

Novità dalla ricerca sulla Malattia di Huntington In un linguaggio semplice. Scritto da ricercatori. Per la comunità mondiale MH.

## **Migliorare il reclutamento nella sperimentazione clinica sulla malattia di Huntington attraverso l'educazione dei pazienti e delle loro famiglie**



Come si può migliorare il reclutamento negli studi clinici sulla MH? Parlare direttamente con le famiglie funziona!

Di Dr Jeff Carroll su 02 Agosto 2011

A cura di Dr Ed Wild; Tradotto da Daniela Monza

Articolo pubblicato per la prima volta 12 Maggio 2011

---

*Sperimentazioni di nuovi trattamenti per la malattia di Huntington sono in corso, ma dimostrare se un farmaco funziona richiede molti volontari adatti. Sorprendentemente, trovare sufficienti volontari è spesso difficile. Ora un gruppo di professionisti sulla MH ha dimostrato che l'educazione e il coinvolgimento dei pazienti nella comunità è un buon metodo per aumentare il reclutamento.*

Il progresso verso trattamenti efficaci per la malattia di Huntington viene percepito avvenire con estrema lentezza dalle persone che ne hanno più bisogno. Ma studi clinici per testare nuovi trattamenti per la malattia di Huntington sono in corso. Prima che un farmaco possa essere approvato per l'uso nella MH, deve essere testato in pazienti sintomatici, e dimostrare di dare un beneficio. Il miglioramento deve essere sufficientemente consistente così che sia chiaro che il farmaco ha funzionato. Questo può richiedere un grande numero di soggetti, perché quante più persone provano un farmaco, maggiori sono le probabilità di avere risultati conclusivi.

Venire a conoscenza di questo, può sorprendere qualcuno nella comunità MH, ma trovare un numero sufficiente di volontari per sperimentazioni di farmaci per la MH non è facile. Un gruppo di professionisti sulla MH, guidato dalla dottoressa LaVonne Goodman, motivato da questa preoccupazione, ha cercato di trovare dei modi per facilitare il reclutamento di volontari in studi clinici sulla MH.

### **Lo studio clinico**

Lo studio clinico in cui la Goodman e il suo team hanno cercato di favorire il reclutamento, è stato lo studio "HART", con l'Huntexil, per i sintomi motori della malattia di Huntington, recentemente completato.

Gli scienziati che hanno progettato lo studio HART hanno calcolato in anticipo che sarebbero stati necessari 220 volontari per testare il farmaco in modo conclusivo. Sarebbero stati reclutati in 28 cliniche negli Stati Uniti e in



Dr LaVonne Goodman, responsabile dello studio che ha valutato come motivare le

Canada. Ogni volontario sarebbe rimasto nello studio per tre mesi.

famiglie a partecipare a studi clinici

## Reclutamento

Il reclutamento per HART negli Stati Uniti è stato lento. Ci sono voluti circa 2 anni (da ottobre 2008 ad agosto 2010) per trovare 220 pazienti volontari. In confronto, uno studio condotto in Europa con lo stesso farmaco, chiamato studio “MermaiHD”, ha reclutato 420 pazienti MH in meno di un anno.

Migliorare un basso tasso di reclutamento in una sperimentazione clinica, dovrebbe abbreviare i tempi per ottenere i risultati dello studio. Per contribuire a questo, la Goodman e i suoi colleghi hanno cercato di capire quali fattori sono in grado di coinvolgere le famiglie MH negli studi.

In uno studio precedente, condotto da ricercatori dell'Huntington's Disease Society of America e di CHDI Inc., la Goodman aveva cercato di scoprire quanto i pazienti e le loro famiglie fossero informati sulla MH. Attraverso questionari rivolti ai pazienti e ai loro familiari, in occasione delle riunioni locali, ha dimostrato che il desiderio di informazioni sugli studi e la motivazione a parteciparvi erano molto alti. Ciò che mancava era l'informazione alle famiglie riguardo a eventuali sperimentazioni cliniche in corso. La Goodman ha concluso che “l'informazione, nei gruppi di sostegno, è un meccanismo che può incrementare la partecipazione ai trial clinici”.

Un'occasione per consolidare questa idea si è presentata quando l'Evergreen Neuroscience Institute è diventato un centro nuovo dell'Huntington Study Group, coinvolto nello studio HART. Senza pazienti MH regolari afferenti al centro, questo doveva reclutare in un modo nuovo. Sostenitori della comunità, informati sugli studi clinici in generale, e sull'Huntexil in particolare, si sono incontrati con piccoli gruppi di pazienti MH e le loro famiglie. In tre sedute si è discusso in gruppo sui rischi e i benefici di questa ricerca. Alla fine di queste sessioni educative, informazioni scritte erano disponibili per coloro che erano interessati.

In aggiunta a questo lavoro fatto di persona, le Associazioni MH inviavano opuscoli ai soci presenti nelle loro mailing list. Le persone che si erano offerte di partecipare a studi clinici sono state allertate anche tramite un sito web, HDTrials.org, che esiste per facilitare questo tipo di comunicazione. Infine, i siti web delle Associazioni MH sono stati aggiornati con le informazioni sullo studio.



L'intera comunità MH trae beneficio dagli studi clinici, perché che diano risultati positivi o negativi, ci avvicinano al giorno in cui i trattamenti saranno disponibili per tutti

## Risultati

Dunque, quale di queste tecniche ha avuto maggiore successo nell'indurre i partecipanti disponibili e in grado di partecipare ad arruolarsi nello studio? L'Evergreen

Neuroscience Institute ha visitato diciassette pazienti MH volontari, 13 dei quali hanno completato lo studio HART. Questo ha fatto sì che l'Evergreen diventasse il terzo centro più grande tra i 28 coinvolti nello studio HART - piuttosto impressionante, considerando che non



avevano pazienti MH regolari con cui cominciare. Era anche il centro più veloce dello studio in termini di tasso di reclutamento. Chiaramente, l'Evergreen Neuroscience Institute stava facendo qualcosa di giusto.

I loro diciassette volontari dove avevano sentito parlare dello studio? Più della metà sono stati reclutati di persona grazie al lavoro di supporto locale. Incontrare le famiglie e parlare con loro di ricerca clinica era il modo più efficace per l'Evergreen di reclutare pazienti. Gli altri centri coinvolti nello studio HART avevano un'esperienza diversa: la maggior parte degli altri volontari nello studio HART è stato reclutato attraverso un riferimento diretto ai professionisti del centro.

## **Messaggio da portare a casa**

Sembra che, in questo caso, lavorare in prima persona con le famiglie è stato il modo migliore per arruolare volontari nelle sperimentazioni cliniche. L'intera comunità MH trae beneficio dagli studi clinici, perché sia che diano un risultato positivo o negativo, ci avvicinano al giorno in cui i trattamenti saranno disponibili per tutti. In futuro, ci saranno anche più studi clinici, molti dei quali saranno in corso contemporaneamente, e coinvolgere un numero di pazienti sufficiente è una sfida per l'intera comunità MH globale. La Goodman e il suo team hanno mostrato un modo per accelerare il reclutamento di volontari per la conduzione di sperimentazioni di successo.

---

*Gli autori non hanno conflitti di interesse da dichiarare Per ottenere più della informazione riguarda la nostra norma di divulgazione, leggi il nostro FAQ...*

---

© HDBuzz 2011-2018. Il contenuto di HDBuzz è condivisibile sotto Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz non è una fonte di consigli medici. Ulteriori informazioni disponibili a [hdbuzz.net](http://hdbuzz.net)

Creato al 17 Gennaio 2018 — Scaricato da <https://it.hdbuzz.net/029>