

G. Basso

Laboratorio di
Oncoematologia
Dipartimento di Pediatria
Università di Padova

Costi attuali dei trials clinici di cura e di ricerca dell'AIEOP



La storia dei trials clinici nell'AIEOP è una storia relativamente recente e nasce da una aggregazione spontanea di alcuni pediatri che decidevano di dare una base scientifica con una filosofia comune per trattare al meglio i pazienti pediatriche oncologici.

Nei primi anni i trattamenti si sono basati sulla applicazione di protocolli francesi, inglesi o statunitensi con l'unico obiettivo di migliorare la sopravvivenza dei bambini.

Con le prime guarigioni sono arrivate le prime domande e con queste i trials clinici, in cui si è usata la randomizzazione per poter rispondere a quesiti clinici.

Verso la fine degli anni '80 si è capito che per applicare correttamente un protocollo terapeutico e per poter interpretare i risultati con efficacia, si dovevano standardizzare alcune procedure come la raccolta dati e la diagnosi; infatti se si volevano trarre delle conclusioni dagli studi clinici, condizione fondamentale era la sicurezza della diagnosi e la certezza che i dati raccolti fossero corretti. Tutto questo comportava la creazione di una organizzazione che supportasse tutti gli studi clinici. Il primo esempio è stato della leucemia acuta linfoblastica poi seguito da quasi tutti i protocolli terapeutici, e questo tipo di organizzazione creata allora – composta da un centro raccolta

dati e da un laboratorio centralizzato è considerato ora un golden standard.

La costruzione di una tale organizzazione comporta delle spese importanti, che non vengono supportate dagli enti pubblici deputati a questo, e se finanziamenti ci sono stati, questi sono stati irrisori rispetto al costo di una tale organizzazione. D'altra parte le istituzioni che supportano esclusivamente la ricerca tendono a privilegiare con i finanziamenti progetti di ricerca di base, e non i trials clinici, considerando la ricerca traslazionale sufficientemente importanti per la ricerca scientifica.

I costi in Oncologia Pediatrica non sono lievitati per quanto riguarda la raccolta dati; infatti la felice intuizione del Prof. Guido Paolucci di collaborare con il centro inter-universitario CINECA ed iniziare con esso un rapporto a costo "politico" ha permesso un salto di qualità in termini tecnico-culturali altrimenti impossibile.

Non è stato così per quanto riguarda i laboratori centralizzati che si sono sviluppati invece grazie ai finanziamenti delle associazioni di volontariato locali.

Negli anni il miglioramento ottenuto nei trattamenti è legato ai progressi nelle conoscenze biologiche di queste malattie, questi progressi hanno permesso una miglior stratificazione dei pazien-

ti ed un loro miglior trattamento con scelte terapeutiche basate sulla eterogeneità biologica, e sulla capacità di misurare sempre con maggior accuratezza la risposta alla terapia.

Tutti i processi di ricerca sia clinica che biologica sono sottoposti ad un incremento mano a mano che le conoscenze e le nuove tecnologie passano dalla ricerca di base alla pratica clinica. I costi per i laboratori sono in costante e progressivo aumento e questi sono giustificati solo dal miglioramento nel miglioramento dei risultati ottenuti nei trials clinici.

Generalmente nella valutazione dei costi base, si deve tener conto del costo dello staff dedicato al trial clinico, i costi per le spese di viaggio dei monitors e di trasporto del materiale biologico. La prima esperienza di laboratorio centralizzato era basata su una diagnostica cito morfologica, poi è stata introdotta la diagnosi immunofenotipica e citogenetica negli anni '80. Negli anni '90 si è introdotta la diagnostica molecolare e nei protocolli 2000 lo studio della malattia residua minima. Il prossi-

mo futuro vedrà l'introduzione delle nanotecnologie (microarray) nella diagnostica clinica. Ovviamente i costi sono assolutamente lievitati considerando che per l'introduzione della malattia residua minima nel protocollo 2000 nei laboratori di Padova e Monza lavorano a tempo pieno 12 ricercatori e il costo per ogni singolo paziente varia dai 1500 ai 3000 euro.

Per la parte laboratori si deve tener conto anche dei costi degli apparecchi e del loro mantenimento, del materiale di consumo, dei processi di aggiornamento del personale, dei processi di controllo di qualità. Devono essere tenuti in conto anche il costo dei membri dello staff di laboratorio, del consumo di servizi come acqua, gas, luce, telefono, mantenimento della rete informatica.

Ovviamente tutto questo deve tradursi in una maggior risposta alla terapia, in un maggior numero di pazienti guariti, in una minor percentuale di pazienti con problemi a medio e lungo termine.

Marisa De Rosa
Gregorio Greco
Federica Ronchetti
Giulia Stabile

(CINECA)

Gestione dei trials clinici di cura e di ricerca dell'AIEOP



Premessa

L'impatto delle nuove tecnologie informatiche e telematiche ha dato un enorme impulso alla ricerca in ambito biomedico e sanitario grazie alla possibilità di raccogliere e condividere le informazioni in modo semplice e rapido. L'avvento di Internet ha influito radicalmente sulle metodologie di ricerca favorendo l'approccio cooperativo tra gli istituti di ricerca ed ottimizzando tempi e costi nel complesso iter delle sperimentazioni cliniche multicentriche.

L'AIEOP è stato tra i primi gruppi in Italia a cogliere la portata della trasformazione in atto.

Nel 1985 ha iniziato con il Cineca una collaborazione per sviluppare un modello di Information Technology per la gestione e il monitoraggio di tutto il processo e tutte le fasi di una ricerca, dallo sviluppo del protocollo alla raccolta e analisi finale dei dati.

Tale modello è oggi raccomandato e adottato da grandi organizzazioni di ricerca nazionali e internazionali.

Il modello IT a supporto dell'organizzazione dell'AIEOP, è composto da:

- Aree di Lavoro Cooperativo per lo scambio e la condivisione di informazioni e documenti:
 - aree dedicate alla gestione dei singoli protocolli
 - protocol development
 - forum riservato ai soci AIEOP
 - forum di discussione su patologie specifiche (es. Immunodeficienze)
- Portale Internet pubblico (www.aieop.org)
- Registro pazienti Mod. 1.01
- Registro trapianti TCSE
- Clinical trial(s) data base
- Banca dati soci
- Banca dati protocolli
- Banca dati centri
- Banca dati pubblicazioni
- Clinical Research Datawarehouse

Le peculiarità del modello AIEOP sono diverse e in particolare:

- Sperimentazioni cliniche no-profit
- Database globale con controllo centrale dei flussi
- Registri di popolazione (Mod. 1.01 e TCSE)
- Disponibilità di informazioni omogenee e di procedure standardizzate
- Condivisione delle informazioni all'interno del gruppo
- Centri partecipanti coinvolti