

AIFA e la ricerca indipendente

Sandra Petraglia

L'oncologia medica universitaria italiana tra
formazione, ricerca e assistenza
RIUNIONE NAZIONALE COMU
Modena 3 febbraio 2017



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
<i>INTERESSI DIRETTI:</i>				
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
<i>INTERESSI INDIRETTI:</i>				
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

* **Sandra Petraglia**, 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 EMA /626261/2014 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.

N.B. Per questo intervento non ricevo nessun compenso



Perché è importante la ricerca

Research is an essential component of strong health systems for informed and knowledgeable action to improve people's health and accelerate the rate of global, regional, and national development.

The Mexico Statement On Health Research - Who



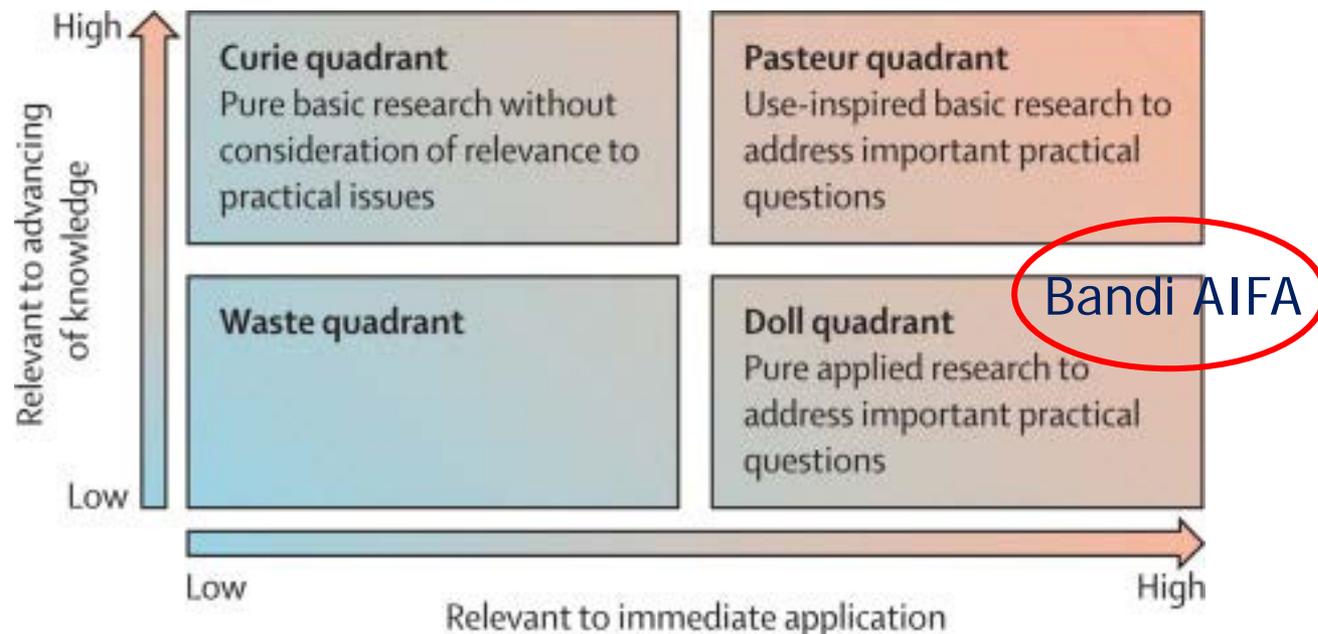
Art. 9

La Repubblica promuove lo sviluppo della cultura e la ricerca scientifica e tecnica.



Ricerca e SSN

La ricerca che risponde a quesiti rilevanti per il SSN rappresenta uno strumento di grande valore per le decisioni in sanità.



La svolta nella ricerca oncologica

- Enormi progressi negli ultimi anni
- Meccanismi alla base della formazione dei tumori
- Mezzi diagnostici veloci
- Farmaci di precisione



Challenges nella ricerca clinica oncologica

- Natura della patologia che mette in pericolo di vita

- Accesso veloce al trattamento *vs* tempo necessario per raccogliere dati per la valutazione beneficio/rischio

- Approvazioni basate su studi di fase I/II

- Differenti attività a seconda di sottogruppi di malattia

-  Necessità di biomarkers predittivi

-  Necessità di validi markers surrogati



Altre problematiche nella ricerca oncologica

- Farmaco singolo *vs* combinazioni di farmaci o approccio multidisciplinare

→ chemioterapia convenzionale \pm terapia target, immunoterapia, devices, etc.

