



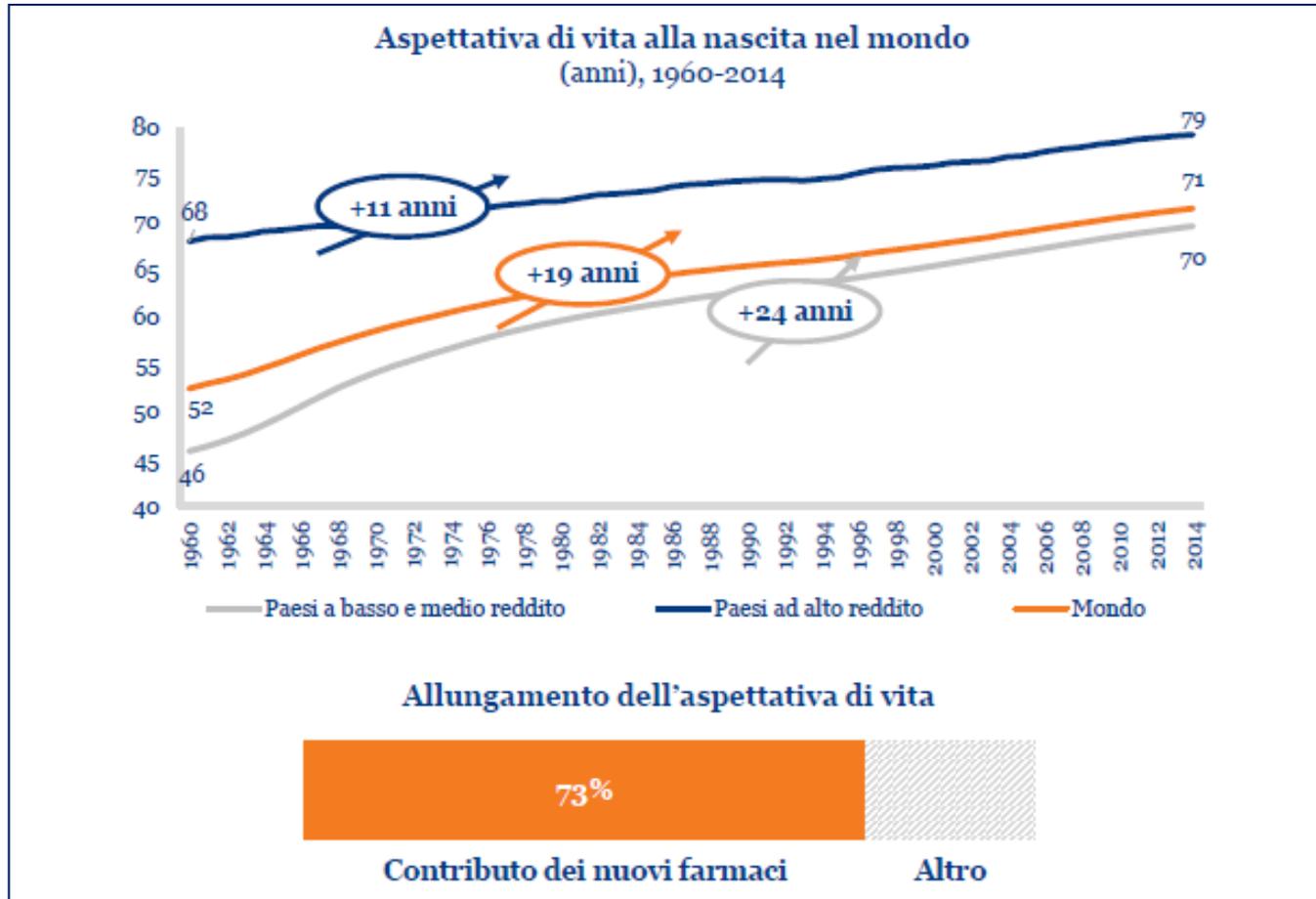
Convegno  
«Breast Journal Club – 10 Years»  
Cremona, 14-15 Marzo 2019

# Ricerca no profit, criticità e proposte

Gualberto Gussoni, MD, PhD

*Direttore Scientifico FADOI - Società Scientifica di Medicina Interna*

# A cosa può servire la Ricerca



1. The European House Ambrosetti – Rapporto 2016
2. Lichtenberg FR . Health Policy Technol 2014

# *Sperimentazione sul farmaco in Italia*

Anno	Totale	Profit	No-profit
2000	556	460	98
2004	622	436	186
2009	761	443	318
2010	670	431	239
2012	697	472	225
2013	583	444	139
2014	592	424	168
2015	672	508	164
2016	660	490	170
2017	564	415	149

Fonte: Rapporti AIFA sulla Sperimentazione Clinica dei Medicinali in Italia

# Sperimentazione sul farmaco in Italia

Anno	Totale	Profit	No-profit
2000	556	460	98
2004	622	436	186
2009	761	443	<b>- 53%</b>
2010	670	431	
2012	697	472	
2013	583	444	
2014	592	424	
2015	672	508	
2016	660	490	
2017	564	415	

Fonte: Rapporti AIFA sulla Sperimentazione Clinica dei Medicinali in Italia

# Sperimentazione sul farmaco in Italia

Anno	Totale	Profit	No-profit
2000	556	460	98
2004	622	436	186
2009	761	443	318
2010	670	431	239
2012	697	472	225
2013	583	444	139
2014	592	424	168
2015	672	<b>- 20%</b>	164
2016	660		170
2017	564		149

Fonte: Rapporti AIFA sulla Sperimentazione Clinica dei Medicinali in Italia

# Qualche numero di contesto

- ❖ La previsione di spesa per il SSN scende dal 6.7% al 6.3% del PIL dal 2017 al 2020
- ❖ Nel periodo 2000-2016 la voce di spesa del SSN che ha subito la maggiore contrazione è quella del Personale (dal 39.8% al 31.0%)
- ❖ L'Italia investe in Ricerca & Sviluppo (totale) circa 1.35% del PIL (la media UE è del 2.07% → il delta corrisponde a circa 13 Miliardi di Euro)
- ❖ Nel Programma europeo FP7 l'Italia ha contribuito per il 13.9% del fondo, e ha ricevuto il 9.4% dei finanziamenti distribuiti (disavanzo oltre 2 Miliardi di Euro)
- ❖ E Horizon 2020?

# ***Dai buoni propositi alla realtà – Bandi AIFA***

«**Il sostegno alla ricerca clinica indipendente** – afferma il Direttore Generale – **è un obiettivo prioritario per l'AIFA**, che con i suoi bandi di ricerca mira a sostenere studi solidi, in grado di produrre risultati concreti in termini di migliori terapie per i pazienti e di nuove conoscenze e strumenti di valutazione a beneficio di medici, ricercatori e dell'intera comunità scientifica»

