

Disegni dello studio clinico

Introduzione

Esistono numerosi tipi di disegno dello studio clinico. Possono essere classificati come segue:

- In base al metodo utilizzato per assegnare i partecipanti al gruppo di trattamento o di controllo (studi clinici non randomizzati o randomizzati controllati)
- In base alla consapevolezza dei partecipanti o dei ricercatori o di entrambi relativamente al gruppo a cui i partecipanti sono assegnati (studio cieco semplice o in doppio cieco)
- In base all'entità della differenza tra gruppi di trattamento e di controllo attesa (studi clinici di superiorità o di non inferiorità)

Disegni di studio clinico non randomizzato controllato.

In studi non randomizzati controllati i partecipanti sono assegnati a bracci di trattamento o di controllo dal ricercatore. In questi studi i gruppi di controllo possono comprendere controlli simultanei o controlli storici. Se si utilizza un controllo storico tutti i soggetti dello studio ricevono il medicinale dello studio; i risultati vengono confrontati con la storia del paziente (ad esempio, un paziente affetto da una malattia cronica) o con un gruppo di studio controllato precedentemente.

Disegni di studio clinico randomizzato controllato

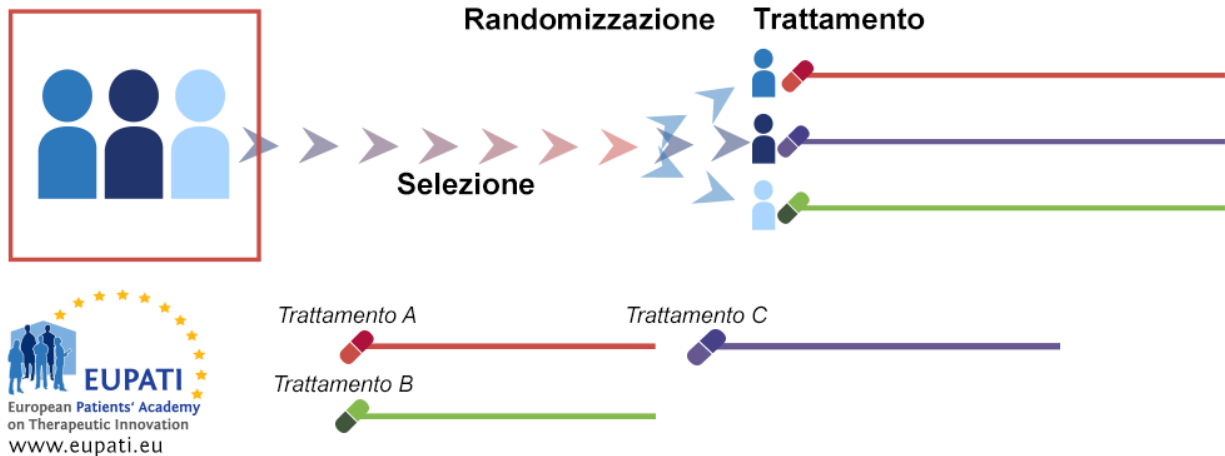
In studi randomizzati controllati i partecipanti allo studio sono assegnati in modo casuale a bracci di trattamento o di controllo. Il processo di assegnazione in modo casuale di un partecipante allo studio a un braccio di trattamento o di controllo è detto 'randomizzazione'. Per la randomizzazione possono essere usati diversi strumenti (buste chiuse, sequenze generate a computer, numeri casuali). La randomizzazione è suddivisa in due componenti: la generazione di una sequenza casuale e l'implementazione di tale sequenza casuale, idealmente in modo tale che i partecipanti non siano a conoscenza della sequenza. La randomizzazione elimina l'eventualità di potenziali distorsioni.

Esistono diversi tipi di disegno di studio clinico randomizzato.

Disegno di studio a gruppi paralleli

Nella randomizzazione a gruppi paralleli, dopo la randomizzazione ogni partecipante resterà nel braccio di trattamento a cui è stato assegnato per tutta la durata dello studio. Il disegno a gruppi paralleli può essere applicato a molte malattie, consente di eseguire esperimenti simultaneamente in un certo numero di gruppi e i gruppi possono trovarsi in luoghi separati.