- Gravità della malattia *vs* profilo di tossicità accettabile

- Uso *off-label* e difficoltà nella definizione dello standard

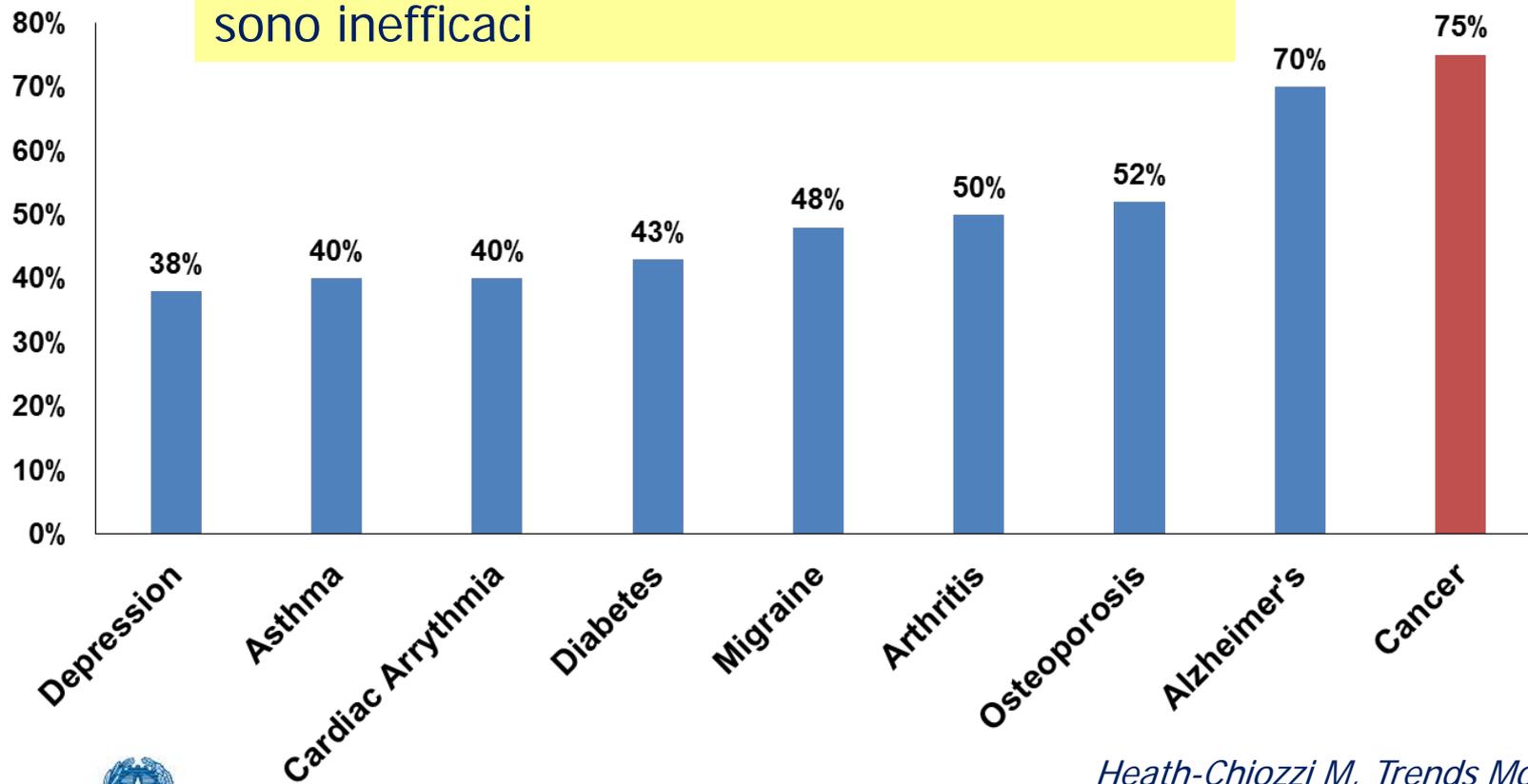
→ Più di 100 patologie/indicazioni in oncologia

→ tumori rari



Perché la ricerca oncologica deve "evolvere"

Percentuale di pazienti per i quali i farmaci sono inefficaci



Heath-Chiozzi M, Trends Mol Med 2001.



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

The Physician's Standpoint of Clinical Research in >2016: Issues to Deal With

- Evoluzione delle terapie antitumorali:
 - Da "farmaci" per una popolazione a 'magic bullets' per ciascuno individuo
 - Ottimizzazione delle terapie mediante la 'biomarker' discovery (e validazione)
 - Modifica nei tempi di "accesso al mercato" per farmaci e biomarker
- Aspettative dei pazienti
 - Influenza di Media e Web
- Peso economico dei farmaci e dei test diagnostici
 - Priorità
 - Ruolo delle politiche sanitarie



Il prezzo dei farmaci oncologici in Italia

Costo medio di una intera terapia antitumorale:

- 3.853 euro nel periodo 1995-1999
- 44.900 euro nel periodo 2010-2014



Spesa per farmaci oncologici, anni 2012-2014

Spesa	Anni			var.% ai prezzi correnti	
	2012	2013	2014	2012-2014	2013-2014
Spesa per farmaci oncologici					
v.a. in milioni di euro correnti	1.898,5	2.016,0	2.227,6	17,3	10,5
val. pro capite in euro	31,8	33,8	36,7	15,2	8,5
% sulla spesa farmaceutica pubblica	16,1	17,0	18,8	2,7 (1)	1,8 (3)

(1) Differenze tra le quote

Source: VIII Rapporto Favo, elaborazioni su dati Osmed

Su cosa puntare per il futuro?

Nel nuovo contesto competitivo globale aumenta sempre più il peso delle economie emergenti anche nelle quote relative agli investimenti in R&D

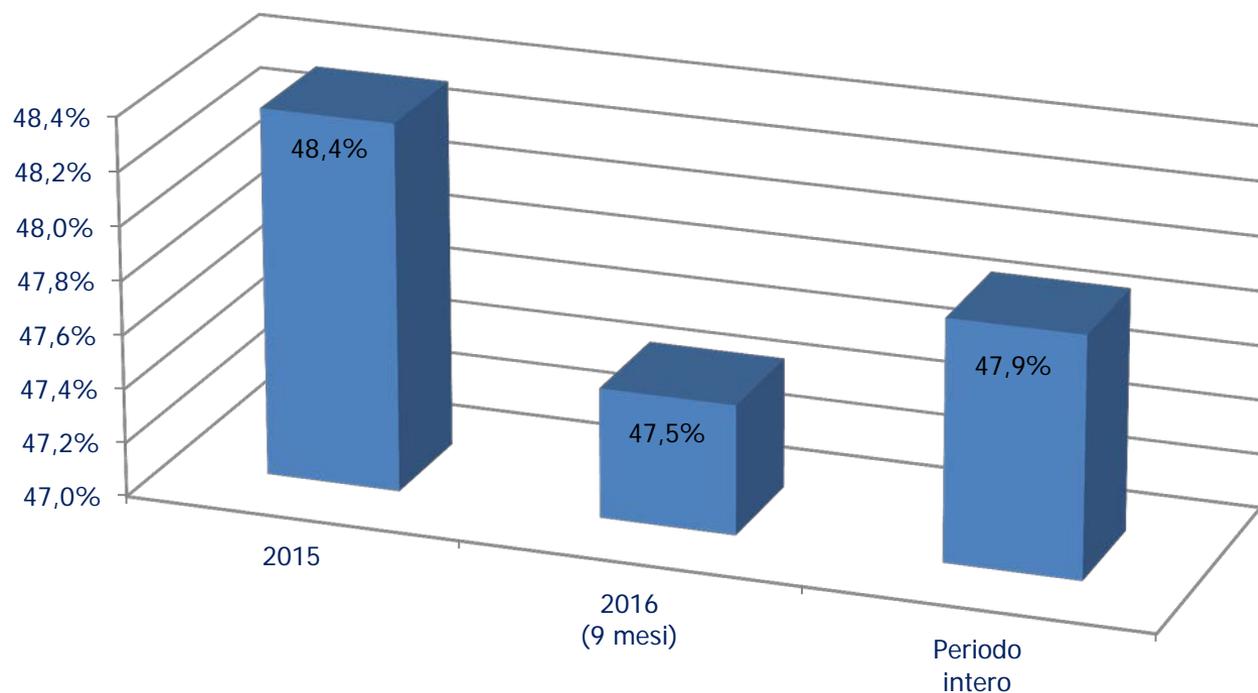
Per i nuovi farmaci serve una soluzione europea

