



Istituto Giannina Gaslini



Istituto Superiore di Sanità/

**Corso  
LA SPERIMENTAZIONE CLINICA  
IN PEDIATRIA – 7<sup>a</sup> edizione**

**Seminario di approfondimento  
“Il disegno dello studio”**

**Istituto Superiore di Sanità  
Viale Regina Elena, 299 - 00161 Roma**

**24-25 novembre 2011**



**Con il Patrocinio di  
Società Italiana di Pediatria (SIP)  
Società Italiana di Ricerca Pediatrica (SIRP)  
Ministero della Salute**

**" Se non siete curiosi, lasciate perdere. Se non vi interessano gli altri, ciò che fanno e come agiscono, allora quello del designer non è un mestiere per voi.  
Non pensate di diventare gli inventori del mondo.  
Non è così, e non deve esserlo.**

**Cominciate ad allenarvi all'autoironia e all'autocritica.....**

**Un buon progetto nasce non dall'ambizione di lasciare un segno, ma dalla volontà di instaurare uno scambio, anche piccolo, con l'ignoto che userà l'oggetto da voi progettato.**

**Mettetevi in testa che il lavoro di ricerca è tutto, e il singolo oggetto prodotto ne è una tappa, un momentaneo stop più che una conclusione.**

**Cancellate l'idea dello splendido isolamento d'artista. Un oggetto di design è frutto dello sforzo comune di molte persone dalle diverse specifiche competenze (tecniche, industriali, commerciali, estetiche).**

**Il lavoro del designer è la sintesi espressiva di questo lavoro collettivo."**

Citazione da Achille Castiglioni: "Come si diventa un bravo designer?"

**Parafrasando.... Dal *design* al *diseño dello studio* nelle sperimentazioni cliniche pediatriche:**

### **PROGRAMMA**

**24 Novembre 2011**

**12:30 Registrazione e pre - test**

**13:00 - 17:30 - Presentazioni 20' + 10' per discussione e 30' intervallo**

- Introduzione (Pietro Panei, Roma e Ornella Della Casa Alberighi, Genova)

- Generalità dei disegni di studio e definizioni secondo i quesiti della ricerca

13:15 - Studi osservazionali: studi descrittivi e studi analitici (di coorte, studi caso-controllo, studi trasversali) (Riccardo Haupt, Genova)

13:45 – Studi sperimentali: trial non controllati, trial controllati non randomizzati (es field trials, community intervention studies), trial controllati randomizzati (RCT) (Benito Chinea, Milano)

- Trial randomizzato controllato (RCT): *un disegno, numerose varianti:*

14:15 – Per obiettivi: *explanatory* (efficacy) vs *pragmatic* (effectiveness) trials; per fase di sviluppo di un farmaco, trial di superiorità, equivalenza, non inferiorità (Ornella Della Casa Alberighi, Genova; Benito Chinea, Milano)

15:15 – Per unità di randomizzazione: partecipanti, gruppi di partecipanti, parti del corpo (Romano Arcieri, Roma; Maria Puopolo, Roma)

**16:15 – Coffee Break**

16:45 - Per modalità di assegnazione dei partecipanti all'intervento: singolo gruppo; due gruppi – disegno parallelo e *cross-over*; disegno *matched-pair* e con controlli storici, disegno sequenziale; gruppi multipli - disegno fattoriale, (Pietro Panei, Roma;)

**17:30 – conclusione della giornata**

## 25 Novembre 2011

### 8:30 - 12:30 presentazioni 20' + 10' per discussione e 30' intervallo

Trial randomizzato controllato (RCT): un disegno, numerose varianti (cont.)

8:30 - Pillole di metodologia (Romano Arcieri, Roma; Maria Puopolo, Roma)

- Unità di randomizzazione
- Numero di partecipanti
- Numero dei centri coinvolti
- Conoscenza del trattamento assegnato
- Considerazione della preferenza dei partecipanti

9:00 - **Principi di inferenza causale negli studi osservazionali (Rino Bellocco)**

9:40 - Disegni dello studio nelle piccole popolazioni (Ornella Della Casa Alberighi, Genova)

10:10 - Disegni dello studio in oncologia (Lada Mitchell, Basilea)

### 10:40 – Coffee Break

11:00 - Disegni dello studio in HIV (Anne Laure Knellwolf, Roma)

11:30 - [Disegni dello studio applicati alla sorveglianza post-marketing](#) (Giuseppe Traversa, Roma)

12:00 - Il disegno dello studio e la modellizzazione / simulazione (disegno “*in silico*”) (Claudio Voci, Modena)

12:45 – discussione generale

### 13:00 - Pranzo

14:00 - Esercitazione pratica in plenaria

- Mascheramento: chi ha gli occhi coperti? (Pietro Panei e Romano Arcieri, Roma)
- Bias e strumenti per prevenirli (Giuseppe Traversa, Roma)
- Quanti soggetti arruolare in un trial (Rino Bellocco, Milano)
- La rilevanza clinica di un trial (Ornella Della Casa Alberighi, Genova)

### 17:00 Conclusioni

17:15 Test di apprendimento

17:30 Rilascio degli attestati di partecipazione

## OBIETTIVI del SEMINARIO

Nell'ambito del Corso 2011 dell'IRCCS G. Gaslini e dell'Istituto Superiore di Sanità su "La sperimentazione clinica in Pediatria", questo seminario di approfondimento offre ai medici (pediatri), biologi, farmacisti, infermieri professionali, infermieri di ricerca partecipanti a sperimentazioni cliniche l'occasione di affrontare vari aspetti del disegno dello studio da applicare alla ricerca clinica nel bambino e nelle malattie rare.

Saranno fornite informazioni generali sui vari disegni dello studio per acquisire le conoscenze necessarie a identificare il disegno di studio più appropriato in pediatria e nelle malattie rare dato un obiettivo di studio. Tali informazioni possono servire sia come elementi di valutazione che per la messa a punto di protocolli di studi clinici in pediatria e nelle malattie rare sia profit che no profit nelle varie fasi di sviluppo di un farmaco (dalla Fase 1 alla Fase 4 inclusa la farmacovigilanza) secondo le linee guida europee e la normativa nazionale e internazionale.

## INFORMAZIONI GENERALI

### Iscrizione

Il corso è aperto a n. 30 medici, biologi, farmacisti, infermieri, infermieri pediatrici che partecipano a sperimentazioni cliniche in pediatria e malattie rare.

### Registrazione

Le domande di iscrizione dovranno pervenire alla Segreteria Organizzativa entro il 15 novembre 2011, previa conferma telefonica della disponibilità dei posti (tel.: 06 49903711).

Il seminario non sarà attivato se il numero degli iscritti risulterà inferiore a 20.

**Il materiale didattico sarà fornito in italiano e/o inglese**

### Sede

Istituto Superiore di Sanità  
Via Giano della Bella, 34 - 00161 Roma  
Aula GB Rossi

### ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ

#### Presidente

**Prof. Enrico Garaci**

### IRCCS ISTITUTO G. GASLINI

#### Direttore Scientifico

**Prof. Lorenzo Moretta**

### Direttori del Corso

#### Dr. Pietro Panei

Istituto Superiore di Sanità, Roma

#### Dr.ssa Ornella Della Casa Alberighi

IRCCS Istituto G. Gaslini, Genova

### Docenti, Moderatori e Tutors

#### Romano Arcieri

Istituto Superiore di Sanità, Roma

#### Rino Bellocco

Department of Statistics

University of Milano-Bicocca

Department of Medical Epidemiology and Biostatistics

Karolinka Institutet

#### Benito Chinea

IBIS, Milano

#### Ornella Della Casa Alberighi

IRCCS Istituto G. Gaslini, Genova

#### Riccardo Haupt

IRCCS Istituto G. Gaslini, Genova

**Anne Laure Knellwolf**

Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Lada Mitchell**

F. Hoffmann-La Roche LTD

**Pietro Panei**

Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Maria Puopolo**

Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Giuseppe Traversa**

Istituto Superiore di Sanità, Roma

**Claudio Voci**

CEVEAS, Modena

**Segreteria Scientifica**

**Dr.ssa Ornella Della Casa Alberighi**

IRCCS Istituto G. Gaslini, Genova

e-mail: [ornelladellacasa@ospedale-gaslini.ge.it](mailto:ornelladellacasa@ospedale-gaslini.ge.it)

**Dr. Pietro Panei**

Istituto Superiore di Sanità, Roma

e-mail: [pietro.panei@iss.it](mailto:pietro.panei@iss.it)

**Segreteria Organizzativa**

**Massimo Marzi**

Istituto Superiore di Sanità, Roma

Tel. 06/49902237

[massimo.marzi@iss.it](mailto:massimo.marzi@iss.it)

**Federica M. Regini**

Istituto Superiore di Sanità, Roma

Tel. 06/49903711

[federica.regini@iss.it](mailto:federica.regini@iss.it)