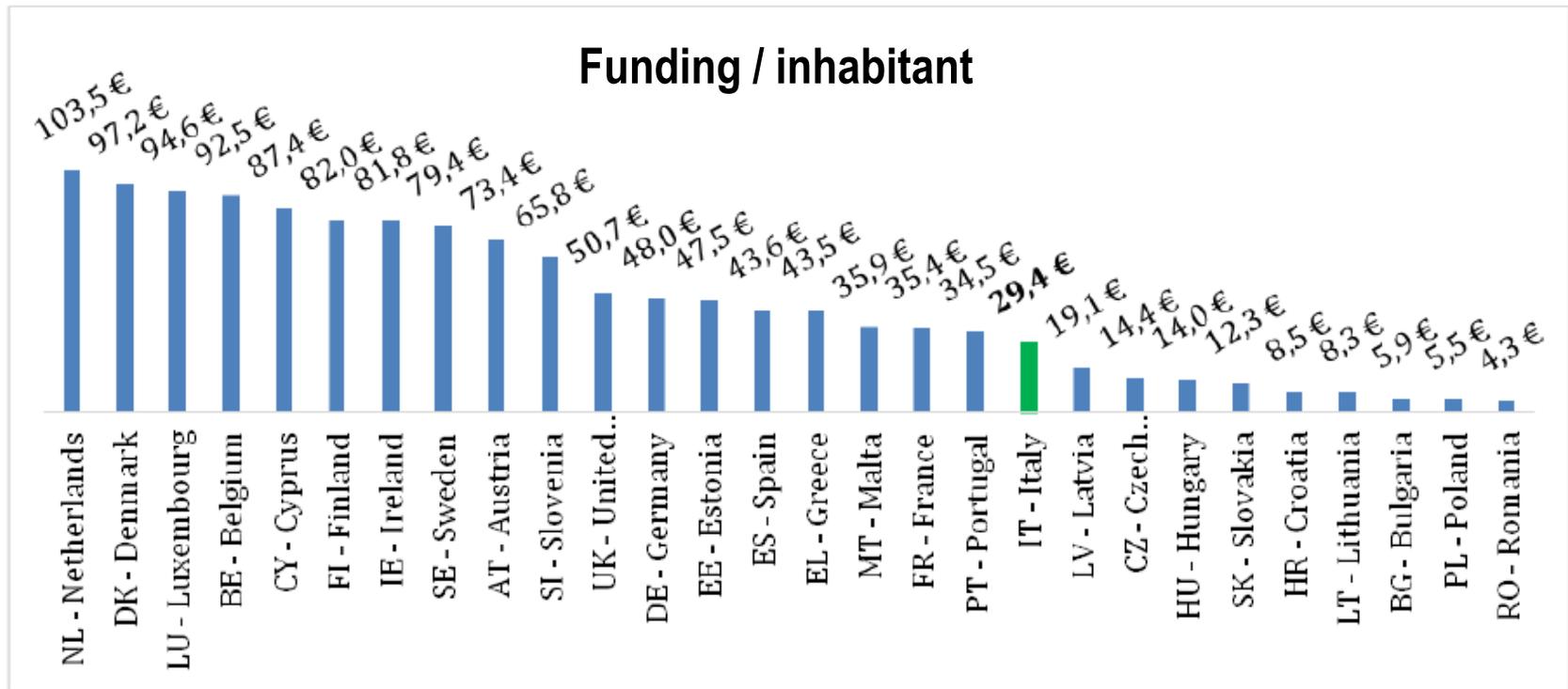


**RISULTATO → Totale 7 Milioni Euro per il 2017, per 12 studi**

Fonte: Quotidiano Sanità 31 Gennaio 2019

# Horizon 2020 - Highlights

Aggiornamento 6 Marzo 2018



Report APRE, Luglio 2018

# Anche “Nature” sembra preoccupata...

ITALY'S ELECTION

## Italian science out in the cold

*Election campaign gives researchers little hope for future of the nation's science system.*

BY ALISON ABBOTT

As campaigning ahead of Italy's national election enters its final weeks, researchers in the country fear that budget cuts and declining interest in science will only continue — whatever the outcome of the vote on 4 March.

A complex coalition government is likely to emerge. The country's traditional centre-left and centre-right parties have splintered, and myriad small parties make up the ballot sheet, as well as the populist Five Star Movement. Topics such as immigration, the refugee influx and eurozone membership have dominated mainstream debates.

But, apart from a battle over the nation's compulsory vaccination programme, which was introduced last year, science has featured little in the campaigning — even as economists warn that Italy's research system is in a precarious state. “We are on the verge of collapse,” says Mario Pianta, an economist at the University of Rome Tre, who helps to prepare Italy's statistics on research and development (R&D) for the European Commission.

Italy has hotspots of scientific excellence, such as in particle physics and biomedicine. But, unlike many other European countries, it has failed to modernize its science system in the past few decades. Budgets have constantly been low. Academic hiring practices can be complicated,

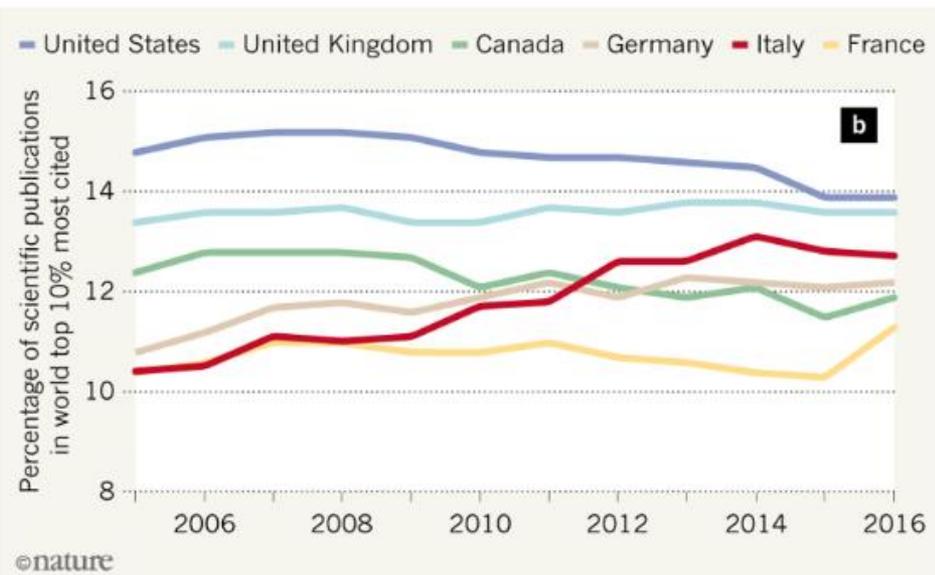
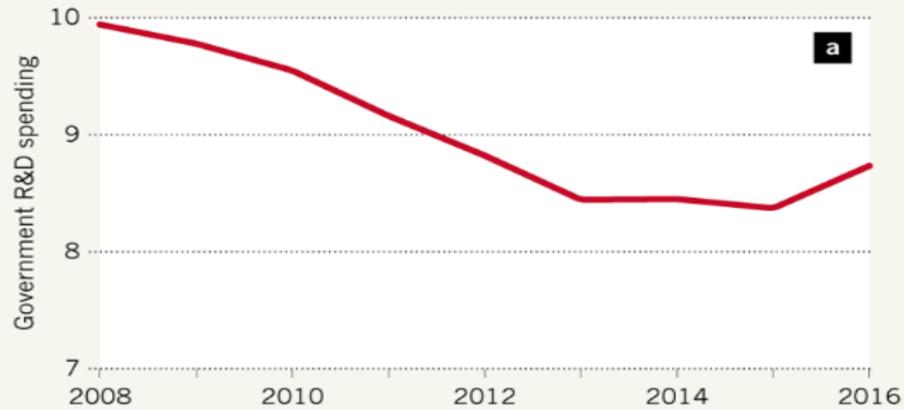
and bureaucracy crippling, many scientists say. Research organizations have had little power politically, and have been unable to stem the rising influence of those who have demonized vaccinations and promoted charlatan cure-alls.

The gap in scientific achievement and investment between the country's affluent north and poorer south is widening, helping to fuel regionalist and populist politics, says Raffaella Rumiati, vice-president of Italy's national research-evaluation agency, ANVUR. In January, the agency announced the results of its first competition to reward the best-performing university departments, and northern institutions received an overwhelmingly greater share of the funds. ▶

# E sempre “Nature” sottolinea il “paradosso italiano”

## EFFICIENT SCIENCE

Italy's public research and development (R&D) funding has been declining since 2008 (a), but its proportion of scientific publications in the world's top 10% most cited has risen steadily.



# La normativa per gli studi no profit in Italia

DECRETO 17 dicembre 2004.

**Prescrizioni e condizioni di carattere generale, relative all'esecuzione delle sperimentazioni cliniche dei medicinali, con particolare riferimento a quelle ai fini del miglioramento della pratica clinica, quale parte integrante dell'assistenza sanitaria.**

GAZZETTA UFFICIALE DELLA REPUBBLICA ITALIANA  
Serie generale, n. 43 del 22 febbraio 2005

# Back to the future .... Forse...

# Gazzetta ufficiale L 158 dell'Unione europea



Edizione  
in lingua italiana

Legislazione

57° anno

27 maggio 2014

---

Sommario

I *Atti legislativi*

REGOLAMENTI

★ 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 <sup>(1)</sup> .....

1

# Regolamento UE 2014 sulla sperimentazione clinica dei medicinali

- Entrerà effettivamente in vigore non prima del **2020**
- Creazione di un **portale UE** come **unico** accesso per la presentazione dei dati e delle informazioni concernenti le sperimentazioni cliniche
- Introduzione del principio di "**sperimentazione clinica a basso livello di intervento**"
- Introduzione del concetto di "**co-sponsorship**"
- «...gli Stati Membri dovrebbero adottare apposite misure per **incentivare le sperimentazioni cliniche condotte da promotori non commerciali**»

# Una sfida e un'opportunità

SERIE GENERALE

Spediz. abb. post. - art. 1, comma 1  
Legge 27-02-2004, n. 46 - Filiale di Roma

Anno 159° - Numero 25

GAZZETTA  UFFICIALE  
DELLA REPUBBLICA ITALIANA

PARTE PRIMA

Roma - Mercoledì, 31 gennaio 2018

SI PUBBLICA TUTTI I  
GIORNI NON FESTIVI

LEGGE 11 gennaio 2018, n. 3.

