

Big Data in Healt Care

Indice

| | | |
|----------|------------------------------|---|
| 1 | Studio sperimentale | |
| 2 | Studio osservazionale | |
| 2.1 | Studi descrittivi | 2 |
| 2.2 | Studi analitici | 2 |
| 3 | Piano di studio | |

| | | |
|----------|---|--|
| 1 | Lo scopo della ricerca biomedica è quella di scoprire nessi di causa-effetto grazie ai dati a propria disposizione. I modelli statistici utilizzati devono dunque essere interpretabili e generalizzare bene da un campione all'intera popolazione. Per definire una tassonomia degli studi clinici, ci si basa su <i>An Overview of clinical research: the lay of the land</i> , D.A. Grimes, K.F. Schulz, Lancet 2002: la ricerca clinica è divisa tra studi <i>sperimentali</i> e studi <i>osservazionali</i> , basandosi sul fatto che il ricercatore ha assegnato una esposizione (un farmaco) o meno. | |
| 2 | Si definisce <i>incidenza</i> la frequenza di casi nuovi nel periodo di controllo; mentre si definisce <i>prevalenza</i> la frequenza di casi in un dato momento temporale. | |

1 Studio sperimentale

In questo tipo di studio, l'esposizione (il farmaco, il trattamento o simili) è assegnata dal ricercatore e viene modificata per verificare effetti sull'esito. Lo studio è effettuato in modo controllato, anche con randomizzazione dei pazienti; qualora non si randomizzano i pazienti, si studia in modo *concomitante* o *storico* (se si hanno indicazioni temporali sui soggetti o meno). L'approccio storico tuttavia non è sempre così affidabile date variazioni non registrate nelle caratteristiche dei soggetti, così come metodologie di diagnosi, trattamenti e simili. Dunque il rischio è che la popolazione di partenza non sia sovrapponibile alla popolazione di controllo successiva. La randomizzazione corregge errori sistematici, dividendo in gruppi (senza preferenze) la popolazione, aumentando la qualità dei dati e offrendo un trattamento informato e di qualità ai pazienti (rendendolo il metodo più etico).

In mancanza di un gruppo di controllo, è impossibile valutare correttamente l'effetto di un trattamento sperimentale (deve esserci un confronto, standard o placebo).

2 Studio osservazionale

In questo caso la decisione dell'esposizione è indipendente dalla decisione di includere il paziente nello studio (la prescrizione di farmaci è effettuata da procedure diagnostiche e valutative descritte dall'AIFA - *Associazione Italiana del Farmaco*). In questo caso, il ricercatore osserva l'effetto di un'esposizione sul paziente senza modifiche.

2.1 Studi descrittivi

Questa tipologia di studio è molto semplice e serve per dare informazioni iniziali in nuove aree di studio. Descrivono distribuzione geografica, temporale, demografica, frequenza, enti determinanti di caratteristiche, fattori o sorveglianza sanitaria. I risultati sono qualitativi e descrivono distribuzioni e caratteristiche di patologie o di loro cause.

2.2 Studi analitici

Nel caso ci sia una divisione in gruppi della popolazione (come un campione di riferimento), si parla di studio *analitico*. Uno studio analitico a sua volta è detto *di coorte* se si parte dalla misura dell'esposizione per studiare il nesso col risultato (andando avanti nel tempo); negli studi *caso-controllo* si parte dalla misura del risultato per studiare ipotetici nessi con la relazione (andando quindi indietro nel tempo); negli studi *cross-sectional* l'esposizione e il risultato sono studiati nello stesso tempo (rendendo difficile comprendere nessi di causa-effetto). Gli studi caso-controllo possono essere affetti da *recall bias*: la difficoltà di reperire dati di qualità andando particolarmente indietro nel tempo; tuttavia sono più economici pur non garantendo una facile e corretta interpretazione dei risultati. Gli studi di coorte invece sono più precisi ma sono lunghi (soprattutto con eventi rari) e costosi.

Gli studi *epidemiologici* di questo tipo si occupano generalmente di studiare la relazione tra fattori di rischio o protettivi e la frequenza della malattia; gli studi di *epidemiologia clinica* sono generalmente studi di farmacovigilanza: verificano l'impatto di un trattamento nella pratica clinica.

- *valido*: l'effetto osservato in risposta a un trattamento deve essere attribuito con certezza al trattamento stesso e non a fattori esterni, generalmente è ottenibile tramite randomizzazione;
- *preciso*: l'errore casuale irriducibile deve essere sufficientemente basso da evitare errori nelle conclusioni, ovvero è necessario operare su basi campionarie sufficientemente grandi;
- *applicabile*: i risultati devono poter generalizzare bene, considerando le popolazioni di riferimento, le procedure di reclutamento dei soggetti e ai criteri utilizzati.

Generalmente gli studi di farmaco-cinetica e farmaco-dinamica si dividono in tre fasi: si parte da degli *studi di fase 1*, per garantire un profilo di sicurezza del prodotto, generalmente partendo da volontari sani, seguiti da *studi di fase 2*, per valutare il profilo di sicurezza in condizioni cliniche ideali controllate, da perfezionare negli *studi di fase 3*, in cui è verificata l'efficacia e la posologia ottimale del trattamento. La seconda fase è utilizzata per verificare dimensione campionaria, posologia iniziale e popolazione di partenza per la fase successiva. L'ultima fase è condotta in parallelo (almeno) due volte in modo indipendente per verificare anche la riproducibilità del risultato; inoltre tutte le condizioni sperimentali e i risultati sono riportati sul foglietto illustrativo del trattamento.

3 Piano di studio

Per far sì che lo studio sia affidabile e riproducibile, è necessario un buon *piano di studio*, che deve essere: