

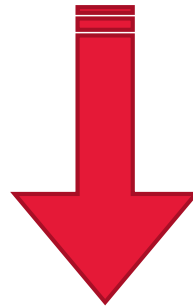
# LA RICERCA OSSERVAZIONALE

Cosa ci si aspetta?



## DEFINIZIONE

**Studio osservazionale:** studio caratterizzato da assenza di intervento attivo da parte del ricercatore, il quale non determina l'assegnazione dei soggetti ai diversi gruppi di studio ma si limita ad osservare quello che avviene nella realtà.



*Produrre conoscenze che possono avere impatto sullo stato di salute dei pazienti*



## DEFINIZIONE

- 1) Il farmaco è prescritto **secondo le indicazioni d'uso autorizzate all'immissione in commercio in Italia;**
- 2) l'assegnazione del paziente a una determinata strategia terapeutica non è decisa da un protocollo di sperimentazione. La prescrizione del farmaco rientra nella **normale pratica clinica;**
- 3) la decisione di prescrivere il farmaco è del tutto **indipendente** da quella di includere il paziente nello studio;
- 4) ai pazienti non si applica **nessuna procedura supplementare di diagnosi o monitoraggio.** Le procedure corrispondono alla pratica clinica corrente.

## IMPIEGO

- 1) valutazione del profilo di **sicurezza** del farmaco su grandi numeri di soggetti;
- 2) approfondimenti sull'**efficacia** nella pratica clinica;
- 3) verifica dell'**appropriatezza** prescrittiva;
- 4) valutazioni **farmacoepidemiologiche e farmaco-economiche** (valutazione economica dell'uso dei farmaci).

## IMPORTANZA

I risultati di uno studio sperimentale possono essere distanti da quelli ottenibili con il farmaco nella normale pratica clinica.



Lo studio osservazionale ha l'obiettivo di verificare se nella pratica clinica, su grandi numeri di soggetti, si ottengono risultati diversi dallo studio sperimentale.

# NORMATIVA ITALIANA

## AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINAZIONE 20 marzo 2008.

Linee guida per la classificazione e conduzione degli studi osservazionali **sui farmaci.**

Necessità di prevedere linee guida per consentire una valutazione omogenea da parte dei CE, rilevata la particolare rilevanza della conduzione di studi osservazionali per valutazioni farmacoepidemiologiche, di farmacovigilanza, di appropriatezza prescrittiva nonché per la valutazione del profilo di sicurezza di farmaci, nelle normali condizioni di uso, su grandi numeri di soggetti

# DOCUMENTAZIONE ESSENZIALE

Procedura  
di Start up

- Protocollo firmato
- Sinossi in italiano
- Foglio informativo, consenso informato, *privacy*
- Lettera al medico curante (se applicabile)
- Lettera di trasmissione per CE e PI
- Lista centri aderenti
- **Modulo Registro Studi Osservazionali (RSO)**
- **Dichiarazione studio osservazionale**
- Identificazione eventuali fonti di finanziamento

In rosso i documenti tipici di uno studio osservazionale

# ITER REGOLATORIO

## TIPO DI STUDIO OSSERVAZIONALE



**COORTE  
PROSPETTICO**



**PARERE COMITATI ETICI**

**NON  
PROSPETTICO**



**NOTIFICA AI COMITATI ETICI**



## STUDI PROSPETTICI

Il proponente invia lo studio a tutti i Comitati etici  
**contemporaneamente**



Il Comitato etico coordinatore entro **45 giorni**  
dalla ricezione dello studio rilascia il parere unico



I Comitati etici satellite entro **30 giorni** dalla ricezione  
del parere unico approvano o rifiutano lo studio.

In caso di parere unico negativo  
lo studio può essere ripresentato una sola volta.

## ALTRI TIPI DI STUDI

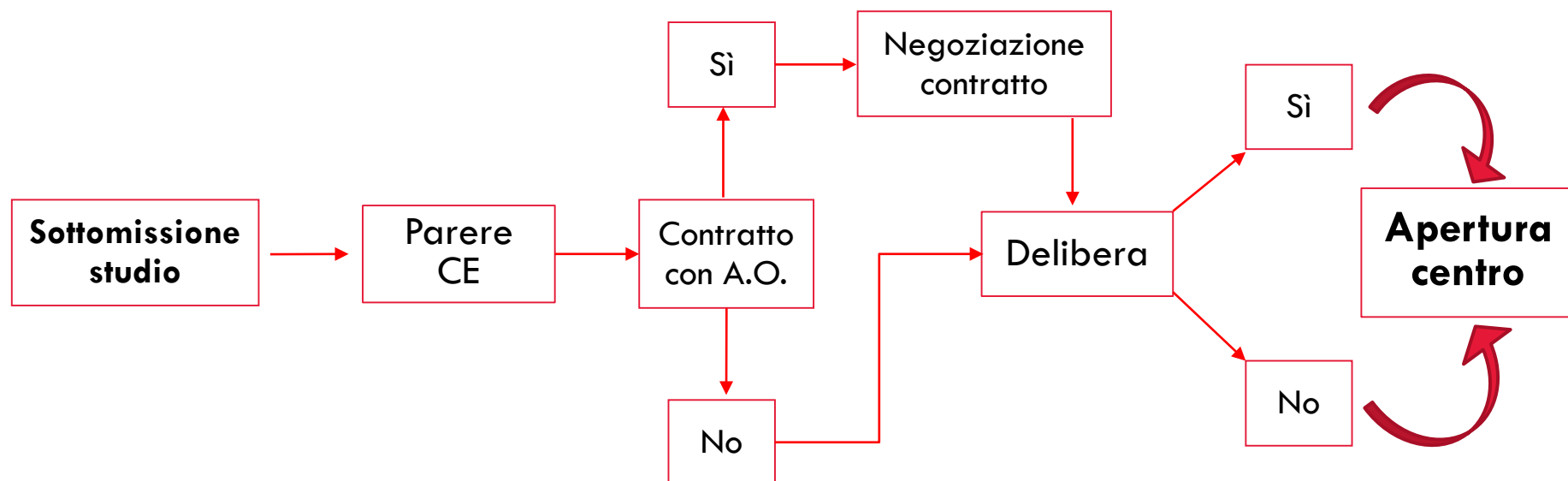
- **di coorte retrospettivi** (vengono raccolte le informazioni di un determinato gruppo di pazienti già registrate nelle cartelle cliniche)
- **caso-controllo** (analizzare l'associazione tra l'esposizione a un fattore di rischio e l'insorgenza di una patologia: paragone pazienti (casi) vs sani (controllo) in base all'esposizione o meno ad un fattore di rischio)
- **trasversali** (una data condizione viene rilevata in un gruppo di soggetti in uno specifico momento. si analizzano tutti i pazienti affetti da quella condizione)

