



UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI DI BARI  
ALDO MORO

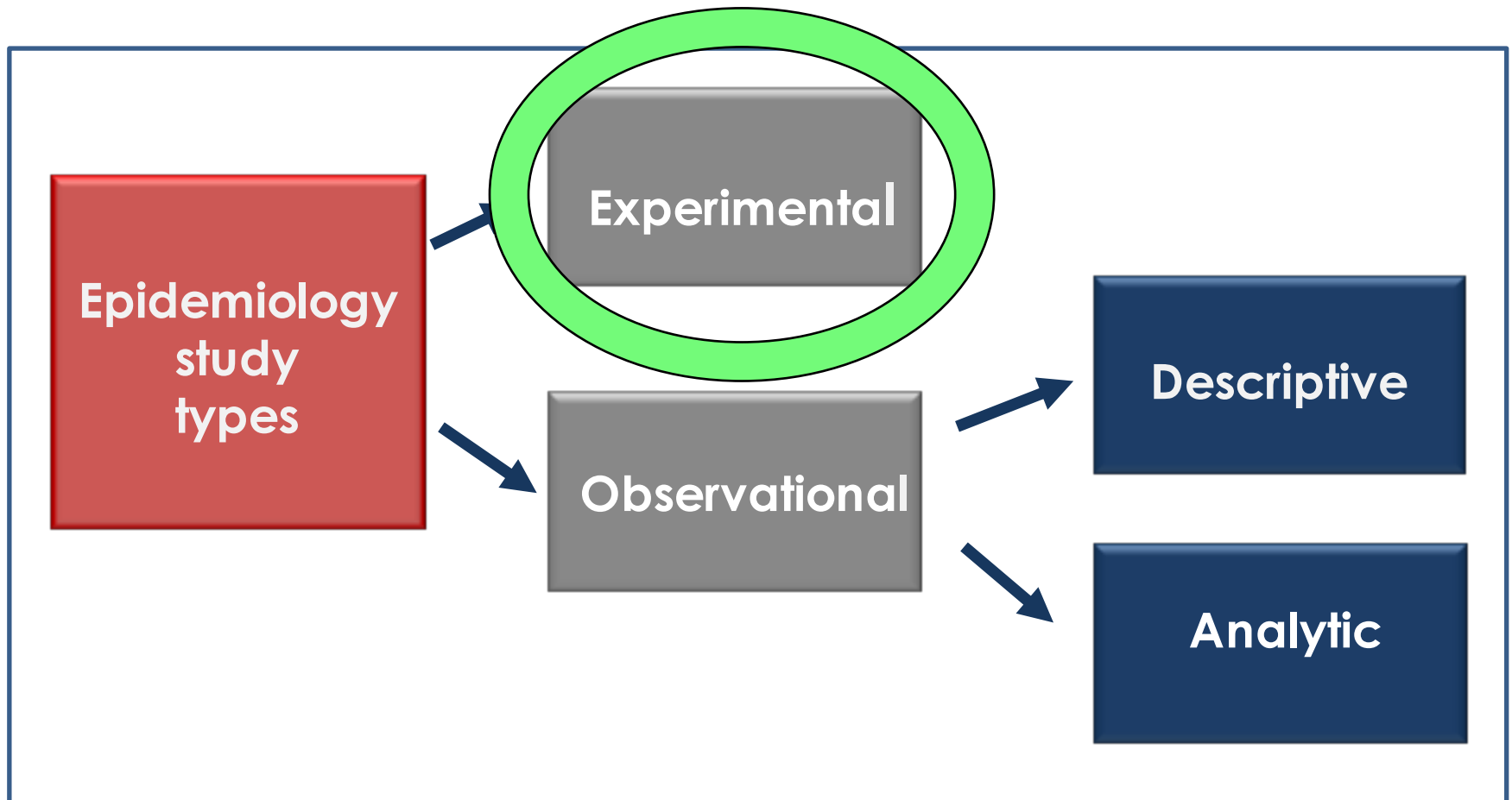
CdL  
SSS

# Studi sperimentali

*Maria Serena Gallone*



# Studi epidemiologici





# Epidemiologia sperimentale

- Attraverso gli studi sperimentali è possibile valutare la efficacia di interventi sulla salute:
  - Preventivi: screening, strategie di vaccinazione
  - Terapeutici: farmaci, tecniche chirurgiche, tecniche diagnostiche



UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI DI BARI  
ALDO MORO

SCHOOL OF MEDICINE  
**HYGIENE COURSE**

# Tipologie di studio sperimentale

- Trial terapeutici
- Trial preventivi



# **Trials**

- Trial controllato randomizzato
- Trial randomizzato
- Trial clinico
- Trial sperimentale
- Trial



# Gli outcome

- **Trial terapeutici**
  - ✓ Guarigione
  - ✓ Riduzione dei sintomi (abbreviazione della malattia)
  - ✓ Riduzione della letalità
- **Trial preventivi**
  - ✓ Riduzione dell'incidenza di malattia

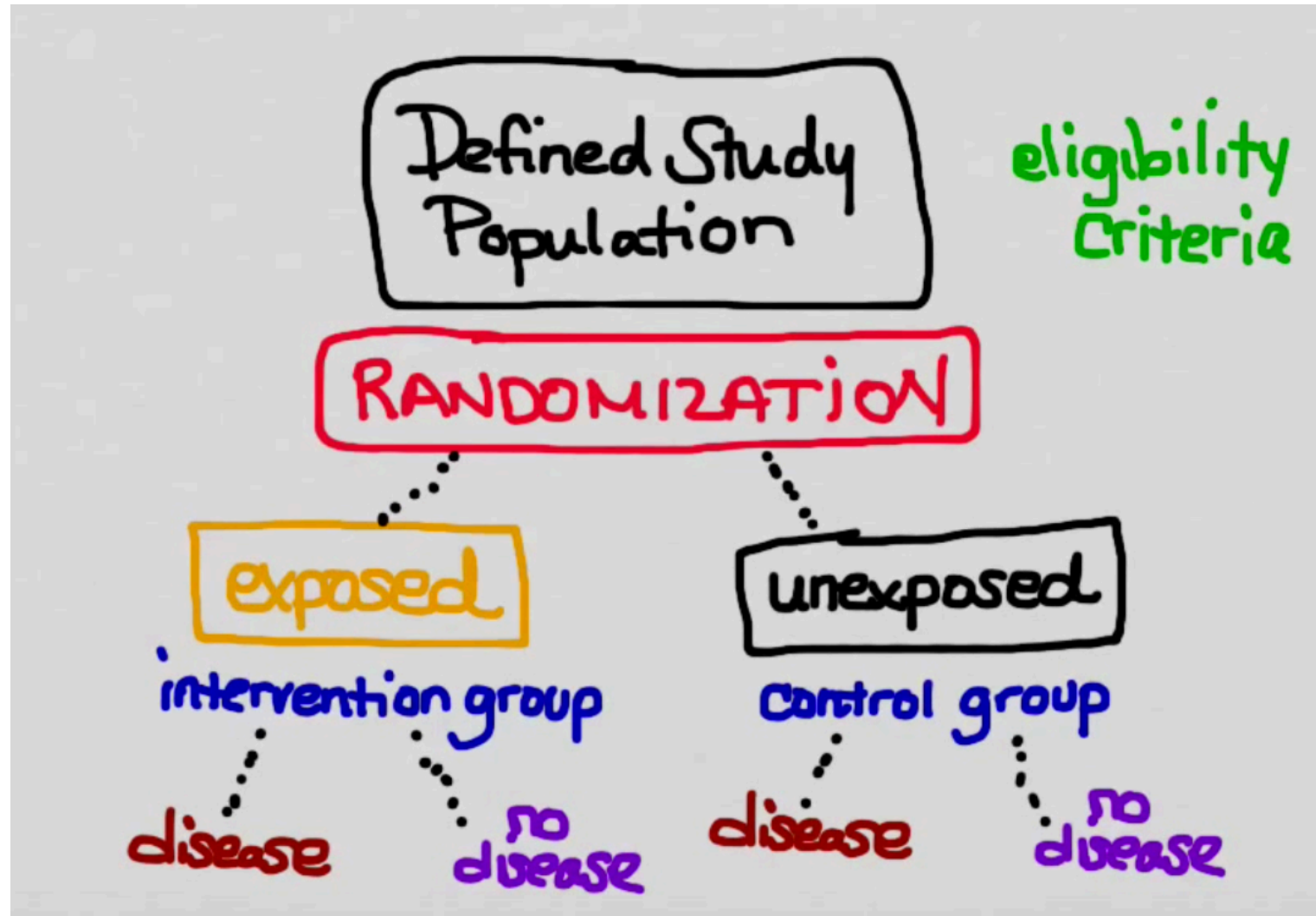


# Caratteristiche di uno studio clinico

- correttamente programmati
- correttamente eseguiti
- condotti da sperimentatori qualificati
- rispettosi dei principi etici



# RCT







# Controllato

- Gruppo di controllo:
  - Placebo
  - Standard of care



# Randomizzato

- Randomizzazione:
  - Per prevenire errori nella selezione
  - Per rendere i due gruppi comparabili



# Processo di randomizzazione

1. Trial in doppio cieco
  - Both researchers and patients “blinded”
  - Never break the code unless you’re closing the study
2. Trial in cieco



## Peculiarità degli studi sperimentali

- Definire e risolvere eventuali problemi etici
- I trattamenti dannosi non dovrebbero mai essere utilizzati
- I pazienti devono comunque poter
- scegliere eventuali alternative terapeutiche



# Il consenso informato

- processo informativo continuo che si svolge durante tutto lo studio clinico incluso il periodo di follow up
- contiene una descrizione dettagliata dello studio
- I pazienti non devono avere alcuna preclusione a trattamenti medici alternativi
- I pazienti possono uscire dal trial in qualsiasi momento
- I pazienti devono essere informati sui risultati dello studio

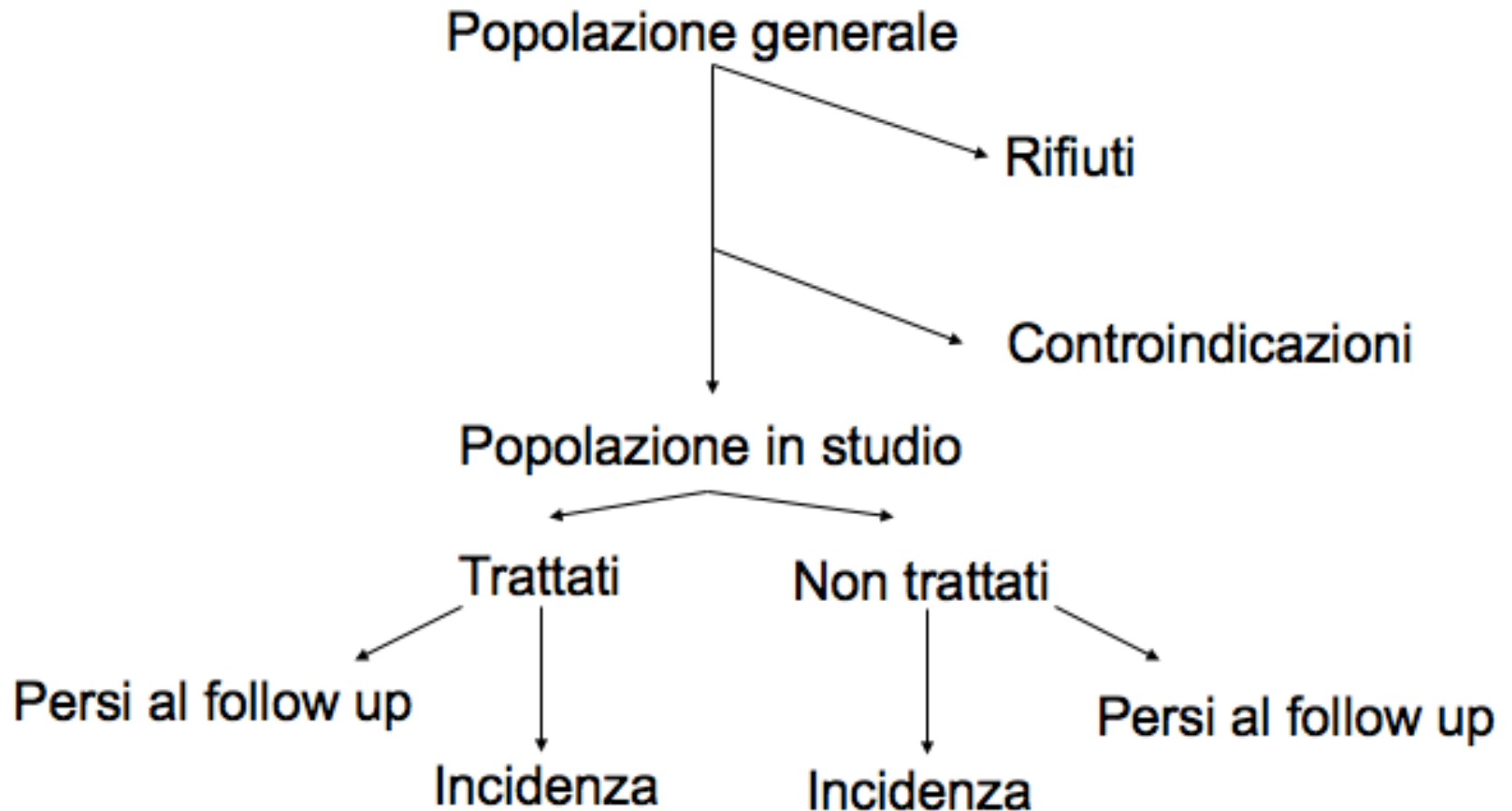


# Selezione della popolazione

- La popolazione in studio dovrebbe rappresentare quella parte della popolazione generale che trarrebbe maggiore beneficio dal trattamento
- Tener conto dei potenziali rifiuti nell'adesione allo studio
- Considerare la popolazione con potenziali controindicazioni al trattamento



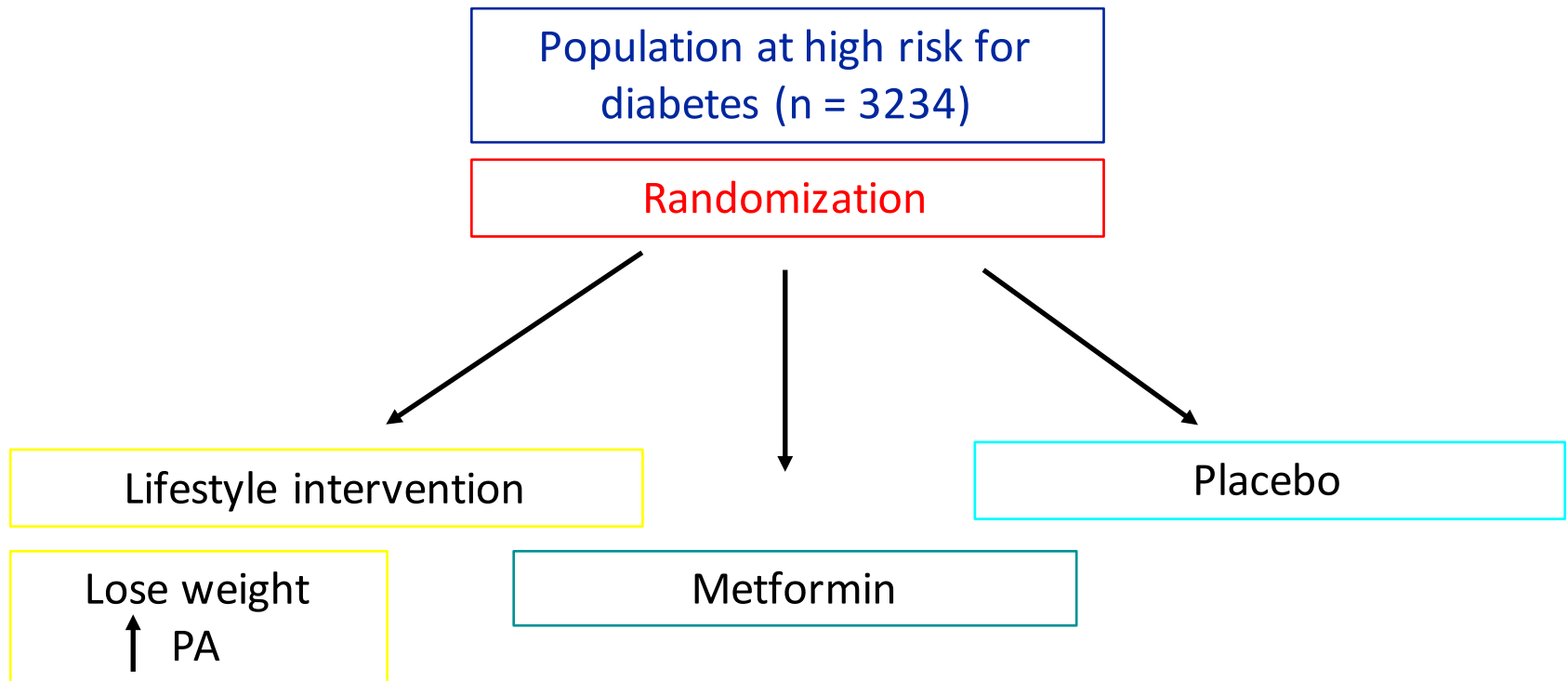
# Popolazione in studio





# Diabetes Prevention Program

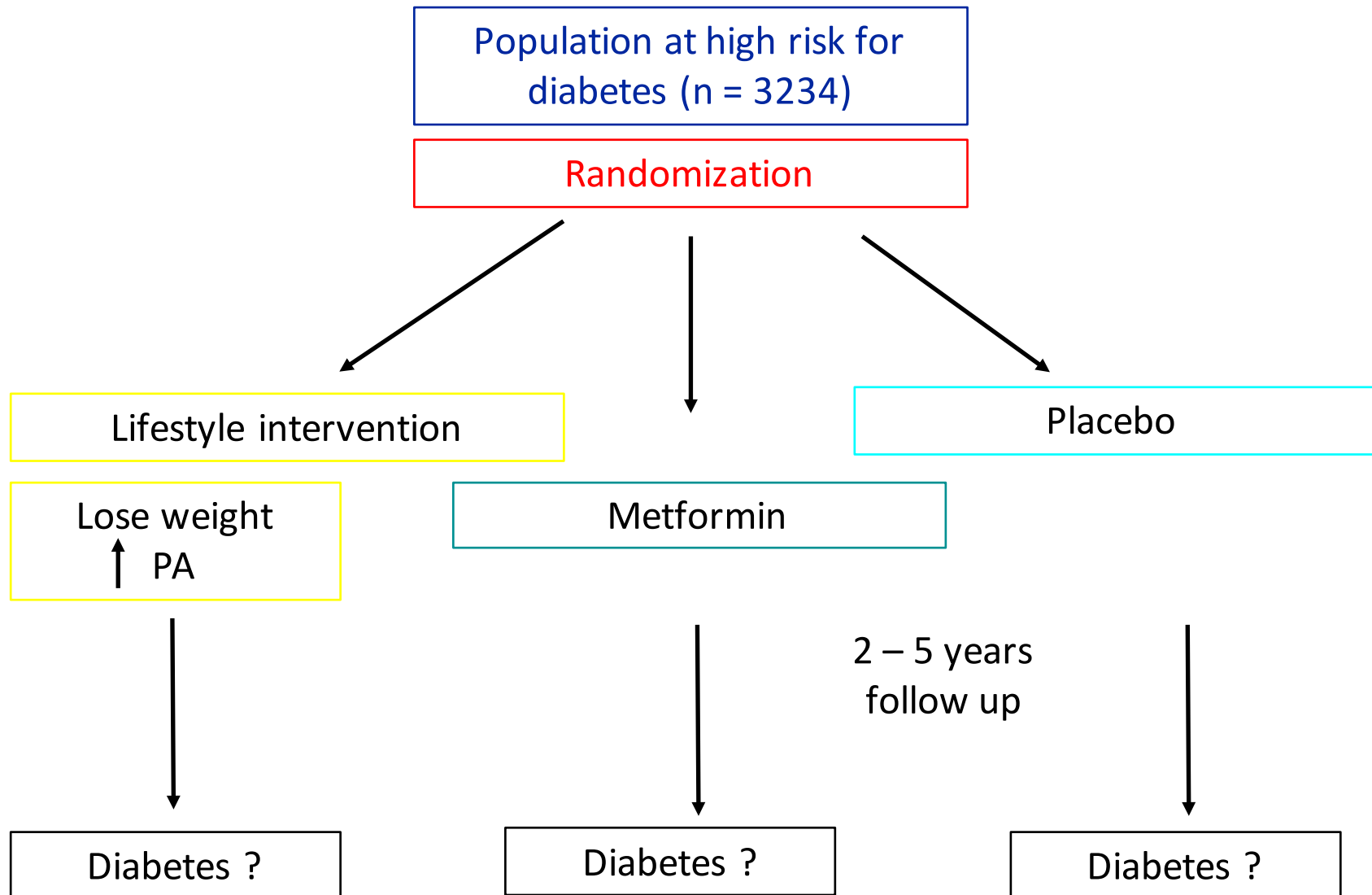
- Can diabetes be prevented by changes to lifestyle?







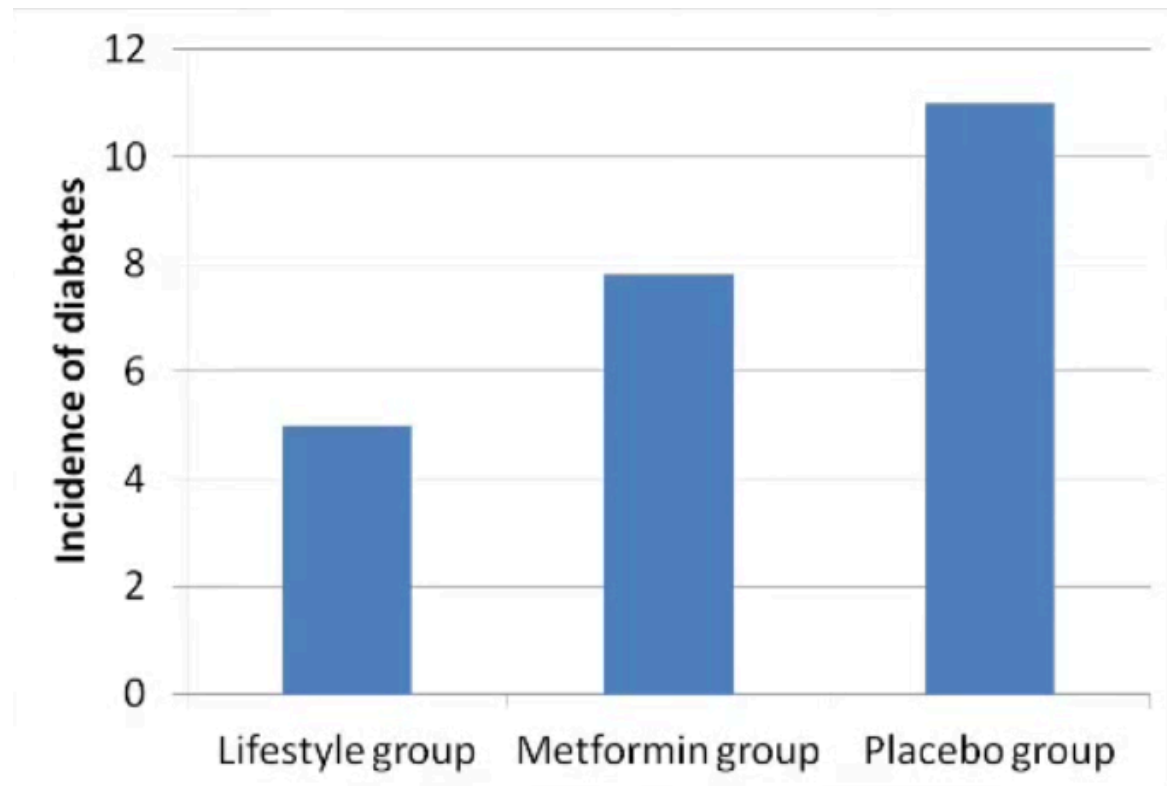
# Diabetes Prevention Program





# Results of Diabetes Prevention Program

- Incidence of diabetes by study arm





# Valutazione degli outcome

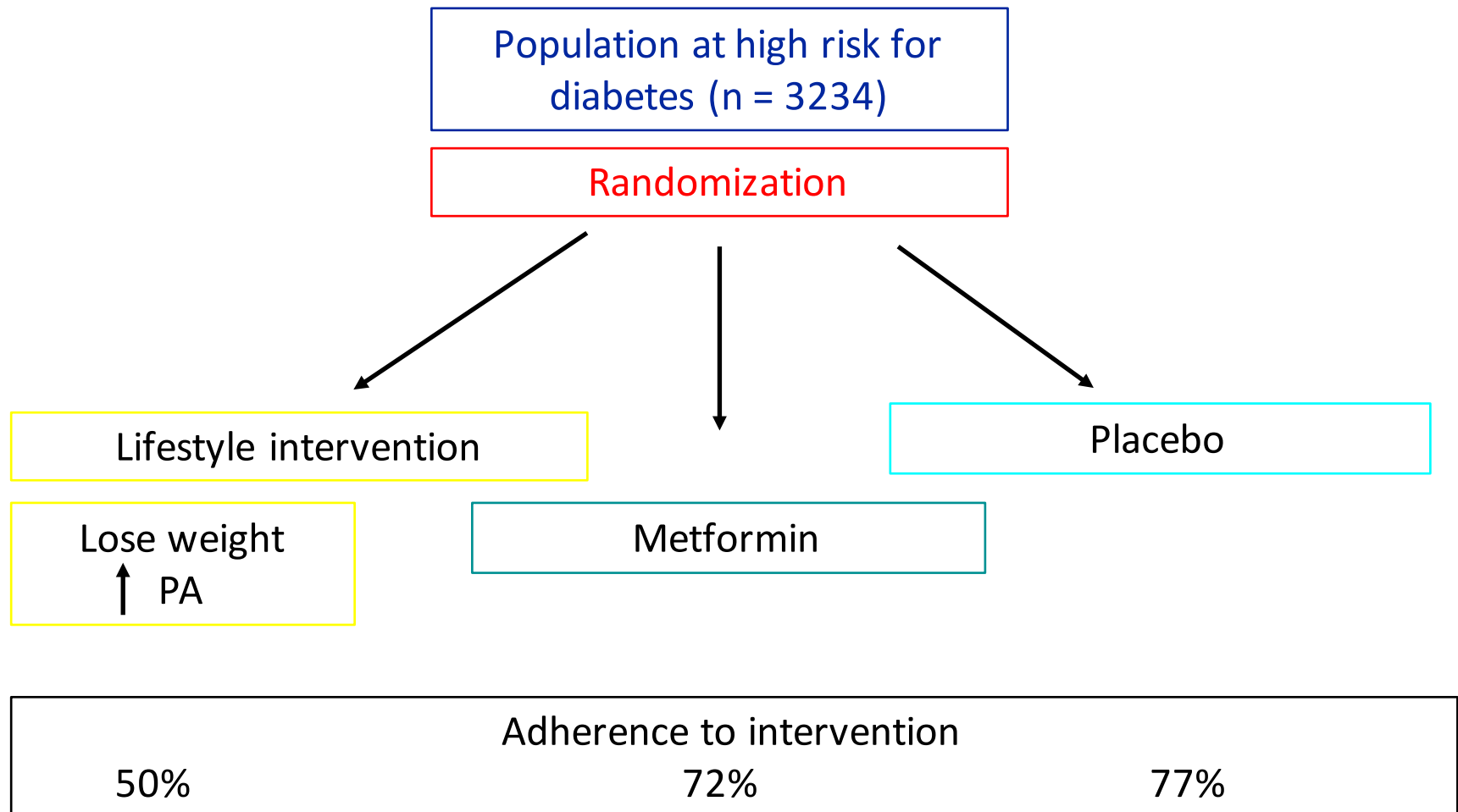
- Controllo dell'efficacia della randomizzazione
- Analisi “per protocollo”
- Analisi “intention to treat”



# RCT

## Intention to treat analysis

- “once randomized, always analysed”





UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI DI BARI  
ALDO MORO

CdL  
SSS

# VALUTARE UN TEST

Dott.ssa Maria Serena Gallone



# Caratteristiche di un test

- Sensibilità
- Specificità
- Valore predittivo

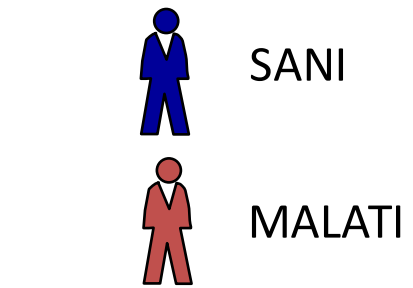
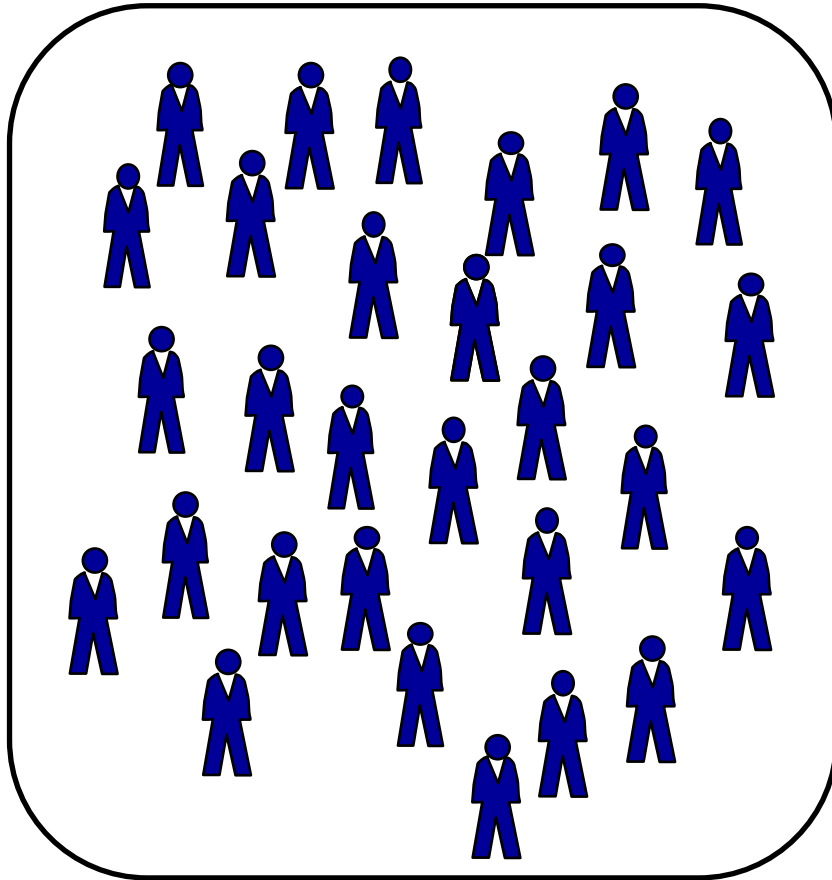


UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI DI BARI  
ALDO MORO

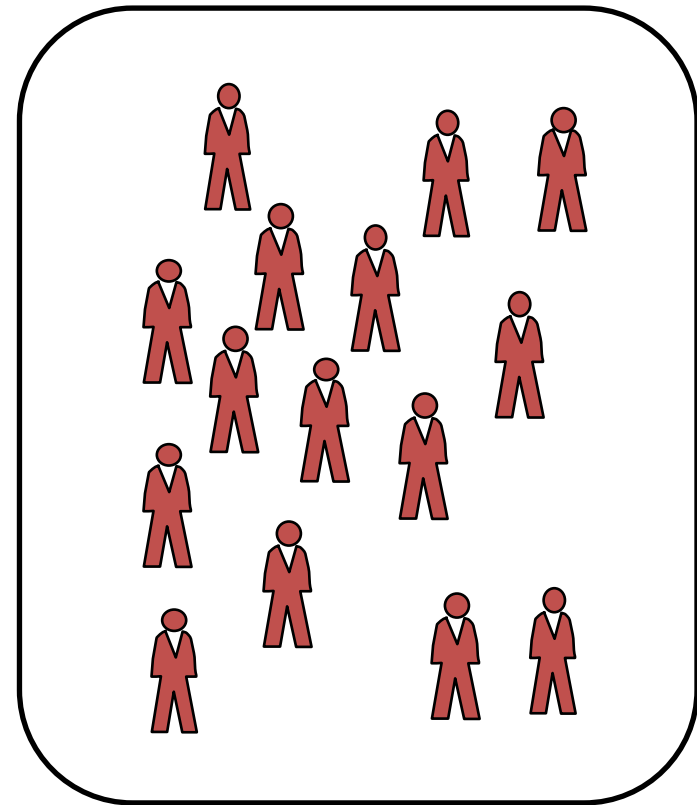
SCHOOL OF MEDICINE  
HYGIENE COURSE

# Test ideale

NEGATIVI AL TEST



POSITIVI AL TEST

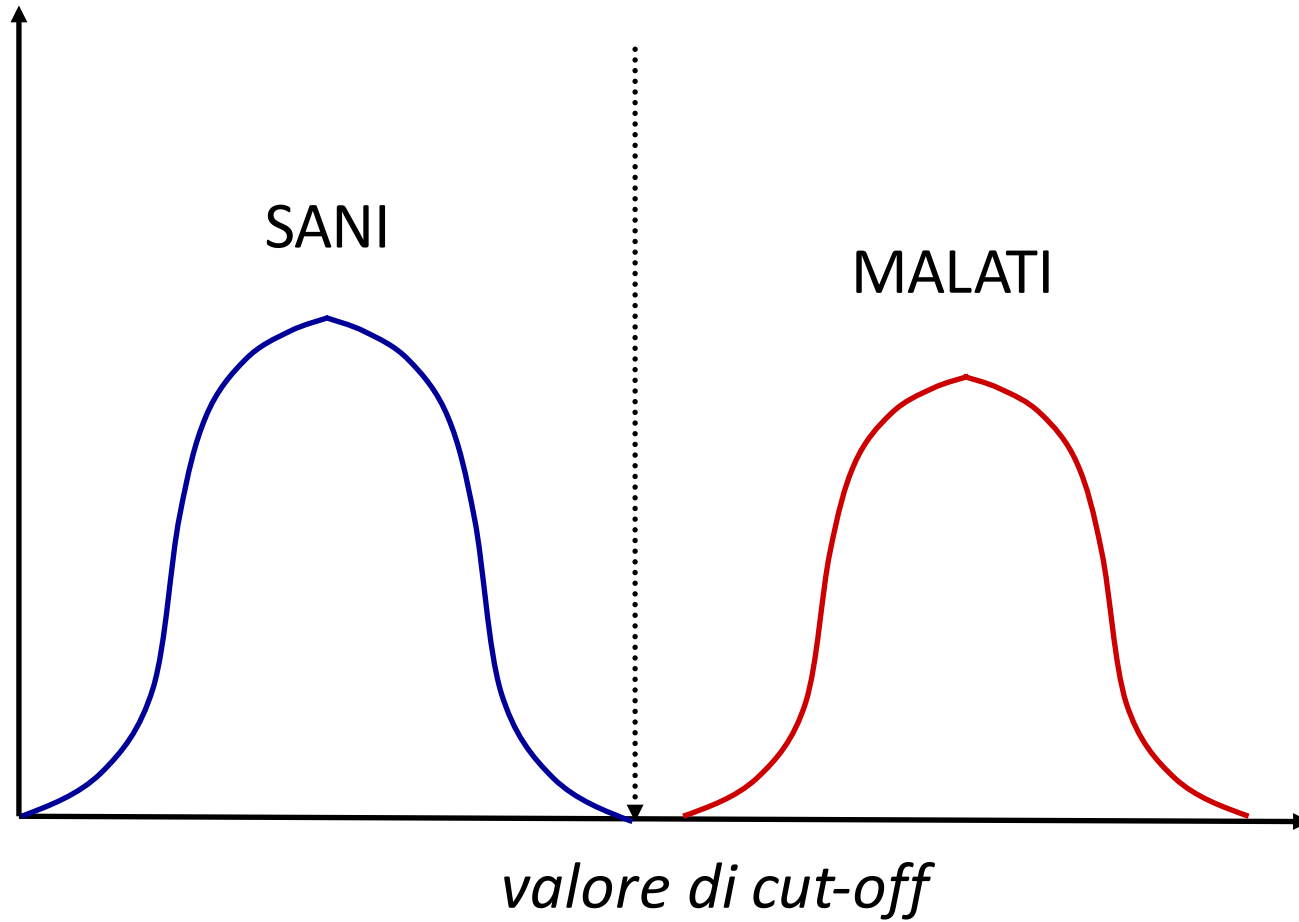




UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI DI BARI  
ALDO MORO

SCHOOL OF MEDICINE  
HYGIENE COURSE

# Test ideale







UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI DI BARI  
ALDO MORO

SCHOOL OF MEDICINE

HYGIENE COURSE

# Test reale...

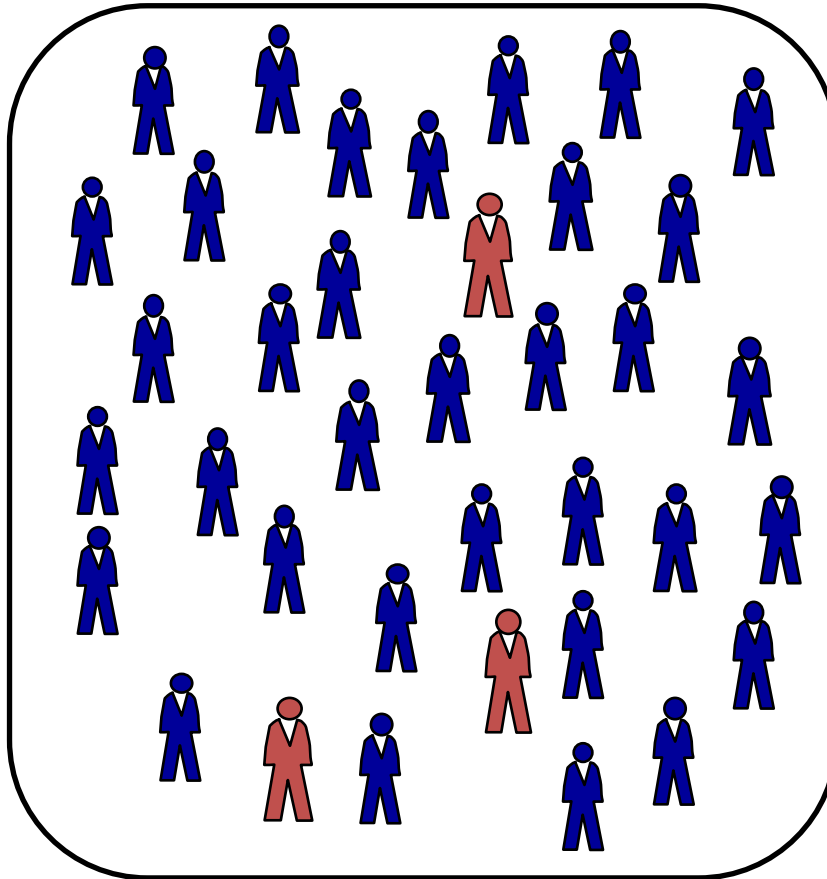


SANI

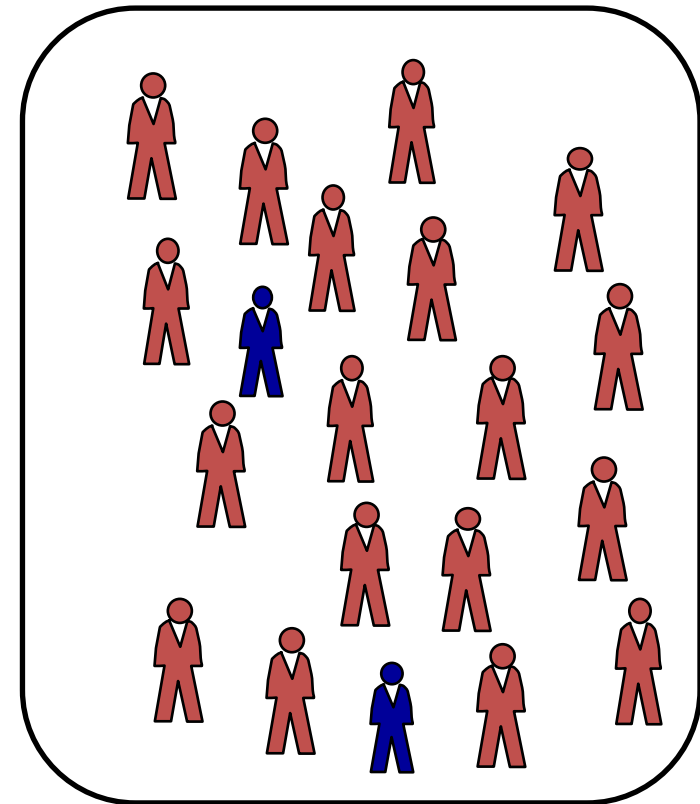


MALATI

NEGATIVI AL TEST



POSITIVI AL TEST

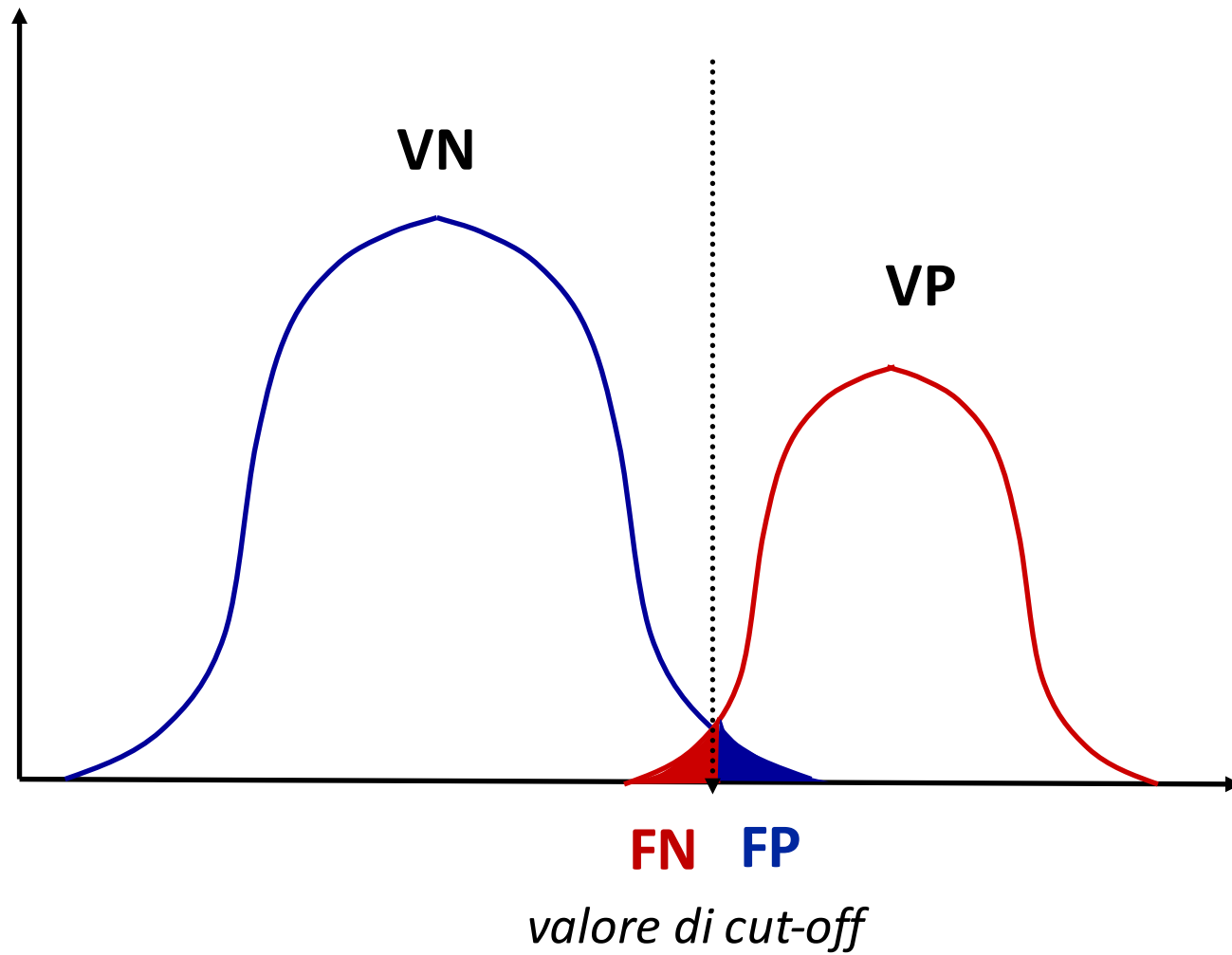




UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI DI BARI  
ALDO MORO

SCHOOL OF MEDICINE  
HYGIENE COURSE

# Il test reale...





# Distribuzione della popolazione in relazione al test

	M+	M-	
T+	VP	FP	TP
T-	FN	VN	TN
	TM+	TM-	N



# Sensibilità

	M+	M-	
T+	VP	FP	TP
T-	FN	VN	TN
	TM+	TM-	N

$$\frac{VP}{TM+} = \frac{VP}{VP + FN}$$

**capacità del test di individuare in una popolazione i soggetti malati**



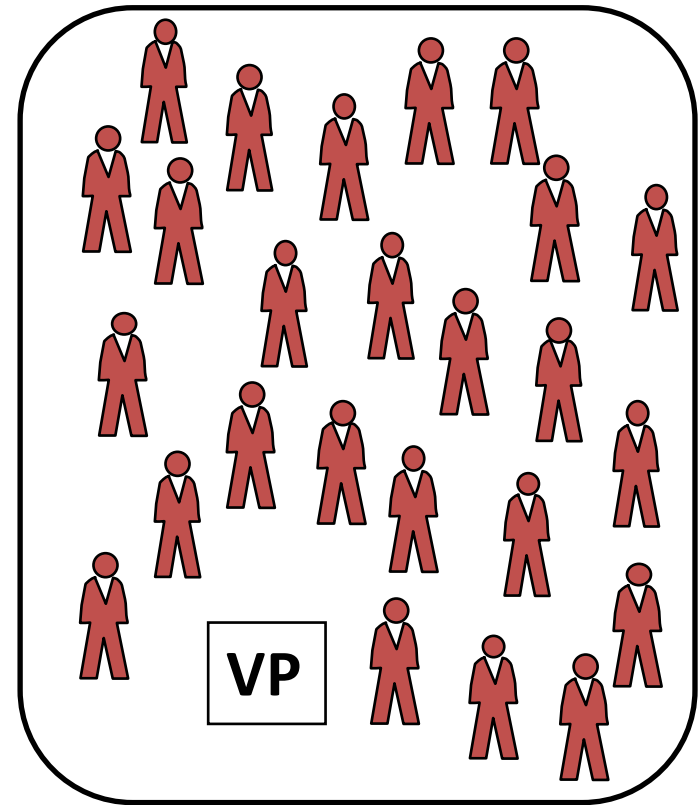
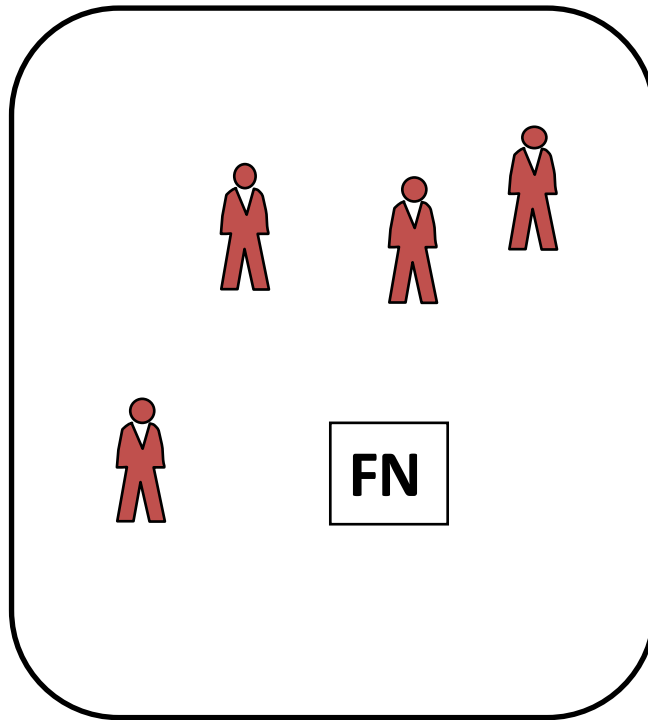
$$25/29 = 86,2\%$$



MALATI

POSITIVI AL TEST

NEGATIVI AL TEST





# Specificità

	M+	M-	
T+	VP	FP	TP
T-	FN	VN	TN
	TM+	TM-	N

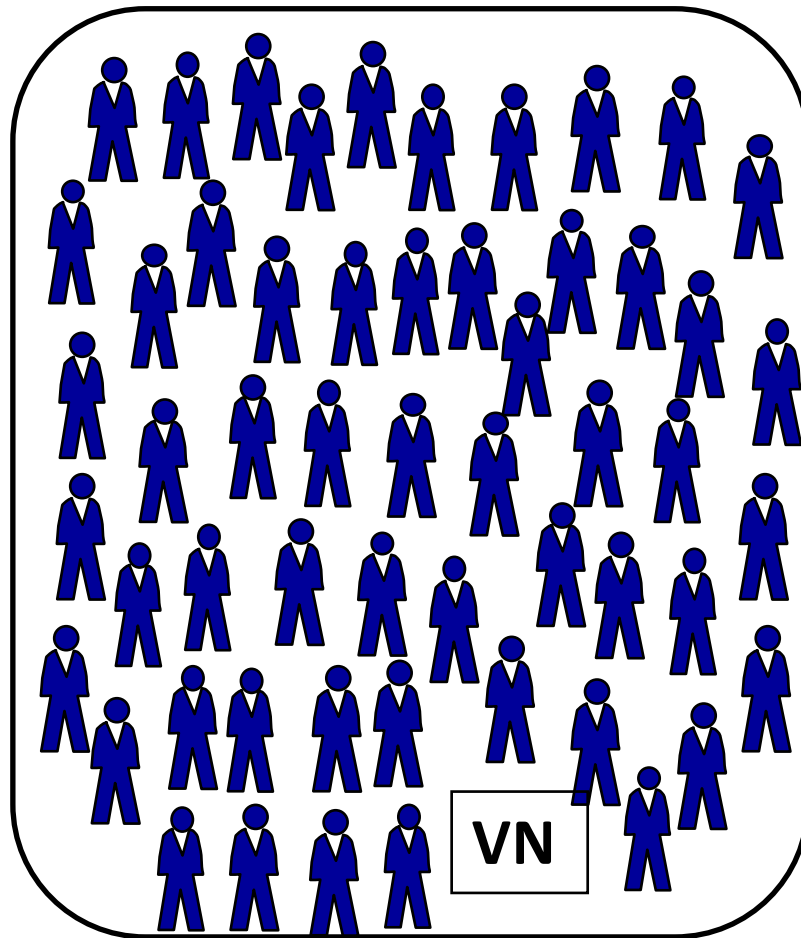
$$\frac{VN}{TM-} = \frac{VN}{VN + FP}$$

**capacità del test di individuare come  
negativi i soggetti sani**

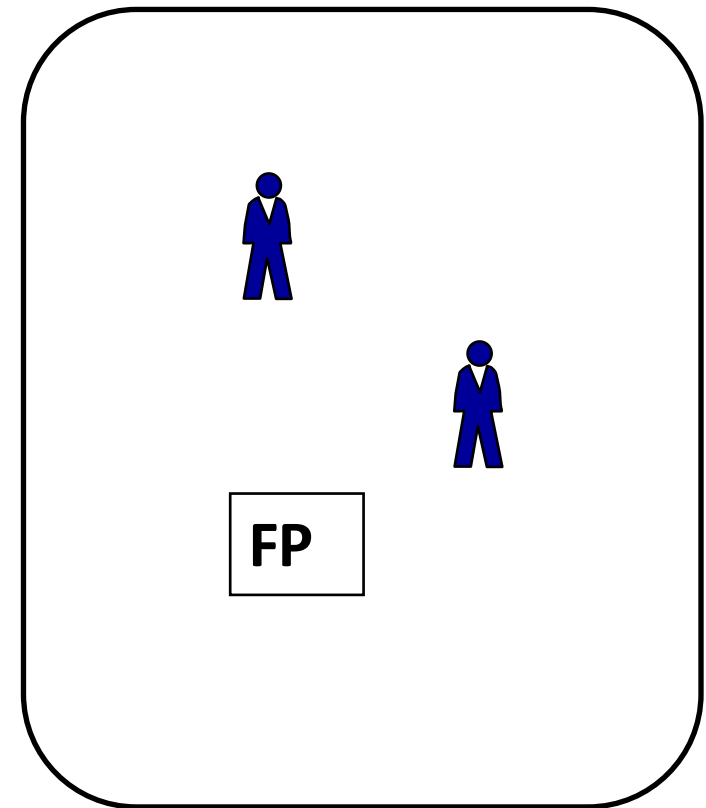


$$55/57 = 96,5\%$$

NEGATIVI AL TEST



POSITIVI AL TEST

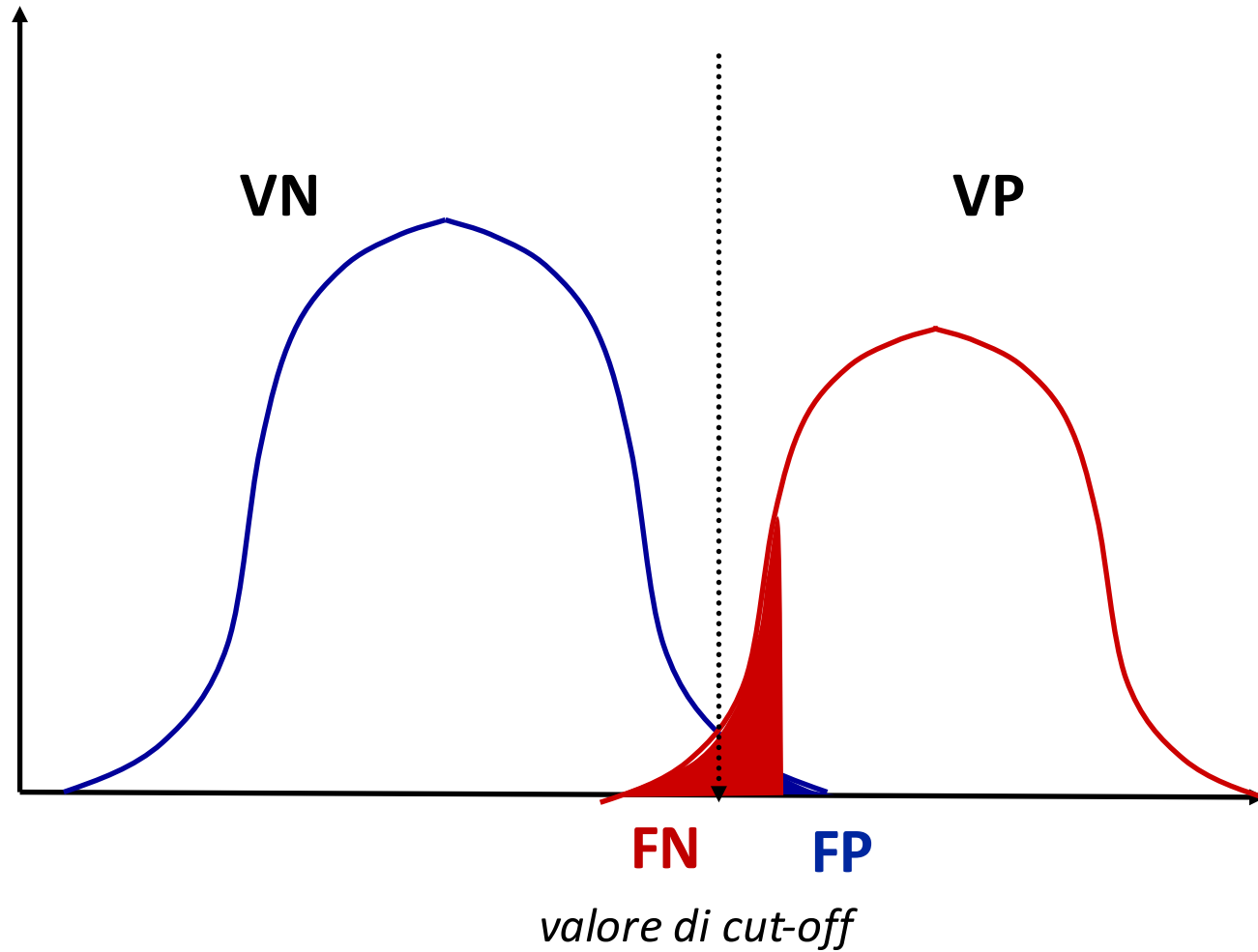




UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI DI BARI  
ALDO MORO

SCHOOL OF MEDICINE  
HYGIENE COURSE

# Aumentando la specificità...



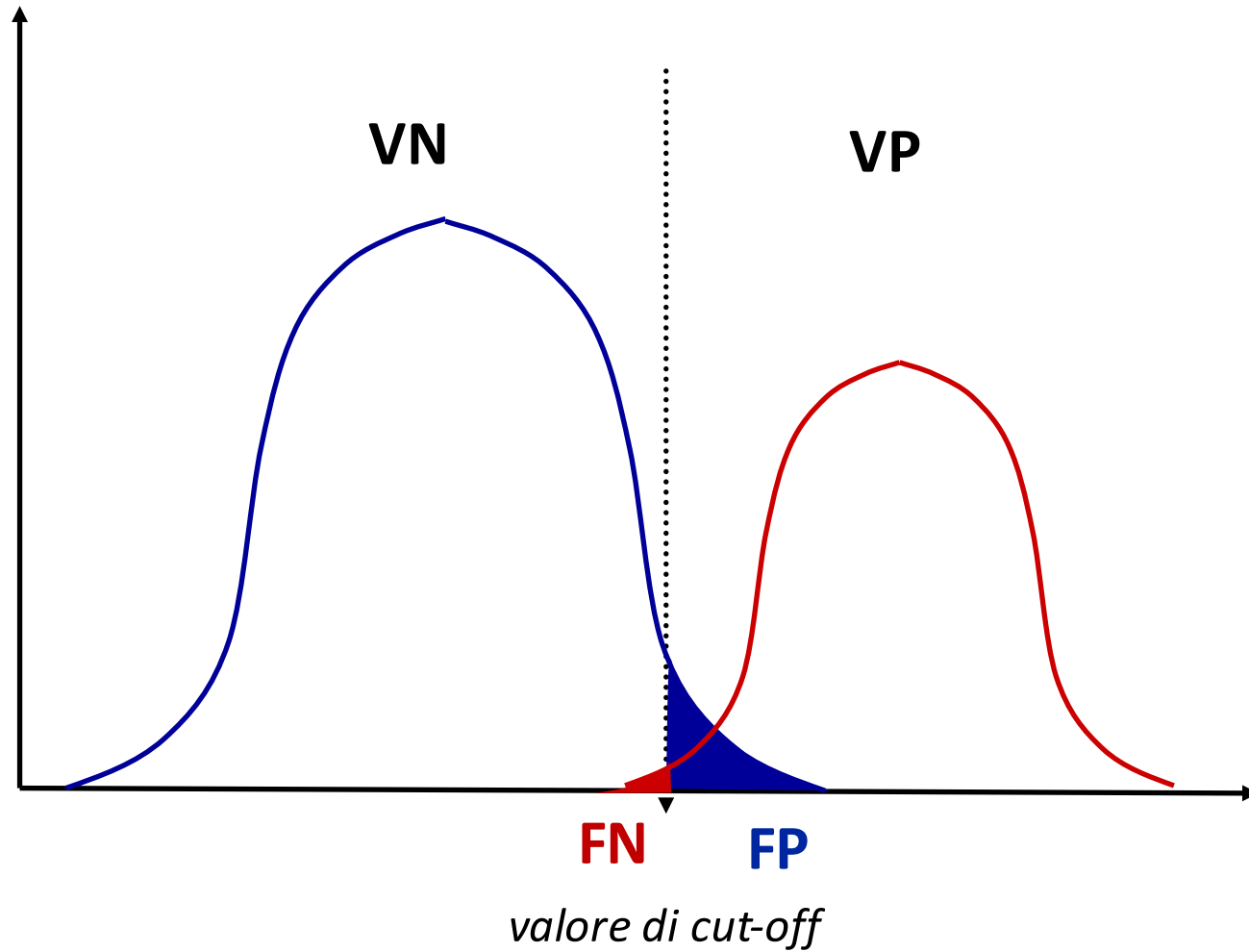




UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI DI BARI  
ALDO MORO

SCHOOL OF MEDICINE  
HYGIENE COURSE

# Aumentando la sensibilità...





UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI DI BARI  
ALDO MORO

SCHOOL OF MEDICINE  
HYGIENE COURSE

# Un vecchio proverbio diceva...

- Non si può avere la botte piena e la moglie ubriaca...