

DENOMINAZIONE INSEGNAMENTO / ATTIVITÀ FORMATIVA

CLINICAL RESEARCH METHODOLOGY

METODOLOGIA DELLA RICERCA CLINICA

INFORMAZIONI INSEGNAMENTO / ATTIVITÀ FORMATIVA

A.A.	2026/2027	CdS	Biotechnology for industry and Health
Codice	8068510 M_7592	Canale	unico
CFU	6 (4+2)	Lingua	Inglese

DOCENTE RESPONSABILE DELL'INSEGNAMENTO / ATTIVITÀ FORMATIVA

STEFANO VELLA

CODOCENTE

BETTY POLIKAR

Modulo: CLINICAL RESEARCH APPLICATION TO HUMAN DISEASES (2 CFU)

OBIETTIVI FORMATIVI E RISULTATI DI APPRENDIMENTO ATTESI

Italiano	OBIETTIVI FORMATIVI: Dimostrare una comprensione sistematica di un campo di studio e la padronanza dei metodi e delle capacità di ricerca all'interno di esse in conformità con i più alti standard internazionali. CONOSCENZA E CAPACITÀ DI COMPRENSIONE: Al termine del corso gli studenti dovranno avere la capacità di concepire, progettare, implementare e adattare un sostanziale processo di ricerca con integrità accademica; Aver apportato un contributo attraverso ricerche originali che estendono la frontiera della conoscenza sviluppando un corposo corpus di lavori, alcuni dei quali meritano pubblicazioni con referee nazionali o internazionali. CAPACITÀ DI APPLICARE CONOSCENZA E COMPRENSIONE: Al termine del corso gli studenti dovranno avere la capacità di concepire, progettare, implementare e adattare un sostanziale processo di ricerca con integrità accademica; Aver apportato un contributo attraverso ricerche originali che estendono la frontiera della conoscenza sviluppando un corposo corpus di lavori, alcuni dei quali meritano pubblicazioni con referee nazionali o internazionali. AUTONOMIA DI GIUDIZIO: Gli studenti dovranno acquisire la capacità di analisi critica, valutazione e sintesi di idee nuove e complesse, avendo competenze valutative; Capacità di avviare e partecipare in modo indipendente a reti di ricerca nazionali e internazionali
----------	---

	ABILITÀ COMUNICATIVE: Lo studente deve essere in grado di comunicare con i propri colleghi, la più ampia comunità accademica e con la società in generale in merito alla portata delle proprie competenze. CAPACITÀ DI APPRENDIMENTO: Promuovere all'interno di contesti professionali, l'avanzamento tecnologico, sociale o culturale in una società basata sulla conoscenza. L'obiettivo generale di questo corso è quello di spiegare i principi di base della ricerca clinica/sviluppo clinico e gli aspetti metodologici necessari per assicurare la validità dei dati generati. Dopo una panoramica sullo sviluppo della ricerca dal composto al farmaco, la prima parte del corso guiderà gli studenti alla classificazione degli studi clinici (interventistica/non interventistica), alle fasi cliniche richieste dalle autorità regolatorie e all'approfondimento dei contenuti e della struttura di uno Studio Protocollo e argomenti correlati (disegni comuni, popolazione in studio, obiettivi, endpoint, randomizzazione, accecamento). Verrà effettuata un'analisi dettagliata della Good Clinical Practice (GCP), concentrandosi sugli aspetti che hanno un impatto diretto sui processi che regolano l'implementazione del protocollo clinico. La seconda parte del corso sarà strutturata in lezioni monotematiche, che riguarderanno aree specifiche della ricerca clinica, come l'infettivologia (la storia della cura dell'HIV), l'oncologia (identità multiple e approcci multipli), le malattie cardiovascolari e rare, fornendo esempi reali sulla progettazione e l'esecuzione di sperimentazioni cliniche. Le GCPs saranno presentate facendo chiaro riferimento a tutte le leggi e regolamenti che sono legati alla loro applicazione pratica. Ulteriore focus sarà dedicato a particolari disegni di studio (adaptive design, basket studies, target therapy studies), relazione tra esiti clinici e paziente- risultati riportati (PRO), significato di efficacia ed efficacia, studi clinici su dispositivi medici e nutraceutici. Saranno inoltre introdotti principi generali di biostatistica per spiegare come finalizzare un'efficace pianificazione, raccolta, analisi e interpretazione dei dati clinici. Il corso prevede lezioni monotematiche, che riguarderanno aree specifiche della ricerca clinica, come l'infettivologia (la storia del trattamento dell'HIV), l'oncologia (identità multiple e approcci multipli), le malattie cardiovascolari e rare, fornendo esempi reali sulla progettazione e l'esecuzione di trials clinici.
English	LEARNING OUTCOMES: Have demonstrated a systematic understanding of a field of study and mastery of methods and skills of research within that field in accordance with the highest international standards. KNOWLEDGE AND UNDERSTANDING: Have demonstrated the ability to conceive, design, implement and adapt a substantial process of research with scholarly integrity; Have made a contribution through original research that extends the frontier of knowledge by developing a substantial body of work, some of which merits national or international refereed publication.

