

*Change management nella Ricerca clinica in Italia:  
opportunità per i pazienti, per i ricercatori, per le  
imprese e per la competitività del Paese alla luce del  
Regolamento 536/2014 e della Legge n.3/2018*

## **Fattori di attrattività e di competitività per la ricerca clinica**

**Maurizio de Cicco, Vice Presidente Farmindustria**

Milano, 12 febbraio 2018



FARMINDUSTRIA

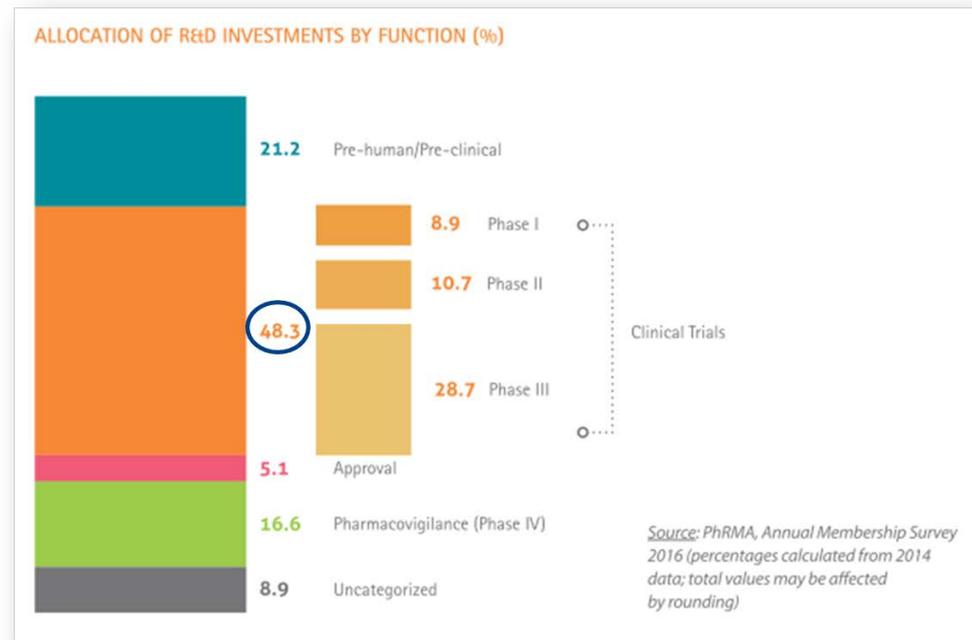
---

# R&S dei farmaci: passo fondamentale per innovare la terapia e rispondere ai bisogni di salute

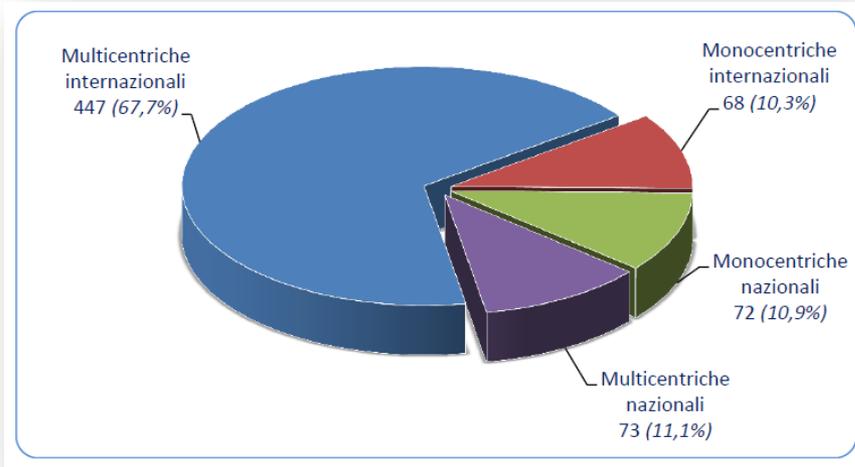
## Sperimentazione clinica:

il processo di maggiore criticità nello sviluppo del farmaco per diversi motivi:

- complessità
- impegno economico
- importanza delle informazioni generate
- numero dei ricercatori
- numero dei pazienti coinvolti



# Promuovere e incentivare la sperimentazione clinica è interesse primario di ogni Paese



Fonte: OsSC AIFA 2017

## L'Italia parte bene

Il contributo del nostro Paese alla ricerca europea rimane solido e vede un incremento dal 17,2% (2015) al **20,3%** (2016)

Nell'attuale contesto globale e competitivo, tale sviluppo deve essere condotto attraverso una serie di sinergici interventi condivisi e coordinati tra i diversi attori, orientati a **migliorare attrattività e competitività**

Sperimentazioni per anno: confronto Unione Europea – Italia (quinquennio)

