

# La sperimentazione clinica

## Fase 1

Ha inizio con lo studio di fase 1 la sperimentazione dei farmaci sull'uomo che ha lo scopo di trovare la dose e fornire una prima valutazione della sicurezza e tollerabilità del medicinale.

Se il farmaco dimostra di avere un livello di tossicità accettabile rispetto al beneficio previsto (profilo beneficio/rischio) allora può passare alle successive fasi della sperimentazione.

## Fase 2

Nello studio di fase 2 comincia ad essere indagata l'attività terapeutica del potenziale farmaco, cioè la sua capacità di produrre sull'organismo umano gli effetti curativi desiderati. Questa fase serve inoltre a confermare quale sarà la dose migliore da sperimentare nelle fasi successive, e determinare l'effetto del farmaco in relazione ad alcuni parametri (come, ad esempio, la riduzione della massa tumorale) considerati indicatori della efficacia della terapia.

Questa seconda fase è utile quindi a dimostrare accettabile tossicità e l'attività del nuovo principio attivo sperimentale.

Ci sono però ancora altri quesiti a cui bisogna dare una risposta: il farmaco quanto è efficace? Ha qualche beneficio in più rispetto a farmaci simili già in commercio? E qual è il rapporto tra rischio e beneficio?

## Fase 3

A tutte queste domande si risponde con lo studio di fase 3. In questo caso sono coinvolti centinaia o migliaia di pazienti, lo studio è **controllato** e randomizzato. **Controllato**: ovverosia si fa un confronto con un placebo (sostanza priva di efficacia terapeutica), con il miglior trattamento già in uso.

**Randomizzato**: il paziente viene assegnato al gruppo di confronto trattamento sperimentale/ trattamento standard in base ad un algoritmo casuale.

Alla fine di questa fase se il nuovo farmaco viene ritenuto utile e non pericoloso l'agenzia regolatorie permettono la sua immissione in commercio.

## Fase 4

Dopo l'immissione in commercio i nuovi farmaci vengono ancora studiati per confermare la loro validità e soprattutto si studiano gli eventuali effetti avversi rari o che si possono verificare a distanza di molto tempo.