

CARE

costi dell'assistenza e risorse economiche

2

RICERCA FARMACEUTICA E PARTECIPAZIONE DEI PAZIENTI

A colloquio con **Mario Melazzini**

Presidente dell'Agenzia Italiana del Farmaco

Presidente, vuole descrivere brevemente il lungo percorso della ricerca per giungere all'approvazione di un nuovo farmaco?

Arrivare alla scoperta di un nuovo medicinale è un percorso lungo e difficoltoso, che richiede numerose indagini e sperimentazioni preliminari. La molecola chimica che aspira a diventare un farmaco è sottoposta a una lunga serie di studi, condotti prima in laboratorio e su animali e poi sull'uomo. Queste ricerche si articolano in diverse fasi: studi 'in vitro' e 'in vivo' sugli animali (sperimentazione preclinica) e studi cosiddetti di fase 1, di fase 2 e di fase 3 eseguiti sull'uomo (sperimentazione clinica). Se in laboratorio si è appurato che la molecola possiede potenziali effetti terapeutici, si può passare alla sperimentazione sugli animali (studi 'in vivo'). Soltanto quando la molecola dimostra di essere efficace e sicura anche sulle cavie animali è possibile passare alla sperimentazione clinica sull'uomo. La fase 1 della sperimentazione del principio attivo sull'uomo ha lo scopo di fornire una prima valutazione della sicurezza e tollerabilità del medicinale. Nello studio di fase 2 (definito anche terapeutico-esplorativo) comincia ad essere indagata l'attività terapeutica del potenziale farmaco, cioè la sua capacità di produrre sull'organismo umano gli effetti curativi desiderati. Per capire quanto il farmaco sia efficace, quali benefici in più garantisca rispetto ai farmaci simili già in commercio e con quale rapporto tra rischio e beneficio, si passa allo studio di fase 3 (o terapeutico-confermatore), con centinaia o migliaia di pazienti.

segue a pag 2

Anno 18 Marzo-Aprile
2016

Care nasce per offrire a medici, amministratori e operatori sanitari un'opportunità in più di riflessione sulle prospettive dell'assistenza al cittadino, nel tentativo di coniugare – entro severi limiti economici ed etici – autonomia decisionale di chi opera in Sanità, responsabilità collettiva e dignità della persona.

Dalla letteratura internazionale	4
Dossier COME GESTIRE AL MEGLIO IL DOPO INFARTO	13
ONCOFERTILITÀ: UNA SCUOLA DI ALTA FORMAZIONE	17
Parole chiave MEDICINA DI PRECISIONE	19
L'angolo della SIF	21
L'angolo della SITeCS	24
L'angolo dell'ANMDO	26
Confronti	28

www.careonline.it



Il Pensiero Scientifico Editore

Ritaglio stampa ad uso esclusivo del destinatario, non riproducibile.

Incontri



Dopo aver ricoperto importanti incarichi clinico-dirigenziali, Mario Melazzini nel 2012 è diventato Assessore alla Sanità della Regione Lombardia e successivamente Assessore alle Attività produttive, ricerca e innovazione, ruolo che ha ricoperto fino a gennaio 2016 quando è stato nominato Presidente dell'Agenzia Italiana del Farmaco. Nel 2003 gli è stata diagnosticata la sclerosi laterale amiotrofica e da allora è iniziato anche il suo impegno a favore dei pazienti affetti da SLA. Già Presidente nazionale di AISLA Onlus e di AriSLA, e poi Segretario Nazionale FISH (Federazione Italiana Superamento Handicap), attualmente è Presidente della Fondazione Aurora Onlus del Centro Clinico Nemo Sud presso la AOU di Messina e Direttore Scientifico di Fondazione Serena Onlus presso l'Azienda Ospedaliera Niguarda di Milano.

Solo quando il nuovo farmaco ha dimostrato di avere un'efficacia sufficiente in rapporto agli eventuali rischi, tutti i dati derivati dalle valutazioni precliniche e cliniche sono raccolti in un dossier che viene sottoposto all'AIFA per richiederne la registrazione e l'autorizzazione alla commercializzazione.

Quale ruolo hanno svolto in passato i pazienti in questo percorso e quali cambiamenti sono avvenuti nel corso del tempo rispetto alla loro partecipazione?

Per molto tempo la centralità del paziente nel percorso di ricerca e di cura non è stata riconosciuta e i malati venivano considerati solo come i destinatari finali e non come i protagonisti. Oggi le cose sono molto cambiate, tanto da consentirci di dire che siamo di fronte a una vera rivoluzione paziente-centrica, che si riflette anche nel rapporto tra medici e pazienti, sempre più caratterizzato da una forte relazione di fiducia e di condivisione delle scelte.

Le stesse Agenzie regolatorie hanno mostrato un crescente interesse nel coinvolgere il paziente e favorirne la partecipazione alle attività connesse a tutto il ciclo di vita dei farmaci, dalla fase di sviluppo precoce attraverso la valutazione fino alla sorveglianza post-commercializzazione.

Se facciamo riferimento all'Agenzia Europea dei Medicinali (EMA), ad oggi i rappresentanti dei pazienti sono sempre più coinvolti nei tavoli tecnici con gli altri stakeholder, nella definizione dei piani di sviluppo clinico, in molte commissioni e gruppi di lavoro (COMP-CAT-PRAC) e anche nel management board dell'Agenzia.

Come Agenzia Italiana del Farmaco abbiamo

stretto un accordo importante con l'European Patients' Academy on Therapeutic Innovation (EUPATI) e abbiamo promosso diverse iniziative concrete di ascolto e interazione con i pazienti, proprio per condividere con loro il percorso di attribuzione e riconoscimento di validità a una determinata molecola dal punto di vista target terapeutico in un'ottica non solo propositiva, ma partecipativa e proattiva del paziente rispetto al percorso decisionale.

Quali caratteristiche deve avere il paziente per essere coinvolto in questo processo?

Il paziente deve essere prima di tutto consapevole del proprio limite e accettare di essere informato e formato con il supporto della comunità scientifica e delle associazioni dei pazienti. Queste ultime giocano senza dubbio un ruolo prioritario nell'aiutare pazienti e familiari a controllare l'emotività che emerge di fronte alla difficile sfida di dover affrontare una grave patologia, emotività che può essere foriera di percorsi accelerati o di decisioni avventate. L'aiuto di istituzioni e associazioni si concretizza quindi coinvolgendo direttamente i pazienti in un percorso di informazione e formazione non solo per quanto concerne la risposta terapeutica a una determinata patologia, ma anche e soprattutto per quanto riguarda la risposta assistenziale che ogni paziente ha diritto di ottenere.

Solo un paziente esperto, coinvolto, preparato e competente è in grado sia di partecipare attivamente al processo di ricerca e sviluppo dei farmaci sia di esercitare al meglio i propri diritti, ad esempio discutendo con il medico le decisioni

CARE

Costi dell'assistenza e risorse economiche

Direttore Responsabile
 Giovanni Luca De Fiore

Redazione
 Antonio Federici (editor in chief)
 Cesare Albanese, Giancarlo Bausano
 Mara Losi

Stampa
 Ti Printing srl - Roma

Progetto grafico ed impaginazione
 Doppiosegno snc - Roma

Fotografie: ©2016ThinkstockPhotos.it

Registrazione del Tribunale di Roma
 n. 00472/99 del 19 ottobre 1999
 Periodicità bimestrale.
 Finito di stampare maggio 2016

Il Pensiero Scientifico Editore
 Via San Giovanni Valdarno 8
 00138 Roma

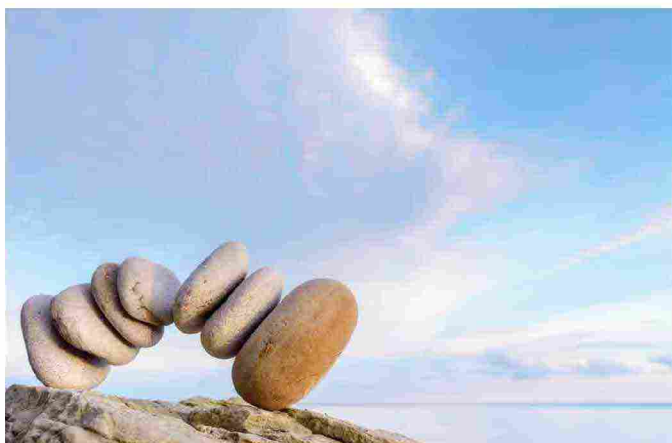
E-mail: info@careonline.it
 Internet://www.careonline.it

Abbonamenti 2016
 Individuale: euro 90,00
 Istituzionale: euro 120,00

L'editore garantisce la massima riservatezza dei dati relativi agli abbonati e la possibilità di richiedere gratuitamente la rettifica o la cancellazione scrivendo a:
 Il Pensiero Scientifico Editore
 Ufficio Promozione
 Via San Giovanni Valdarno 8
 00138 Roma
 (legge 675/96 tutela dati personali)

I diritti di traduzione, di memorizzazione elettronica, di riproduzione e di adattamento totale o parziale con qualsiasi mezzo (compresi i microfilm e le copie fotostatiche) sono riservati per tutti i Paesi.
 La violazione di tali diritti è perseguibile a norma di legge per quanto previsto dal Codice penale.

Incontri



che riguardano la sua salute e che incideranno sulla sua qualità di vita.

Quali nuove sfide attendono sia l'Agenzia Italiana del Farmaco, in quanto protagonista attiva nei processi di ricerca e sviluppo dei nuovi farmaci, sia le Associazioni dei pazienti rispetto al ruolo più attivo e responsabile svolto dai pazienti nei percorsi decisionali?

Una sfida è sicuramente rappresentata dalla consapevolezza da parte delle persone malate, e quindi delle Associazioni che le rappresentano, dell'importanza di fare corretta informazione anche sui tempi necessari alla ricerca per portare al livello del paziente una nuova terapia. Si tratta di un percorso che non ammette scorciatoie, rispetto al quale le Associazioni di pazienti a livello istituzionale possono svolgere un importante ruolo propositivo e di pungolo, mettendo in campo gli strumenti necessari per facilitare e accelerare l'approvazione di un nuovo farmaco affinché la filiera della ricerca possa essere il più veloce possibile, garantendo comunque sempre la massima qualità, sicurezza ed efficacia di ciò che viene utilizzato dal paziente. AIFA sta facendo la sua parte per rispondere alle nuove aspettative dei pazienti con la creazione dei fast track, percorsi privilegiati sia nella sperimentazione che nell'immissione in commercio dei farmaci che curano malattie fino ad oggi incurabili, senza imboccare però strade pericolose. Anche l'Europa si è mossa nella stessa direzione, favorendo l'attività di precommercializzazione e

di sorveglianza stretta nella fase di postcommercializzazione di alcune nuove molecole. Ecco, questa è la sfida futura: corretta informazione (non più dottor Google, questa è la cosa più importante) e ruolo responsabile delle Associazioni dei pazienti e dei pazienti stessi perché quando questi ultimi assumono un maggiore controllo delle loro decisioni ed esigenze sanitarie, inevitabilmente spingono il sistema sanitario a cambiare e migliorare, oltre che l'industria a muoversi verso lo sviluppo di strategie che soddisfino le loro esigenze e aspettative.

Presidente, un'ultima domanda sull'annuncio di un prossimo bando sulla ricerca indipendente, che sarà lanciato dopo l'estate e che prevederà uno stanziamento di 48 milioni di euro. Quali aspettative riponete in questa iniziativa?

Il programma per la ricerca indipendente, condotto in Aifa dal 2005 al 2009 e poi interrotto, ricomincerà dal Bando già approvato per il 2012, per il quale ho portato in Consiglio di amministrazione le proposte di finanziamento dei progetti già approvati, e continuerà con il nuovo Bando 2016, previsto per dopo l'estate.

Personalmente mi sono ripromesso di far rispettare ogni anno questa scadenza, perché la ricerca indipendente dell'Agenzia è fondamentale sia nell'indagare aree terapeutiche altrimenti non di interesse della ricerca profit sia come strumento quotidiano di programmazione sanitaria, poiché genera dati in grado di intercettare i bisogni di salute del nostro Paese. In questo senso rappresenta un'opportunità importante di razionalizzazione delle risorse e di governo dell'offerta sanitaria, migliorandone l'efficienza.

Considerando però che le risorse pubbliche per la ricerca sono poche, occorre poter puntare sull'interazione tra pubblico e privato, ma anche su una sinergia tra i vari enti per evitare che le risorse vengano disperse e nello stesso tempo porre paletti più stringenti sull'erogazione dei fondi, sui tempi di avvio e sulla conduzione degli studi, e sulla pubblicazione dei loro risultati.

Se questi aspetti non dovessero essere rispettati, contrariamente a quanto avvenuto in passato, chiederemo la restituzione dei fondi assegnati, perché non possiamo permetterci di sprecare un solo euro. ■ ML