

DENOMINAZIONE INSEGNAMENTO / ATTIVITÀ FORMATIVA

CLINICAL RESEARCH METHODOLOGY

METODOLOGIA DELLA RICERCA CLINICA

INFORMAZIONI INSEGNAMENTO / ATTIVITÀ FORMATIVA

Biotechnology for industry and Health

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:

Approcci metodologici alla ricerca clinica

Methodological Approaches to Clinical Research

OBIETTIVI FORMATIVI E RISULTATI DI APPRENDIMENTO ATTESI

Italiano	OBIETTIVI FORMATIVI: Il corso si propone di fornire agli studenti una conoscenza approfondita dei principali approcci metodologici applicati alla ricerca clinica, con particolare attenzione alla progettazione, implementazione/conduzione e valutazione degli studi clinici/investigazioni cliniche. Si intende avviare gli studenti alla capacità di comprendere e applicare metodologie di ricerca quantitative e qualitative, interpretare criticamente i risultati scientifico-clinici, valutare la qualità delle evidenze disponibili e sviluppare un approccio metodologico rigoroso e orientato ai principi dell'evidence-based medicine e della ricerca clinica traslazionale. CONOSCENZA E CAPACITÀ DI COMPRENSIONE: Al termine del corso, lo studente avrà acquisito una conoscenza approfondita dei principi metodologici che governano la ricerca clinica e sarà in grado di comprendere il ruolo delle diverse strategie di ricerca nella produzione di evidenze scientifiche affidabili. In particolare, lo studente conoscerà: • i fondamenti epistemologici della ricerca clinica e della medicina basata sulle evidenze;
----------	--

- i principali disegni di studio, quali (ma non limitatamente a) osservazionali e sperimentali, inclusi studi randomizzati, trasversali, caso-controllo, di coorte, disegni innovativi (adaptive design, ombrella, basket, platform, No-of-1, etc);
- le fasi di pianificazione, implementazione, conduzione, monitoraggio e analisi di uno studio clinico (a partire dalla fattibilità scientifica);
- i principi di validità interna ed esterna, nonché le principali fonti di errore sistematico (bias) e di variabilità;
- i concetti fondamentali di statistica applicata alla ricerca clinica e alla valutazione delle evidenze;
- gli aspetti etici, regolatori e di qualità che disciplinano la ricerca clinica, con riferimento alle normative nazionali e internazionali;
- i criteri per la valutazione critica della letteratura scientifica e per l'interpretazione dei risultati di ricerca.

CAPACITÀ DI APPLICARE CONOSCENZA E COMPrensIONE:

Al termine del corso, lo studente avrà le basi per applicare i principi metodologici della ricerca clinica all'analisi e alla valutazione critica di studi scientifici e protocolli di ricerca clinica. In particolare, saprà identificare il disegno di studio più appropriato in relazione a specifici quesiti di ricerca, valutarne la solidità metodologica e riconoscere potenziali fonti di bias, fattori confondenti e limiti interpretativi.

Lo studente sarà a conoscenza degli strumenti che sono ad oggi a disposizione per interpretare criticamente i risultati riportati nella letteratura scientifica, valutandone la rilevanza clinica e metodologica, e di riconoscere come le scelte relative al disegno dello studio, alla selezione della popolazione, alla raccolta dei dati e ai metodi di analisi possano influenzare la qualità, l'affidabilità e la trasferibilità delle evidenze prodotte.

Tali competenze consentiranno allo studente di utilizzare in modo consapevole e rigoroso le evidenze scientifiche a supporto di decisioni cliniche, sanitarie e di ricerca, contribuendo alla progettazione e alla valutazione di studi clinici coerenti con i principi dell'evidence-based practice.

AUTONOMIA DI GIUDIZIO:

Al termine del corso, lo studente avrà le basi per formulare valutazioni autonome e criticamente argomentate riguardo alla qualità metodologica degli studi clinici e delle evidenze scientifiche disponibili. Sarà in grado di analizzare i presupposti metodologici che sottendono differenti approcci di ricerca, identificandone punti di forza, limiti e potenziali fonti di distorsione.

Lo studente saprà inoltre valutare criticamente la pertinenza e l'affidabilità dei risultati pubblicati in relazione a specifici quesiti clinici o di ricerca, distinguendo tra evidenze caratterizzate da diverso livello di robustezza metodologica. Potrà esprimere valutazioni motivate sulla trasferibilità e applicabilità dei risultati ai diversi contesti sanitari e di ricerca, integrando considerazioni scientifiche, metodologiche, etiche e regolatorie.

Tale autonomia introdurrà lo studente al percorso di contribuzione consapevole ai processi decisionali nell'ambito della ricerca clinica e dell'evidence-based practice,

	supportando l'interpretazione critica delle evidenze e la definizione di strategie di ricerca appropriate. ABILITÀ COMUNICATIVE: Al termine del corso, lo studente avrà le basi per essere in grado di comunicare in modo chiaro e rigoroso concetti, metodologie e risultati della ricerca clinica, utilizzando una terminologia scientifica appropriata. Sarà inoltre in grado di presentare e discutere criticamente evidenze scientifiche e aspetti metodologici con interlocutori specialisti e non specialisti, adattando il livello di approfondimento al contesto di riferimento. CAPACITÀ DI APPRENDIMENTO: Al termine del corso, lo studente sarà in grado di reperire, analizzare e integrare autonomamente nuove conoscenze e evidenze scientifiche nell'ambito della ricerca clinica. Sarà inoltre in grado di aggiornare continuamente le proprie competenze metodologiche attraverso la consultazione critica della letteratura scientifica e delle fonti di riferimento, sviluppando un approccio all'apprendimento permanente orientato all'innovazione e all'evoluzione delle metodologie di ricerca.
English	LEARNING OUTCOMES: <i>The course aims to provide students with in-depth knowledge of the main methodological approaches applied to clinical research, with particular focus on the design, implementation/conduct, and evaluation of clinical studies and investigations. It seeks to enable students to understand and apply quantitative and qualitative research methodologies, critically interpret scientific-clinical results, evaluate the quality of available evidence, and develop a rigorous methodological approach aligned with the principles of evidence-based medicine and translational clinical research.</i> KNOWLEDGE AND UNDERSTANDING: <i>By the end of the course, students will have acquired in-depth knowledge of the methodological principles governing clinical research and will be able to understand the role of various research strategies in generating reliable scientific evidence. Specifically, students will be familiar with:</i> <i>the epistemological foundations of clinical research and evidence-based medicine;</i> <i>the main study designs—such as (but not limited to) observational and experimental studies, including randomized, cross-sectional, case-control, and cohort studies, as well as innovative designs (adaptive, umbrella, basket, platform, N-of-1, etc.);</i> <i>the stages of planning, implementing, conducting, monitoring, and analyzing a clinical study (starting from scientific feasibility);</i> <i>the principles of internal and external validity, as well as the main sources of systematic error (bias) and variability;</i> <i>fundamental statistical concepts applied to clinical research and evidence evaluation;</i>

- the ethical, regulatory, and quality aspects governing clinical research, with reference to national and international regulations;
- the criteria for the critical appraisal of scientific literature and the interpretation of research results.

APPLYING KNOWLEDGE AND UNDERSTANDING:

By the end of the course, students will possess the foundation to apply the methodological principles of clinical research to the analysis and critical evaluation of scientific studies and clinical research protocols. Specifically, they will be able to identify the most appropriate study design for specific research questions, assess methodological soundness, and recognize potential sources of bias, confounding factors, and limitations in interpretation.

Students will be familiar with the tools currently available for the critical interpretation of results reported in scientific literature—evaluating their clinical and methodological relevance—and will understand how choices regarding study design, population selection, data collection, and analysis methods can influence the quality, reliability, and transferability of the evidence produced.

These competencies will enable students to use scientific evidence in an informed and rigorous manner to support clinical, healthcare, and research decisions, thereby contributing to the design and evaluation of clinical studies consistent with the principles of evidence-based practice.

MAKING JUDGEMENTS:

By the end of the course, students will have the foundation to form independent, critically reasoned judgments regarding the methodological quality of clinical studies and available scientific evidence. They will be able to analyze the methodological underpinnings of various research approaches, identifying their strengths, limitations, and potential sources of bias.

