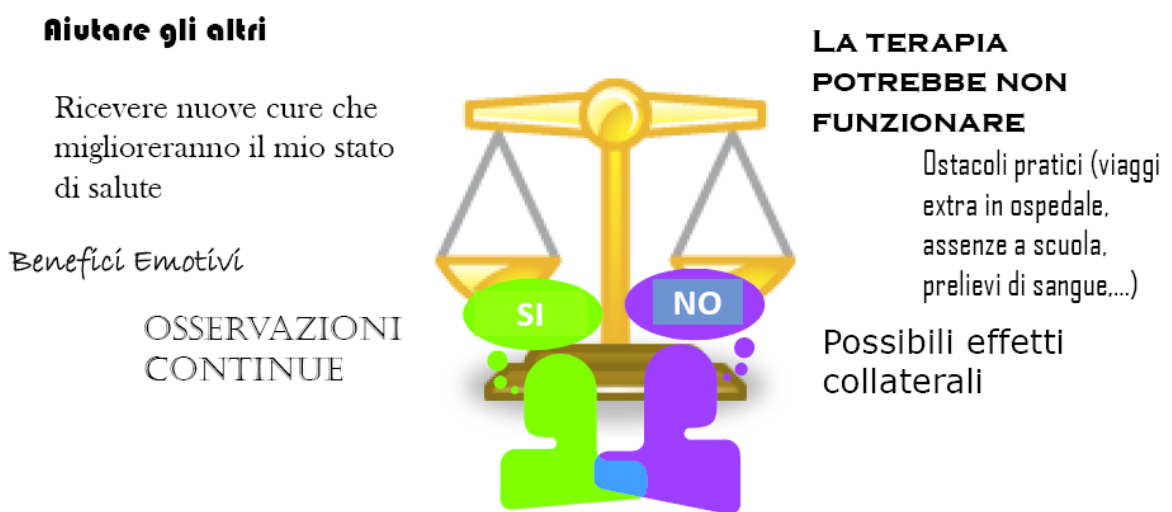
Le persone devono conoscere quanto più possibile circa la sperimentazione clinica e sentirsi confortati rivolgendo ai membri del gruppo di cura domande in merito.

Le seguenti domande dovrebbero essere utili come una guida. Alcune risposte a queste domande si possono rinvenire nell'informativa per i pazienti.

- *Qual è lo scopo dello studio?*
- *Chi parteciperà allo studio?*
- *Perché i ricercatori credono che il trattamento sperimentale che sarà testato dovrebbe essere efficace? E' stato mai testato prima?*
- *Che tipo di test e terapie sperimentali sono coinvolti?*
- *Quali sono i possibili rischi, effetti collaterali, e benefici in relazioni alle cure che sto facendo?*
- *Come questo test potrebbe influire sulla mia vita quotidiana?*
- *Quando terminerà?*

- Sarà necessario il ricovero in ospedale?
- Chi pagherà la terapia sperimentale?
- Riceverò un rimborso spese?
- Che tipo di controlli a lungo termine fanno parte dello studio?
- Come saprò se la terapia sperimentale sta funzionando? Quali risultati dello studio mi saranno forniti?
- Chi tutelerà il mio stato di salute?

Ci sono alcuni fattori che possono motivare o scoraggiare i pazienti a prendere parte a una sperimentazione clinica:



10. Qual'è il ruolo della società Europea di Fibrosi Cistica – Network di Studi Clinici (ECFS-CTN)

Nel caso di una malattia rara come la FC, è importante che i **paesi lavorino insieme** il più possibile. C'è la necessità di una stretta collaborazione anche tra pazienti, organizzazioni di pazienti, industrie farmaceutiche e istituti di ricerca.

Quando si cerca di **standardizzare nuovi o già esistenti metodi** di lavoro (ad esempio la misurazione della funzione polmonare o la modalità di svolgere il test del sudore), è importante avere un dialogo internazionale. Se tutti lavorano allo stesso modo, ci saranno meno differenze nei risultati, questo vuol dire che meno pazienti dovranno partecipare agli studi clinici per comprovare gli stessi effetti.

Al fine di promuovere questa cooperazione la Società Europea di Fibrosi Cistica (ECFS) che è la Società Europea specializzata in FC, ha attivato l'iniziativa di impostare un "Network di Studi Clinici" (CTN). Al momento questo network ingloba gli specialisti di FC di 18 centri in 8 paesi e si espanderà a più paesi e centri nel 2012

Un compito importante di ECFS-CTN è **la revisione di un nuovo protocollo di studio** attraverso un gruppo di esperti. Osservano la qualità scientifica, ma anche la fattibilità per il paziente e l'importanza terapeutica del farmaco testato. I centri che sono parte del CTN condurranno solo studi che sono stati approvati da questo sistema di revisione.

Lo scopo del CTN è di introdurre rapidamente nuovi farmaci promuovendo l'alta qualità della ricerca in differenti modi.

Potete trovare maggiori informazioni sulle attività del CTN su <http://www.ecfs.eu/ctn/>.

11. Cosa devo fare per partecipare ad una sperimentazione clinica? Come posso reperire informazioni relative agli studi clinici in programma e in corso?

Per fare in modo che i farmaci raggiungano i pazienti più rapidamente, è cruciale che gli studi clinici siano condotti e che i pazienti partecipino a questi studi. Comunque, anche se vuoi candidarti per partecipare ad una sperimentazione, potresti tuttavia essere escluso sulla base dei criteri di ammissione / esclusione di un dato protocollo e / o a causa del numero di partecipanti necessari ai ricercatori. Se vuoi partecipare ad una sperimentazione clinica, dovresti prima di tutto chiedere al tuo medico di fiducia o ad un altro membro del tuo **gruppo di cura di FC**.

Sono sicuramente le persone più adatte a rispondere alle tue domande. Poiché conoscono la tua storia, saranno in grado di consigliarti a quale sperimentazione dovresti partecipare e dirti se incontri i requisiti di ammissione di uno o più studi in corso nel tuo centro.



- **Organizzazioni Nazionali dei Pazienti:** alcune associazioni FC nazionali hanno una sezione dedicate agli studi clinici sul proprio sito che mostra quali studi stanno per essere condotti nel proprio paese.
- **Clinicaltrials.gov** (<http://www.clinicaltrials.gov/>) è un servizio dell'Istituto Nazionale di Salute degli usa. E' un database on line degli studi clinici condotti negli Stati Uniti e nel mondo. ClinicalTrials.gov fornisce informazioni in merito agli scopi dello studio, chi dovrebbe partecipare, le località e i numeri di telefono per maggiori informazioni. Queste informazioni dovrebbero essere insieme as aiuti da parte di professionisti della tutela della salute. Esiste uno strumento di ricerca dove puoi digitare una o più parole chiave (ad esempio "cystic fibrosis and pediatric").
- **Il sito ECFS-CTN** (<http://www.ecfs.eu/ctn/clinical-trials>)
La sezione del sito ECFS-CTN dedicata agli studi clinici fornisce una panoramica sugli studi in corso nei centri che fanno del network. Se disponibili i risultati degli studi conclusi vengono pubblicati.

12. Glossario

- **Arruolamento:** numero di soggetti nella sperimentazione.
- **Buona Pratica Clinica (GCP):** uno standard qualitativo internazionale stabilito dalla Conferenza Internazionale sull'Armonizzazione, un organismo internazionale che definisce gli standard, che i governi possono tradurre in regolamenti per le sperimentazioni cliniche che coinvolgono gli individui.
- **Consiglio di Monitoraggio della Sicurezza dei Dati (DSMB):** Un comitato indipendente che revisiona i dati mentre una sperimentazione clinica è in corso per assicurare che i partecipanti non siano esposti ad inutili rischi. Un DSMB dovrebbe Un DSMB dovrebbe suggerire di bloccare una sperimentazione clinica qualora dovessero insorgere problemi di sicurezza o se si raggiungono gli obiettivi di una sperimentazione clinico.
- **Criteri di ammissione/ inclusione-esclusione:** i criteri che determinano se un individuo potrebbe avere accesso ad uno studio clinico. Questi criteri si basano su fattori come l'età, il sesso, il tipo e lo stadio della malattia precedenti trattamenti, e altre condizioni mediche. E' importante notare che i criteri di inclusione e esclusione non vengono adottati per scopi personali, ma piuttosto per identificare i partecipanti idonei e garantire loro la sicurezza necessaria.
- **Errore di screening:** un soggetto non risponde ai criteri di ammissione/esclusione successivamente alla visita di screening.
- **Farmacocinetica:** è l'analisi di come il corpo assorbe, distribuisce, metabolizza ed elimina un farmaco. Tutto ciò viene misurato prendendo dei campioni di sangue e/o di urine e misurando la quantità di farmaco o i suoi metaboliti.
- **Gruppo di Controllo:** in molti studi clinici, un gruppo di pazienti riceverà il farmaco o trattamento sperimentale, mentre il gruppo di controllo o riceve la terapia standard per la malattia oppure un placebo. In questo modo può essere valutata l'efficacia del nuovo trattamento.
- **Misura dei risultati/esito:** prima che un test clinico abbia inizio, i ricercatori devono stabilire quali sono i criteri di efficienza che dovranno monitorare per misurare gli effetti della terapia (o altro intervento). Ad esempi nella fase 3 dello studio sulla Fibrosi Cistica il primo punto finale è spesso il risultato del test sulla funzione polmonare (FEV1).
- **Placebo:** è una pillola senza principio attivo, liquido o polvere che non ha alcun valore terapeutico. Negli studi clinici, i trattamenti sperimentali sono spesso comparati con i placebo per stabilire l'efficacia del trattamento sperimentale. In alcuni studi, i partecipanti del gruppo di controllo ricevono un placebo al posto di un farmaco effettivo o terapia sperimentale.
- **Protocollo:** gli studi clinici sono condotti in conformità con un piano detto protocollo. Il protocollo descrive quali tipologie di pazienti possono far parte dello studio,

programma i test e le procedure, i farmaci i dosaggi e la durata dello studio, così come i risultati che dovranno essere misurati.

- **Ricercatore (Clinico):** un ricercatore medico che porta a termine uno studio clinico o un altro tipo di ricerca clinica.
- **Sperimentazione ad etichetta aperta:** studi clinici in cui i ricercatori e i partecipanti conoscono il farmaco che stanno assumendo.
- **Sponsor:** individuo, compagnia, istituzione o organizzazione responsabile dell'avvio, della gestione e del finanziamento di una sperimentazione.
- **Studi in doppio cieco:** uno studio clinico in cui né i pazienti né il personale dello staff sanno chi sta assumendo la cura sperimentale e chi sta ricevendo un placebo (o un'altra terapia). Gli studi in doppio cieco sono pensati per ottenere dei risultati obiettivi, poiché le aspettative del medico e del paziente in merito al farmaco sperimentale non influiscono sul risultato.
- **Studio randomizzato:** uno studio nel quale i partecipanti sono assegnati con un meccanismo casuale (random) ad uno dei due gruppi. Talvolta sono usati trattamenti con placebo.
- **Visita di Screening:** è la prima visita della sperimentazione, dove si controlla se il candidato possiede tutti i requisiti di ammissione e esclusione di uno specifico protocollo.
- **Visite randomizzate:** randomizzazione vuol dire che è deciso per caso (random) quale tipo di farmaco in fase di studio riceverà il paziente (in alcuni casi due terapie vengono confrontate); o è deciso casualmente se lui/lei riceverà il farmaco attivo o un placebo (in un gruppo di controllo placebo). Ci sono altri possibili programmi. Durante o subito dopo questo controllo il paziente inizia ad assumere i farmaci previsti dallo studio.

13. Riferimenti utili informazioni aggiuntive:

Clinicaltrials.gov “Capire le sperimentazioni cliniche”:

<http://clinicaltrials.gov/ct2/info/understand>

National Cancer Institute “presentazione di uno clinico”:

<http://www.cancer.gov/clinicaltrials/learning>

Sito Internet del CFF-TDN (Network di Sviluppo Terapeutico della Fondazione Fibrosi Cistica negli USA): <http://www.cff.org/research/TDN/>

Sito internet del ECFS-CTN: <http://www.ecfs.eu/ctn/>

Amministrazione per il Cibo e i Farmaci statunitense (FDA): <http://www.fda.gov/>

Agenzia Europea dei Medicinali (EMA): <http://www.ema.europa.eu/>

ECORN: Expert advice on Cystic Fibrosis: <http://ecorn-cf.eu/>

Patient Partner project and European Network for Patients Partnering in Clinical research (ENPCR): <http://www.patientpartner-europe.eu/>

14. Elenco dei siti internet di alcune associazioni cf nazionali (organizzazioni di pazienti) in Europa:

Mondiale: Cystic Fibrosis Worldwide - <http://www.cfww.org/>

Europa: Cystic Fibrosis Europe - <http://www.cfeurope.org/>

- **Austria**
Cystischen Fibrose Hilfe Österreich - <http://www.cf-austria.at/cms/>
- **Belgio**
Belgische Vereniging Voor Strijd Tegen Mucoviscidose - Site in Flemish: <http://nl.muco.be/>
Association Belge de Lutte contre la Mucoviscidose - Site in French: <http://fr.muco.be/>
- **Bulgaria**
Асоциация Муковисцидоза (Association Mucoviscidosis) - <http://www.lifewithcf.org/>
- **Danimarca**
Danish Cystic Fibrosis Association - <http://www.cystiskfibrose.dk/default.html>
- **Francia**
Association Vaincre la Mucoviscidose - <http://www.vaincrelamuco.org/>
- **Germania**
Mukoviszidose e.V. - <http://muko.info/>
CF-Selbsthilfe Koeln e.V - <http://www.cf-selbsthilfe-koeln.de/>
- **Grecia**
Hellenic C.F. Association - <http://www.hcfa.gr/>
- **Irlanda**
The Cystic Fibrosis Association of Ireland - <http://www.cfireland.ie/>
- **Israele**
Cystic Fibrosis Foundation of Israel - <http://www.cff.org.il/>
- **Italia**
Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica - <http://www.fibrosicisticaricerca.it/>
Legga Italiana Fibrosi Cistica - <http://www.fibrosicistica.it/>
- **Norvegia**
Norsk Forening For Cystisk Fibrose - <http://www.cfnorge.no/>
- **Paesi Bassi**
Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting - <http://www.ncfs.nl/>
- **Polonia**
Polish Society Against CF - <http://www.ptwm.org.pl/>
- **Portogallo**
Associação Portuguesa de Fibrose Quística - <http://www.apfq.pt/>
- **Repubblica Ceca**
Klub nemocných Cystickou Fibrózou - <http://www.cfklub.cz/>
- **Russia**
Russian Cystic Fibrosis Site - <http://www.mucoviscidos.ru/>
- **Slovenia**
Cystic Fibrosis Association Slovenia - <http://www.drustvocf.si/>

- **Spagna**
Federación Española contra la Fibrosis Quística - <http://www.fibrosisquistica.org/>
- **Svezia**
Riksförbundet Cystisk Fibros - <http://www.rfcf.se/>
- **Svizzera**
Schweizerische Gesellschaft für Cystische Fibrose (CFCH) - <http://www.cfch.ch/>
- **UK**
Cystic Fibrosis Trust - <http://www.cftrust.org.uk/>

