

 Contenuto archiviato il 2024-06-18



# Integrated DEsign and AnaLysis of small population group trials

## Risultati in breve

### Una metodologia statistica migliorata per sperimentazioni su piccoli gruppi della popolazione

Oltre 30 milioni di cittadini europei soffrono di malattie rare, con un'incidenza di meno di cinque persone su 10 000. Il progetto IDeAl affronta i limiti della tradizionale metodologia statistica nella valutazione di nuove terapie in sperimentazioni cliniche.



SALUTE



© bearsky23, Shutterstock

Dal 2000 al 2010 solo in Europa sono stati approvati oltre 60 farmaci orfani, la maggioranza dei quali basata su studi fatti con campioni composti da meno di 50 unità. Le restrizioni etiche e la variabilità dell'età nelle sperimentazioni cliniche pediatriche costituiscono un altro limite per le dimensioni del campione, come gli studi sulla medicina personalizzata nei quali l'impegno per adattare le terapie a singoli pazienti richiede un numero di partecipanti significativamente più basso.

La metodologia statistica è ben accettata per convalidare i risultati delle sperimentazioni cliniche e dimostrare l'efficacia e la sicurezza delle nuove terapie. La maggior parte dei metodi statistici però è adatta a grandi studi di popolazione dove le ipotesi sulla validità dei metodi sono normalmente gestite incrementando le

dimensioni del campione. Questo non può essere fatto in sperimentazioni con gruppi piccoli dove la rarità della malattia o la distribuzione geografica dei pazienti rende difficile la selezione dei soggetti per la sperimentazione. D'altra parte, un tempo di reclutamento prolungato potrebbe ridurre la motivazione dei pazienti e dei medici. Di conseguenza, l'applicazione della metodologia statistica classica spesso trascura gli effetti del trattamento perché è possibile osservare solo effetti di grande portata.

Ultimamente, l'applicabilità di approcci standard della sperimentazione clinica a popolazioni piccole è sempre più messa in discussione e criticata. C'è un bisogno impellente di adattare metodologie innovative nell'organizzazione di sperimentazioni per piccoli campioni di popolazione. Per risolvere questo problema, gli scienziati del progetto [IDeAI](#), finanziato dall'UE, hanno proposto di raffinare la metodologia statistica per applicarla in sperimentazioni su piccoli gruppi di popolazione come quelli che testano nuove terapie per malattie rare.

### Risolvere i limiti dei metodi esistenti

Secondo le linee guida dell'Agenzia europea per i medicinali, le sperimentazioni cliniche dovrebbero essere progettate sulla base della valutazione di rischi e benefici ed evitate se le conoscenze ricercate possono essere trasferite da simili studi più ampi. "Se le informazioni sulla risposta alle dosi sono conosciute per popolazioni più ampie, come gli adulti, l'estrapolazione permetterebbe sperimentazioni cliniche più piccole nella popolazione pediatrica," spiega il coordinatore del progetto, il prof. Hilgers.

Quando si applica a sperimentazioni su piccoli gruppi di popolazione, la metodologia statistica convenzionale porta a una minore sicurezza. Inoltre non può tener conto adeguatamente dell'eterogeneità degli esiti per i pazienti o della limitata ripetibilità delle sperimentazioni cliniche. Per aggirare questi problemi, i ricercatori di IDeAI hanno sviluppato metodi statistici per adattare il livello di valore e permettere di prendere decisioni di conferma in sperimentazioni cliniche con piccole popolazioni.

Inoltre hanno sviluppato una metodologia per la selezione della migliore pratica di randomizzazione, una tecnica chiave usata nelle sperimentazioni cliniche per evitare errori. Tra gli altri risultati ci sono approcci di modellazione per l'analisi dei risultati della sperimentazione, metodi che prendono in considerazione le risposte individuali e l'identificazione di biomarcatori e punteggi prognostici in studi con campioni piccoli.

### Vantaggi clinici

Il numero ridotto di pazienti che potrebbero essere coinvolti nelle sperimentazioni per malattie rare rende necessari approcci alternativi che estraggano più informazioni dai pazienti o che li valutino ripetutamente. "Le sperimentazioni cliniche su piccoli gruppi della popolazione potrebbero essere resi più efficienti, in modo da poter approvare

terapie per malattie rare,” continua il prof. Hilgers.

Indubbiamente, il progresso metodologico aiuterà la progettazione e l’analisi di sperimentazioni cliniche, portando a studi più economici e affidabili. “Inoltre gli strumenti, i pacchetti software e le 33 raccomandazioni generate durante il progetto IDeAI sosterranno la ricerca clinica sulle malattie rare e prepareranno il terreno per progressi medici e farmaceutici,” prevede il prof. Hilgers.

Non sorprende che il progetto abbia attirato interesse a livello mondiale da parte di associazioni dei pazienti e consorzi per le malattie rare e da parte di agenzie di regolazione che hanno oltre 1 000 nuove terapie in corso di approvazione.

## Parole chiave

Metodologia statistica, sperimentazione clinica, malattia rara, farmaco orfano, IDeAI, livello di prova, randomizzazione, estrapolazione, design adattivo, farmacogenetica, design ottimale, simulazione, marcatore genetico, teoria della decisione, biomarcatore

## Scopri altri articoli nello stesso settore di applicazione



[Progressi nel rilevamento dell’aritmia cardiaca](#)

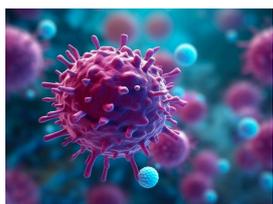


[Una valutazione più precisa delle esigenze dei pazienti anziani per migliorare il trattamento oncologico](#)





## Approfondire il dolore dell'endometriosi



## Una soluzione all'esaurimento delle cellule antitumorali



### Informazioni relative al progetto

**IDEAL**

ID dell'accordo di sovvenzione: 602552

Progetto chiuso

**Data di avvio**

1 Novembre 2013

**Data di  
completamento**

30 Aprile 2017

**Finanziato da**

Specific Programme "Cooperation": Health

**Costo totale**

€ 3 648 320,20

**Contributo UE**

€ 2 958 449,00

**Coordinato da**

UNIVERSITAETSKLINIKUM  
AACHEN



Germany

**Questo progetto è apparso in...**



**Ultimo aggiornamento:** 10 Ottobre 2017

**Permalink:** <https://cordis.europa.eu/article/id/203830-improved-statistical-methodology-for-small-population-group-trials/it>

European Union, 2025