



Ospedale Niguarda

Sistema Socio Sanitario



Regione  
Lombardia

# Ricerca oncologica a Niguarda:

## Curare innovando

## Curare innovando

Nell'ultimo decennio si sta assistendo ad una presa di coscienza collettiva rispetto all'**importanza di promuovere e sostenere la ricerca clinica in oncologia**, al fine di permettere lo **sviluppo di nuove terapie innovative e per migliorare l'appropriatezza dei trattamenti già esistenti**.

*Curare innovando*, il motto del Niguarda Cancer Center, è dunque diventata un'**esigenza primaria** sia per i pazienti che per la comunità scientifica.

Gli **studi clinici** sono infatti **necessari** per **tradurre potenziali nuove strategie o nuovi strumenti terapeutici** in **trattamenti efficaci** in grado di migliorare i risultati delle cure oncologiche.

La ricerca clinica, nel suo insieme, è in grado di generare un enorme valore aggiunto, sia per i pazienti che per il Servizio Sanitario Nazionale e la società scientifica e civile.

## Tipologie di studi scientifici

Esistono due tipologie di studi che possiamo trovare in un contesto di ricerca scientifica in ambito oncologico: gli studi osservazionali e le sperimentazioni cliniche (o studi clinici o trial clinici).

- **Studi osservazionali**

Gli studi osservazionali sono una tipologia di studi scientifici nei quali il medico e lo staff di ricercatori **raccolgono i dati di pazienti selezionati per verificare un'ipotesi di ricerca**. In questa tipologia di studi il paziente sarà seguito e trattato in accordo con gli standard di cura e **non saranno somministrate terapie sperimentali**. Il medico ricercatore si limiterà a **raccolgere ed analizzare dati del paziente**, che riguardano la patologia oncologica ed il suo trattamento. Possono essere raccolti anche i dati dei trattamenti effettuati in precedenza oltre che i dati delle terapie attualmente in corso.

- **Sperimentazioni cliniche**

Le sperimentazioni cliniche rappresentano la tipologia principe degli studi scientifici in Medicina Oncologica e vengono effettuati con l'**obiettivo di studiare gli effetti benefici ed eventuali tossicità di un nuovo farmaco o di una nuova terapia in una determinata malattia**.

In questa tipologia di studi ai pazienti **viene proposto un trattamento sperimentale** al fine di comprendere se tale terapia innovativa è in grado di apportare miglioramenti nella cura di una determinata malattia quale, per esempio, una patologia tumorale.

La **sperimentazione clinica** può avere per **oggetto una qualsiasi delle modalità di trattamento oncologico attualmente disponibili**, ovvero la chirurgia, le terapie mediche e la radioterapia, **oppure può studiare una strategia terapeutica complessiva** che integra in modo innovativo tutte queste modalità.

Nella parte successiva di questo documento ci focalizzeremo sulle sperimentazioni cliniche dedicate allo studio dei farmaci oncologici, che rappresentano una parte importante della Oncologia Medica dell'Ospedale Niguarda.

## Le sperimentazioni cliniche in oncologia medica

Per sperimentazione clinica si intende uno studio sull'uomo finalizzato a **scoprire o verificare gli effetti di un nuovo farmaco o di un farmaco già esistente testato per nuove modalità di impiego terapeutico**, con l'obiettivo di accertarne la sicurezza e l'efficacia.

Convenzionalmente si distinguono **4 fasi di sviluppo di un farmaco** nelle quali sono condotte sperimentazioni cliniche su farmaci:

- **Sperimentazioni di Fase 1:**

sono i **primi studi del farmaco nell'uomo o nella patologia di interesse**. In tale tipologia di studi gli obiettivi sono tendenzialmente quelli di **accertare il profilo di sicurezza e tollerabilità** del farmaco, identificare le **dosi** più adatte alla somministrazione nell'uomo e, in seconda battuta, anche una **eventuale prima valutazione di efficacia preliminare**.

- **Sperimentazioni di Fase 2:**

nello studio di fase 2 viene **indagata l'attività terapeutica del farmaco**, cioè la sua capacità di produrre sull'organismo umano gli effetti curativi desiderati. Questa fase serve inoltre a **comprendere** quale sarà la **dose migliore** da sperimentare nelle fasi successive e **determinare l'effetto del farmaco** in relazione ad alcuni parametri di risposta della malattia oggetto di studio.