Anno	SC in UE *	SC in Italia **	% Italia / UE
2012	3.943	697	17,7
2013	3.383	583	17,2
2014	3.249	592	18,2
2015	3.918	672	17,2
2016	3.255	660	20,3

\* numero di studi caricati nel sistema europeo

\*\* numero di studi autorizzati dall'Autorità competente



# Grazie all'impegno delle imprese e alle *partnership* pubblico privato

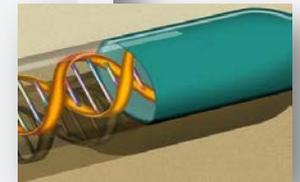
€ 1,5 miliardi investiti in R&S

+20% negli ultimi 3 anni  
17% del valore aggiunto (16 volte media)  
+95% per la R&S in partnership negli ultimi 5 anni  
(«open innovation»)  
Primo posto per quota di imprese innovative  
e investimenti in innovazione per addetto



Specializzazione per farmaci biotech,  
vaccini, emoderivati,  
farmaci orfani, terapie avanzate

Oltre 300 prodotti biotech in sviluppo  
3 terapie avanzate su 6 autorizzate in Europa  
sono italiane



Ruolo crescente per gli studi clinici  
(€ 700 milioni all'anno)

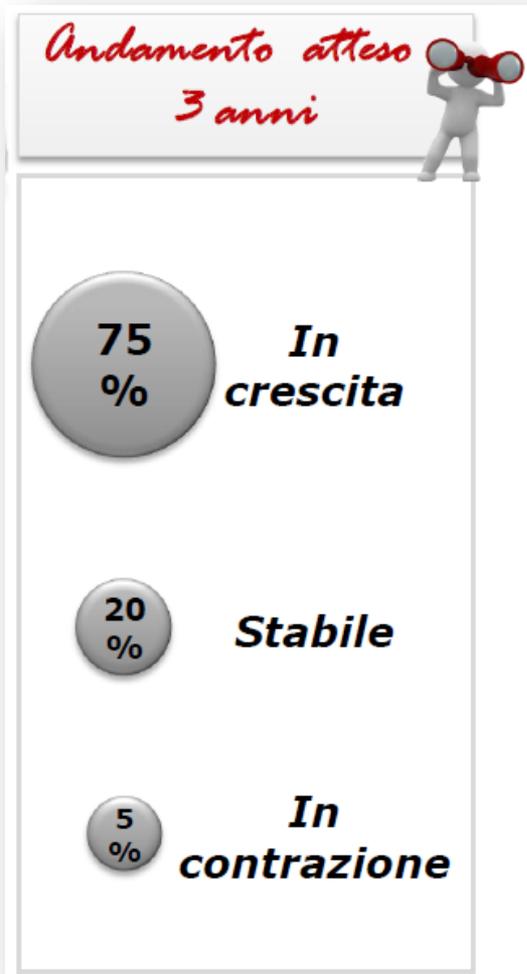
+14% nell'ultimo anno  
25% del totale sulle malattie rare  
32% del totale su farmaci biotech



Fonte: Farmindustria, Istat, AIFA

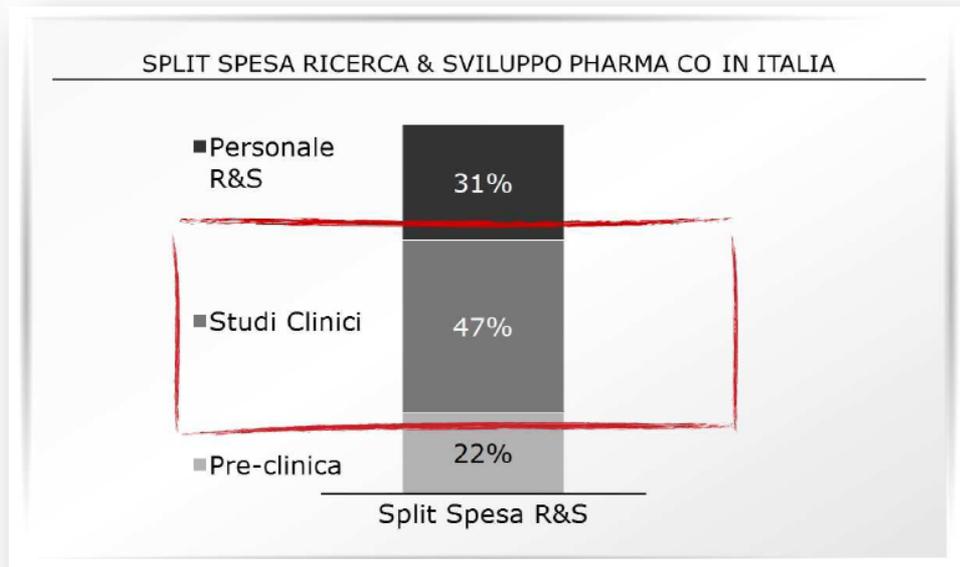


# E si può fare ancora meglio: le aziende farmaceutiche sono pronte a investire di più!



**Innovazione** farmaceutica del prossimo futuro: le aziende dichiarano una forte propensione ad incrementare il proprio impegno

