

Convegno

“Aspetti di metodo scientifico a partire dal caso Stamina”

19 giugno 2014 / Sala Unità d'Italia della Corte d'Appello Civile, via Antonio Varisco 3/5, Roma

Abstract

La sperimentazione clinica: perché è necessaria

Silvio Garattini

ricercatore, IRCCS – Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri

Quando esiste una ragionevole incertezza circa la validità di un trattamento terapeutico, l'unica soluzione ragionevole è quella di realizzare una sperimentazione, cioè uno studio clinico controllato. Ogni altra soluzione determina problemi perché se si decide, magari per ragioni compassionevoli, di somministrare il trattamento, si rischia di indurre tossicità senza poter stabilire un beneficio, se invece si decide di non effettuare il trattamento – per spirito scettico – si rischia di sottrarre al paziente un trattamento che potrebbe invece essere efficace.

La sperimentazione umana deve seguire regole molto precise e codificate dalla farmacologia clinica in questi ultimi decenni.

Si deve anzitutto partire da una base molto solida per effettuare la sperimentazione umana, attraverso dati preliminari condotti negli animali d'esperienza che permettano di stabilire una forte probabilità di ottenere un beneficio avendo escluso la presenza di tossicità inaccettabili.

Lo studio clinico deve essere controllato perché in medicina non esiste nulla di assoluto ma tutto è relativo. Si avrà perciò un gruppo di controllo trattato con placebo o con un farmaco di riferimento e un altro gruppo trattato con il nuovo farmaco o con il farmaco già noto ma per una nuova indicazione. La distribuzione dei trattamenti dovrà avvenire a caso (randomizzazione) e possibilmente in doppio cieco, senza che né medico né paziente conoscano il trattamento che ricevono.

Il protocollo che descrive in dettaglio come verrà condotto lo studio clinico controllato deve essere approvato preventivamente da un Comitato Etico indipendente. Tale Comitato dovrà accertare che la sperimentazione non leda i diritti del paziente.

Elementi della valutazione includono: la legittimità dell'impiego del placebo, la selezione del farmaco di riferimento, il disegno di superiorità, l'esclusione e l'inclusione dei pazienti, la rappresentatività dei pazienti rispetto alla popolazione destinata a ricevere il farmaco, i parametri di valutazione (surrogati o terapeutici), la presenza di conflitti di interesse. Inoltre il protocollo dovrà essere reso pubblico in appositi registri, i dati dovranno essere pubblicati indipendentemente dai risultati negativi o positivi, dovrà essere garantita la libertà di accesso ai dati.