

## GLOSSARIO

**Audit:** revisione sistematica ed indipendente delle attività e dei documenti relativi ad uno studio per verificare che questo sia stato condotto in accordo al protocollo, alle SOP dello Sponsor, alle GCP/ICH, e alla legislazione vigente.

**Case Report Form (CRF) :** documento su supporto cartaceo, ottico, oppure elettronico progettato per registrare tutte le informazioni richieste dal protocollo (Linee Guida per la Buona Pratica Clinica CPMP/ICH/135/95 - DM 15/7/1997).

**Emendamenti sostanziali:** emendamenti "tali da incidere sulla sicurezza dei soggetti della sperimentazione o modificare l'interpretazione della documentazione scientifica a sostegno dello svolgimento della sperimentazione, oppure siano significativi in relazione allo svolgimento clinico dello studio". (D.Lgs. n°211 del 24/6/2003).

**Farmacovigilanza:** complesso di attività finalizzate a valutare in maniera continuativa tutte le informazioni relative alla sicurezza dei farmaci e ad assicurare, per tutti i medicinali in commercio, un rapporto beneficio/rischio favorevole per la popolazione.

**GCP:** La buona pratica clinica è un insieme di requisiti in materia di qualità in campo etico e scientifico, riconosciuti a livello internazionale, che devono essere osservati ai fini del disegno, della conduzione, della registrazione e della comunicazione degli esiti della sperimentazione clinica con la partecipazione degli esseri umani. Il rispetto della buona pratica garantisce la tutela dei diritti, della sicurezza e del benessere dei soggetti ed assicura la credibilità dei dati concernenti la sperimentazione clinica stessa”.

**IMP (medicinale sperimentale):** una forma farmaceutica di un principio attivo o di un placebo saggiato come medicinale sperimentale o come controllo in una sperimentazione clinica compresi i prodotti che hanno già ottenuto un'autorizzazione di commercializzazione ma che sono utilizzati o preparati (secondo formula magistrale o confezionati) in forme diverse da quella autorizzata, o quando sono utilizzati per indicazioni non autorizzate o per ottenere ulteriori informazioni sulla forma autorizzata. (D. MS 21/12/2007)

**Investigator's Brochure:** è una raccolta di dati clinici e non clinici relativi al farmaco o prodotto oggetto dello studio al momento disponibili, rilevanti per il suo studio nell'uomo, compresi i dati chimici, farmaceutici e tossicologici, nonché quelli relativi alla farmacocinetica e farmacodinamica negli animali, e i risultati degli studi clinici precedenti. L'IB dovrebbe contenere dati sufficienti a giustificare la natura, lo sviluppo e la durata dello studio. Lo scopo è quello di fornire al PI un riassunto delle ricerche condotte affinché possa valutare il rischio-beneficio del prodotto in relazione allo studio proposto e faciliti la comprensione del rationale e delle varie caratteristiche del prodotto (art. 7, Linee Guida per la Buona Pratica Clinica CPMP/ICH/135/95 - DM 15/7/1997).

**Investigator's Study File:** è il file ufficiale dello studio presso il singolo Centro e deve contenere tutte le informazioni relative allo studio stesso; deve essere gestito dal PI e dal suo Study Staff (D.Lgs. n°211 del 24/06/2003).

**Ispezione di sistema:** verifica della presenza delle procedure e la conseguente attuazione di tutti i processi inerenti gli aspetti gestionali, di garanzia e controllo, relativi ai percorsi della sperimentazione clinica in generale.

**Principal Investigator:** è un medico qualificato ai fini della sperimentazione responsabile dell'esecuzione clinica in un dato centro (D.Lgs. n°211 del 24/06/2003) e del rispetto delle Norme di Buona Pratica Clinica (GCP) e della normativa vigente. Il PI è il responsabile ultimo del benessere dei pazienti.

**Protocollo:** documento in cui vengono descritti l'obiettivo o gli obiettivi, il background dello studio ed il suo razionale, la progettazione, la metodologia, gli aspetti statistici e l'organizzazione della sperimentazione clinica (D.Lgs. 24/06/2003).

**Sponsor:** la persona, la società, l'istituzione o l'organismo che si assume la responsabilità di avviare, gestire e/o finanziare una sperimentazione clinica (D.Lgs. n°211 del 24/6/2003).

**Trial Master File:** è il file ufficiale dello studio che deve contenere tutte le informazioni relative allo studio stesso. Deve essere gestito dallo Sponsor ed archiviato per almeno 7 anni dalla conclusione dello studio (D.Lgs. n°211 del 24/6/2003).

## DISEGNI DEGLI STUDI

Gli studi epidemiologici possono essere classificati come studi osservazionali o sperimentali. Gli studi osservazionali di solito rappresentati dagli studi descrittivi e Studi analitici, si suddividono in Studi Ecologici (di correlazione), Trasversali (survey o studi di prevalenza), Caso-controllo e di coorte (o follow-up). Gli studi sperimentali sono invece rappresentati dai Trial controllati randomizzati (trial clinici) da trial sul campo e dai trial di comunità (o studi di intervento su comunità). Tutti hanno come oggetto o unità di studio popolazioni (studi ecologici) o individui (studi di prevalenza, caso controllo o di coorte) o pazienti (trial clinici) o persone sane o intere comunità (trial o studi di intervento su comunità). Studi prospettici: valutano gli effetti di un intervento seguendo le persone coinvolte a partire dall'inizio dello studio e fino alla sua conclusione, per osservare gli esiti dell'intervento stesso.

**Studio clinico interventistico:** qualsiasi studio sull'uomo finalizzato a scoprire o verificare gli effetti clinici, farmacologici e farmacodinamici di medicinali sperimentali, di dispositivi medici o di procedure e tecniche diagnostico/terapeutiche, al fine di individuarne i benefici e le eventuali reazioni avverse.

**Studio clinico non interventistico (o studio osservazionale):** studio nel quale i medicinali o dispositivi medici o le procedure e tecniche diagnostico-terapeutiche sono prescritti secondo le

indicazioni dell'autorizzazione all'immissione in commercio. L'assegnazione del paziente a una determinata strategia diagnostico terapeutica rientra nella normale pratica clinica e la decisione di prescrivere il medicinale di usare il dispositivo medico o seguire la procedura diagnostico terapeutica è del tutto indipendente da quella di includere il paziente nello studio.

**Studi osservazionali di tipo descrittivo:** esaminano la frequenza, la distribuzione e l'andamento di una malattia nella popolazione; ricercano inoltre eventuali fattori predittivi ed eziologici della malattia in esame.

**Studi retrospettivi:** misurano eventi accaduti in un periodo precedente rispetto al disegno dello studio. Uno studio retrospettivo è solitamente meno affidabile di uno studio prospettico, perché nello studio prospettico le caratteristiche dei soggetti inclusi, i dati raccolti e gli esiti misurati sono definiti prima dello svolgimento dello studio e sono pianificati; in definitiva, i dati vengono raccolti in modo da ottenere un buon livello di qualità, cosa non garantita dagli studi retrospettivi, in cui i dati a disposizione sono stati raccolti prima che lo studio iniziasse.

**Studio di Coorte:** studia una coorte, ovvero un gruppo che sperimenta un dato evento, in un periodo selezionato, e lo studia ad intervalli di tempo. Permette di rilevare i possibili fattori di rischio di una popolazione, ed il suo follow-up. Esso consiste nel confronto della diversa incidenza di un determinato fenomeno, ad esempio una malattia professionale, fra il gruppo esposto al fattore di rischio, ed il gruppo non esposto.

**Studi di coorte Prospettico:** Classicamente, gli studi di coorte, chiamati anche studi di follow-up o di incidenza, partono con un gruppo di persone (coorte) libere da malattia, che vengono classificate in sottogruppi a seconda dell'esposizione a una causa potenziale di malattia o di altro evento. I soggetti, oggetto di studio e ricerca, costituiscono un gruppo omogeneo per caratteristiche (coorte). Questi sono selezionati dalla popolazione generale o da popolazione di ammalati e seguiti nel tempo. Il follow-up è di solito prospettico (usato in ambito clinico) oppure definisce un arco temporale che dal momento di reclutamento della coorte misura esposizione ed effetti .

**Studi descrittivi e trasversali:** si possono avere su presenza di fattori di rischio ma NON dimostrare la presenza reale di un nesso causale tra il settore e la malattia; ciò può essere possibile invece negli studi caso-controllo e di coorte. Lo studio caso-controllo è tipicamente retrospettivo, si raccolgono info sul passato cioè dopo che la malattia si è già verificata e sono noti coloro che sono malati (casi) e coloro che non sono ( i controlli).

**Caso-controllo:** è retrospettivo, nel senso che si raccolgono info sul passato, ovvero dopo che la malattia si è già verificata e sono noti coloro che sono malati (casi) e coloro che non lo sono (i controlli).

**Policentrico:** esistenza di più centri in un determinato sistema.

**Studi clinici in cieco semplice:** è uno studio in cui solo i soggetti inclusi non sono a conoscenza dei trattamenti assegnati mentre il medico sperimentale ne è a conoscenza.

**Randomizzato:** consiste nell'attribuzione causale di ogni paziente che man mano viene ammesso al gruppo dei casi in trattamento sperimentale oppure al gruppo di controllo (trattamento standard, placebo o altro trattamento di confronto).

**Osservazionale:** tende a dimostrare i possibili effetti di vari fattori di rischio o protettivi, su un gruppo di persone, osservando gli eventi che si verificano senza alcun intervento da parte dello sperimentatore. Ciò è in contrasto con gli studi sperimentali nei quali lo sperimentatore introduce nello studio un nuovo fattore, ad es un farmaco, per studiare l'effetto sulla popolazione osservata.

## ACRONIMI

Si fornisce di seguito un elenco degli acronimi più ricorrenti:

**AIC** Autorizzazione all'Immissione in Commercio di un medicinale AIFA Agenzia Italiana del Farmaco

**CTA** Clinical Trial Application (Domanda di autorizzazione di una sperimentazione clinica)

**CTA form** Clinical Trial Application form (Modulo di domanda per l'autorizzazione di una sperimentazione clinica)

**EEA** European Economic Area (Area Economica Europea). Nel contesto della Direttiva 2001/20/CE i riferimenti alla Comunità europea, all'Unione europea o agli Stati membri includono i Paesi EEA Islanda, Norvegia e Liechtenstein

**EMA** European Medicines Agency (Agenzia Europea dei Medicinali)

**EudraCT** European Clinical Trials Database (banca dati europea delle sperimentazioni cliniche)

**GCP** Good Clinical Practice (Norme di Buona Pratica Clinica)

**GMP** Good Manufacturing Practice (Norme di Buona Pratica di Fabbricazione)

**IB** Investigator's Brochure (Dossier per lo sperimentatore)

**IMP** Investigational Medicinal Product (Prodotto Medicinale Sperimentale)

**IMPD** Investigational Medicinal Product Dossier (Dossier del Prodotto Medicinale Sperimentale)

**ISS** Istituto Superiore di Sanità

**NIMP** Non-Investigational Medicinal Product (Prodotto Medicinale non Sperimentale)

**OsSC** Osservatorio Nazionale sulla Sperimentazione Clinica dei Medicinali

**PeIMP** Product equivalent to the Investigational Medicinal Product (prodotto equivalente da un punto di vista regolatorio all'IMP)

**RCP** Riassunto delle caratteristiche del prodotto

**ReTNIMP** Regardless to Trial Non Investigational Medicinal Product (prodotto Medicinale Non Sperimentale da somministrare a prescindere dalla sperimentazione)