Furthermore, students will be able to critically evaluate the relevance and reliability of published results in relation to specific clinical or research questions, distinguishing between evidence based on varying levels of methodological robustness. They will be able to provide reasoned assessments regarding the transferability and applicability of results to various healthcare and research settings, integrating scientific, methodological, ethical, and regulatory considerations.

This autonomy will introduce the student to the process of making informed contributions to decision-making in clinical research and evidence-based practice, supporting the critical interpretation of evidence and the formulation of appropriate research strategies.

COMMUNICATION SKILLS:

By the end of the course, the student will possess the foundation to communicate clinical research concepts, methodologies, and results clearly and rigorously, using appropriate scientific terminology. They will also be able to present and critically discuss scientific evidence and methodological aspects with both specialist and non-specialist audiences, adapting the level of detail to the specific context.

LEARNING SKILLS:

By the end of the course, the student will be able to independently locate, analyze, and integrate new knowledge and scientific evidence within the field of research.

PREREQUISITI

Italiano	Solida formazione scientifica di base, attraverso la quale poter accedere a concetti metodologici complessi e di settore. Ottima conoscenza della lingua inglese (comprensione, lettura e scrittura).
English	<i>A solid foundational scientific background, enabling access to complex methodological and specialized concepts. Excellent command of the English language (comprehension, reading, and writing).</i>

PROGRAMMA E CRONOPROGRAMMA

Italiano	Il corso comprende lezioni frontali (circa 30 ore) basate sulle seguenti tematiche: • The clinical research development process • Key concepts and definitions relevant to clinical research • The basis of study design • Overview of the current designs and their application • The innovation in study design and conceptual definition of clinical research • The meaning of standardization in clinical research • Regulatory definitions of clinical phases vs practical applications • Overview of European and international research platforms and their use in clinical development • The feasibility approaches and the applicability of innovation • Protocol development and medical writing centrality • The project management in clinical research • The new frontiers in medical device development: methodology and its application • The basics of artificial intelligence and its application to medicine and research
English	<i>The course comprises lectures (approximately 30 hours) based on the following topics:</i> • <i>The clinical research development process</i> • <i>Key concepts and definitions relevant to clinical research</i> • <i>The basis of study design</i> • <i>Overview of the current designs and their application</i> • <i>The innovation in study design and conceptual definition of clinical research</i> • <i>The meaning of standardization in clinical research</i> • <i>Regulatory definitions of clinical phases vs practical applications</i> • <i>Overview of European and international research platforms and their use in clinical development</i> • <i>The feasibility approaches and the applicability of innovation</i> • <i>Protocol development and medical writing centrality</i> • <i>The project management in clinical research</i> • <i>The new frontiers in medical device development: methodology and its application.</i>

- *The basics of artificial intelligence and its application to medicine and research*

TESTI ADOTTATI E BIBLIOGRAFIA DI RIFERIMENTO

Italiano	Oltre ai testi e al materiale didattico indicati dal Prof. Vella, saranno messi a disposizione degli studenti articoli scientifici selezionati, linee guida metodologiche internazionali, documenti di consenso e revisioni sistematiche pubblicati da organismi e riviste di riferimento nel campo della ricerca clinica (es. CONSORT, STROBE, SPIRIT, EQUATOR Network, Cochrane Collaboration, <i>BMJ</i>, <i>The Lancet</i> e <i>New England Journal of Medicine</i>). Saranno inoltre utilizzate banche dati e piattaforme istituzionali quali ClinicalTrials.gov, il Clinical Trials Information System (CTIS) dell'EMA, EUDAMED e i portali informativi dell'AIFA, al fine di approfondire gli aspetti metodologici, regolatori e applicativi della ricerca clinica. Per gli aspetti di project management applicati alla ricerca clinica, saranno fornite risorse e riferimenti tratti dai framework del Project Management Institute (PMI), dalle linee guida PMBOK e da pubblicazioni dedicate alla gestione operativa di studi clinici e progetti di ricerca. Relativamente all'applicazione dell'intelligenza artificiale alla ricerca clinica e sanitaria, saranno discussi documenti e linee guida pubblicati da EMA, FDA, Commissione Europea, WHO e organismi internazionali di riferimento, nonché articoli scientifici recenti riguardanti AI, machine learning e data science in ambito clinico e regolatorio. Tali risorse consentiranno agli studenti di sviluppare competenze di ricerca documentale, valutazione critica delle evidenze, gestione dei progetti di ricerca e comprensione delle opportunità e dei limiti delle tecnologie emergenti nel contesto della ricerca clinica.
English	<i>In addition to the texts and teaching materials specified by Prof. Vella, students will have access to selected scientific articles, international methodological guidelines, consensus statements, and systematic reviews published by key organizations and journals in the field of clinical research (e.g., CONSORT, STROBE, SPIRIT, EQUATOR Network, Cochrane Collaboration, BMJ, The Lancet, and the New England Journal of Medicine). Institutional databases and platforms—such as ClinicalTrials.gov, the EMA's Clinical Trials Information System (CTIS), EUDAMED, and AIFA information portals—will also be utilized to explore the methodological, regulatory, and practical aspects of clinical research in greater depth.</i> <i>Regarding project management in clinical research, resources and references will be provided based on Project Management Institute (PMI) frameworks, PMBOK guidelines, and publications dedicated to the operational management of clinical trials and research projects. Concerning the application of artificial intelligence to clinical and health research, the course will cover documents and guidelines issued by the EMA, FDA, European Commission, WHO, and other leading international bodies, alongside recent scientific articles on AI, machine learning, and data science within clinical and regulatory contexts.</i>

