



**La valorizzazione della *ricerca*
indipendente: opportunità,
limiti e spunti operativi**

sanofi

- **Il ruolo delle aziende
farmaceutiche:
dal supporto economico
all'interesse all'acquisizione dei
dati.**
- Il ruolo delle affiliate e di casa-
madre**

●
Mariangela Amoroso

Country Medical Lead

Cosa intendiamo per ricerca indipendente?

Proposte di studio non sollecitate provenienti da parte di struttura, ente, istituzione pubblica (o ad essa equiparata), fondazione o ente morale di ricerca e/o sanitaria, associazione, società scientifica senza fini di lucro, IRCCS **per il supporto alla ricerca**

- ❖ Studi interventistici e non interventistici (su prodotti e non)
- ❖ Studi di RWE attraverso la generazione prospettica di dati in un contesto di vita reale
o l'utilizzo di fonti di dati del mondo reale esistenti.
- ❖ Studi preclinici

ESR

EXTERNAL SPONSOR RESEARCH

Investigator Sponsored Trials (IST),
Investigator Initiated Trials (IIT)
Expert Initiated Research (EIR)
Investigator Sponsored Research (ISR),
External Research Trial (ERT)
Externally Sponsored Study (ESS)

ESC

EXTERNAL SPONSORED COLLABORATION:

Un **accordo** con un'istituzione o un'organizzazione esterna in cui la **ricerca è definita congiuntamente**, pur rimanendo una sponsorizzazione **esterna all'azienda farmaceutica**

Non lineare in Italia
la disciplina degli
ESC

Aspetti normativo-regolatori e procedurali

MINISTERO DELLA SALUTE

DECRETO 30 novembre 2021.

Misure volte a facilitare e sostenere la realizzazione degli studi clinici di medicinali senza scopo di lucro e degli studi osservazionali e a disciplinare la cessione di dati e risultati di sperimentazioni senza scopo di lucro a fini registrativi, ai sensi dell'art. 1, comma 1, lettera c), del decreto legislativo 14 maggio 2019, n. 52.

REGOLAMENTO (UE) N. 536/2014 DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO

del 16 aprile 2014

sulla sperimentazione clinica di medicinali per uso umano e che abroga la direttiva 2001/20/CE

(Testo rilevante ai fini del SEE)

IL PARLAMENTO EUROPEO E IL CONSIGLIO DELL'UNIONE EUROPEA,



Linea Guida per la classificazione e conduzione degli studi osservazionali sui farmaci



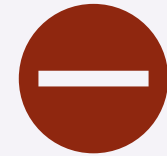
**CODICE DEONTOLOGICO
FARMINDUSTRIA**



Tipologia di Supporto



Non deve comportare il rischio significativo di essere considerato uno Sponsor
Il finanziamento deve rispettare il Fair Market Value (FMV) del paese



NON FINANZIARIO

- Prodotti/farmaci
- Dispositivi di laboratorio
- Servizi (es. spedizione del prodotto, etichettatura/confezionamento, analisi di laboratorio)
- Documenti inerenti i prodotti (es. IB, IMPD)

FINANZIARIO

- Costi per paziente
- Commissioni del CE e delle autorità regolatorie
- Spese per il personale addetto allo studio
- Costi di servizio e diagnostica
- Assicurazione per controlli di qualità
- Gestione dei dati, biostatistica e pubblicazione
- Spese per l'allevamento degli animali

NON FINANZIARIO

- Donazioni di beni strumentali
- Richiedente nella presentazione del dossier alle autorità reg/CE
- Segnalazione della sicurezza alle autorità reg/CE
- Coinvolgimento nella scelta di investigatori o centri dello studio
- Selezione diretta, contrattazione con terzi per la conduzione dello studio
- Assegnazione di personale Sanofi per le attività

FINANZIARIO

- Finanziamento per l'acquisto di beni strumentali, per la manutenzione delle attrezzature e per le forniture d'ufficio.
- Sottoscrizione di una polizza assicurativa



Supporto economico

Promotore, assieme al Protocollo approvato, definisce su portale web dedicato il **budget analitico e dettagliato convalidato** attraverso il tool dedicato da parte del team Sanofi incaricato della **valutazione del Fair Market Value**.

Il Finanziamento potrà essere

- un massimo del 50% del budget complessivo
- fornitura gratuita del farmaco nel caso di studi interventistici che prevedano l'utilizzo del farmaco al di fuori dell'indicazione approvata oppure l'utilizzo del farmaco nell'indicazione approvata ma non rimborsata dal SSN.

L'importo totale potrà essere erogato in diverse rate, in base alla durata dell'IST

Prima dell'inizio dello studio, della spedizione eventuale del farmaco e dell'erogazione della prima tranches di pagamento devono essere disponibili il contratto firmato e l'approvazione del CE (e l'approvazione AIFA dove applicabile).