	APPLYING KNOWLEDGE AND UNDERSTANDING: Have demonstrated the ability to conceive, design, implement and adapt a substantial process of research with scholarly integrity; Have made a contribution through original research that extends the frontier of knowledge by developing a substantial body of work, some of which merits national or international refereed publication. MAKING JUDGEMENTS: Ability of critical analysis, evaluation and synthesis of new and complex ideas, having assessment competences; Ability to independently initiate and participate in national and international research networks COMMUNICATION SKILLS: Can communicate with their peers, the larger academic community and with society in general about the scope of their expertise. LEARNING SKILLS: Promote within professional contexts, technological, social or cultural advancement in a knowledge based society. The general aim of this course is to explain the basic principles of clinical research/clinical development and the methodological aspects needed to assure the validity of the data generated. Upon an overview on research development from compound to drug, the first part of the course will guide students into clinical studies classification (interventional/non interventional), clinical phases requested by regulatory authorities and in-depth examination of the contents and structure of a Study Protocol and related topics (common designs, study population, objectives, endpoints, randomization, blinding). A detailed analysis of the Good Clinical Practice (GCP) will be done, focusing on the aspects that have direct impact on the processes ruling the clinical protocol implementation. The second part of the course will be structured as monothematic lessons, which will cover specific areas of clinical research, such as infectiology (the history of HIV treatment), oncology (multiple identities and multiple approaches), cardiovascular and rare diseases, providing real examples on design and execution of clinical trials. The GCPs will be presented making clear reference to all the laws and regulations that are linked with their practical application. Further focus will be dedicated to particular study designs (adaptive design, basket studies, target therapy studies), relationship between clinical outcomes and patient-reported outcomes (PROs), meaning of efficacy and effectiveness, clinical studies on medical devices and neutraceuticals. Biostatistics general principles will be also introduced in order to explain how to finalize an effective planning, collection, analysis and interpretation of clinical data. The course will include monothematic lessons, which will cover specific areas of clinical research, such as infectiology (the history of HIV treatment), oncology (multiple identities and multiple approaches), cardiovascular and rare diseases, providing real examples on design and execution of clinical trials.
--	---

PREREQUISITI

Italiano	
English	. Very good knowledge of english language (understanding, reading, writing)

PROGRAMMA E CRONOPROGRAMMA

Italiano	Il corso comprende lezioni frontali (16 ore) basate sulle seguenti tematiche. Il modulo esplorerà come la ricerca clinica è stata applicata per far progredire la ricerca farmaceutica clinica in diverse aree della medicina umana. La progettazione e i risultati dei principali studi clinici saranno discussi nelle seguenti aree patologiche: A. Malattie oncologiche A.1. Terapie antitumorali a bersaglio molecolare (terapie bersaglio) A.2. Terapie antitumorali mirate con molecole chimiche (Small Molecule Inhibitors) R.3. Terapie antitumorali mirate basate su anticorpi monoclonali (mAbs) R.4. Chemioterapia diretta da anticorpi (ADC) R.5. Immunoterapia dei tumori R.6. Leucemie, Linfomi, Mielomi R.7. Il concetto di farmaco agnostico R.8. Diagnostica molecolare B. Terapie Avanzate (ATMP) B.1. Terapia genetica B.2. Terapia cellulare (CAR-T) C. Anticorpi monoclonali: storia, meccanismo d'azione e indicazioni indicazioni terapeutiche non oncologiche D. Malattie neurologiche E. Vaccini F. Altre aree ad alta innovatività:(HIV, COVID19, Epatite, RNA interferenza),
----------	--