	<i>These resources will enable students to develop skills in literature research, critical appraisal of evidence, and research project management, while fostering an understanding of the opportunities and limitations associated with emerging technologies in clinical research.</i>
--	--

DESCRIZIONE DELLE MODALITÀ DI SVOLGIMENTO E METODI DIDATTICI ADOTTATI

☒ In presenza ☐ A distanza

Italiano	Durata delle lezioni della Prof.ssa Polikar: 2,5 ore E' previsto l'intervento di professionisti di settore, con la supervisione della Prof.ssa Polikar, previo accordo con il coordinamento del corso. E' prevista anche la partecipazione degli studenti ad iniziative di formazione esterne al corso, individuate dalla Prof.ssa Polikar, facenti capo ad iniziative di formazione di settore riconosciute a livello locale e nazionale.
English	<i>Duration of Prof. Polikar's classes: 2.5 hours.</i> <i>Industry professionals are scheduled to participate under Prof. Polikar's supervision, subject to coordination with the course organizers.</i> <i>Students are also expected to participate in training initiatives outside the course—identified by Prof. Polikar—that are part of recognized local and national industry and academic training programs.</i>

MODALITÀ DI FREQUENZA

☐ frequenza obbligatoria ☒ frequenza facoltativa

DESCRIZIONE DELLE MODALITÀ DI FREQUENZA

Italiano	In considerazione della complessità degli argomenti trattati è incoraggiata la frequenza di non meno dell'80% delle lezioni. Nel caso di frequenza che non raggiunga la soglia ritenuta adeguata, verrà valutata l'effettiva preparazione dello studente e l'adeguatezza al sostenimento dell'esame finale.
English	<i>Given the complexity of the topics covered, students are encouraged to attend at least 80% of the classes. If attendance falls below this threshold, the student's actual level of preparation and their readiness to take the final exam will be assessed.</i>

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>Assessment will be based on an oral exam covering the course syllabus, involving the presentation of seminar topics and open-ended questions (graded on a scale of 30).</i> <i>Grading criteria</i> <i>Final grade breakdown:</i> Fail: significant gaps and/or inaccuracies in knowledge and understanding of the topics; limited analytical and synthesis skills; frequent generalizations and limited critical judgment; incoherent presentation and inappropriate language. 18-21: the student has grasped the discipline's basic concepts and expresses themselves using generally correct and appropriate language. 22-25: the student demonstrates in-depth knowledge of the discipline's basic concepts, including connections to other subjects. They present ideas clearly and logically, using correct and appropriate language. 26-29: the student demonstrates comprehensive and well-structured knowledge. They synthesize information with relevant references and apply it correctly. They express themselves fluently and demonstrate clear analytical skills. 30 and 30 cum laude: the student possesses an outstanding level of knowledge. They are able to apply their skills to analyze complex problems and identify new applications. The presentation is brilliant, and the language used is appropriate and effective.