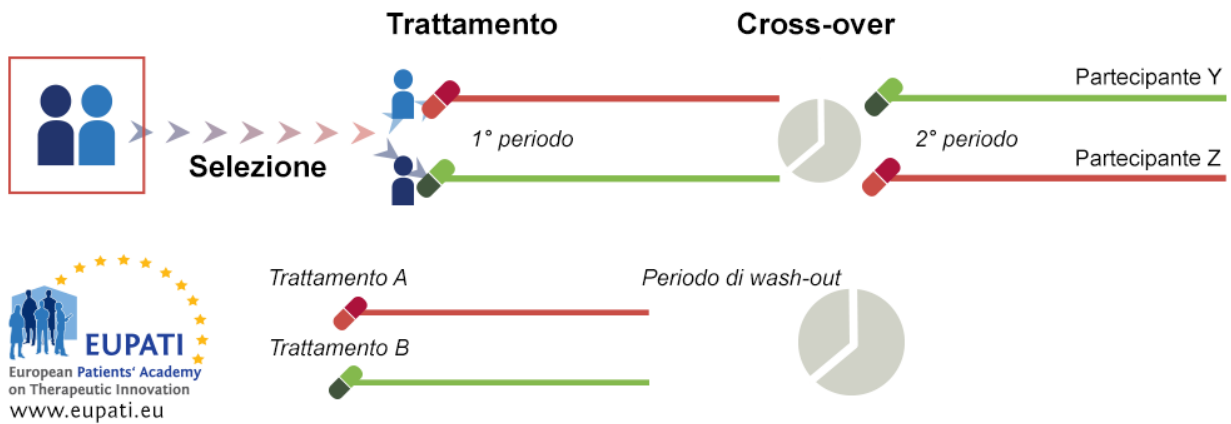
Studio a gruppi paralleli



Disegno cross-over dello studio clinico

Nella randomizzazione cross-over i partecipanti sono sottoposti a una sequenza di trattamenti diversi (ad esempio il composto candidato nella prima fase e il comparatore/controllo nella seconda fase). Ogni trattamento inizia ad un punto equivalente e ogni individuo serve come proprio controllo. Ciò presenta alcuni vantaggi come una bassa varianza dato che il trattamento e il controllo corrispondono allo stesso partecipante e si ha la possibilità di includere un certo numero di trattamenti. Tuttavia deve essere previsto un intervallo di tempo sufficiente tra le diverse fasi del trattamento (periodo di wash-out).

Studio clinico cross-over

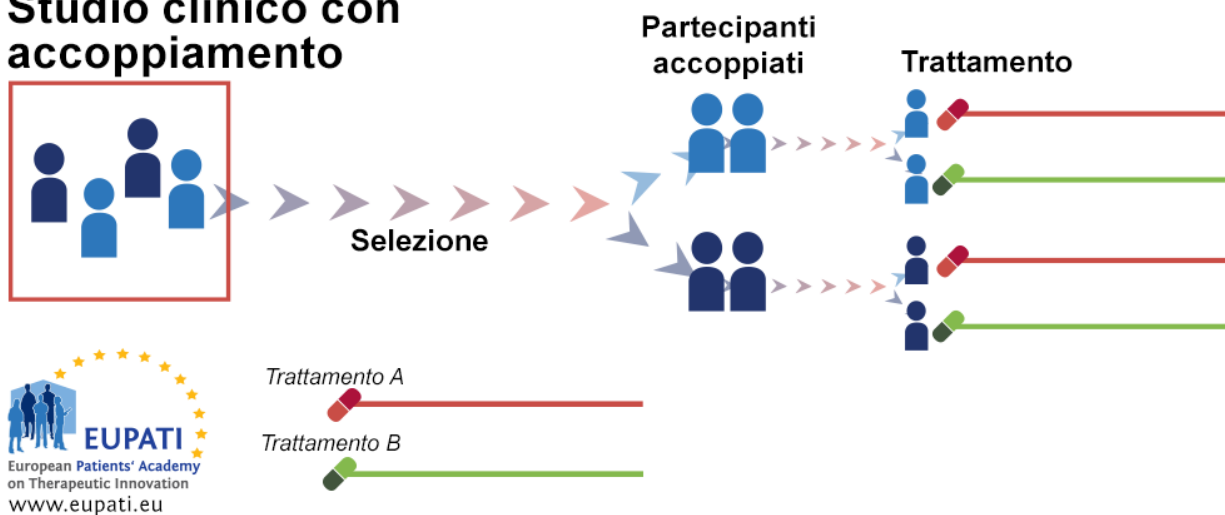


I pazienti X e Y sono assegnati in modo casuale a due bracci di trattamento diversi. Il paziente X riceve il trattamento A durante il primo periodo dello studio; il paziente Y riceve il trattamento B. Quando il primo periodo è terminato si passa a un periodo di wash-out. Il paziente X riceve poi il trattamento B per il secondo periodo di studio mentre il paziente Y riceve il trattamento A.

Disegno di accoppiamento per lo studio clinico

Nel disegno con accoppiamento, i partecipanti sono prima abbinati in coppia in base a determinate caratteristiche. Quindi ogni membro di una coppia viene assegnato in modo casuale a uno dei due diversi sottogruppi di studio. Ciò consente il confronto tra partecipanti allo studio simili che vengono sottoposti a procedure di studio differenti.

Studio clinico con accoppiamento



Dopo la selezione i pazienti sono abbinati a coppie. Nell'ambito della coppia, un partecipante viene assegnato in modo casuale al trattamento A, mentre l'altro paziente viene assegnato in modo casuale al trattamento B.

Stratificazione

La stratificazione consente anche il confronto tra partecipanti allo studio simili che vengono sottoposti a procedure di studio differenti. Tutti i partecipanti allo studio sono raggruppati secondo uno o più fattori (ad esempio, età, sesso, fattori di stile di vita, medicinali concomitanti) prima di essere suddivisi in modo casuale. Ciò assicura un'assegnazione bilanciata all'interno di ogni combinazione.

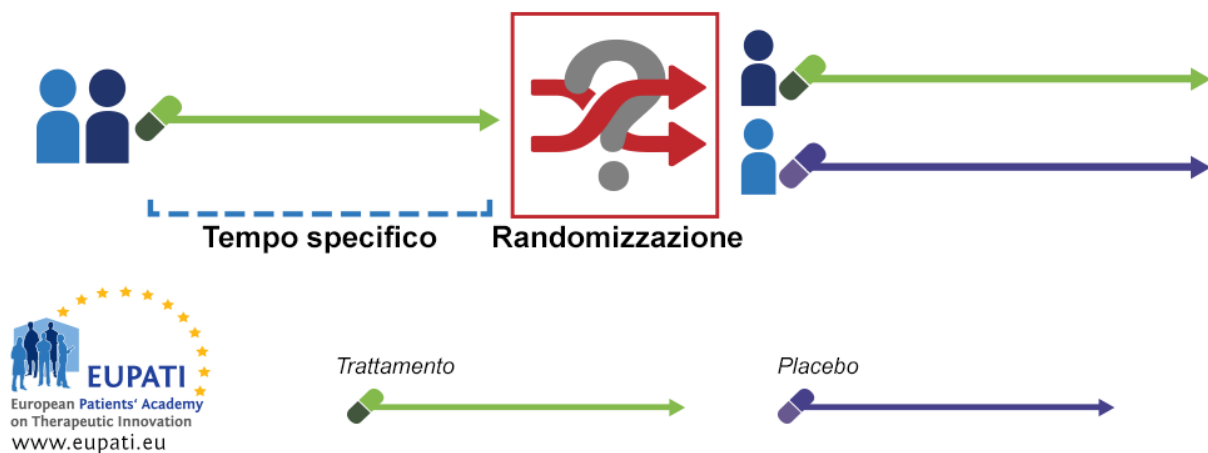
Campionamento per raggruppamento

Studi clinici randomizzati possono utilizzare anche un campionamento per raggruppamento. Nel campionamento per raggruppamento, vengono identificate aree geografiche adeguate (ad esempio città, regione, ecc.). Un certo numero di queste aree geografiche può essere scelto in modo casuale. Per ognuna di queste aree geografiche scelte, si sceglie un sottocampione proporzionato tra i membri del campione dello studio in quell'area, e questi sottocampioni vengono poi riuniti in un gruppo campione.

Studi clinici con sospensione

In uno studio clinico con sospensione, il partecipante riceve un trattamento testato per un periodo di tempo specifico e quindi viene scelto con metodo casuale per continuare con il trattamento testato o con un placebo (sospensione della terapia attiva).

Studio clinico con sospensione



Durante uno studio clinico con sospensione, dopo che è trascorso il primo periodo di tempo specifico, i partecipanti sono suddivisi con metodo casuale in due gruppi, di cui uno riceve un placebo invece di continuare a ricevere il trattamento attivo.

Disegno fattoriale

Studi clinici fattoriali valutano gli effetti di più di un trattamento. Ciò consente la valutazione di potenziali interazioni tra i trattamenti.

Disegno fattoriale 2x2



Un esempio di uno studio clinico con disegno fattoriale 2x2.

Confronto di disegni di studio clinico

Esiste un certo numero di tipi diversi di studi clinici di confronto possibili:

- Superiorità per dimostrare che un medicinale sperimentale è migliore del controllo;
- Equivalenza per dimostrare che la misura di endpoint è simile (né peggiore, né migliore) al controllo;
- Non inferiorità per dimostrare che un medicinale sperimentale non è peggiore del controllo;
- Studi di rapporto tra dose-risposta per determinare vari parametri di dose, inclusa la dose iniziale e la dose

massima.

Allegati

- **Presentazione: Disegni dello studio clinico**

Size: 1,300,722 bytes, Format: .pptx

Una presentazione che abbraccia le diverse tipologie di disegno degli studi clinici. Sono forniti dettagli su mascheramento, controllo, confronti e randomizzazione.

A2-4.30-v1.4