

PROGETTO ORGANIZZATO DA:



CON IL PATROCINIO DI:



LA RICERCA CLINICA E I COMITATI ETICI IN ATTESA DEL NUOVO REGOLAMENTO EUROPEO

BOLOGNA
12 giugno 2015

Accademia delle Scienze
dell'Istituto di Bologna
Via Zamboni 3,1

16.40 Tavola rotonda
Le problematiche nella valutazione per gli studi no-profit: verso una
griglia di valutazione condivisa
Moderatori: **Flavia Franconi, Roberto Leone**

Gualberto Gussoni
Nicola Montanaro ←
Carlo Patrono

Rimini, 14 ottobre 2009
Palacongressi
Via della Fiera, 52
Rimini



12.40

Una premessa ancora attuale

**Presentazione del Documento
finale e del contratto tipo per
gli studi non-profit**

**P. Geppetti
F. De Ponti**

http://www.sifweb.org/cong34/sif_cong34_presentaz_geppetti-deponti_141009.pdf

SPERIMENTAZIONE CLINICA NO-PROFIT SUI MEDICINALI: ALCUNE RIFLESSIONI A DIECI ANNI DAL D.M. 17 DICEMBRE 2004

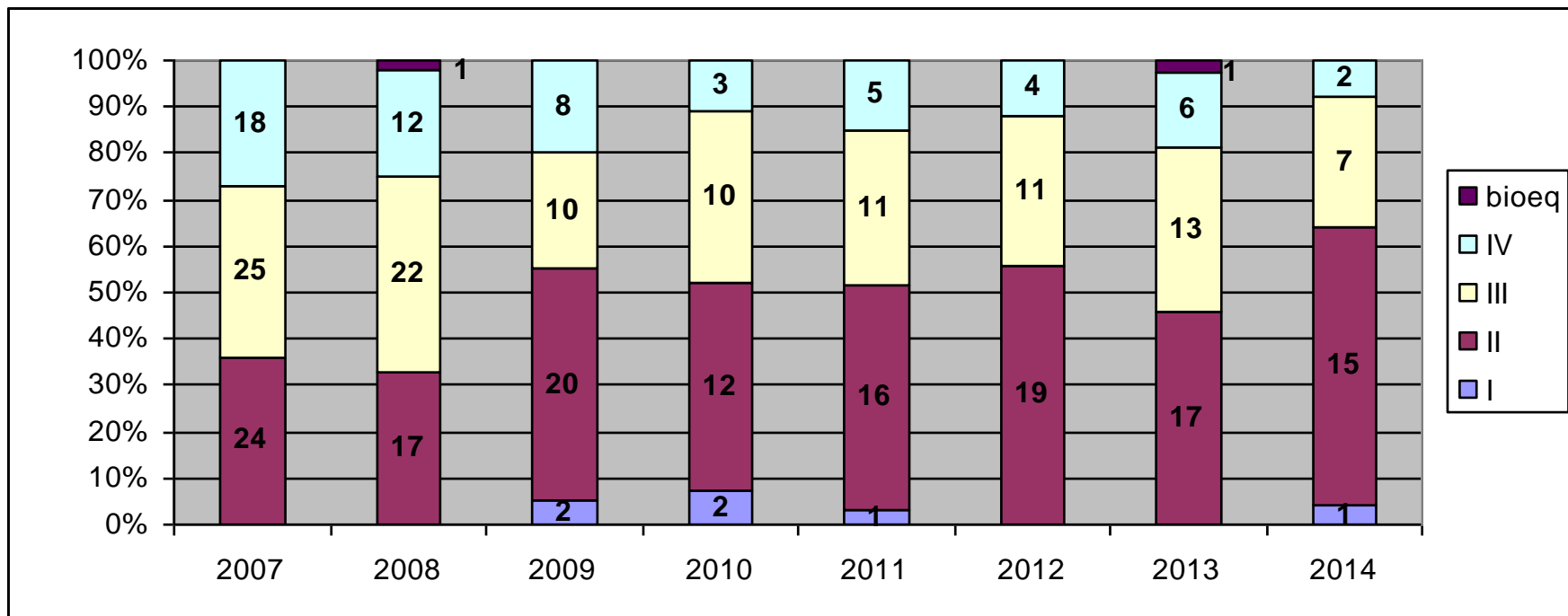
Almeno tre tipi di promotori degli studi no-profit interventistici su farmaci:

- Aziende Ospedaliere e/o Università
- Società Scientifiche
- Onlus

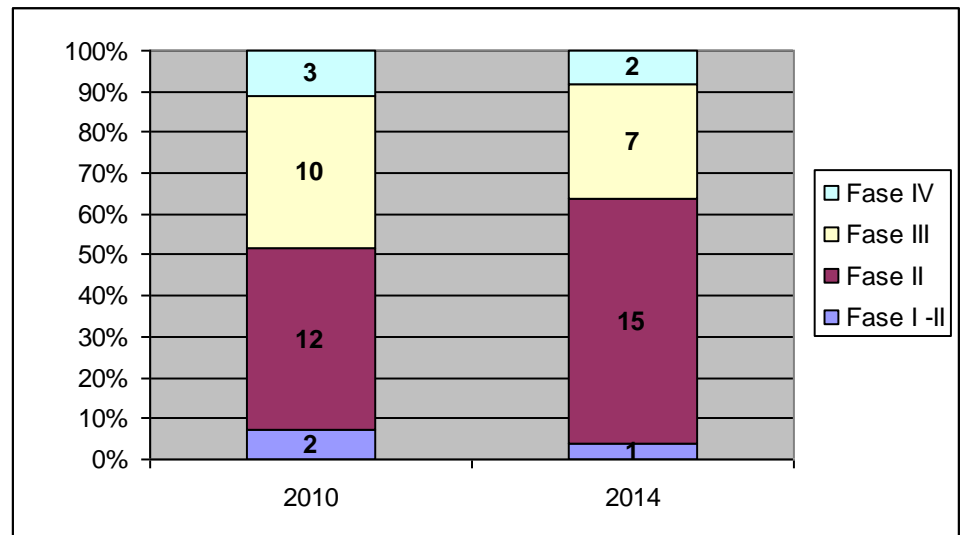
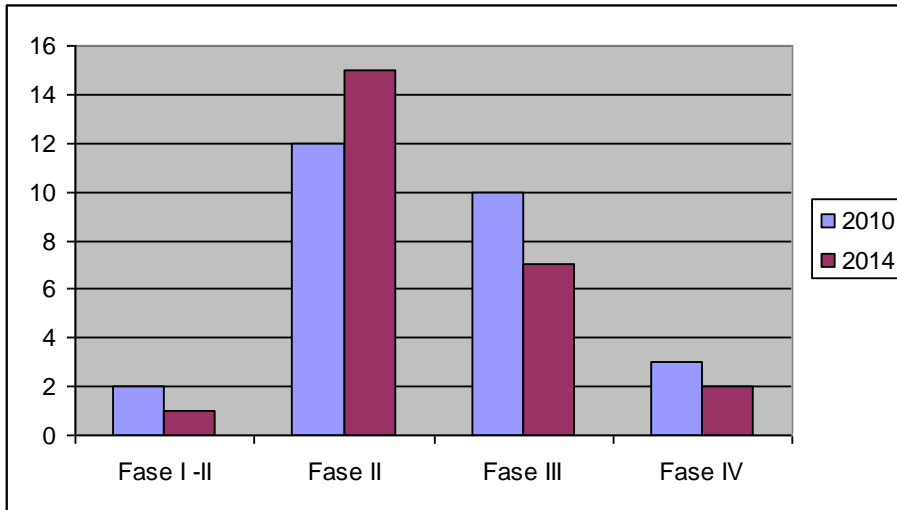
Le risorse per la realizzazione degli studi possono provenire da:

- finanziamento della ricerca indipendente tramite bandi nazionali o regionali
- risorse proprie delle strutture proponenti
- nella maggior parte dei casi, erogazioni di sostegno da finanziatori esterni, quasi sempre Aziende Farmaceutiche che offrono anche il farmaco sperimentale.