- **Sperimentazioni di Fase 3:**

lo studio di fase 3 serve a determinare **quanto è efficace il farmaco**, se ha qualche beneficio in più rispetto a farmaci simili già in commercio e qual è il rapporto tra rischio e beneficio. In questo caso i pazienti "arruolati" sono centinaia o migliaia e spesso a livello internazionale/mondiale. L'efficacia del farmaco sui sintomi, sulla qualità della vita o sulla sopravvivenza è confrontata con altri farmaci standard già in uso, con un placebo qualora non ci siano terapie efficaci, o con la migliore terapia di supporto.

- **Sperimentazioni di Fase 4:**

è la fase della sperimentazione clinica che include gli **studi condotti dopo l'approvazione del farmaco** nell'ambito delle indicazioni approvate e in piena osservanza di quanto contenuto nel Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto (RCP); è detta della "sorveglianza post marketing" perché viene attuata dopo l'immissione in commercio.

## Il consenso informato per una partecipazione consapevole ad una sperimentazione clinica a tutela dei diritti del paziente.

L'**art. 32** della Costituzione stabilisce il **principio della libertà di ciascuna persona di decidere se sottoporsi o meno ad un determinato trattamento sanitario**. In uno studio clinico ogni potenziale partecipante ha il **diritto di essere adeguatamente informato per decidere in modo consapevole**.

Per questo motivo, prima della partecipazione ad una sperimentazione clinica, **è richiesta l'espressione scritta del Consenso Informato da parte del partecipante** a fini della tutela dei diritti del paziente stesso.

Si tratta di un'**espressione libera e volontaria** di un soggetto della propria **disponibilità a partecipare** ad una determinata sperimentazione clinica, **dopo essere stato informato di tutti gli aspetti della sperimentazione** rilevanti per la decisione del soggetto di partecipare oppure, nel caso dei minori e dei soggetti incapaci, l'autorizzazione o l'accordo dei rispettivi rappresentanti legalmente designati a includerli nella sperimentazione clinica.

## Trattamento dei dati personali

Il **trattamento dei dati personali è di fondamentale importanza** nell'ambito delle sperimentazioni cliniche a tutela dei soggetti in studio.

Tutti i dati dei pazienti che partecipano ad una sperimentazione clinica sono infatti **gestiti in conformità con il Regolamento Generale sulla Protezione dei Dati (GDPR)**, il quale prevede la pseudonimizzazione di tutti i dati personali che vengono comunicati al di fuori del centro di ricerca.

Prima di partecipare ad uno studio clinico è inoltre richiesto il consenso al trattamento dei dati personali da parte del soggetto in studio (informativa privacy).

## Iter autorizzativo di una sperimentazione: una garanzia sulla scientificità dello studio

Per **avviare una sperimentazione clinica** con farmaco è necessario che prima sia stato **emesso un parere favorevole** alla conduzione dello studio da parte di un **Comitato Etico e dell'Agencia Regulatoria competente** (Agenzia Italiana del Farmaco - AIFA per l'Italia).

Sia AIFA che il Comitato Etico di riferimento valuteranno dunque l'eticità ed il valore scientifico dello studio a **garanzia della sicurezza e dei diritti dei partecipanti** alla sperimentazione, così come a garanzia della **qualità dei dati** che lo studio andrà a produrre.

Ogni modifica sostanziale alla sperimentazione dovrà essere inoltre valutata nuovamente sia dal Comitato Etico che da AIFA, e potrà essere messa in atto solamente dopo il loro parere favorevole.

Dal 2022 è in vigore il **Regolamento Europeo n. 536/2014** che permette l'**armonizzazione** delle regole e dei processi di valutazione e supervisione delle sperimentazioni cliniche, **garantendone** al tempo stesso gli **standard più elevati per la sicurezza dei partecipanti e la trasparenza delle informazioni**, grazie alla relativa pubblicazione di tutte quelle riguardanti l'autorizzazione, lo svolgimento e i risultati di ciascuna sperimentazione. Questo avviene attraverso **un portale dedicato** per la gestione di tutte le sperimentazioni in Europa (Clinical Trials Information System, CTIS). Pertanto l'autorizzazione e supervisione delle sperimentazioni cliniche rimane sotto la responsabilità degli Stati Membri, mentre l'Agencia europea per i medicinali (EMA) gestisce il CTIS e la pubblicazione dei suoi contenuti nella sezione pubblica del portale.

## Perchè partecipare ad una sperimentazione clinica in oncologia?

Entrare in una sperimentazione clinica non serve solo a dare il **proprio contributo al progresso della medicina**, in modo che si possano mettere a punto cure migliori per chi si ammalerà in futuro, ma anche a garantirsi le **migliori opzioni terapeutiche per la propria malattia**.

