

Valutazione del valore dei risultati dello studio clinico

Introduzione

Non tutti gli studi clinici sono uguali. Nel decidere quanto peso dare ai risultati dello studio clinico, vale la pena di porsi alcune domande chiave:

Qual era il disegno dello studio?

Non esiste un unico disegno corretto per uno studio clinico, occorre chiedersi invece se il disegno utilizzato era adatto alle circostanze. In genere, gli studi ampi sono più affidabili di quelli di piccole dimensioni, è una questione di buon senso. Per esempio, uno studio su una rara carenza enzimatica ereditaria non potrà mai includere 5000 pazienti, un numero spesso presente invece negli studi sui farmaci contro l'infarto. Analogamente, un periodo di follow-up di alcune settimane è del tutto adeguato per uno studio sulla polmonite ma sarebbe inadatto a uno sulla pillola contraccettiva. I gruppi di controllo con placebo, molto utili per l'interpretazione dei risultati, sono chiaramente non etici in alcune situazioni (per es., malattie che mettono a repentaglio la vita dei pazienti per le quali siano già disponibili trattamenti efficaci). Gli studi comparativi sono il modo migliore per valutare l'efficacia, gli studi ampi e prolungati in aperto possono offrire maggiori informazioni sulla sicurezza di un farmaco nella vita reale.

Ogni disegno dello studio deve essere considerato alla luce di questa domanda: "È il modo migliore di agire in queste

circostanze?”

La popolazione di pazienti studiata corrisponde a quella a cui sono interessato?

Le informazioni fornite da uno studio condotto su adulti di età compresa tra 18 e 65 anni può avere una rilevanza limitata per pazienti molto anziani e quasi certamente è inadeguato come guida al trattamento di bambini piccoli. Analogamente, chi soffre di malattie molto gravi o a uno stadio molto avanzato può rispondere in modo molto diverso da chi presenta malattie più lievi o a uno stadio più iniziale.

Qual è l'importanza degli endpoint?

Alcune malattie e alcuni sintomi si prestano più facilmente di altri a essere sottoposti a studi clinici. Se un nuovo farmaco oncologico aumenta la sopravvivenza media di un anno, è indubbio che si tratta di una misura importante. Un nuovo analgesico usato per trattare gli stessi pazienti sarà molto più difficile da valutare perché non esistono chiare unità standard del dolore. Anche in questo caso, tutto ciò che si può fare è chiedersi se l'approccio adottato è adeguato alle circostanze.

Gli effetti del farmaco erano valutabili clinicamente?

In genere, maggiore è l'efficacia del farmaco, meglio è. Tutti i farmaci presentano dei costi, sia in termini economici che di effetti collaterali. L'obiettivo è ricavare il massimo beneficio possibile alla luce dei costi. Tuttavia vale la pena di ricordare che un risultato complessivamente modesto può essere composto da un miglioramento sensazionale in alcuni

pazienti e da un'assenza di cambiamenti in altri. Se ulteriori ricerche possono contribuire all'identificazione di sottogruppi che probabilmente trarranno benefici particolari, il nuovo farmaco può avere molto da offrire a questa popolazione bersaglio.

Come i risultati degli studi clinici si adattano al quadro delle conoscenze precedenti?

È molto difficile che uno studio clinico rappresenti l'unica fonte di informazioni disponibile in un settore medico specifico. Quando ciò accade, in genere rappresenta il primo utilizzo di un approccio terapeutico radicalmente nuovo e tutto quello che si può fare è annotare i risultati con interesse e vedere se sono supportati da studi successivi. Molto più spesso, in precedenza sono stati condotti studi sullo stesso farmaco o su un farmaco della stessa classe sulla stessa malattia o su malattie correlate. I risultati del nuovo studio clinico possono essere quindi esaminati alla luce della precedente mole di conoscenze. I risultati che si combinano bene con le conoscenze già acquisite sono generalmente più facili da accettare di risultati che contraddicono direttamente dati acquisiti in precedenza. Tuttavia è importante mantenere la mente aperta.

A2-4.34.3-v1.2