

L'utilizzo dell'Intelligenza Artificiale nei Trial clinici

8 aprile 2025

• ore 9.30 - 13.00 Sede Regione Lombardia • Roma

PREMESSA

- L'Intelligenza Artificiale (IA) ha un grosso potenziale nella diagnosi e nel trattamento delle neoplasie es. ematologiche. Accanto all'uso in clinica, ne sta emergendo un altro impiego che in definitiva andrà a vantaggio dei pazienti: **assistere i ricercatori nell'organizzazione e nella gestione degli studi clinici**
- Oggi, portare sul mercato un nuovo farmaco richiede mediamente 10-15 anni e un investimento di 1,5-2 miliardi di dollari. Circa la metà del tempo e dei soldi impiegati servono per gli studi clinici (trial, in inglese) che, malauguratamente, hanno un tasso di insuccesso altissimo: solo il 10% circa delle molecole che entrano in sperimentazione clinica riceve poi l'approvazione da parte delle autorità regolatorie¹. **L'IA può essere sfruttata per migliorare il disegno e la conduzione degli studi clinici, aumentando le probabilità che abbiano un esito positivo**
- **I trial clinici** sono studi scientifici che valutano la sicurezza, l'efficacia e la tollerabilità di nuovi farmaci o terapie. Si sviluppano in più fasi: **la fase I** verifica la sicurezza del trattamento, **la fase II** ne esplora l'efficacia, mentre **la fase III** lo confronta con le cure standard.

Il tempo è denaro

- Uno dei fattori che contribuisce all'insuccesso dei trial è **la difficoltà nel reclutamento dei partecipanti**. In genere, per uno studio clinico di fase I ne servono meno di cento, per uno studio clinico di fase II qualche centinaio e per uno studio clinico di fase III qualche migliaio¹. Per potere partecipare allo studio i pazienti devono presentare precise caratteristiche (in gergo si dice che devono “soddisfare i criteri di eleggibilità”): per esempio, essere in una certa fascia di età, avere una forma della malattia più o meno severa, essere già stati trattati con qualche farmaco o viceversa non avere mai ricevuto nessun trattamento, e così via. Trovare il numero di pazienti necessario affinché l'analisi statistica dei risultati permetta di trarre delle conclusioni valide può richiedere molto tempo. **Circa un terzo degli studi di fase III fallisce proprio per problemi di reclutamento**
- **Questo “collo di bottiglia” nel flusso della sperimentazione clinica può essere eliminato con l'aiuto dell'IA.** ES. L'algoritmo classificatore è in grado, analizzando i dati demografici e medici di un paziente pediatrico affetto da leucemia, di identificare in 3-4 secondi gli studi clinici per cui quel paziente risulta eleggibile; per fare questo manualmente agli sperimentatori occorrono 8 ore
- Negli ultimi 20 anni sono state condotte oltre 87.000 sperimentazioni cliniche, molte delle quali hanno cambiato la storia del trattamento di diverse neoplasie. Uno studio pubblicato su ESMO Open - la rivista ufficiale dell'European Society for Medical Oncology - ha analizzato la diffusione globale di questi studi, rivelando una disparità allarmante: **il 76% delle nazioni non ha mai ospitato un trial clinico**. Un dato mette in luce l'urgenza di affrontare le **disuguaglianze nell'accesso alle cure anticancro**

La parola d'ordine è ottimizzare

L'IA può, partendo da dati reali di studi clinici già conclusi, creare set di dati “sintetici” con cui costruire una coorte controllo virtuale. I tre ipotetici trial potrebbero assegnare tutti i pazienti reclutati al trattamento sperimentale, confrontando questa coorte con la coorte controllo virtuale. Ciò significherebbe che:

- 1) a tutti i partecipanti sarebbe offerta la chance di **ricevere il farmaco sperimentale** (che potrebbe rivelarsi efficace);
- 2) **le tempistiche di reclutamento** si accorcerebbero
- 3) **i costi** per la sperimentazione si ridurrebbero

Partecipare a un trial clinico può essere particolarmente utile quando le terapie standard non funzionano o non garantiscono risultati soddisfacenti. Questi studi permettono **ai pazienti di accedere a trattamenti innovativi non ancora disponibili**, che potrebbero rappresentare una nuova speranza. Per la ricerca, il coinvolgimento di un numero significativo e diversificato di pazienti è fondamentale per ottenere dati affidabili e generalizzabili

RIDURRE LE DISUGUAGLIANZE: investire in infrastrutture di ricerca

- Nonostante i benefici, **partecipare a un trial clinico rimane un privilegio riservato a pochi**, a livello globale
- Lo studio pubblicato su ESMO Open ha analizzato i dati di 87.748 studi condotti tra il 2000 e il 2021, utilizzando il database ClinicalTrials.gov aggiornato a giugno 2024. I Paesi sono stati suddivisi in base al reddito, secondo la classificazione della Banca Mondiale, evidenziando profonde disparità. Il numero di trial oncologici è cresciuto significativamente nel tempo, con un aumento medio di 266 nuovi studi ogni anno. **La Cina ha registrato una crescita eccezionale, diventando leader mondiale nelle sperimentazioni di fase iniziale e di convalida**, superando gli Stati Uniti e l'Europa in termini di attività di ricerca. **I Paesi ad alto reddito continuano a mantenere la densità più elevata di sperimentazioni cliniche, grazie a infrastrutture avanzate e risorse economiche adeguate**
- Tuttavia, anche alcune economie a reddito medio-alto, come quelle del Sud-est asiatico, stanno emergendo come protagoniste, soprattutto nelle fasi precoci della ricerca. Nonostante questi progressi, il dato più preoccupante rimane il seguente: al momento dell'analisi, il 76,4% delle nazioni non aveva ancora avviato nuovi studi clinici. **Questa esclusione priva milioni di persone dell'accesso alle terapie più avanzate, alimentando un divario globale che richiede interventi urgenti per garantire equità nella ricerca oncologica**
- Questi interventi non solo favorirebbero una maggiore rappresentatività delle popolazioni nei trial clinici, ma **migliorerebbero anche l'accesso alle terapie innovative** nelle aree con maggiori necessità. Colmare il divario richiede inoltre un impegno continuo per **promuovere collaborazioni internazionali e garantire che i benefici della scienza raggiungano davvero tutti**, indipendentemente dal luogo di nascita