English	<i>. The course consists of 16 hours of face-to-face lessons covering the following topics:</i> <i>The module will explore how clinical research has been applied to advance clinical pharmaceutical research in different areas of human medicine.</i> <i>Design and results of major clinical trials will be discussed in the following disease areas:</i> <i>A. Oncological diseases</i> <i>A.1. Molecular targeted cancer therapies (target therapies)</i> <i>A.2. Targeted cancer therapies with chemical molecules (Small Molecule Inhibitors)</i> <i>A.3. Targeted cancer therapies based on monoclonal antibodies (mAbs)</i> <i>A.4. Antibody Directed Chemotherapy (ADC)</i> <i>A.5. Immunotherapy of tumours</i> <i>A.6. Leukaemias, Lymphomas, Myelomas</i> <i>A.7. The agnostic drug concept</i> <i>A.8. Companion diagnostics</i> <i>B. Advanced Therapies (ATMP)</i> <i>B.1. Gene therapy</i> <i>B.2. Cell therapy (CAR-T)</i> <i>C. Monoclonal antibodies: history, mechanism of action and indications</i> <i>non-oncological therapeutic indications</i> <i>D. Neurological diseases</i> <i>E. Vaccines</i> <i>F. Other areas of high innovativeness: (HIV, COVID19, Hepatitis, RNA interference),</i>

TESTI ADOTTATI E BIBLIOGRAFIA DI RIFERIMENTO

Italiano	1. Principles of clinical pharmacology and drug therapy Kevin O'Shaughnessy https://doi.org/10.1093/med/9780198746690.003.0012 Published: January 2020
----------	---

	2. "Il valore dell'innovazione farmaceutica", a cura di Stefano Vella, Professore di Metodologia della Ricerca Clinica – Università Tor Vergata, Roma. Quest'opera in tre volumi, ideata come un "manuale di navigazione" in un'area estremamente complessa quale l'innovazione farmaceutica, ha l'ambizione di essere utile sia per gli addetti ai lavori sia per i meno esperti. Per chi legge, si tratterà di un viaggio che, partendo dalla descrizione delle aree terapeutiche ad alta innovatività (ma toccando anche i nuovi disegni degli studi clinici), affronterà aspetti normativi e regolatori, anche a livello europeo, per giungere infine ai nuovi modelli di valutazione dell'innovazione, per il Paziente e per la Società, e alla tematica cruciale rappresentata dall'accesso ai medicinali. Testi del Professor Vella, scaricabili gratuitamente dal sito Assobiotec: 1 Aree terapeutiche ad alta innovatività PDF, 3,43 MB 2 Azioni europee per la farmaceutica PDF, 3,10 MB 3 Nuovi modelli di valutazione e accesso PDF, 3,83 MB
English	1. <i>Principles of clinical pharmacology and drug therapy</i> Kevin O'Shaughnessy https://doi.org/10.1093/med/9780198746690.003.0012 Published: January 2020 2. "Il valore dell'innovazione farmaceutica", a cura di Stefano Vella, Professore di Metodologia della Ricerca Clinica – Università Tor Vergata, Roma. Quest'opera in tre volumi, ideata come un "manuale di navigazione" in un'area estremamente complessa quale l'innovazione farmaceutica, ha l'ambizione di essere utile sia per gli addetti ai lavori sia per i meno esperti. Per chi legge, si tratterà di un viaggio che, partendo dalla descrizione delle aree terapeutiche ad alta innovatività (ma toccando anche i nuovi disegni degli studi clinici), affronterà aspetti normativi e regolatori, anche a livello europeo, per giungere infine ai nuovi modelli di valutazione dell'innovazione, per il Paziente e per la Società, e alla tematica cruciale rappresentata dall'accesso ai medicinali. Testi del Professor Vella, scaricabili gratuitamente dal sito Assobiotec: 1 Aree terapeutiche ad alta innovatività PDF, 3,43 MB