«Mantenere» la ricerca nel proprio paese e far arrivare il farmaco al paziente

Studiare azioni mirate a sostenere la ricerca
...anche per quella indipendente (es. sgravi fiscali, trasferibilità dei risultati et cetera).



OsSC: Sperimentazioni in oncologia

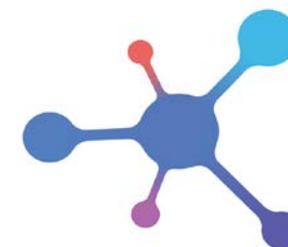


SPERIMENTAZIONI ONCOLOGICHE IN ITALIA

In base al rapporto nazionale 2016
(sperimentazioni relative all'anno
2015) in Italia

Tabella 12

Sperimentazioni per area terapeutica
SC autorizzate nel 2015: 672



La Sperimentazione Clinica
dei Medicinali in Italia

15° Rapporto nazionale
2016

Area terapeutica (classificazione MedDRA)	2015			
	SC	%	% cumulata	Δ % 2015/2014
Neoplasie	249	37,1	37,1	-1,8
Malattie del sistema nervoso	49	7,3	44,3	0,4
Malattie del sistema cardiovascolare	42	6,3	50,6	-0,2
Malattie virali	40	6,0	56,5	2,5
Malattie del sistema ematico e linfatico	35	5,2	61,8	-0,9
Malattie del metabolismo e della nutrizione	34	5,1	66,8	2,2
Malattie delle vie respiratorie	32	4,8	71,6	0,9



Agensia Italiana del Farmaco

AIFA



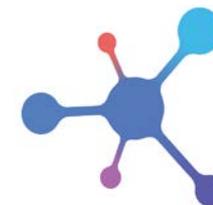
SPERIMENTAZIONI ONCOLOGICHE IN ITALIA

In base al rapporto nazionale 2016
(sperimentazioni relative all'anno 2015) in
Italia

Tabella 16

Sperimentazioni per classificazione terapeutica e fase

SC autorizzate nel 2015: 672 di cui 563 (83,8%) con ATC di almeno un farmaco in test specificato



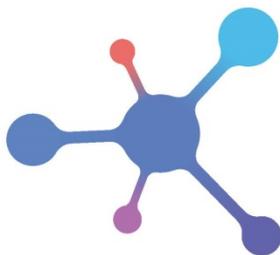
La Sperimentazione Clinica
dei Medicinali in Italia

15° Rapporto nazionale
2016

Classificazione terapeutica ATC 1° livello	SC 2015	%	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioeq / Biod	
			SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
L Antineoplastici e immunomodulatori	283	47,6	49	17,3	110	38,9	109	38,5	15	5,3	0	0,0
J Antimicrobici generali per uso sistemico	51	8,6	2	3,9	13	25,5	25	49,0	9	17,6	2	3,9
A Apparato gastrointestinale e metabolismo	46	7,7	1	2,2	16	34,8	20	43,5	8	17,4	1	2,2
N Sistema nervoso	36	6,1	2	5,6	10	27,8	20	55,6	4	11,1	0	0,0

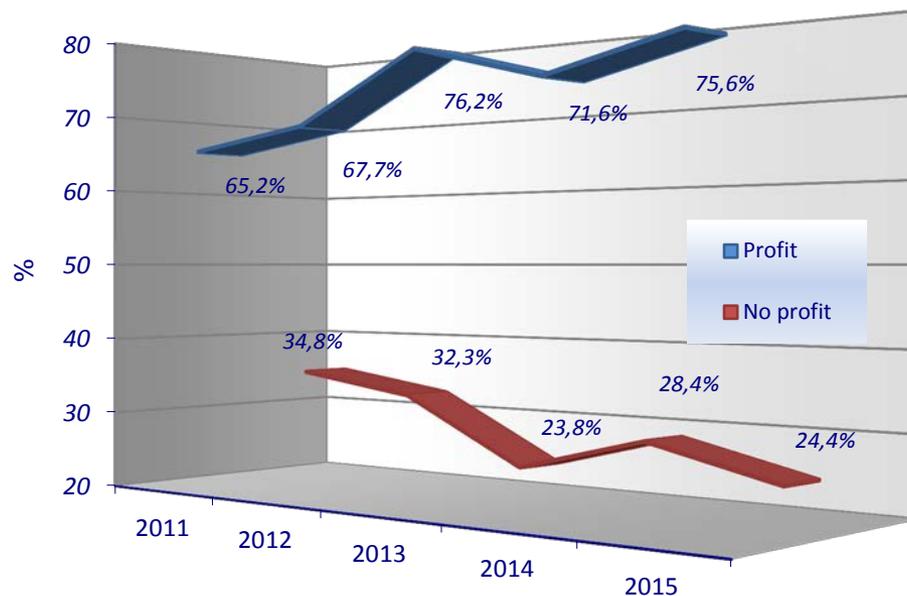


La ricerca in Italia



La Sperimentazione Clinica dei Medicinali in Italia

15° Rapporto nazionale
2016



Sperimentazioni per anno e Promotore
profit / no profit
SC quinquennio: 3.220



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

Il ruolo di AIFA nella ricerca indipendente

La ricerca clinica orientata alla pratica è finanziata dalle aziende farmaceutiche. Comunque molti quesiti di natura clinica sono considerati rischiosi o poco "economici" e quindi rimangono irrisolti.

La promozione e il finanziamento diretto della ricerca indipendente sui farmaci è uno dei compiti strategici di AIFA.



L'opportunità della ricerca indipendente

Il fondo per la ricerca indipendente AIFA:
Legge 326/2003, art. 48

Ricerca sull'uso dei farmaci e in particolare: studi clinici comparativi tra medicinali tesi a dimostrare il valore terapeutico aggiuntivo, studi su farmaci orfani, studi sull'appropriatezza e l'informazione



La Ricerca Indipendente

Strumento quotidiano di lavoro per AIFA

Strumento funzionale futuro per aumentare l'efficienza del sistema

Al fine di generare dati che in futuro impattino sul sistema sanitario in maniera positiva

In un'ottica di programmazione delle attività



La Ricerca Indipendente AIFA strumento per

studiare popolazioni e strategie terapeutiche trascurate dalla ricerca profit

dirimere incertezze su farmaci già presenti sul mercato

studiare l'incidenza di eventi avversi su ampie popolazioni

migliorare appropriatezza prescrittiva e aderenza alla terapia



Risultati della valutazione dei bandi 2005-2009

Area	Lettere di Intenti	Protocolli in II fase	Protocolli finanziati
Farmaci orfani e malattie rare (Bandi 2005-2007)	454	110 (21%)	64 (14%)
Confronti fra farmaci e strategie	565	115 (20%)	60 (11%)
Farmacoepidemiologia e appropriatezza	751	193 (25%)	83 (11%)
Totale	1770	418 (23%)	207 (12%)

Progetti finanziati: bandi 2005-2009

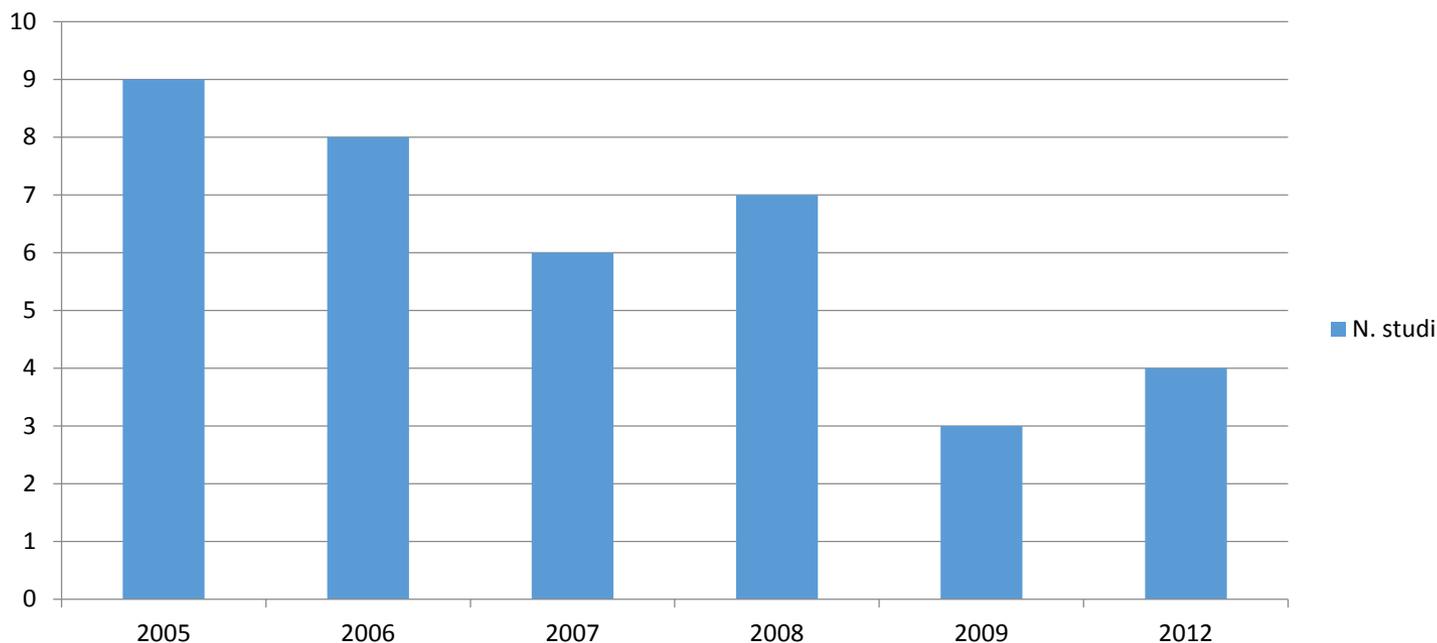
Area	2005	2006	2007	2008	2009
✓ Farmaci orfani e malattie rare	20	24*	20*	-	-
✓ Confronti fra farmaci e strategie	13	16	9	12	10
✓ Farmacoepidemiologia e appropriatezza	21	11	17	26	8
Totale progetti finanziati	54	51	46	38	18
Finanziamento stanziato (in milioni €)	35	29	13	13	7

*1 progetto nel 2006 e 1 nel 2007 non sono mai stati avviati

Bandi AIFA per la Ricerca indipendente: 2005-2012

37

Protocolli relativi a patologie oncologiche



■ N. studi



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

Bando 2012

24

Protocolli approvati

12

Milioni di euro di finanziamento

17

Studi di confronto tra farmaci e strategie terapeutiche

7

Studi di farmacoepidemiologia

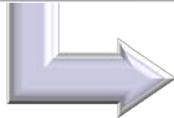
4

Malattie neoplastiche, con particolare riguardo ai tumori rari



BANDO AIFA 2016

Novità e visione dei bandi quale strumento di programmazione e indirizzo del sistema di ricerca biomedica



Approccio top down e step unico
Tre tematiche, anche interconnesse



Rigore nella conduzione dei trial e criteri stringenti per i contratti: tempi coerenti per le esigenze del SSN



Eccellenza



TEMATICHE



Malattie rare



Medicina di
genere



Popolazioni
fragili





Ricerca » Ricerca indipendente

Bando AIFA 2016 Ricerca Indipendente

Il Bando AIFA 2016 per la Ricerca Indipendente è stato pubblicato in data 20 ottobre 2016 in Gazzetta Ufficiale.

Il programma di ricerca indipendente AIFA è rivolto a tutti i ricercatori italiani di istituzioni pubbliche e non proesclusivamente le domande di partecipazione presentate secondo le modalità e linee guida definite dal bando. Nell'ambito del Bando AIFA 2016 sono identificate tre aree tematiche, su cui è possibile presentare progetti di ricerca di tipo sperimentale o osservazionale: malattie rare, popolazioni fragili e medicina di genere.

Il sistema di presentazione delle domande sarà attivo a partire dal 31/10/2016 fino alle ore 18.00 del 5/12/2016. Per l'accesso al sistema: <http://aifa.cbim.it>

Per richieste relative al bando ed alle modalità di presentazione delle domande, sono attivi, rispettivamente, i contatti per argomenti di natura scientifico-regolatoria o tecnica:

Supporto regolatorio e scientifico:

Agenzia Italiana del Farmaco

Tel. 0039 06 5978 4222 (dal lunedì al venerdì 10:00-18:00)

e-mail: ricercaindipendente@aifa.gov.it

Supporto tecnico:

Consortium Of Bioengineering and Medical Informatics

Tel. 0039 0382 528759 (dal lunedì al venerdì 9:00-18:00)

e-mail: aifa@cbim.it



Registrazione online Bando AIFA 2016 Ricerca Indipendente

[>>REGISTER/LOGIN to Reserved Area<<](#)

NOTHING TO DECLARE



Il Bando AIFA 2016: criteri di valutazione

CRITERIA	SCORE RANGE
Scientific quality, worth of the proposed research and feasibility of the objectives	1-9*
Novelty, originality and transferability	1-9*
Methodologies and development strategy of the project (detailed over the 3 years of the project), preliminary data and bibliographic references	1-9*
Merits of the applicant (general information and contact details), scientific activity (based on the curriculum vitae and publication track records presented by the applicant - 5 best articles, 5 articles related to the topic, taking into consideration the IF of the scientific journals the articles were published in, the number of citations from the publication to the request for funding, and the h-index) and the 5 latest publications. With reference to the projects involving Italian Researchers operating abroad, the data of the Italian researcher operating abroad are relevant too. Expertise of the group of researchers.	1-9*
Does this project relate to products or ideas already covered by an industrial patent by the co-financing company or otherwise subjected to the rights of a legal subject other than the corresponding Institutional Authority?	Yes/No
Overall evaluation (half page)	Text
Final score	Sum

*Maximum value=1; Minimum value=9. Scores are admitted in fractions of 0,5 points.

Il Bando AIFA per la Ricerca Indipendente 2016

E' stato pubblicato in data 20 ottobre 2016 in Gazzetta Ufficiale con scadenza 5 dicembre 2016

Destinato a soggetti pubblici e no-profit

<http://www.aifa.gov.it/it/node/20588>



BANDO AIFA 2016



Il bando ha fatto tesoro di quanto imparato con le esperienze dei bandi precedenti

Studi che producano risultati utilizzabili e trasferibili a chi fa programmazione in ambito sanitario

Per migliorare appropriatezza prescrittiva e aderenza alla terapia



BANDO AIFA 2016 E RICERCA ONCOLOGICA

343

Protocolli presentati

27

Tumori rari (2 con caratteristiche di genere o popolazione fragile)

13

Oncologia in popolazioni fragili (3 con caratteristiche di genere)

12

Oncologia e genere

5

Oncologia - miscellanea



In parallelo

Progetto di ricerca AIFA per valutare quanto effettivamente gli studi di ricerca indipendente finanziati da AIFA fino ad oggi abbiano impattato sulla pratica clinica



In parallelo

Advice scientifico a ricercatori impegnati
nella ricerca indipendente

Attività di formazione dedicata agli
sperimentatori no profit



Partnership pubblico-privata



Possibilità di fornitura di farmaci rimborsati dal SSN nel caso in cui sia prevista una modalità di confezionamento finalizzata a una somministrazione "in cieco"



Possibilità di fornitura di farmaci utilizzati per indicazioni diverse da quelle autorizzate



Possibilità di co-finanziamento da parte di aziende o enti pubblici e privati in valutazione