Alcuni dati:
Studi no-profit interventistici su farmaci presentati al CE della AOU-BO
suddivisi per fase di studio












Fasi cliniche degli studi no-profit nel 2010 e negli ultimi 12 mesi nella AUO-BO








Le principali criticità degli studi no-profit sono rappresentate principalmente da:

- studi di fase I-II su molecole nuove, cioè farmaci in sviluppo; quindi dal manifesto interesse industriale
- erogazioni di sostegno finanziario da parte di Aziende Farmaceutiche mediante contratti recanti vincoli e condizioni che contrastano con il carattere indipendente dello studio
- la difficile interpretazione, ai fini della corretta applicazione del DM, dell'art. 6 del decreto stesso, che rimuove dai connotati dello studio “il miglioramento della pratica clinica quale parte integrante dell'assistenza sanitaria”

Proposta di una griglia di valutazione del carattere no profit di uno studio

Fase dello studio	Tipo di farmaco	Criticità - Interrogativi	Potenziale interesse industriale
I	nuova molecola non ancora in commercio	Quale possibile sviluppo? Quali possibilità brevettuali?	Evidente interesse commerciale 
	nuova sostanza sviluppata dallo stesso Promotore no profit (es. terapia cellulare, radiofarmaci o altro)?	Quale possibile sviluppo? Quali possibilità brevettuali?	
II	nuova molecola non ancora in commercio	Proprietà della molecola? Proprietà dei risultati? Uso regolatorio? Sviluppo del farmaco?	Elevato potenziale di utilizzo a fini commerciali 
	molecola di recente entrata in commercio (~ 3 anni)	Percorso regolatorio per una seconda indicazione o per indicazione allargata (es. verso una prima linea)?	Probabile utilizzo a fini commerciali ma anche possibile ricerca esplorativa spontanea 
	molecola da tempo in commercio (5-10 anni)	Si tratta di una indicazione negletta? Di una potenzialità terapeutica trascurata o suggerita da nuove conoscenze?	Scarsa o nulla possibilità di utilizzo a fini commerciali 
III	nuova molecola non ancora in commercio	Proprietà della molecola? Proprietà dei risultati? Uso regolatorio? Sviluppo del farmaco?	Elevato potenziale di utilizzo a fini commerciali 
	molecola di recente entrata in commercio (~ 3 anni)	Percorso regolatorio per una indicazione nuova o allargata? Oppure studio promozionale ("seeding trial")	Probabile/possibile utilizzo a fini commerciali ma anche possibile ricerca spontanea 
	molecola da tempo in commercio (5-10 anni)	Si tratta del prosieguo della valutazione di una indicazione negletta? Di una potenzialità terapeutica trascurata o suggerita da nuove conoscenze?	Scarsa o nulla possibilità di utilizzo a fini commerciali 
IV	molecola già in commercio	Studio di strategia terapeutica o per far luce su un contesto d'utilizzo controverso alla luce di nuove informazioni emerse nel post marketing (es. sicurezza o efficacia nella reale pratica d'uso)?	Pressoché nulla possibilità di utilizzo a fini commerciali. Ricerca finalizzata al miglioramento della pratica clinica quale parte integrante dell'assistenza sanitaria 

Proposta di una griglia di valutazione del carattere no profit di uno studio: I-II

Fase dello studio	Tipo di farmaco	Criticità - Interrogativi	Potenziale interesse industriale
I	nuova molecola non ancora in commercio	Quale possibile sviluppo? Quali possibilità brevettuali?	Evidente interesse commerciale 
	nuova sostanza sviluppata dallo stesso Promotore no profit (es. terapia cellulare, radiofarmaci o altro)?	Quale possibile sviluppo? Quali possibilità brevettuali?	
II	nuova molecola non ancora in commercio	Proprietà della molecola? Proprietà dei risultati? Uso <u>regolatorio</u> ? Sviluppo del farmaco?	Elevato potenziale di utilizzo a fini commerciali 
	molecola di recente entrata in commercio (~ 3 anni)	<u>Percorso regolatorio</u> per una seconda indicazione o per indicazione allargata (es. verso una prima linea)?	Probabile utilizzo a fini commerciali ma anche possibile ricerca esplorativa spontanea 
	molecola da tempo in commercio (5-10 anni)	Si tratta di una indicazione negletta? Di una potenzialità terapeutica trascurata o suggerita da nuove conoscenze?	Scarsa o nulla possibilità di utilizzo a fini commerciali 

