

Dall'esperienza clinica ai trial clinici controllati e ritorno

C. Zoccali

CNR Centro Fisiologia Clinica, Unità Operativa di Nefrologia, Dialisi, Trapianto e Centro dell'Iperensione Arteriosa, Azienda Ospedaliera Melacrino, Bianchi, Morelli, Reggio Calabria

Riassunto

Ci sono vari motivi per cui i trial clinici controllati sono superiori all'esperienza individuale per cogliere l'efficacia dei trattamenti ed è ormai fuori questione che i trial sono uno standard obbligatorio prima che un certo trattamento venga introdotto nella pratica clinica. Il problema è cruciale negli studi in cui si cerca di ridurre il rischio quando l'evento è raro, come nei trial farmacologici nell'ipertensione lieve-moderata. Qui la notevole diluizione degli eventi preclude al singolo osservatore di apprezzare i benefici derivanti dai farmaci sulla base della cosiddetta "esperienza personale". I trial clinici controllati sono costruiti per massimizzare la dimostrazione di efficacia dei trattamenti e per questo in tali studi vengono messe in campo tutte le misure per garantire sia la compliance dei pazienti che la qualità dei dati di outcome. Tuttavia nell'attività clinica routinaria vari fattori fanno sì che i risultati siano inferiori a quelli dei trial clinici: la compliance farmacologica è più bassa per svariati motivi e i medici sono meno motivati a mantenere una stretta sorveglianza sui pazienti. L'"explanatory analysis" è una analisi limitata ai pazienti complianti e riflette l'efficacia dei trattamenti mentre l'"intention to treat" è un'analisi in base al trattamento assegnato (piuttosto che alla reale aderenza al protocollo) che fornisce informazioni fondamentali per stimare la potenziale efficienza dei trattamenti.

PAROLE CHIAVE: Trial clinici controllati, Studi osservazionali, Sindrome uremica

From clinical experience to randomized clinical trials and back

The randomised clinical trial is now the undisputable standard for assessing treatment efficacy. The problem is a crucial one in studies dealing with rare events like cardiovascular complications in patients with mild hypertension. Here the event rate is so low that the single observer cannot in any way capture the risk reduction afforded by drug treatment. Randomised clinical trials are constructed to maximise compliance and in these studies the overall standard of medical care is superior to everyday clinical practice. Thus results from these experimental studies may not reflect the efficiency of treatments in clinical practice when they are applied on a large scale in the general population. Explanatory analysis and intention to treat analysis give complementary information on the efficacy and the efficiency of treatments being tested. (Giorn It Nefrol 2001; 18: 4-8)

KEY WORDS: Randomized controlled clinical trials, Observational studies, Uremic syndrome