

1. Come vengono condotti gli studi clinici farmacologici?

Gli studi clinici vengono condotti in accordo con specifiche norme etiche e di Buona Pratica Clinica seguendo quanto previsto e definito dallo specifico “protocollo di studio”. Il protocollo di studio è un documento che contiene tutte le informazioni sullo studio; in esso vengono descritti in modo dettagliato:

- gli scopi dello studio;
- il modo in cui i ricercatori realizzano lo studio;
- le caratteristiche che una persona deve avere per partecipare allo studio (*i cosiddetti criteri di inclusione e di esclusione*); esse solitamente riguardano aspetti legati all'età, alla diagnosi e alla fase di malattia, all'anamnesi medica, alle terapie concomitanti ecc.
- il numero di persone che potranno partecipare allo studio;
- gli esami che le persone che partecipano allo studio dovranno effettuare e le loro scadenze;
- il modo e la frequenza di somministrazione del trattamento sperimentale;
- il modo in cui sarà valutata l'efficacia del trattamento;
- i metodi statistici con cui verranno analizzati i risultati.

Il protocollo di studio è il medesimo per tutti i centri sperimentali che, nel mondo, partecipano ad una specifica sperimentazione. Poiché il protocollo di studio è una sorta di “manuale operativo”, esso garantisce che i ricercatori che lavorano in diversi centri sperimentali conducano lo studio nello stesso modo coinvolgendo partecipanti con le stesse caratteristiche assicurando quindi la comparabilità dei dati raccolti.

2. La partecipazione ad una sperimentazione farmacologica è gratuita?

La partecipazione ad una sperimentazione farmacologica è totalmente gratuita. Il trattamento sperimentale (farmaco o placebo) da assumere nel corso dello studio viene fornito al centro sperimentale direttamente dallo Sponsor di studio che si occupa anche di coprire tutti i costi relativi ad esami e procedure previste dal protocollo.

3. Posso partecipare ad uno studio farmacologico da casa?

Sono in corso studi su svariate tipologie di farmaci; vi sono farmaci sperimentali in compressa, che il partecipante può assumere oralmente a casa, farmaci che vengono somministrati tramite iniezione o altri che vengono somministrati tramite infusione endovenosa (queste ultime da effettuarsi a cadenza regolare presso il centro sperimentale). La partecipazione ad un qualsiasi studio farmacologico implica l'effettuazione di una serie di visite a cadenza variabile a seconda di quanto previsto dal protocollo di studio (mensili, trimestrali ecc). Tali visite, devono necessariamente essere svolte presso il centro sperimentale di riferimento, e hanno l'obiettivo di monitorare, attraverso esami e procedure specifiche, la sicurezza e l'efficacia del farmaco sull'organismo.

4. Cos'è uno studio clinico farmacologico controllato, randomizzato e in doppio cieco?

Uno studio clinico farmacologico controllato è un tipo di studio in cui i partecipanti vengono suddivisi in due gruppi: un gruppo riceve il farmaco sperimentale (gruppo sperimentale), mentre l'altro gruppo riceve il placebo (gruppo di controllo). Questo tipo di procedimento permette di confrontare l'andamento della malattia nei due gruppi e verificare l'efficacia del trattamento in esame.

In uno studio farmacologico randomizzato l'assegnazione ad uno di questi gruppi avviene in modo casuale (random). Di solito l'assegnazione dei partecipanti ad uno dei due gruppi avviene tramite un programma computerizzato per garantire che all'interno di ciascuno di essi ci sia una popolazione di soggetti simile per

determinate caratteristiche (es. sesso, età, fase di malattia, ecc.). In questo modo è possibile confrontare i risultati derivanti dai due gruppi riducendo al minimo la possibilità che eventuali variazioni e differenze tra i gruppi dipendano da altre variabili “confondenti”.

Uno studio farmacologico si dice in doppio cieco quando né i pazienti né i loro accompagnatori né gli sperimentatori sanno chi sta assumendo il farmaco sperimentale vero e proprio e chi il placebo. La condizione in doppio cieco garantisce la neutralità degli sperimentatori nell’attribuzione dei punteggi ai test che verranno poi analizzati per capire se il farmaco sperimentale ha raggiunto gli obiettivi di efficacia che erano stati precedentemente stabiliti e nella valutazione della relazione tra trattamento sperimentale ed eventuali effetti collaterali.