Delega al Governo in materia di sperimentazione clinica  
di medicinali nonché disposizioni per il riordino delle pro-  
fessioni sanitarie e per la dirigenza sanitaria del Ministero  
della salute.

# Cosa è successo fino ad ora

## Decreto “Costituzione del Centro di coordinamento nazionale dei Comitati Etici territoriali” 19 Aprile 2018



*Ministero della Salute*

Decreto recante “Costituzione del Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali per le sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano e sui dispositivi medici, ai sensi dell’ articolo 2, comma 1, della legge 11 gennaio 2018, n. 3”.

The screenshot shows the AIFA (Agenzia Italiana Farmaci) website interface. At the top, there is a navigation menu with categories like 'Attività', 'Pillole dal Mondo', 'Concorsi', 'Bandi', 'Modulistica', 'Open Data', 'Position Paper', 'News', 'Banca Dati Farmaci', 'Farmaci-line', 'Intranet', and 'RAM'. Below the navigation, there are user role buttons: 'Cittadino', 'Operatore', 'Azienda', 'Area stampa', and 'Servizi online'. The main content area displays a notice titled 'Consultazione sulle bozze di Contratto per la conduzione della sperimentazione clinica sui medicinali e di Contratto per la conduzione di indagine clinica su dispositivi medici (11/03/2019)'. The notice includes a date of 11/03/2019 and a brief description of the consultation process. On the right side, there is a section for 'Allegati' (Attachments) listing four documents: 1. Comunicazione sulla consultazione pubblica del Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici; 2. Modulo per l'invio dei commenti (.docx); 3. Contratto per la conduzione della sperimentazione clinica su medicinali; 4. Contratto per la conduzione di indagine clinica su dispositivi medici. A left sidebar contains a list of 'Attività' (Activities) such as 'Registrazione', 'Farmacovigilanza', 'Vaccini', 'Difetti di qualità', 'Revisione dei sartani', 'PCA - Programmi di contratto annuale', 'Carenza e indisponibilità', 'Batch Release per i medicinali immunologici e i medicinali derivati dal sangue e dal plasma (umano)', 'Revoche di AIC su rinuncia del Titolare', 'Contrasto al crimine farmaceutico', 'Ispezioni', 'Negotiazione e rimborsabilità', 'Consumi e spesa farmaceutica', 'Innovazione. Supporto scientifico e regolatorio', 'Informazione indipendente', 'Sperimentazione e ricerca', 'Centro di coordinamento nazionale del CE per le sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano e sui dispositivi medici', 'Registri Farmaci sottoposti a monitoraggio', 'Rapporti Internazionali', 'Affari amministrativi', 'Qualità delle procedure e Controllo di gestione', 'Comunicazione', and 'Amministrazione Trasparente'.

**Consultazione pubblica sulla  
bozza di contratto per la  
sperimentazione clinica  
Da 11 Marzo a 10 Maggio 2019**

# Cosa è successo fino ad ora

SENATO DELLA REPUBBLICA  
XVIII LEGISLATURA

N. 72

**ATTO DEL GOVERNO**  
**SOTTOPOSTO A PARERE PARLAMENTARE**

Schema di decreto legislativo recante modifiche al decreto legislativo 6 novembre 2007, n. 200, di attuazione della direttiva 2005/28/CE, adottato in attuazione della delega per il riassetto e la riforma della normativa in materia di sperimentazione clinica dei medicinali ad uso umano

*(Parere ai sensi dell'articolo 1 della legge 11 gennaio 2018, n. 3)*

*(Trasmesso alla Presidenza del Senato il 15 febbraio 2019)*

## Raccomandazione della Conferenza Stato-Regioni

...inserire all'interno del DM che dovrà essere emanato sull'utilizzo dei risultati ai fini di registrazione, anche l'utilizzo dei risultati ai fini delle esenzioni delle indicazioni di utilizzo, anche per gli studi osservazionali e per le implicazioni derivanti da potenziali mancate entrate connesse alla valorizzazione della proprietà intellettuale, come anche per precisazione di promotori profit e non profit e le procedure di riclassificazione e approvazione del passaggio da studio "no profit" a studio "profit"

<http://www.senato.it/service/PDF/PDFServer/DF/342268.pdf>

Fonte: Quotidiano Sanità 11 Marzo 2019

15 Febbraio 2019

# Ottimizzazione delle terapie, benefici per il paziente e risparmio per il SSN

## FOLFOX or CAPOX in Stage II to III Colon Cancer: Efficacy Results of the Italian Three or Six Colon Adjuvant Trial

- 3,759 patients from 130 Italian sites
- 64% receiving FOLFOX and 36% CAPOX
- Two-thirds were stage III
- The median time of follow up was 62 months
  
- The Hazard Ratio of the 3 months vs 6 months was 1.14 (0.99-1.32) → non inferiority
- Absolute difference in 3-year Relapse Free Survival was 1.9% (-0,7% to 4.4%)
- For CAPOX, 3 months were as good as 6 months
- For FOLFOX, 6 months added extra-benefits

# I flussi economici della sperimentazione clinica

Il margine economico è risultato compreso fra il 40% e il 56% dei ricavi delle sperimentazioni profit



# L'impegno di FADOI per la Ricerca no profit

**2** CONVEGNO NAZIONALE SULLA RICERCA INDIPENDENTE IN ITALIA  
LA QUALITÀ DEGLI STUDI NON-PROFIT, PER LA RICERCA E PER I PAZIENTI

CON IL PATROCINIO DI:  
Ministero della Salute  
Istituto Superiore di Sanità  
Agenzia Italiana del Farmaco  
Federazione Nazionale degli Ordini dei Medici Chirurghi e Odontoiatri

**CONVEGNO NAZIONALE**  
Roma, 3-4 marzo 2010

**LA RICERCA INDIPENDENTE IN ITALIA**  
A 5 ANNI DAL DECRETO SUGLI STUDI "NON-PROFIT"

Istituto Superiore di Sanità  
Aula Pocchiani  
Viale Regina Elena, 299

**3** CONVEGNO NAZIONALE SULLA RICERCA INDIPENDENTE IN ITALIA  
Globalizzazione e competitività: una sfida per la ricerca indipendente

CON IL PATROCINIO DI:  
Ministero della Salute  
Istituto Superiore di Sanità  
Agenzia Italiana del Farmaco  
Federazione Nazionale Ordine dei Medici Chirurghi e Odontoiatri  
Federazione delle Società Mediche-Scientifiche Italiane

**CONVEGNO NAZIONALE**  
La Ricerca indipendente in Italia

12-13 Marzo 2011  
ROMA  
Auditorium Ministero della Salute  
Via G. Ribotta, 5

**4** CONVEGNO NAZIONALE SULLA RICERCA INDIPENDENTE IN ITALIA  
Dalle parole all'impegno a fare, subito: si può?

CON IL PATROCINIO DI:  
Ministero della Salute  
Istituto Superiore di Sanità  
Agenzia Italiana del Farmaco  
Federazione Nazionale Ordine dei Medici Chirurghi e Odontoiatri  
Federazione delle Società Mediche-Scientifiche Italiane  
Università Campus Bio Medico

**CONVEGNO NAZIONALE**  
La Ricerca da Promotori no-profit in Italia

8-9 Marzo 2016  
ROMA  
Auditorium Ministero della Salute  
Via G. Ribotta, 5

**5** CONVEGNO NAZIONALE SULLA RICERCA INDIPENDENTE IN ITALIA  
Dentro la Ricerca: la Persona prima di tutto

CON IL PATROCINIO DI:  
Ministero della Salute  
Istituto Superiore di Sanità  
Agenzia Italiana del Farmaco  
Federazione Nazionale Ordine dei Medici Chirurghi e Odontoiatri  
Federazione delle Società Mediche-Scientifiche Italiane  
Università Campus Bio Medico

**CONVEGNO NAZIONALE**  
La Ricerca da Promotori no profit in Italia

21-22 Marzo 2018  
ROMA  
Auditorium Ministero della Salute  
Via G. Ribotta, 5

**6** CONVEGNO NAZIONALE SULLA RICERCA INDIPENDENTE IN ITALIA  
La Ricerca da Promotori no profit in Italia

CON IL PATROCINIO DI:  
Ministero della Salute  
Istituto Superiore di Sanità  
Agenzia Italiana del Farmaco  
Federazione Nazionale Ordine dei Medici Chirurghi e Odontoiatri  
Federazione delle Società Mediche-Scientifiche Italiane

**CONVEGNO NAZIONALE**  
La Ricerca indipendente in Italia

6-7 Marzo 2012  
ROMA  
Auditorium Ministero della Salute  
Via G. Ribotta, 5

# Documento FADOI 2016 – Achievement



## Raccomandazione 1

Predisporre un nuovo Decreto per la ricerca da Promotori no profit, che superi il DM 17.12.2004 a partire da una revisione dei principi di utilizzo dei risultati della ricerca,

ovvero, laddove ciò comportasse tempi lunghi,

eliminare dal Decreto 17.12.2004 la disposizione riportata all'Articolo 1, lettera d) (“... che la sperimentazione non sia finalizzata né utilizzata allo sviluppo industriale del farmaco o comunque a fini di lucro”), e i riferimenti di testo correlati.

## Capo 1, Art. 1, comma n)

“revisione della normativa relativa agli studi clinici senza scopo di lucro ...”

## Capo 1, Art.1, comma o)

“riordino della normativa di cui al DM Salute 17.12.2004 ... In particolare ... nel senso di prevedere la possibilità di cessione dei dati relativi alla sperimentazione all'azienda farmaceutica e la loro utilizzazione a fini di registrazione, per valorizzare l'uso sociale ed etico della ricerca ... “

SERIE GENERALE

Spedito: abb. post. - art. 1, comma 1  
Legge 27-02-2004, n. 46 - Filiale di Roma

Anno 159° - Numero 25

GAZZETTA UFFICIALE

DELLA REPUBBLICA ITALIANA

PARTE PRIMA

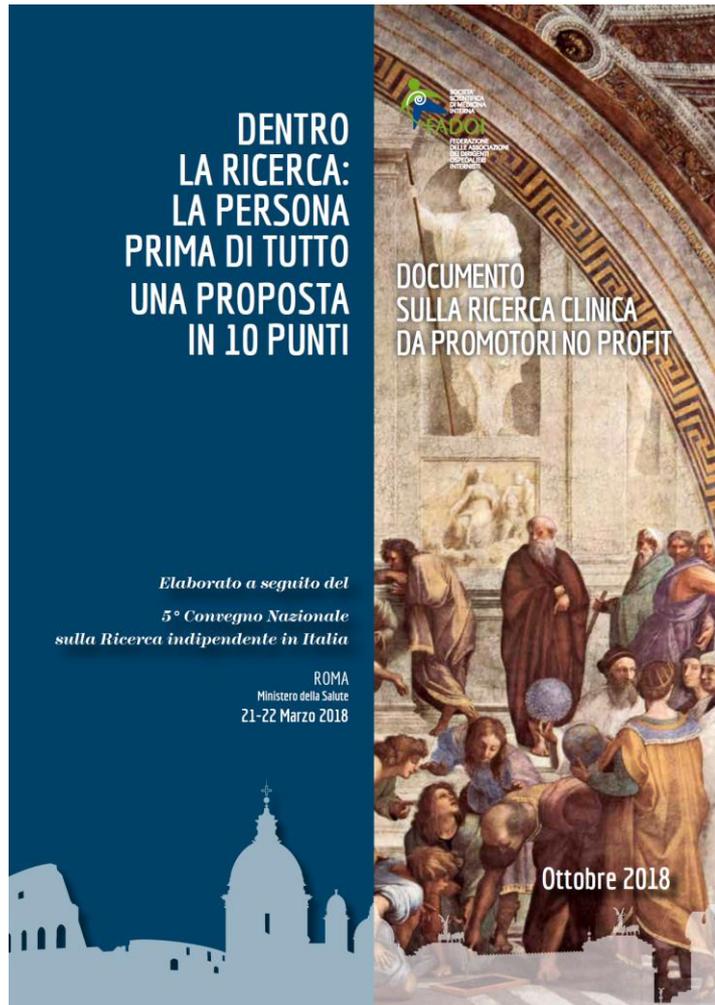
Roma - Mercoledì, 31 gennaio 2018

SI PUBBLICA TUTTI I  
GIORNI NON FESTIVI

### 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.

# Documento propositivo FADOI 2018 per la ricerca clinica (no profit) in Italia



Elaborato da un Gruppo di Lavoro multidisciplinare  
(Coordinatore G. Gussoni)