Il proponente invia ai Comitati etici una semplice notifica



Dopo **60 giorni** dalla data di notifica  
lo studio può iniziare (**silenzio/assenso**)

## Studi prospettici - Parere CE obbligatorio

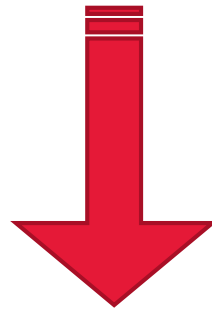


## Studi non prospettici



**Determina AIFA 20 marzo 2008, art. 10**

***Tutti i CE hanno comunque la facoltà di valutare tutti gli aspetti degli studi (anche solo notificati) in accordo alle proprie procedure interne, segnalando, dove rilevato, incongruità rispetto a quanto dichiarato dal promotore dello studio.***



**RALLENTAMENTI**

***Tutti i CE, anche per studi solo notificati, tendono ad emettere parere e richiedere la delibera amministrativa***

**Determina AIFA 20 marzo 2008**

**Premessa:**

**«Gli studi osservazionali non comportano rischi aggiuntivi per i pazienti. Per tale motivo richiedono procedure differenziate rispetto a quanto previsto negli studi sperimentali».**

**Progrediamo O regrediamo?**

**DM 30.11.2021**

«Misure volte a facilitare e sostenere la realizzazione degli studi clinici di medicinali senza scopo di lucro e **degli studi osservazionali...**»

**Art.6**

- a) Presentazione Modulo RSO
- b) Necessario ottenimento Parere CE per studi prospettici
- c) Mediante provvedimento di AIFA, sono definite le nuove linee guida per la classificazione e conduzione degli studi osservazionali sui farmaci.

26 luglio 2022

*Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici*

**«Ricerca osservazionale: un pilastro nel processo di  
produzione di conoscenza»**



**Impatto sulla vita e diritti dei pazienti - futuri**

- La normativa che regola attualmente i *trials clinici* è poco applicabile alla ricerca osservazionale.
- Qualsiasi intervento regolatorio sugli studi osservazionali che non tenga conto della loro natura, rischia di ostacolarne la conduzione e comporta aggravi di lavoro e di costi per studi che spesso non hanno accesso a finanziamenti significativi.



26 luglio 2022

*Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici*

## **Criticità valutazioni etiche:**

### **1) Trattamento dati**

opportuno raccomandare *massima semplificazione* degli adempimenti relativi, *limitando ostacoli* formali che un'interpretazione della normativa, improntata ad un approccio prevalentemente “*interventistico*”, frapponesse all'utilizzo dei dati di ricerca.

In quanto “*fonte*” di conoscenze significative per la comunità scientifica, tali dati debbono poter circolare il più liberamente possibile all'interno di essa.

26 luglio 2022

*Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici*

## **Criticità valutazioni etiche:**

### **2) Procedure aggiuntive**

- possono compromettere l'eticità dello studio quando si tratta di procedure invasive, o anche minimamente pericolose o dolorose;
- le informazioni raccolte con le procedure aggiuntive non devono essere utilizzate per modificare i comportamenti del/sul soggetto.

Considerare ammissibili le procedure cliniche aggiuntive, vale a dire non previste per lo specifico soggetto nella pratica clinica corrente, se non finalizzate a produrre benefici diretti per il paziente ma necessarie ai fini dello studio **PURCHE'** non alterino la strategia diagnostica e terapeutica corrente.

GRAZIE PER L'ATTENZIONE

**Arianna Rughini**

*Central Office*

**Fondazione GIMEMA**

**Franco Mandelli Onlus**

Via Casilina, 5

00182 Roma

T: +39 0670390532

[a.rughini@gimema.it](mailto:a.rughini@gimema.it)

W: [www.gimema.it](http://www.gimema.it)