5. Cos’è il placebo?

Il placebo è una sostanza esteticamente identica al farmaco in sperimentazione che però non contiene il principio attivo.

6. Posso ritirare la mia partecipazione ad una sperimentazione farmacologica in qualsiasi momento?

La partecipazione ad una sperimentazione è del tutto volontaria. Se decide di partecipare, potrà interrompere la partecipazione in qualsiasi momento e senza dover fornire alcuna giustificazione.

La sperimentazione potrebbe inoltre essere interrotta in maniera anticipata per decisione dello Sponsor, del medico sperimentatore o dalle autorità regolatorie italiane o di altri paesi.

Generalmente, per una maggiore sicurezza del partecipante, è richiesto che dopo la decisione di interrompere la partecipazione ad uno studio farmacologico il partecipante si presenti al Centro sperimentale di riferimento per una visita finale.

7. Verrò pagato per partecipare ad uno studio farmacologico?

Non è previsto nessun compenso per chi partecipa ad uno studio farmacologico ma non dovrà sostenere nessun costo per le visite, le procedure e gli esami previsti.

8. Perché in molti studi è richiesto che ad alcune visite partecipi anche un caregiver o un accompagnatore?

In molti studi è richiesta la presenza di un caregiver o di un informatore/partner di progetto che sia in grado di fornire alcune informazioni soprattutto sul livello di autonomia del partecipante (sia esso una persona cognitivamente sana o una persona con decadimento cognitivo o demenza) in alcune attività della vita quotidiana (prepararsi un pasto, gestire il denaro, imparare ad utilizzare un nuovo elettrodomestico ecc). Spesso infatti un occhio “esterno” che vive a stretto contatto con il partecipante sa rilevare cambiamenti anche minimi che avvengono nel corso del tempo e che possono essere segno di un miglioramento o peggioramento cognitivo.

In alcuni studi rivolti a persone con una diagnosi di malattia inoltre, una misura indiretta dell’efficacia del farmaco è costituita anche dal livello di stress percepito dal caregiver.

9. Se decido di partecipare ad uno studio con farmaco sperimentale, devo interrompere la mia terapia attuale?

No, la partecipazione ad uno studio con farmaco sperimentale e l'assunzione del farmaco sperimentale stesso (o del relativo placebo) va ad aggiungersi e non sostituisce o modifica il percorso clinico e la terapia prescritta dallo specialista di riferimento.

10. Posso partecipare a più sperimentazioni farmacologiche contemporaneamente?

No, non è possibile partecipare a più sperimentazioni farmacologiche contemporaneamente. Questo perché sarebbe molto difficile capire se un eventuale cambiamento nella salute fisica e cognitiva del partecipante (miglioramento/peggioramento della performance cognitiva o comparsa di un problema medico) possa essere attribuibile ad uno o all'altro farmaco sperimentale (o ai relativi placebo) oppure no.

11. È necessario avere l'impegnativa medica per accedere ad una sperimentazione farmacologica e per effettuare gli esami che in essa sono previsti?

Non è necessaria una impegnativa o indicazione medica per accedere ad una sperimentazione farmacologica ma è indispensabile possedere una serie di caratteristiche cliniche e demografiche specificate nel protocollo di studio.

Gli esami previsti dal protocollo di studio vengono organizzati ed effettuati esclusivamente presso il centro sperimentale o presso specializzati centri d'appoggio limitrofi senza alcuna prescrizione medica.

12. Perché partecipare ad una sperimentazione farmacologica?

Ci sono svariate motivazioni che possono spingere una persona a partecipare ad una sperimentazione, qui di seguito ne elenchiamo alcune:

- Potrà tener monitorata la propria salute cognitiva;
- Riceverà assistenza medica correlata allo studio a titolo da parte di un team specializzati nella ricerca sulla demenza a titolo gratuito;
- Potrebbe avere la possibilità di provare un farmaco potenzialmente efficace nel prevenire e/o ritardare e/o rallentare i sintomi cognitivi tipici della malattia;
- Aiuterà gli altri e le generazioni future contribuendo alla ricerca medica.