Oltre il 75% degli intervistati prevede che gli investimenti in ricerca e sviluppo cresceranno nei prossimi 3-5 anni a tassi significativi



# In un contesto internazionale che vede l'Italia ai primi posti per le eccellenze scientifiche

**Posizione dell'Italia per qualità delle pubblicazioni scientifiche su oltre 200 Paesi (media delle posizioni rispetto a citazioni, H-index)**



	1°	2°	3°	4°	5°
<b>Medicina</b> (tutte le discipline)					
<b>Oncologia</b>					
<b>Cardiologia e cardiovascolare</b>					
<b>Neurologia</b>					
<b>Farmacologia</b>					
<b>Drug discovery</b>					



# I principali determinanti della competitività e della attrattività (1)

## Criteria adottati dalle imprese per la selezione dei Paesi e dei centri in cui condurre i trial



<b>1. Dimensioni del Mercato</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• <i>Popolazione</i></li><li>• <i>Incidenza delle patologie</i></li><li>• <i>Consistenza obiettivi di reclutamento</i></li><li>• <i>Dimensione del mercato (domanda)</i></li></ul>
<b>2. Efficienza</b>	
a. Pianificabilità	<ul style="list-style-type: none"><li>• <i>Costanza, standardizzazione e certezza dei tempi di risposta dei diversi Centri nel Paese</i></li><li>• <i>Percentuale di centri attivi negli studi ma non arruolanti</i></li><li>• <i>Capacità di arruolamento dei centri</i></li></ul>
b. Tempestività	<ul style="list-style-type: none"><li>• <i>Start up duration: tempi complessivi di attivazione dei Centri coinvolti nel Paese</i></li><li>• <i>Tempi di reclutamento pazienti</i></li></ul>
c. Qualità del Dato	<ul style="list-style-type: none"><li>• <i>Costi del data cleaning</i></li><li>• <i>Queries</i></li><li>• <i>Dati non valutabili</i></li></ul>
d. Costi	<ul style="list-style-type: none"><li>• <i>Costo della gestione della sperimentazione</i></li><li>• <i>Costo per paziente</i></li></ul>



# I principali determinanti della competitività e della attrattività (2)

## Criteria adottati dalle imprese per la selezione dei Paesi e dei centri in cui condurre i trial



<b>3. Qualità</b>	
a. Risorse	<ul style="list-style-type: none"><li>• <i>Qualità della produzione scientifica</i></li><li>• <i>Esperienza dello staff</i></li><li>• <i>Meccanismi di coinvolgimento dello staff nello studio</i></li><li>• <i>Reputation e competenze dello sperimentatore principale</i></li><li>• <i>Proattività sperimentatore principale</i></li></ul>
b. Strutture	<ul style="list-style-type: none"><li>• <i>Qualità nelle cure</i></li><li>• <i>Qualità nella gestione dei documenti fonte</i></li><li>• <i>Location</i></li><li>• <i>Coordinamento tra sperimentatori e Comitato Etico</i></li></ul>
c. Meccanismo Operativi	<ul style="list-style-type: none"><li>• <i>Aderenza al protocollo</i></li><li>• <i>Raccolta consenso informato</i></li><li>• <i>Registrazione Eventi Avversi</i></li></ul>
d. Gestione del Farmaco	<ul style="list-style-type: none"><li>• <i>Procedure di gestione del farmaco: conservazione, dispensazione</i></li><li>• <i>Adeguatezza strutturale della farmacia</i></li></ul>



# La risposta positiva delle Istituzioni verso il riassetto e la riforma della sperimentazione clinica



Farindustria ha partecipato al Tavolo sulla **Ricerca Clinica**:

- Progetto *Fast Track*
- Standardizzazione Contratto per la Sperimentazione Clinica dei Farmaci e dei Dispositivi Medici



Farindustria ha partecipato al Tavolo su regolazione del mercato e strategie industriali nel **settore farmaceutico**



Farindustria e AIFA hanno redatto un **documento congiunto** dal titolo 'Considerazioni e proposte in materia di Ricerca clinica'



# Per sostenere la competitività e favorire l'attrattività è necessario superare alcune criticità 'di contesto' che rallentano il percorso della R&S in Italia

## Istituzioni centrali e territoriali

L'Autorità regolatoria ha già avviato un percorso virtuoso in grado di:

- Migliorare l'interazione con le imprese e con i CE
- Incrementare le risorse umane
- Ottimizzare il sistema informatico
- Ridurre/annullare i ritardi nella validazione delle domande e nella valutazione dei protocolli e degli emendamenti



**Le Amministrazioni locali dovrebbero organizzarsi al meglio per:**

- Eliminare la variabilità nelle richieste per la documentazione (consenso informato, assicurazione, contratto, etc)
- Annullare i ritardi nella firma degli accordi contrattuali
- Produrre in tempo utile le certificazione di idoneità dei centri



# E adeguarsi alle *best practices* internazionali

## Approvazione etico-scientifica e conduzione dei trial

### I Comitati etici dovrebbero attivarsi in tempi brevi per:

- Completare la riorganizzazione e il riordino (max 40 CE, come previsto dalla Legge 3/2018)
- Ottimizzare le infrastrutture informatiche
- Formalizzare le procedure e stabilire in 'modo competitivo' la frequenza delle riunioni
- Annullare i ritardi nelle approvazioni



### I Centri clinici dovrebbero:

- Ricevere fondi sufficienti per le attività sperimentali
- Implementare il personale qualificato per la gestione e la conduzione della ricerca
- Migliorare il reclutamento dei pazienti e il mantenimento di quelli arruolati
- Ottimizzare le infrastrutture tecniche e informatiche
- Promuovere la formazione
- Rendere più efficienti i CTC/CTO



# La nuova normativa sui clinical trial

**LEGGE 11 gennaio 2018, n. 3**

Delega al Governo in materia di sperimentazione clinica di medicinali nonché disposizioni per il riordino delle professioni sanitarie e per la dirigenza sanitaria del Ministero della salute. (18G00019) (GU Serie Generale n.25 del 31-01-2018)

note: **Entrata in vigore del provvedimento: 15/02/2018**



## Strumento di fondamentale importanza per favorire la competitività e l'attrattività del 'Sistema Paese' per la ricerca e lo sviluppo clinico dei Farmaci

Il Governo è delegato ad adottare, entro dodici mesi dalla data di entrata in vigore della Legge, uno o più decreti legislativi per il riassetto e la riforma delle disposizioni vigenti in materia di sperimentazione clinica dei farmaci.

Tra le principali tematiche oggetto della revisione da parte del Governo: **semplificazione, contenuti del contratto, normative studi clinici no profit, informatizzazione**, etc.

Tra le principali tematiche oggetto della revisione da parte del Ministero della Salute, da realizzare attraverso decreti ministeriali entro 30-60 giorni dall'entrata in vigore della legge: **requisiti minimi dei centri clinici, Centro di coordinamento nazionale dei Comitati etici, Comitati etici territoriali, tariffa unica, medicina di genere**, etc.)



# Attrattività e competitività per la ricerca clinica: grande attenzione in ambito europeo

**efpia**

European Federation of Pharmaceutical  
Industries and Associations

**Enhancing Clinical Trials in Europe**

Board – 30 January 2018 – Agenda item 3

Garantire all'Europa una **posizione leader** per la localizzazione della sperimentazione clinica dei farmaci e contribuire così allo sviluppo scientifico, sociale ed economico dell'Unione europea.



Finalità da perseguire attraverso:

- la facilitazione dell'**accesso dei pazienti ai trial**;
- l'incremento della percentuale dei **pazienti arruolati con successo**;
- l'aumento della **reputazione industriale** per le attività di sviluppo clinico.



**AIFA**

Un impegno del genere non può prescindere da:

- una **visione paziente-centrica** della ricerca sui farmaci (coinvolgere il paziente nei processi decisionali fin dall'inizio della ricerca clinica - Empowerment ed Engagement)
- lo sviluppo di un **sistema regolatorio** in grado di rendere possibile l'applicazione delle nuove opportunità offerte dagli avanzamenti tecnologici (ad es., App; Mobile-Health, Disegni adattativi dei protocolli di ricerca)

# Una proposta di EFPIA per ottimizzare le fasi di sviluppo dei farmaci

Per ovviare alle difficoltà di arruolamento dei pazienti nei trial riguardanti la medicina di precisione (criteri di inclusione estremamente selettivi), EFPIA propone un **progetto di collaborazione tra le imprese del farmaco**.



**Enhancing Clinical Trials in Europe**  
Board – 30 January 2018 – Agenda item 3

**Integrative Patient Screening Initiative (IPSI)**, con la finalità di:

- far aumentare il numero dei pazienti partecipanti ai clinical trial;
- ottimizzare i tempi dello sviluppo clinico e il carico di lavoro presso i centri di sperimentazione;
- incrementare l'efficienza nella conduzione dei trial;
- contribuire ad accelerare la disponibilità delle nuove opzioni terapeutiche per i pazienti.

L'IPSI è inizialmente focalizzato all'oncologia con estensione alle altre aree terapeutiche.



# L'impegno di Farmindustria per la R&S dei farmaci: le collaborazioni già avviate



