STUDI CLINICI:
METODOLOGIA

Coordinatore: Dr.ssa Stefania Gori

Evento ecm MODULO 1 (formazione di base)
"A good foundation" (Negrar, 7-8 settembre 2016)
CENTRO FORMAZIONE OSPEDALE SACRO CUORE- DON CALABRIA

Relatori: Giovanni L. Pappagallo (Mirano), Emilio Bria (Verona)
Tutor: Marta Bonotto (Udine)

9.40- Introduzione- Fabrizio Nicolis
9.55- Presentazione del corso.

1a sessione (7 settembre – 10.00-13.00)

Il quesito clinico come primum movens di ogni sperimentazione- (G.L. Pappagallo)
- Plausibilità dello studio
- Strutturazione del quesito primario sec. P.I.C.O.
- Quesiti (obiettivi) secondari

Disegno di studio e procedure di randomizzazione (E. Bria)
- Disegni paralleli e disegni crossover
- Varianti nelle procedure di randomizzazione e stratificazione
- La scelta del braccio di controllo

Discussione

2a sessione (7 settembre – 14.30-17.30)

Misure di esito (G.L. Pappagallo)
- Scelta dell'endpoint in base al quesito e al disegno dello studio
- Endpoints surrogati

Criteri di selezione dei pazienti (E. Bria)
- Criteri restrittivi Vs inclusivi
- Conseguenze su trasferibilità e precisione delle evidenze

Discussione

Valutazione dell'apprendimento (parte 1a) (– 17.30-18.30) (M. Bonotto)
- Lavoro di gruppo e presentazione in aula: what?, so what?, now what? (prova ECM)

3a sessione (8 settembre – 8.30-11.30)

Controllo degli errori statistici e dimensionamento campionario (G.L. Pappagallo, E. Bria)
- Tipi di variabili statistiche
- Misure di effetto relative (RRisk, RRate, OR, HR) e assolute (ARR-RD, NTT)
- Gli errori statistici
- Il target di rilevanza clinica (Δ_{sup}, $M_{non\text{-}inf}$, MCID)
- Principi di dimensionamento campionario

Discussione

Valutazione dell'apprendimento (parte 2a) (– 11.30-12.30) (M. Bonotto)

- Lavoro di gruppo e presentazione in aula: what?, so what?, now what?

Nota. I singoli argomenti verranno presentati prendendo esempi da studi condotti su:

- Ca mammario premenopausale, in fase iniziale (*LHRH-a, inibitori delle aromatasi*)
- Ca mammario postmenopausale, in fase avanzata, recettori ormonali positivi (*everolimus, SERMS, inibitori delle aromatasi*)
- Ca mammario HER2 positivo in fase localmente avanzata e metastatica (*pertuzumab, lapatinib, TDM-1*)
- Ca ovarico in fase avanzata (*bevacizumab, olaparib*)
- NSCLC non-squamoso e squamoso, in fase avanzata (*pemetrexed, erlotinib, gefitinib, afatinib, nivolumab*)
- Melanoma maligno in fase avanzata (*ipilimumab, nivolumab*)
- Ca renale metastatico, *clear-cell* e non *clear-cell* (*sunitinib, pazopanib, everolimus, axitinib, cabozantinib, nivolumab*)
- Ca colorettale in fase metastatica con diversa evidenza di mutazioni (*bevacizumab, cetuximab, panitumumab*)