Legenda:  →  = livello decrescente di potenziale interesse industriale

Proposta di una griglia di valutazione del carattere no profit di uno studio: III-IV

Fase dello studio	Tipo di farmaco	Criticità - Interrogativi	Potenziale interesse industriale
III	nuova molecola non ancora in commercio	Proprietà della molecola? Proprietà dei risultati? Uso <u>regolatorio</u> ? Sviluppo del farmaco?	Elevato potenziale di utilizzo a fini commerciali ●●●
	molecola di recente entrata in commercio (~ 3 anni)	Percorso <u>regolatorio</u> per una indicazione nuova o allargata? Oppure studio promozionale (" <u>seeding trial</u> ")	Probabile/possibile utilizzo a fini commerciali ma anche possibile ricerca spontanea ●●●
	molecola da tempo in commercio (5-10 anni)	Si tratta del proseguo della valutazione di una indicazione negletta? Di una potenzialità terapeutica trascurata o suggerita da nuove conoscenze?	Scarsa o nulla possibilità di utilizzo a fini commerciali ●●●
IV	molecola già in commercio	Studio di strategia terapeutica o per far luce su un contesto d'utilizzo controverso alla luce di nuove informazioni emerse nel post marketing (es. sicurezza o efficacia nella reale pratica d'uso)?	Pressoché nulla possibilità di utilizzo a fini commerciali. Ricerca finalizzata al miglioramento della pratica clinica quale parte integrante dell'assistenza sanitaria ●●●

Legenda: ●●● → ●●● = livello decrescente di potenziale interesse industriale

**ADOZIONE DELLA GRIGLIA DAL CE AOU-BO: SEDUTA DEL 4-11-2014
 APPLICAZIONE GRIGLIA DAL NOVEMBRE 2014 AL MAGGIO 2015
 (7 SEDUTE)**

fase dello studio	status della molecola	criticità potenziale	numero di studi presentati	parere CE
I-II	non in commercio	●●●	1	non favorevole
	di recente in commercio	●●●	2	richiesta di integrazioni/modifiche
	da tempo in commercio	●●●	5	richiesta di integrazioni/modifiche (4) favorevole (1)
III	non in commercio	●●●	1	favorevole (!!)
	di recente in commercio	●●●	--	--
	da tempo in commercio	●●●	7	richiesta di integrazioni/modifiche (3) favorevole (4)
IV	già in commercio	●●●	1	favorevole

Legenda: ●●● → ●●● = livello decrescente di potenziale interesse industriale

Studi no-profit sui farmaci: è tempo di una normativa 2.0?

Questioni aperte:

- anche per gli studi osservazionali sui farmaci?
- anche per gli studi sui dispositivi medici?
- possibilità di finalizzazione allo sviluppo industriale del farmaco? (v. doc. FADOI)
- possibilità/obbligo dell'inserimento dei risultati degli studi no-profit nel dossier registrativo del farmaco?
- etc.

Ringraziamenti

al Prof. Fabrizio De Ponti, che mi ha preceduto come Presidente del Comitato Etico Indipendente AOU-BO, per l'ottima eredità di impostazione concettuale e metodologica nella valutazione degli studi no profit

al Dott. Giacomo Chiabrando e alla Dott.ssa Stefania Proni, della Segreteria Scientifica del Comitato Etico Indipendente AOU-BO, per il valido supporto e l'intenso lavoro

all'attuale Gruppo di Lavoro "Studi No Profit" del Comitato Etico Indipendente AOU-BO per l'accurato esame istruttorio delle proposte di sperimentazioni ricevute dal CE e per la condivisione dello schema di valutazione qui proposto

GRAZIE DELL'ATTENZIONE