Il ruolo delle affiliate e di casa-madre

Affiliate

- Principale contatto con il proponente
- **Valutazione scientifica e strategica locale**
- Supervisionare gli aspetti operativi dell'intero processo
- Garantire l'accuratezza e il completamento tempestivo dei dati e dei documenti dello studio

Casa- Madre

- **Valutazione scientifica e strategica globale**
- Approvazione del budget locale/globale
- Monitoraggio della conduzione dello studio

Le garanzie di qualità richieste al Promotore



Il Promotore deve garantire che tutti i centri coinvolti dispongano:

- **capacità, competenze e risorse** necessarie per il corretto svolgimento dell'IST clinico. (Reg. UE 536/2014, art. 50 e dall'art. 5; DL. 14/5 2019, n 52.)
- **il rispetto delle normative** e dei regolamenti italiani ed europei in materia di sperimentazioni, incluse **le linee guida ICH per la buona pratica clinica**.

Il Promotore deve dare ai pazienti, prima del loro arruolamento, le più ampie informazioni sullo studio (finalità e modalità di svolgimento) e raccogliere il loro **consenso informato scritto**, nel rispetto della normativa in materia di protezione dei dati personali e sensibili dei pazienti.

Valutazioni della proposta di studio da parte dell'azienda farmaceutica



- ✓ **Razionale medico-scientifico**, conformità ai principi etici, alle norme di buona pratica clinica, alle leggi e normative locali vigenti
- ✓ **Allineamento con la strategia scientifica e regolatoria** associata all'eventuale prodotto o all'area terapeutica
- ✓ **Idoneo disegno di studio** per raggiungere gli obiettivi, sia in termini qualitativi e temporali e fattibile dal punto di vista clinico, statistico, della compliance e normativo.
- ✓ **Definizione scadenze, esiti/risultati** e comunicazione dei risultati, compreso un piano di pubblicazione.
- ✓ **Budget proposto adeguato** ed eventuali fonti di finanziamento definite che consentano un'approvazione preliminare di un budget.
- ✓ **Valutazione legale** su eventuali aspetti critici

Responsabilità e Obblighi del Promotore definiti nel contratto

- Ottenere il **codice EUDRact**, di **ClinTrial.gov** o di altro database istituzionale prima dell'avvio dell'ISS (ove richiesto)
- Obblighi in tema di **farmacovigilanza**
- Inserire tutti i dati dell'IST **nell'Osservatorio**
- **Aggiornare periodicamente lo stato di avanzamento**
- Inviare **rapporti periodici sull'andamento** dello studio, il rapporto finale sui risultati dello studio, il manoscritto prima della sottomissione per la pubblicazione stessa.

Titolarità dei dati e dei risultati

La titolarità dei dati e dei risultati della sperimentazione, così come di ogni decisione inerente alla loro pubblicazione, è esclusiva del promotore

Il promotore deve tuttavia concedere all'Azienda Farmaceutica il **diritto di rivedere il progetto di diffusione/pubblicazione dei risultati** affinché sia verificato che i **diritti brevettuali/industriali e/o di data protection** non siano violati, come da contratto

L'azienda farmaceutica non ha alcun diritto di veto sulle pubblicazioni dei risultati, la revisione si limita agli aspetti brevettuali e legali



Cessione dati

DM 30 novembre 2021

La possibilità di cedere i dati e i risultati delle sperimentazioni senza scopo di lucro a fini registrativi a soggetti commerciali, quali le aziende farmaceutiche

Benefici

Alle aziende farmaceutiche: acquisire i dati derivanti da sperimentazioni non profit a fini registrativi

Ai promotori: una nuova forma di finanziamento delle proprie attività

Punti aperti da considerare

- Mancata applicabilità dell'articolo 3 agli studi osservazionali o interventistici con dispositivo medici
- Proprietà intellettuale e brevetto: necessità di definire le responsabilità nei contratti di cessione
- Stima del valore del bene in oggetto nella prospettiva del suo sfruttamento commerciale atteso
- Il cessionario subentra nella titolarità del trattamento dei dati personali correlati alla sperimentazione



Il valore della ricerca indipendente per le Aziende Farmaceutiche

Innovazione e Collaborazione

esplorare aree che potrebbero non essere immediatamente redditizie per le aziende, ma che sono cruciali per l'innovazione medica

collaborare con enti di ricerca e potenzialmente permettere di accedere a nuove scoperte e tecnologie

Miglioramento della Pratica Clinica

ottimizzazione delle strategie terapeutiche, valutando rischi e benefici di farmaci già autorizzati e stabilendo i migliori protocolli terapeutici nelle aree terapeutiche di interesse

Responsabilità Sociale

dimostrare l'impegno verso la responsabilità sociale e il miglioramento della salute pubblica e generare un beneficio della spesa pubblica

può migliorare la reputazione e rafforzare la fiducia dei propri interlocutori

Benefici Regolatori

utilizzare i dati derivanti da studi no profit per scopi regolatori, migliorando così il processo di autorizzazione dei farmaci -Decreto Ministeriale del 30 novembre 2021

sanofi