Contiene 10 Raccomandazioni pragmatiche su  
aspetti normativi e organizzativi, proposte per i  
Decreti attuativi della Legge Lorenzin

**Sottoscritto da 209** fra Società Scientifiche – IRCCS  
– Associazioni Pazienti – Comitati Etici etc., **inclusi**  
**AIOM, FICOG, Alleanza contro il Cancro,**  
**numerosi Gruppi Cooperativi in oncologia**

Inviato all'attenzione delle Istituzioni Novembre 2018

Scaricabile da [www.fadoi.org](http://www.fadoi.org)

# *Sintesi delle Raccomandazioni*

## *Documento propositivo FADOI 2018*

- ❖ Finanziamento per la ricerca no profit come quota fissa del fondo SSN (almeno 1%, auspicabile 3%)
- ❖ La promozione della ricerca clinica fra i principali criteri di valutazione dell'operato dei Direttori Generali
- ❖ Griglia predefinita di requisiti per l'idoneità dei Centri (stratificata per tipologia di studio)
- ❖ La documentazione degli studi deve essere valutata da un solo Comitato Etico, con modulistica nazionale
- ❖ Favorire utilizzo "materiale biologico residuo" a scopi di ricerca ("donazione" / "Patto di Partecipazione")
- ❖ Ottimizzazione degli strumenti informatici per la ricerca / Informatizzazione Aziende Sanitarie
- ❖ Attività didattiche a livello Universitario + iniziative nelle strutture sanitarie sulla metodologia della ricerca
- ❖ Creazione di una Agenzia Nazionale della Ricerca
- ❖ Adeguamenti normative Privacy a tutela dei dati raccolti nelle sperimentazioni / riutilizzo dei dati
- ❖ Riconoscimento del Ricercatore / Implementazione e diffusione di figure professionali di supporto alla ricerca

# Perché “lottare” per la ricerca clinica (no profit)?

- ❖ Perché il know-how dei ricercatori italiani è fra i migliori al mondo
- ❖ Perché l'innovazione è sempre più appannaggio dell'Accademia
- ❖ Perché la ricerca può essere funzionale alla sostenibilità del SSN
- ❖ Perché la ricerca è in grado di produrre *value* da re-investire
- ❖ Circolo virtuoso di aumento competitività e attrazione investimenti
- ❖ Per non perdere il treno della “digital revolution” della ricerca
- ❖ Perché gli *unmet medical need* rimangono molto rilevanti
- ❖ Perché fare ricerca aiuta l'assistenza (appropriatezza)

# Alcune sfide per la Ricerca «#CuresNow» / «It's time to listen to the real experts»



Drugs research + Follow

## US healthcare: Power to the patients?

Families of boys suffering from Duchenne muscular dystrophy push for approval of a new medicine



www.21.com by David Crow

Austin Leclaire steered his electric wheelchair into the hotel ballroom and prepared for what he would later describe as the proudest moment of his life. Upon taking the microphone, the 17-year-old pleaded with US regulators to approve an experimental drug for the deadly wasting disease he suffers from. "It lets me feed myself, it gives us a chance," he told the assembled scientists and doctors. "It's time to listen to the real experts."

Austin has Duchenne muscular dystrophy, a rare genetic disorder that sends its victims — almost all of them boys — to an early grave, usually before they are 25. He was one of more than 150 sick children to attend a meeting organised by the US Food and Drug Administration last month, where it discussed whether to give the green light to Eteplirsen, the first medicine for the disease.

The FDA is due to announce on Thursday if it has approved Eteplirsen, a ruling that is



Families of boys suffering from Duchenne muscular dystrophy are pushing for approval of a new medicine despite scientists' scepticism. The case highlights the difficulty of developing treatments for rare illnesses.  
By David Crow

## Power to the patients?

“E’ tempo di ascoltare i veri esperti... i pazienti»



Convegno  
«Breast Journal Club – 10 Years»  
Cremona, 14-15 Marzo 2019



**Grazie per la Vostra attenzione**

Gualberto

*gualberto.gussoni@gmail.com*