Chi partecipa a una sperimentazione clinica ha infatti accesso a terapie innovative potenzialmente vantaggiose (almeno in ipotesi), e, indipendentemente dal fatto che riceva il trattamento sperimentale oppure no, **usufruisce di un programma di controlli assidui e standardizzati**.

## Quali Informazioni é importante sapere prima di partecipare ad una sperimentazione clinica?

Prima di prendere la decisione di partecipare a uno studio clinico **è fondamentale acquisire tutte le informazioni che consentono** di fare una scelta consapevole. Occorre dunque **capire quali obiettivi si pone la ricerca clinica** che viene proposta, quali sono **le caratteristiche che bisogna avere per parteciparvi** (criteri di inclusione) e quelle che invece impediscono di prendervi parte (criteri di esclusione).

È fondamentale avere una **discussione approfondita riguardo ai possibili rischi e benefici dello studio**, così come l'impegno richiesto in termini di tempo e frequenza di visite presso il centro clinico.

Di seguito sono elencati alcuni **punti da discutere con il proprio medico** rispetto alla sperimentazione proposta:

- Obiettivi e caratteristiche dello studio
- Possibili alternative terapeutiche
- Criteri di inclusione ed esclusione
- Potenziali rischi e benefici derivanti dalla partecipazione allo studio
- Modalità e tempistiche di somministrazione del trattamento
- Frequenza delle visite e dei controlli
- Durata dello studio
- Procedure aggiuntive previste dallo studio (es. biopsie, esami radiologici, prelievi etc.)
- Randomizzazione e/o l'utilizzo di un placebo?

## Si può interrompere la partecipazione ad una sperimentazione clinica?

**In qualsiasi momento e per qualsiasi ragione si può decidere di interrompere la partecipazione ad uno studio e continuare ad essere assistito/a nel modo più adeguato.**

È comunque consigliato discuterne prima con il proprio medico curante e con lo staff medico di studio in quanto, una volta usciti dalla sperimentazione, è spesso necessario riprogrammare un nuovo iter terapeutico e di cura.

## Cosa si intende per randomizzazione?

La randomizzazione è un processo che prevede l'**assegnazione del trattamento ai pazienti in studio in maniera totalmente casuale** (dunque randomica).

L'assegnazione casuale dei pazienti ai diversi bracci di trattamento consente infatti di ottenere la massima solidità statistica allo studio.

Né il medico di studio né il paziente sono in grado di influenzare l'assegnazione randomizzata ad un trattamento in quanto **essa avverrà in base al caso utilizzando algoritmi computerizzati**.

## Cos'è il placebo?

Il placebo è una **sostanza priva di principi attivi specifici** che, all'interno di alcune sperimentazioni, può essere somministrata come se avesse veramente proprietà curative o farmacologiche in maniera da fare un confronto con il farmaco sperimentale.

L'utilizzo del confronto con placebo deve essere approvato dal Comitato Etico e dall'Autorità Regolatoria ed è **applicato solitamente in aggiunta alle terapie standard già presenti in pratica clinica**, oppure quando **non sono presenti opzioni terapeutiche standard per il paziente**.

Nel caso di studi clinici che confrontano un farmaco sperimentale con un placebo, solitamente **il paziente e lo staff di studio non conoscono la tipologia di trattamento assegnato** al paziente al fine di non inciuciare sull' "effetto placebo" (studio in cieco).



## L'esperienza di Niguarda: la ricerca oncologica a beneficio dei pazienti

Le cure oncologiche rappresentano una parte cospicua delle attività diagnostiche e terapeutiche del Grande Ospedale Metropolitano Niguarda di Milano e **comprendono un percorso di assistenza, personalizzato a seconda delle necessità di ogni paziente**, sia in regime di degenza che ambulatoriale.

Negli ultimi anni l'assistenza ai pazienti oncologici, l'innovazione e la ricerca clinica **nella nostra Oncologia** non si sono fermati, contraddistinguendosi **in molti progetti e scoperte che stanno ulteriormente ampliando le opzioni terapeutiche per diversi tumori solidi e in particolare per i tumori del colon-retto, dell'apparato digerente (fegato, vie biliari, pancreas) e i tumori del polmone.**

I due filoni di indagine del nostro gruppo che hanno contribuito in modo importante nel campo della ricerca oncologica a livello internazionale, riguardano l'applicazione della cosiddetta **precision oncology**, che consiste nel **colpire farmacologicamente in modo mirato alcune caratteristiche molecolari del tumore**, ad esempio con anticorpi monoclonali o inibitori delle tirosin-chinasi (terapie a bersaglio molecolare), e la possibilità di **attivare il sistema immunitario della persona ammalata rivolgendolo contro il tumore** con farmaci che si chiamano inibitori del **checkpoint immunitario** (immunoterapie). A questi si sono aggiunti più recentemente due percorsi di ricerca che riguardano la **caratterizzazione molecolare e immunitaria** su prelievi del tessuto tumorale o mediante analisi del DNA tumorale circolante (ctDNA) attraverso la cosiddetta **biopsia liquida**, e lo **studio dei tumori insorti in età giovanile**, soprattutto con riferimento al tumore del colon-retto

## Lo staff dell' Oncologia Falck: un lavoro di squadra

L'Oncologia Falck conduce l'attività di **assistenza e ricerca clinica per la cura dei tumori solidi**.

L'itinerario diagnostico-terapeutico si svolge **in modo sinergico con gli altri Dipartimenti in équipe multidisciplinari** integrati nel **Niguarda Cancer Center**.

È dotata di un **settore di degenza** posto al terzo piano (fornito anche di un terrazzo usufruibile dagli ammalati e dai loro familiari o accompagnatori) e di un **settore di cure ambulatoriali** e di visite e controlli al piano terra, tutto nel Blocco Sud.

**Collabora anche con il Centro Sterilità di Niguarda** per la crioconservazione dei gameti in modo da garantire una **chance riproduttiva** alle persone in cui la possibilità di avere figli è minacciata dalla malattia oncologica o dalle terapie.

**È sede d'insegnamento** della Cattedra di Oncologia Medica e della Scuola di Medicina e della Scuola di Specializzazione in Oncologia dell'Università degli Studi di Milano con un Professore Ordinario, un Professore Associato, un Medico Ricercatore e un numero variabile di Specializzandi (15-20) e di Studenti.

È inoltre presente una **Clinical Trial Unit** dedicata specificatamente al **coordinamento e alla gestione delle attività di ricerca clinica**, dalla fase I alle fasi II, III, IV e degli studi osservazionali.

## Contatti

### **Niguarda Cancer Center:**

*mail: [cancer@ospedaleniguarda.it](mailto:cancer@ospedaleniguarda.it)*

## Riferimenti utili

*[www.ospedaleniguarda.it](http://www.ospedaleniguarda.it)*

- **Centralino**

02 6444.1

- **Punto Informazioni**

Portineria, Padiglione 1

- **Prenotazioni / accettazioni / ritiro referti**

Blocco Nord e il Blocco Sud dell'Ospedale. Sono presenti gli sportelli e le casse automatiche che consentono di effettuare la self-accettazione, pagare e ritirare i referti senza fare la fila agli sportelli. Il ritiro referti alle casse è solo su prenotazione

- **Cartelle cliniche**

*[certificazionisanitarie@ospedaleniguarda.it](mailto:certificazionisanitarie@ospedaleniguarda.it)*

- **Ufficio Relazioni con il Pubblico**

Padiglione 1, piano terra

tel: 02 6444.2794/2795

[urp@ospedaleniguarda.it](mailto:urp@ospedaleniguarda.it)

- **Servizi e punti ristoro**

**Bar e ristoro:**

Blocco Nord/Blocco Sud, piano terra

- **Shopping Gallery e Bancomat:**

Padiglione1, piano terra, Blocco Nord/Blocco Sud piano terra

- **Parcheggi e punti vidimazione**

**Parcheggio Sud**, ingresso Via Zubiani:

3.10 euro fino a 4 ore / 3.90 euro da 4 a 24 ore

**Parcheggi interni:**

1 euro 30 min., 3 euro 60 min. / 5 euro ogni ora successiva

Per l'esonero al pagamento (con contrassegno disabili, documento di identità e biglietto del parcheggio) rivolgersi ai punti vidimazione:

- Padiglione 1, Portineria (7.00-21.00)

- Blocco DEA, Portineria (21.00-7.00)

ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda  
P.zza Ospedale Maggiore, 3  
20162 Milano  
Tel. 02 6444.1 - Fax 02 6420901

---

Aggiornamento ottobre 2023  
a cura di: Comunicazione  
[comunicazione@ospedaleniguarda.it](mailto:comunicazione@ospedaleniguarda.it)

Edizione Speciale sostenuta da  
"Progetto Contact Center -  
Professionisti Pronti a Rispondere"  
finanziato da:



 Bristol Myers Squibb