	2 Azioni europee per la farmaceutica PDF, 3,10 MB 3 Nuovi modelli di valutazione e accesso PDF, 3,83 MB
--	---

DESCRIZIONE DELLE MODALITÀ DI SVOLGIMENTO E METODI DIDATTICI ADOTTATI

☒ In presenza ☐ A distanza

Italiano	2 ore di lezione frontale
English	Lessons by Professor Stefano Vella Duration: 2 hours

MODALITÀ DI FREQUENZA

☐ frequenza obbligatoria ☒ frequenza facoltativa

DESCRIZIONE DELLE MODALITÀ DI FREQUENZA

Italiano	
English	In person, at Biotechnology Tor Vergata facilities

MODALITÀ DI VALUTAZIONE

☐ Prova scritta ☒ Prova orale ☐ Prova di laboratorio ☐ Prova pratica
☐ Valutazione in itinere ☐ Valutazione di progetto ☐ Valutazione di tirocinio

COMPOSIZIONE DELLA COMMISSIONE VALUTATRICE

S. Vella, B. Polikar

DESCRIZIONE DELLE MODALITÀ E DEI CRITERI DI VERIFICA DELL'APPRENDIMENTO

Italiano	La valutazione si baserà su: Esame orale sul programma del corso: assegnazione di temi per seminario e domande aperte (valutazione in trentesimi). I criteri per la graduazione del voto da assegnare agli esami: Graduazione finale del voto: Non idoneo: importanti carenze e/o inaccuratezze nella conoscenza e comprensione degli argomenti; limitate capacità di analisi e sintesi, frequenti
----------	---

	generalizzazioni e limitate capacità critiche e di giudizio , gli argomenti sono esposti in modo non coerente e con linguaggio inappropriato -18-21, lo studente ha acquisito i concetti di base della disciplina, si esprime con un linguaggio complessivamente corretto e appropriato. -22-25, lo studente ha mostrato una conoscenza approfondita dei concetti di base della disciplina, integrata anche con richiami ad altre materie. Articola l'esposizione in maniera lineare utilizzando un linguaggio corretto ed appropriato. -26-29, lo studente dimostra una preparazione completa e ben strutturata. Rielabora le conoscenze con riferimenti adeguati e le applica in maniera corretta. Si esprime in maniera fluida con evidenti capacità di analisi. -30 e 30 e lode, lo studente possiede un bagaglio formativo notevole. E' in grado di utilizzare le proprie competenze per l'analisi di problemi complessi ed anche di identificare nuove applicazioni. L'esposizione è brillante, il linguaggio appropriato ed efficace.
English	<i>The final grades will be attributed according to the following criteria:</i> - <i>Not passed: important deficiencies and/or inaccuracies in the knowledge and understanding of the topics; limited capacity for analysis and synthesis, frequent generalizations and limited critical and judgment skills, arguments are presented inconsistently and with inappropriate language</i> - <i>18-21, the student has acquired the basic concepts of the discipline and is able to present these concepts with a language sufficiently correct and appropriate.</i> - <i>22-25, the student has acquired in depth the basic concepts of the discipline and is adequately able to make the connections between the various subjects. Presents linearity in the structuring of answers. The language used in answers is appropriate and correct.</i> - <i>26-29, the student has a complete and well-structured set of knowledge. He/she is able to independently apply and re-elaborate the acquired knowledge without errors. The student highlights a wealth of references and logical-analytical skills.</i> - <i>30 and 30 cum laude, the student has a complete and in-depth knowledge base. The student knows how to apply knowledge to complex cases and problems and extend it to new situations. The cultural references are rich and up-to-date. The student knows how to present his/her knowledge in a brilliant way and with perfect language properties.</i>