

La ricerca da Promotori no profit in Italia

Dentro la Ricerca: la Persona prima di tutto

FADOI, Roma, 21 - 22 marzo 2018

La Ricerca Sanitaria vista dai Cittadini e dai Pazienti



Agenzia Italiana del Farmaco

Mario Melazzini

m.melazzini@aifa.gov.it

@mmelazzini



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

Dichiarazione di trasparenza/interessi*

Le opinioni espresse in questa presentazione sono personali e non impegnano in alcun modo l'AIFA

Interessi nell'industria farmaceutica	NO	Attualmente	Da 0 a 3 anni precedenti	oltre 3 anni precedenti
INTERESSI DIRETTI:				
1.1 Impiego per una società: Ruolo esecutivo in una società farmaceutica	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.2 Impiego per una società: Ruolo guida nello sviluppo di un prodotto farmaceutico	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.3 Impiego per una società: altre attività	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
2. Consulenza per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
3. Consulente strategico per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
4. Interessi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
5. Titolarità di un brevetto	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
INTERESSI INDIRETTI:				
6. Sperimentatore principale	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
7. Sperimentatore	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
8. Sovvenzioni o altri fondi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
9. Interessi Familiari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo

* **Mario Melazzini**, secondo il regolamento sul Conflitto di Interessi approvato dal CdA AIFA in data 25.03.2015 e pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale del 15.05.2015 in accordo con la policy 0044 EMA/513078/2010 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.



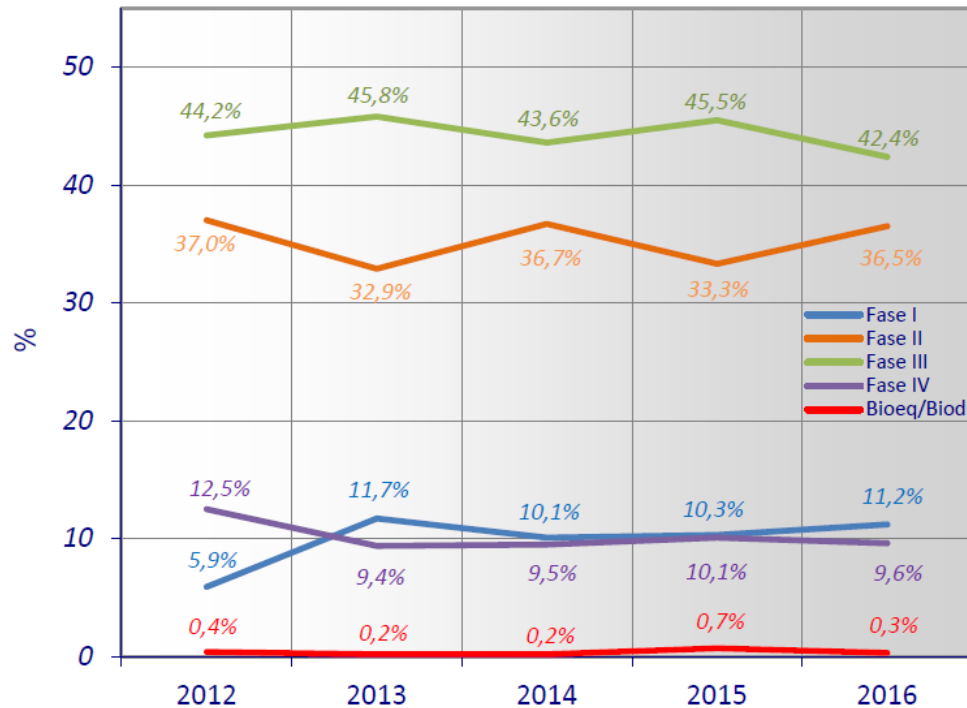
Contesto ed evoluzione dello scenario di riferimento

- **Pazienti** più informati e consapevoli;
- **Sviluppo delle conoscenze** scientifiche e tecnologiche;
- **Sostenibilità economica e “governance”** del sistema in un contesto caratterizzato da nuovi farmaci ad alto costo;
- **Garanzia** per i pazienti di un **accesso rapido** ai nuovi farmaci;



Sperimentazioni cliniche

aa:2012 - 2016



Anno	Totale
	SC
2012	697
2013	583
2014	592
2015	672
2016	660
Totale	3.204

- sensibilità nell'ascoltare le associazioni di pazienti
- coinvolgimento dei pazienti non formalizzato

Sperimentazioni cliniche: il ruolo del paziente

(il contesto internazionale)

JAMA | Special Communication

Guidelines for Inclusion of Patient-Reported Outcomes in Clinical Trial Protocols

The SPIRIT-PRO Extension

Melanie Calvert, PhD; Derek Kyte, PhD; Rebecca Mercieca-Bebber, PhD; Anita Slade, PhD;
An-Wen Chan, MD, DPhil; Madeleine T. King, PhD; and the SPIRIT-PRO Group

JAMA. 2018;319(5):483-494.

- estensori **internazionali**
- **metodo** Enhancing Quality and Transparency of Health Research (EQUATOR)
- **16** Patient Reported Outcomes (PRO)
- **risultati** della ricerca giudicati **direttamente dal paziente**
- **codifica** dell'opinione del paziente
- valutazione dello **stato di salute**, della **qualità di vita**, dei **sintomi** o dei **problemi di compliance**
- miglioramento **qualità dati clinici**
- **bisogni del paziente** al centro delle sperimentazioni

Sperimentazioni cliniche: il ruolo del paziente

(il contesto nazionale)

Legge n. 3/2018

- **codificato il coinvolgimento** dei pazienti nei trial clinici
- Art.1 comma b) *coinvolgimento delle associazioni dei pazienti nella definizione dei protocolli di ricerca*
- Art. 2.1 **Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali** per le sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano e sui dispositivi medici
- Art. 2.4 composto da un massimo di **quindici componenti**, di cui due indicati dalla Conferenza delle regioni e delle province autonome e **almeno due indicati dalle associazioni dei pazienti più rappresentative**



Sperimentazioni cliniche: il ruolo del paziente

(il contesto nazionale e europeo)

REGOLAMENTO (UE) N. 536/2014 DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO sulla sperimentazione clinica di medicinali per uso umano

Le **associazioni di pazienti** saranno coinvolte:

- definizione, in particolare per le malattie rare, dei **protocolli di ricerca**
- delle procedure di **valutazione e autorizzazione** delle sperimentazioni



Il ruolo dei pazienti nei processi decisionali delle Agenzie Regolatorie



Available online at www.sciencedirect.com

ScienceDirect

journal homepage: www.elsevier.com/locate/jval



Regulatory Decision Making in Canada—Exploring New Frontiers in Patient Involvement



Agnes V. Klein, MD, DPH¹, Stephanie Hardy, MPH¹, Robyn Lim, PhD¹, Deborah A. Marshall^{2,*}

¹Health Products and Food Branch, Health Canada, Ottawa, Ontario, Canada; ²Department of Community Health Sciences, Cumming School of Medicine, University of Calgary, O'Brien Institute for Public Health, Calgary, Alberta, Canada



Available online at www.sciencedirect.com

ScienceDirect

journal homepage: www.elsevier.com/locate/jval



Patient Preferences in Regulatory Benefit-Risk Assessments: A US Perspective



F. Reed Johnson, PhD^{1,*}, Mo Zhou, MA²



Available online at www.sciencedirect.com

ScienceDirect

journal homepage: www.elsevier.com/locate/jval



Patient-Focused Benefit-Risk Analysis to Inform Regulatory Decisions: The European Union Perspective



Axel C. Mühlbacher, PhD^{1,*}, Christin Juhnke, MA¹, Andrea R. Beyer, MPH², Sarah Garner, PhD³

¹Health Economics and Health Care Management, Hochschule Neubrandenburg, Neubrandenburg, Germany; ²Department of Epidemiology, University of Groningen, The Netherlands; ³Science Policy and Research, National Institute for Health and Care Excellence, London, UK

- ✓ Approcci quantitativi, sistematici e centrati sul paziente potranno supportare i processi e le decisioni regolatorie, e di conseguenza sulla gestione della spesa.

- ✓ Regolamento 536/2014

AIFA Ricerca indipendente

Bando 2016

Nr. protocolli presentati	343
Malattie Rare	135
Popolazioni fragili	160
Medicina di genere	48

40 studi finanziati
31.294.724 euro

Bando 2017

Nr. protocolli presentati	414
Malattie Rare	151
Malattie pediatriche	50
Medicina di genere	56
Sicurezza ed efficacia dei farmaci nelle popolazioni anziana e ultra-anziana	122
Resistenza agli antibiotici	35



Il futuro:

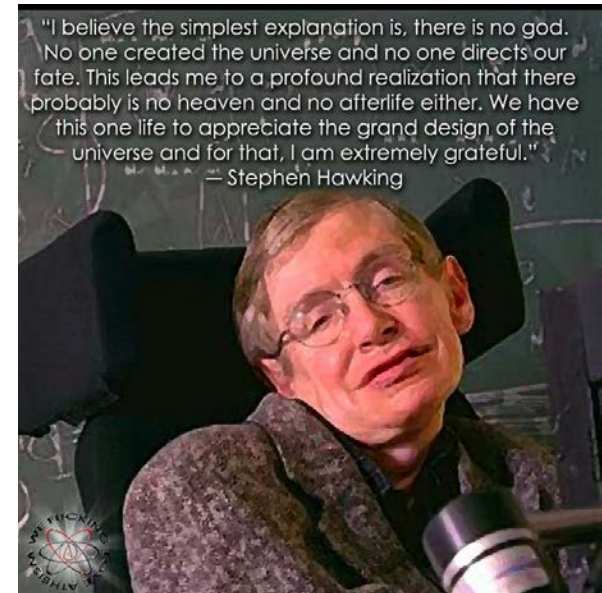
L'utile ed il funzionale per garantire risposte concrete ai bisogni dei pazienti

ogni paziente deve ricevere la terapia più appropriata, sulla base delle linee guida condivise dalla Comunità Scientifica internazionale, anche in termini di miglior rapporto costo-beneficio

"Intelligence is the ability to adapt to change"

"Ricordatevi di guardare le stelle e non i vostri piedi...Per quanto difficile possa essere la vita, c'è sempre qualcosa che è possibile fare, e in cui si può riuscire."

Stephen Hawking



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA