

Innovatività e medicina di precisione



1ST SYSTEMS MEDICINE & HEALTHCARE FORUM
1[°] CONGRESSO NAZIONALE ASSIMSS

ROMA | 3/4 febbraio 2017

Sala Congressi presso Direzione Unicredit, Viale Umberto Tupini, 180 - 00144 Roma



ASSOCIAZIONE ITALIANA DI MEDICINA E SANITA' SISTEMICA
ITALIAN ASSOCIATION FOR SYSTEMS MEDICINE AND HEALTHCARE

Mario Melazzini
Roma, 3 febbraio 2017



Dichiarazione di trasparenza/interessi*

Le opinioni espresse in questa presentazione sono personali e non impegnano in alcun modo l'AIFA

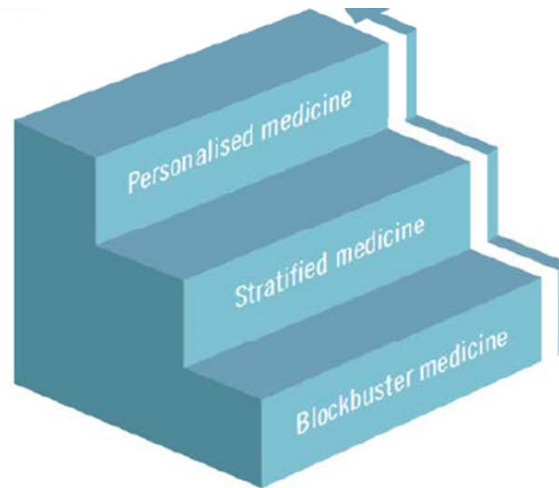
Interessi nell'industria farmaceutica	NO	Attualmente	Da 0 a 3 anni precedenti	oltre 3 anni precedenti
INTERESSI DIRETTI:				
1.1 Impiego per una società: Ruolo esecutivo in una società farmaceutica	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.2 Impiego per 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
INTERESSI INDIRETTI:				
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

* **Mario Melazzini**, 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 0044 EMA/513078/2010 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.

«One size does not fit all»

La medicina di precisione rappresenta un approccio per la prevenzione e il trattamento delle malattie che tiene conto per ogni persona della variabilità genetica, dell'ambiente e dello stile di vita.

Il modello “*blockbuster*” classico è ormai superato. In questa nuova era si cerca di riconoscere e colpire specifici bersagli molecolari.



Tonight, I'm launching a new Precision Medicine Initiative to bring us closer to curing diseases like cancer and diabetes — and to give all of us access to the personalized information we need to keep ourselves and our families healthier.

President Barack Obama,
State of the Union Address,
January 20, 2015

Quali sfide nella medicina di precisione?

Questo approccio promette di migliorare l'efficacia e la sicurezza dei nuovi trattamenti, ma le sfide principali sono:

- la definizione dei criteri di una vera innovatività;
- la capacità degli stakeholder di produrre e condividere dati sanitari di elevata qualità e affidabilità;
- la gestione dei **database** e delle implicazioni etiche;
- l'utilizzo di approcci innovativi di registrazione dei farmaci per garantirne un rapido accesso;
- la definizione di strategie razionali di negoziazione;
- la ricollocazione della spesa farmaceutica nell'ambito di una più generale revisione della spesa sanitaria.

Dalla medicina di precisione alla assistenza di precisione

Bisogna puntare ad una medicina che prenda in carico il paziente in tutte le fasi del suo processo di cura considerandone la specificità e unicità, tramite modalità di intervento pensate solamente per la sua situazione.

Una sfida ambiziosa per la medicina è garantire percorsi di cura personalizzati ai pazienti affetti da più di una condizione patologica.


Precision medicine to precision care: managing multimorbidity

The gap between traditional disease-focused medicine and patients' needs is growing as the burden of multimorbidity increases.¹ This mismatch, which stems from both successes (eg, increasing life expectancy and advances in biomedicine) and failures (eg, underinvestment in prevention and focus on managing discrete disease rather than what matters to each patient), results in fragmented care, suboptimal health outcomes, and avoidable harms for patients with multiple chronic conditions. Although multimorbidity is common among older adults (aged ≥65 years), it is also common in younger populations.

In the USA in 2010, over 60% of adults aged 65 years or more had two or more chronic conditions as did a third of adults aged 45–64 years.² Socioeconomically disadvantaged individuals have a higher burden of multimorbidity, and they develop multiple chronic conditions 10–15 years earlier than do those who are more socioeconomically advantaged.³ People with multimorbidity are common users of health care, generate high costs, and are at increased risk for adverse events. Most of these individuals are cared for by practitioners with inadequate expertise in geriatrics or multimorbidity.

Il contributo dei big data

Big Data: Can Medicine Learn From Amazon and Netflix?

Robert A. Harrington, MD; Euan A. Ashley, MRCP, DPhil 

Disclosures | April 20, 2015



Google launches new project to understand human health

Un sistema sanitario può crescere nella propria operatività assistenziale tramite la gestione e condivisione di una grande quantità di dati relativi allo stato di salute degli individui.

In ambito scientifico i big data sono uno strumento potente e quindi possono essere un'enorme opportunità ma sono in grado di risolvere i problemi solo in presenza delle giuste domande.

Perché usare i big data?

L'OCSE individua i **4 drivers** che spingono all'utilizzo dei big data in sanità e le caratteristiche che essi devono possedere perché possano contribuire al progresso.

Tight fiscal conditions
put pressure on health systems to deliver value for money



Increasingly complex care needs
make delivering high quality care more challenging

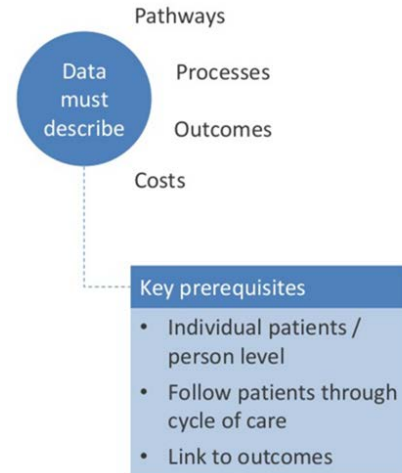
New therapies and better research
rely on our ability to make better use of data



```
1100101011000
0110111010100
0011101010101
0011110100000
0111010101000
1111010100111
```



Patient demands
for modern experiences, responsiveness, communications and transparency



Data linkage
leverages the value of data to answer specific questions

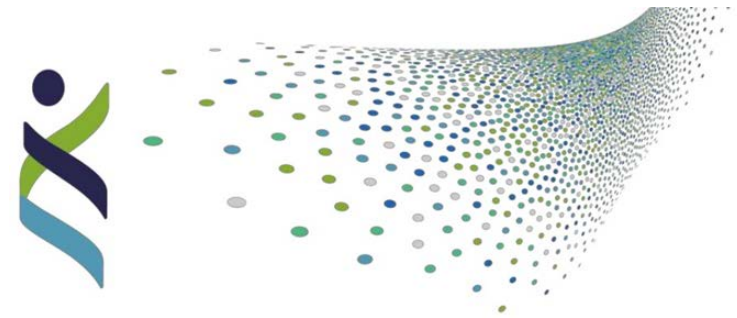


Electronic health records (EHRs)
Longitudinal record of treatments and outcomes

I limiti dei big data

Le principali problematiche correlate all'utilizzo dei big data sono:

- Capacità di porre le giuste domande;
- Necessità di tutelare la privacy dei soggetti.



OECD RECOMMENDATION ON HEALTH DATA GOVERNANCE

17 January 2017

Scope

1. Establish national health data governance frameworks

- Encourage availability & use of health data to advance public policy objectives
- Promote privacy protection & data security

2. Harmonise frameworks between countries

- Enable multi-country statistical and research projects

Collaborazioni tra Agenzie regolatorie

- Le Agenzie regolatorie sono impegnate a collaborare e a cercare possibili soluzioni per promuovere l'innovazione sul territorio europeo.
- L'obiettivo è di cooperare e scambiarsi informazioni:
 - The Adaptive Pathway
 - New CTs Regulation N. 536/2014
 - Compassionate Use Programs
 - PRIME

Nuovi approcci per lo sviluppo di farmaci innovativi

REFLECTION PAPER ON METHODOLOGICAL ISSUES IN CONFIRMATORY CLINICAL TRIALS PLANNED WITH AN ADAPTIVE DESIGN

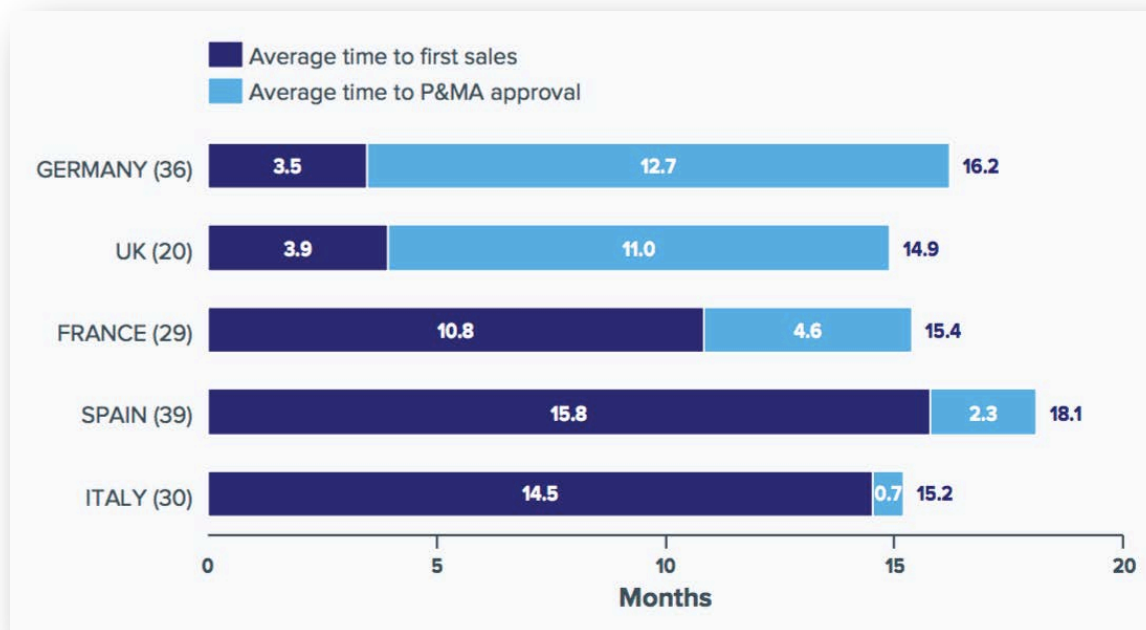
- ❖ *In some instances studies can be planned with a so-called **adaptive design**, involving design modifications based on the results of an interim analysis.*
- ❖ *Such a design has the potential to speed up the process of drug development or can be used to allocate resources more efficiently without lowering scientific and regulatory standards.*
- ❖ *Adaptive designs would be best utilised as a tool for planning clinical trials in areas where it is necessary to cope with difficult experimental situations.*



PRIME & Early Access

- ❖ PRIME (PRiority Medicines) è un progetto EMA per supportare lo sviluppo di medicinali che hanno come target “*unmet medical need*”.
- ❖ PRIME punta a migliorare i disegni degli studi clinici in modo che i dati generati siano idonei alla valutazione per la richiesta di AIC.
- ❖ Il dialogo precoce e gli *scientific advice* assicurano che i pazienti partecipino solo a sperimentazioni finalizzate all’ottenimento AIC, ottimizzando l’utilizzo delle risorse.

Il diritto all'innovazione nel minor tempo possibile



E' essenziale garantire un rapido accesso ai nuovi farmaci a tutti coloro che ne possono trarre un reale vantaggio.

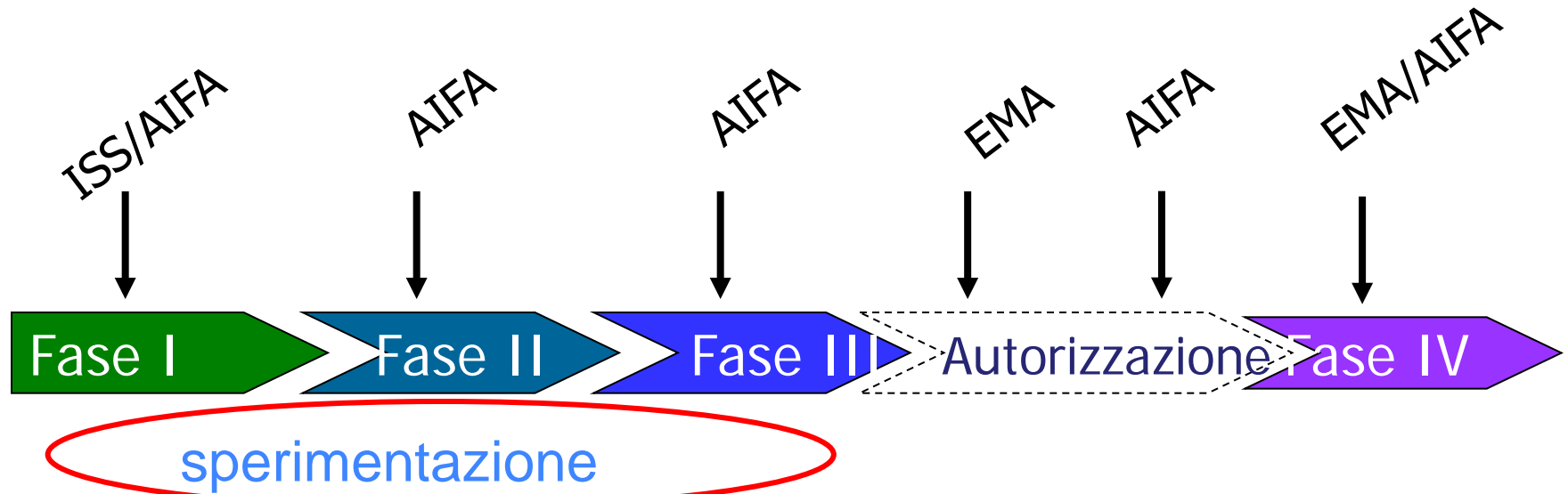
Il ruolo di AIFA nel promuovere l'innovazione

Gli strumenti messi a punto dall'Agenzia e il dialogo aperto con le Regioni, sono volti a garantire un accesso omogeneo ai medicinali che AIFA, ad esito delle decisioni delle proprie commissioni, giudichi come innovativi e quindi prioritari nella tutela della salute.

AIFA ha un ruolo unico in Europa perché non solo autorizza i medicinali sul territorio nazionale ma è responsabile anche per la contrattazione e il rimborso.

- ✓ Rapido accesso ai medicinali per patologie gravi
- ✓ Evidenza di un rapporto favorevole rischio beneficio

I canali di accesso all'innovazione



Procedura standard

Conditional approval
(Reg. 507/2006)

D.M. 8 maggio 2003

Legge 648/1996

Legge 326/2003 fondo AIFA



Ricerca e innovazione

Promuovere la ricerca clinica in Italia può rappresentare una possibilità di accesso precoce a nuovi farmaci in sperimentazione.

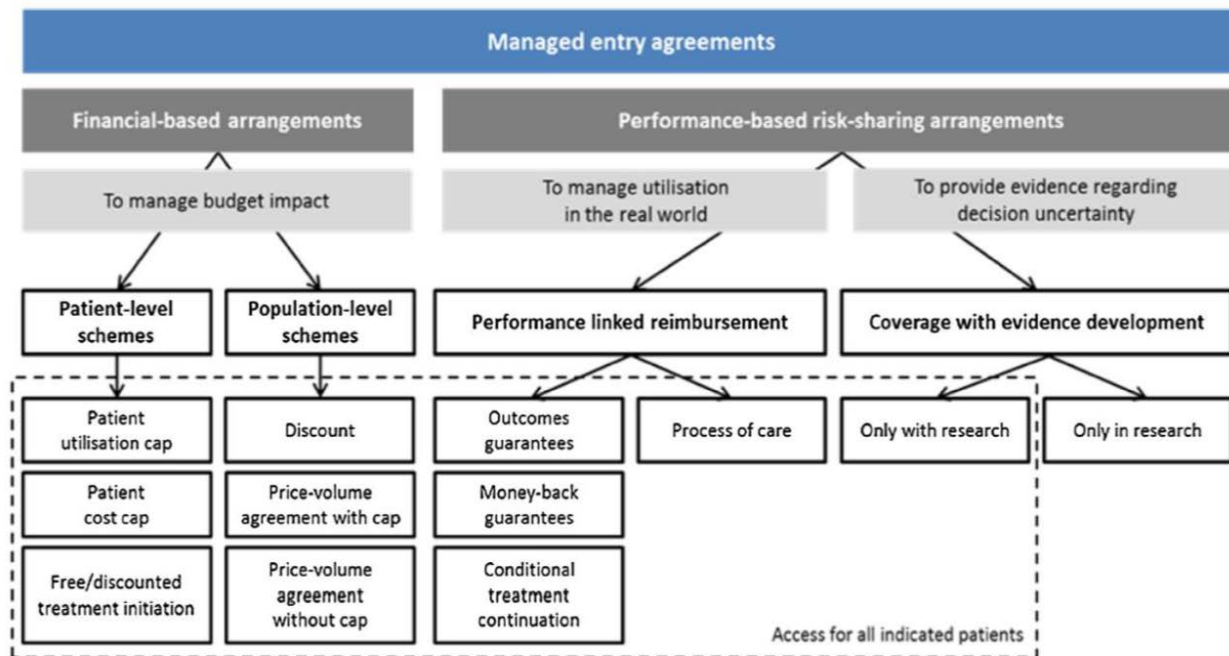
- L'AIFA svolge un ruolo centrale nel complesso scenario della ricerca clinica, che vede coinvolti numerosi attori: ISS, Comitati Etici, Direzioni Generali, network Eudravigilance, promotori e ricercatori.

Nel 2016:

- Sperimentazioni cliniche: **740**
- Emendamenti sostanziali: **1.901**

Managed Entry Agreement

- Per accelerare l'accesso ai medicinali dopo l'approvazione;
- Per evitare l'esclusione dal rimborso di medicinali potenzialmente utili;
- Per raccogliere i dati sull'uso nella pratica clinica;
- Per ottimizzare l'allocazione delle risorse e la sostenibilità del sistema.



Adapted from Garrison et al. (2013) – ISPOR taxonomy

Figure 1 A taxonomy of managed entry agreements (MEAs).

Klemp, *et al.*, 2011

Conclusioni

Occorre bilanciare la garanzia di un rapido accesso a una terapia promettente con la difficoltà a ottenere evidenze scientifiche appropriate, conciliando l'incertezza di costi e *outcomes* con l'esigenza di accesso dei pazienti alle cure.

Occorrono nuovi modelli e una collaborazione sinergica tra le agenzie regolatorie europee e, in ambito nazionale, un'interazione coordinata tra innovazione, ricerca clinica, pratica clinica e politica sanitaria.

Obiettivo di AIFA è far ricevere ad ogni paziente la terapia più mirata, basata sui criteri sostenuti dalla Comunità scientifica internazionale.



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA