



***MEDICINA PERSONALIZZATA:  
CAMBIAMENTI RADICALI PER  
UN'ASSISTENZA SANITARIA  
MIGLIORE IN EUROPA***

***RACCOMANDAZIONI DELL' ALLEANZA ITALIANA  
PER LA MEDICINA PERSONALIZZATA (IAPM)***

# RACCOMANDAZIONI DELL' ALLEANZA ITALIANA PER LA MEDICINA PERSONALIZZATA (IAPM)

## CONTENUTI

<b>INTRODUZIONE</b> .....	4
<b>LE PROMESSE DELLA MEDICINA PERSONALIZZATA</b> .....	6
<b>COME REALIZZARE LE PROMESSE?</b> .....	6
<b>PERCHÉ È URGENTE?</b> .....	7
<b>QUALI SONO I CAMBIAMENTI NECESSARI?</b> .....	8
<b>---NORMATIVA</b> .....	9
---- <i>Sperimentazioni cliniche</i>	
---- <i>Diagnostici</i>	
---- <i>Dati</i>	
---- <i>Genomica</i>	
<b>---RICERCA</b> .....	11
---- <i>Collaborazione</i>	
---- <i>Finanziamenti</i>	
---- <i>Procedure</i>	
<b>---FORMAZIONE</b> .....	13
---- <i>Programmazione</i>	
---- <i>Comunicazione</i>	
---- <i>Sviluppo</i>	
<b>---VALUTAZIONE E RIMBORSO</b> .....	14
---- <i>Convenienza</i>	
---- <i>Allineamento</i>	
---- <i>Integrazione</i>	
<b>---SENSIBILIZZAZIONE</b> .....	15
---- <i>Interpretazione</i>	
---- <i>Comprensione della genomica</i>	
---- <i>Empowerment</i>	
<b>OSTACOLI ALL'ACCESSO</b> .....	16
<b>INIZIATIVE IN CORSO</b> .....	17
<b>CHI SIAMO: EAPM</b> .....	18



# RACCOMANDAZIONI DELL' ALLEANZA ITALIANA PER LA MEDICINA PERSONALIZZATA (IAPM)

## INTRODUZIONE

La medicina personalizzata è un metodo di cura innovativo e in forte crescita, basato su un numero elevato di strumenti di ricerca, dati e tecnologie all'avanguardia, al fine di ottenere una diagnosi e un follow-up migliori rispetto alle modello generico classico "one-size-fits-all".

Nella pratica, questa nuova metodologia utilizza le informazioni genetiche per determinare la risposta del singolo paziente a un particolare farmaco o a un regime, aiutando quindi il medico ad individuare il trattamento più adeguato ed efficace.

Tuttavia, nonostante i grandi passi avanti fatti negli ultimi anni, in Europa c'è ancora molta strada da fare per raggiungere gli obiettivi della medicina personalizzata. Le sfide che i pazienti, i sistemi sanitari e le aziende del settore si trovano a dover affrontare includono le problematiche legate ai diversi standard di assistenza sanitaria tra i vari Paesi, dove spesso esistono sistemi tariffari diversi, e i problemi di accesso transfrontaliero per i pazienti.

Inoltre, a livello regionale all'interno degli Stati Membri, come nel caso italiano, si rende necessario un allineamento per garantire uguale accesso a tutti i pazienti a prescindere dalla zona in cui vivono: nord, sud, est o ovest del Paese.

*L'efficacia di questa meravigliosa nuova tecnologia, e di questa scienza innovativa, è indubbia. Per poter continuare a progredire questo settore, tuttavia, è necessario che pazienti, medici, ricercatori, accademici, partner industriali, stati membri, politici e molti altri instaurino un dialogo positivo volto alla collaborazione e alla cooperazione (spesso raggiunta grazie a partenariati tra pubblico e privato), che affrontino le questioni legate all'interoperabilità, che facilitino l'accesso transfrontaliero alle terapie e che riformino le sperimentazioni cliniche includendo eventuali sottogruppi e così via.*

Inoltre, la nuova legislazione illustrata nel presente documento perderà ogni suo valore se non verrà implementata velocemente e in maniera efficace in Italia e altrove.

Nessun tipo di organizzazione, portatore di interesse o Stato membro è in grado di raggiungere tali obiettivi da solo. Da qui il

ruolo fondamentale dell'UE nella creazione, promozione e facilitazione di un approccio multicentrico adeguato per affrontare la sfida dell'assistenza sanitaria a livello europeo ora e in futuro. Questo tipo di medicina risulta particolarmente efficace in oncologia, settore nel quale l'Italia è leader a livello europeo.

*"Non vi sono dubbi sul fatto che l'Unione Europea si sia fortemente impegnata negli ultimi anni per migliorare l'assistenza sanitaria. La direttiva sui diritti dei pazienti nell'assistenza sanitaria transfrontaliera, ad esempio, è volta a rafforzare il diritto dei cittadini di scegliere dove curarsi."*

*David Byrne, Former Health Commissioner,  
EAPM Co-Chair*

L'applicazione della direttiva potrebbe essere migliorata e la sua efficacia dipende dalla collaborazione degli stati a livello europeo. Ad ogni modo, raggiungere una collaborazione in questo senso non è facile, poiché la gestione dei sistemi sanitari rimane di competenza dei singoli stati membri, non dell'Unione europea.

Nonostante più di 50 anni, e migliaia di pagine, di legislazione sui medicinali, l'Unione europea resta un insieme confuso di diverse politiche che regolano le condizioni per l'innovazione e l'accesso. Tra i 28 Paesi esistono differenze, spesso profonde, per quanto concerne le tariffe, i rimborsi e le tempistiche di consegna dei medicinali al paziente.

A causa dei rapidi progressi fatti nei settori medico e tecnologico, l'UE è dovuta restare al passo per quanto concerne la legislazione sui test clinici, la protezione dei dati, la valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA), l'uso di dispositivi medici e la diagnosi in vitro.

Per poter sviluppare la medicina personalizzata al massimo delle sue potenzialità, l'UE deve comprendere appieno il suo valore e impegnarsi per eliminare gli ostacoli.

L'Alleanza Europea per la Medicina Personalizzata (EAPM) ha svolto un ruolo di grande rilievo sia durante la conferenza che nella stesura delle conclusioni, anche se la strada da percorrere per raggiungere tutti gli obiettivi è ancora lunga. È necessaria la collaborazione di tutti gli Stati membri, compresa l'Italia.

Le stesse raccomandazioni della presidenza italiana, pubblicate nel dicembre 2014, erano sostanzialmente volte a realizzare il potenziale della medicina personalizzata.



***"Nella seconda metà del 2014 è stato fatto un enorme passo avanti: la presidenza italiana dell'UE ha posto i pazienti al centro delle conclusioni del Consiglio. L'anno scorso è stato segnato da un ulteriore momento di svolta, in occasione della conferenza di alto livello sulla medicina personalizzata organizzata dalla presidenza lussemburghese, che ha contribuito in maniera significativa alla formulazione delle storiche conclusioni del consiglio sulla questione dell'accesso dei pazienti a questa nuova forma di trattamento."***

***Gabriella Pravettoni, Full Professor of Psychology of Decision Making, University of Milan, Director of the Psychoncology Division, European Institute of Oncology, Milan***

Il Consiglio, in quell'occasione, dichiarò che: "Riconosce che le innovazioni nell'assistenza sanitaria possono contribuire alla salute e al benessere dei cittadini e dei pazienti mediante l'accesso a prodotti, servizi e trattamenti innovativi con valore aggiunto... (e) Rileva che per stimolare lo sviluppo occorre agevolare la trasformazione dei progressi scientifici in medicinali innovativi i quali rispettino le norme regolamentari, accelerino l'accesso dei pazienti a terapie innovative con un valore aggiunto per i pazienti stessi e siano alla portata dei sistemi sanitari degli Stati membri dell'UE."

Allo stesso tempo le raccomandazioni riportavano che: "(il Consiglio) Riconosce che un dialogo tempestivo tra ideatori di nuove tecnologie, autorità di regolamentazione, organismi di valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA) e, in caso, organismi preposti alla fissazione dei prezzi può promuovere l'innovazione e l'accesso più rapido ai medicinali a prezzi abbordabili a beneficio dei pazienti".

Inoltre, il documento: "Ricorda le discussioni della riunione informale dei ministri della salute, tenutasi a Milano il 22-23 settembre 2014 sul tema «innovazione dell'assistenza sanitaria a beneficio dei pazienti», che hanno messo in evidenza l'esigenza di sostenere l'innovazione a beneficio dei pazienti attraverso un migliore utilizzo degli strumenti normativi esistenti per le procedure di autorizzazione all'immissione in commercio, come pure i rischi potenziali per la sostenibilità di alcuni sistemi sanitari nazionali connessi alla pressione molto elevata dei costi derivante da certi prodotti innovativi."

***"D'ora in avanti l'Alleanza Italiana per la Medicina Personalizzata seguirà lo schema dell'EAPM nel cercare di costruire un'associazione multilaterale al fine di operare i cambiamenti necessari. Tutto ciò è altamente auspicabile."***

***Filippo De Braud, Direttore Dipartimento Oncologia Milano, Direttore Divisione Oncologica Medical, Fondazione IRCCS Istituto Nazionale Tumori Milano***

# RACCOMANDAZIONI DELL' ALLEANZA ITALIANA PER LA MEDICINA PERSONALIZZATA (IAPM)

## LE PROMESSE DELLA MEDICINA PERSONALIZZATA

La medicina personalizzata rappresenta una vera e propria rivoluzione nell'assistenza sanitaria. Personalizza la strategia terapeutica, sostituendosi così al approccio classico "one-size-fits-all".

Attuare appieno la medicina personalizzata nei servizi sanitari significherebbe fornire "la giusta terapia al giusto paziente al momento giusto". La medicina personalizzata migliora i risultati sul paziente e riduce il ricorso a terapie innecessarie e costose. Ciò ridurrà gli sprechi dal punto di vista della spesa sanitaria a vantaggio degli operatori sanitari e dei circa 60 milioni di cittadini italiani che vivono all'interno dell'Unione europea.

Il cuore del concetto di medicina personalizzata è rappresentato da una visione clinica paziente-centrica che considera il profilo biologico del paziente, il suo stile di vita e i fattori ambientali. In questo nuovo concetto di assistenza sanitaria personalizzata s'inserisce, quindi, la concezione secondo la quale ognuno è responsabile del proprio benessere, dal momento che grazie alla genomica moderna possiamo essere più consapevoli del nostro stato di salute e conoscere le nostre suscettibilità individuali.

La medicina personalizzata, grazie all'introduzione di "dati -omici" all'interno delle cartelle cliniche e nella determinazione delle cure mediche per i pazienti (screening, trattamenti precoci o prevenzione), può calibrare con precisione la terapia per ottenere il massimo dell'efficacia combinando la medicina molecolare e le tecnologie informatiche.

*"Attualmente esistono più di 200 tipi di tumore identificati. Studi recenti hanno dimostrato che ognuna di queste aree contiene un certo numero di sottogruppi. In realtà esistono, quindi, migliaia di diversi tipi di tumori."*

*Gordon McVie,  
Kings College London*

La medicina personalizzata rappresenta un superamento dell'attuale ampia definizione di malattia: identifica sotto-tipi di malattie e valuta le caratteristiche di ogni singolo paziente in ogni situazione. In questo modo la medicina personalizzata è in grado di offrire combinazioni ottimali di trattamenti riducendo la possibilità di effetti collaterali. L'EAPM definisce la medicina personalizzata come "un approccio mirato alla prevenzione, alla

diagnosi e al trattamento della malattia sulla base dello specifico profilo di ogni individuo".

*"La medicina personalizzata fornisce al medico nuovi strumenti per poter adeguare l'approccio terapeutico ai bisogni individuali del paziente attraverso una combinazione di nuove molecole specifiche e i relativi biomarcatori. Tale approccio rappresenta un passaggio dalla medicina reattiva alla medicina proattiva e preventiva, con la promessa di meno effetti collaterali e una vita più lunga e sana."*

*Filippo de Braud, Direttore Dipartimento Oncologia  
Milano, Direttore Divisione Oncologica Medical,  
Fondazione IRCCS Istituto Nazionale Tumori Milano*

La medicina personalizzata introduce persino la prospettiva di sistemi sanitari più sostenibili. Infine, compilando profili con dati relativi alle popolazioni, i sistemi sanitari saranno in grado di individuare la terapia o percorso di prevenzione migliori per ogni cittadino, sviluppando così strategie radicalmente diverse su larga scala.

Lo spostamento verso un uso più ampio della medicina personalizzata è già in atto: questo approccio innovativo viene infatti già usato in oncologia, ematologia, cardiologia e patologie rare. Inoltre, si stanno sviluppando nuovi prodotti da utilizzare in questo nuovo modello di cura.

*"Molti pazienti oncologici conoscono l'uso dei dati genetici individuali per prevedere, prevenire, diagnosticare o curare e hanno seguito terapie personalizzate sviluppate grazie ad un approccio collaborativo tra paziente e operatore sanitario che prevede un trattamento mirato."*

*Denis Horgan,  
Executive Director,  
European Alliance for Personalised Medicine*

## COME REALIZZARE LE PROMESSE?

Per permettere alla medicina personalizzata di sviluppare appieno il suo potenziale nei prossimi anni in Italia e nel resto dell'UE, si dovranno affrontare numerose sfide interne al settore sanitario.

L'Italia sta già recependo il regolamento nella sua legislazione, ma è altresì necessario promuovere la ricerca, poiché sono necessari nuovi approcci per valutare l'efficacia dei farmaci personalizzati. È, inoltre, fondamentale potenziare la formazione degli operatori sanitari e aumentare la consapevolezza della popolazione e dei pazienti in tutte le regioni italiane.

*"Molti prodotti farmacologici personalizzati sono lontani dall'essere pienamente disponibili sul mercato e l'attività di traduzione dei risultati della ricerca in questo campo è appena iniziata. Il sostegno è fondamentale, specialmente per quanto riguarda la collaborazione transfrontaliera e multidisciplinare."*

*Mark Lawler, Chair in Translational Cancer Genomics and Associate Director of Postgraduate Studies, Centre for Cancer Research and Cell Biology, Queen's University Belfast*

Innanzitutto, però, è assolutamente necessario coinvolgere tutte le parti interessate in ogni regione italiana, poiché solo cambiando la concezione di interi aspetti dell'assistenza sanitaria in tutto il Paese, a prescindere dall'area geografica, e promuovendo un approccio multidisciplinare, la medicina personalizzata potrà svilupparsi al massimo delle sue potenzialità.

Attualmente le discipline che contribuiscono allo sviluppo della medicina personalizzata sono per lo più isolate le une dalle altre, sebbene ultimamente questo aspetto sia leggermente migliorato. L'Alleanza Italiana intende riunire pazienti, operatori sanitari e tutte le parti coinvolte al fine di considerare i punti di vista di tutti i soggetti interessati e consolidare approcci comuni.

Esistono opinioni divergenti riguardo alla medicina personalizzata e il dibattito è spesso frammentato. Il dialogo intenso instaurato dall'EAPM nel tentativo di raggiungere un consenso interdisciplinare si è rivelato di fondamentale importanza, portando alla formulazione di una politica e all'adeguazione delle prassi. L'Alleanza Italiana proseguirà nella stessa direzione a livello sia regionale che nazionale, al fine di porre in evidenza le migliori prassi italiane.

Tuttavia, si rileva anche la necessità di una struttura in grado di promuovere una conoscenza approfondita della medicina personalizzata tra gli operatori sanitari, i pazienti e la popolazione in tutte le regioni italiane. Finalmente tutti i soggetti interessati (compresi operatori sanitari, accademici, ricercatori, utenti, industrie, enti regolatori, medici specialisti e pazienti) stanno contribuendo attivamente al futuro della medicina personalizzata.

*"In tutta Europa, quindi anche in Italia, le opinioni riguardo alla medicina personalizzata possono variare a seconda dei punti di vista: per i pazienti offre una qualità di vita migliore e in molti casi garantisce la sopravvivenza; i ricercatori ne vedono le potenzialità nelle proprie aree di specializzazione; per l'industria rappresenta nuove possibili strade, ed entrate, nella trasformazione delle terapie; per un fisico significa un nuovo modo per curare i pazienti; per la società rappresenta un'opportunità di miglioramento generale dell'assistenza sanitaria o un nuovo peso economico."*

*Giovanni Martinelli, Associate Professor Department of Specialised, Experimental, and Diagnostic Medicine, University of Bologna*

Inoltre, sebbene le sfide siano diverse a seconda del tipo di malattia, dell'ambiente di cura e del contesto regionale, risulta fondamentale continuare la ricerca e definizione di principi condivisi che permetteranno lo sviluppo di un approccio all'assistenza sanitaria pienamente personalizzato.

*"Medico e paziente potranno analizzare assieme le opzioni solo se parlano la stessa lingua e conoscono entrambi, seppure a grandi linee, il concetto delle basi genetiche e la patofisiologia della malattia, considerando anche il profilo psicologico del paziente (livello d'istruzione, stato mentale e attitudine al rischio)."*

*Domenica Taruscio, MD Director National Centre for Rare Diseases, Istituto Superiore di Sanità*

## **PERCHÉ È URGENTE?**

I diversi sistemi sanitari europei, compreso quello italiano, versavano in una situazione economica problematica ancora prima della crisi finanziaria, che li ha esposti a ulteriori difficoltà.

Oggi le discussioni sui sistemi sanitari sono all'ordine del giorno nel dibattito europeo sulla sostenibilità delle finanze pubbliche. Allo stesso tempo, i progressi in ambito medico-scientifico, accompagnati dall'invecchiamento della società italiana, gravano sui sistemi sanitari con il peso di una domanda che diventerà impossibile da soddisfare secondo le

# RACCOMANDAZIONI DELL' ALLEANZA ITALIANA PER LA MEDICINA PERSONALIZZATA (IAPM)

modalità attualmente applicate nel settore. Dall'altro lato, si manifesta la crescente consapevolezza che i tagli alla spesa sanitaria, specialmente all'assistenza sanitaria di base, alla prevenzione e all'intervento precoce, rappresentano una falsa economia. Una popolazione più sana contribuisce attivamente alla crescita economica e grava meno sui sistemi sanitari.

Tenendo in considerazione il contesto fin qui delineato, è necessario integrare nuove strategie.

*Il calo previsto dei decessi per tumore dovuto all'innalzamento dei tassi di sopravvivenza, unito all'incremento previsto di nuovi pazienti oncologici nei prossimi dieci anni, è solo una delle crescenti pressioni sui sistemi sanitari. La medicina personalizzata, con il suo approccio più predittivo, mirato e proattivo, con la stretta collaborazione del paziente, fornisce la speranza di un innalzamento dei tassi di guarigione, influenzando positivamente l'economia sanitaria e la qualità di vita dei pazienti.*

*"Un numero crescente di studi dimostra che "salute è ricchezza", ovvero la salute non è solo un effetto secondario della crescita economica, ma è una delle sue componenti più importanti. Ad esempio, una riduzione pari al 10% dei decessi per malattie cardiovascolari durante la vita attiva rappresenterebbe una crescita del PIL pro capite pari al 1%. Al contrario, si stima che le disuguaglianze in termini di salute costino all'UE l'1,4% circa del PIL, se consideriamo le perdite e i costi legati alla produttività della manodopera per la previdenza sociale."*

**Francesco de Lorenzo,  
President,  
European Cancer Patient Coalition**

I leader europei devono comprendere che ridurre la spesa destinata a servizi fondamentali come la sanità, specialmente l'assistenza sanitaria di base e l'intervento precoce, rappresenta una falsa economia. Farà lievitare i costi sul lungo periodo, causando il riemergere di malattie trasmissibili e scaricando tutto il peso sui cittadini con risorse più limitate.

La medicina personalizzata può generare risparmi sui costi. Non rappresenta la soluzione definitiva alla sfida di rendere sostenibili i sistemi sanitari, ma introduce un utilizzo più efficiente delle risorse accompagnato da miglioramenti per la salute pubblica e la qualità della vita.

*I calcoli sono complessi ed è importante rispettare tale complessità quando si vogliono fare previsioni. I risparmi mirati sui costi legati alla spesa per farmaci per un gruppo di pazienti saranno facilmente bilanciati da un altro sottogruppo e dal suo aumento dell'uso di un farmaco che prima era considerato non adatto per grandi monogruppi. Allo stesso modo, i costi derivanti dagli investimenti in nuove tecnologie e infrastrutture sul breve e medio periodo verranno probabilmente bilanciati dai risparmi a lungo termine derivanti da un'efficace attività di prevenzione ed intervento precoce.*

## QUALI SONO I CAMBIAMENTI NECESSARI?

Per poter beneficiare delle opportunità offerte dalla medicina personalizzata, è necessario modificare l'attuale approccio all'assistenza sanitaria nelle aree seguenti:

- Il contesto normativo dovrà permettere al paziente un accesso tempestivo alla nuova ed efficace medicina personalizzata
- Potenziare le attività di ricerca e sviluppo della medicina personalizzata
- Adeguare l'istruzione e la formazione degli operatori sanitari
- Introdurre nuovi approcci ai rimborsi e alla valutazione delle tecnologie sanitarie
- Intraprendere attività di sensibilizzazione dei pazienti e della popolazione riguardo alla medicina personalizzata

L'Alleanza Italiana per la Medicina Personalizzata ha elaborato la sua visione di ciò che occorre per ognuno dei punti sopra citati e il presente documento intende illustrarli più nel dettaglio.





## **NORMATIVA**

Il contesto normativo italiano sta tentando di regolamentare la nuova scienza e i nuovi prodotti, al fine di permettere ai pazienti un accesso tempestivo alla nuova ed efficace medicina personalizzata. Ciò richiederà un'attività di snellimento, semplificazione e armonizzazione del quadro normativo attuale per poter far fronte rapidamente alle terapie personalizzate emergenti e ai diagnostici/dispositivi di accompagnamento.

### **Sperimentazioni cliniche**

Occorre adattare la registrazione dei farmaci ai nuovi ed innovativi progetti di sperimentazioni cliniche che studiano nuove molecole mirate e i relativi biomarcatori con agenti singoli o in combinazione, o che utilizzano le nanotecnologie o la raccolta dati non invasiva, come i biomarcatori di imaging.

Occorre un nuovo approccio per quanto concerne i protocolli e le approvazioni condizionate. Sarà inoltre necessaria una più ampia accettazione dei modelli, data la dimensione ridotta dei gruppi di pazienti.

*Con la riclassificazione delle malattie in sottogruppi più piccoli, popolazioni più ridotte di pazienti diventano disponibili per le sperimentazioni cliniche.*

Occorre, inoltre, migliorare la coordinazione per ridurre il rischio di duplicazione e frammentazione della ricerca in Europa e per permettere a ricercatori, medici e pazienti di avere miglior accesso alle informazioni sulle sperimentazioni in corso.

È necessario velocizzare l'attività di selezione, poiché disporre di un numero sufficiente di pazienti è una premessa fondamentale per poter introdurre rapidamente nuovi ed efficaci trattamenti nelle pratiche di assistenza quotidiana.

Occorre sviluppare un metodo di valutazione coordinato per le attuazioni delle sperimentazioni cliniche (proposto nell'aggiornamento del regolamento UE sulle sperimentazioni cliniche) al fine di aiutare il mondo accademico o le industrie nell'organizzazione di sperimentazioni per pazienti affetti da patologie rare.

*"L'uso di diagnostici affidabili è una parte fondamentale della definizione di una terapia personalizzata."*

*Mario Pazzagli,  
EurClinChem, Professor of Clinical Biochemistry and  
Clinical Molecular Biology,  
Department of Experimental and Clinical Biomedical  
Science, University of Florence*

# RACCOMANDAZIONI DELL' ALLEANZA ITALIANA PER LA MEDICINA PERSONALIZZATA (IAPM)

È necessario creare un'assicurazione coordinata paneuropea di qualità per i test molecolari di alto livello sia durante le sperimentazioni cliniche che nella cura quotidiana dei pazienti.

La sperimentazione clinica randomizzata è sempre stata alla base del progresso in questo settore. Tuttavia, molte cose stanno cambiando oggi e ed è opportuno domandarsi se l'approccio classico alle sperimentazioni cliniche (paragonare il regime A al regime B) continui ad essere l'opzione migliore nell'era della medicina personalizzata.

Le sperimentazioni cliniche devono soddisfare le necessità di tutte le parti interessate in modo completo e trasparente. Occorre aumentare di molto il livello di efficacia all'inizio del processo di sperimentazione e introdurre il concetto di efficacia legato ai costi.

In Italia ciò permetterà negoziazioni sul prezzo più eque e quindi anche un accesso più equo a terapie innovative per i pazienti oncologici.

È inoltre importante delineare una chiara strategia di biomarcatori e inserirla nella procedura di sperimentazione clinica insieme ad un'adeguata revisione normativa e ad un'applicazione basata sulle migliori prassi a livello internazionale.

Dal momento che la medicina si sta allontanando dall'approccio generico classico per dirigersi verso un approccio personalizzato in oncologia, risulta necessario adottare gli stessi principi nel moderno progetto di sperimentazione clinica, soprattutto poiché la biologia del tumore nelle malattie oncologiche si divide sempre di più in diversi sottogruppi clinici.

Il quadro normativo deve essere onnicomprensivo ma flessibile, deve affrontare questioni fondamentali quali l'accesso alle sperimentazioni cliniche, la validazione e l'integrazione dei biomarcatori, le sfide complesse poste dalla raccolta dati, il contesto normativo, la questione del rapporto costo-valore ed i punti di vista e le esperienze dei pazienti.

Occorre, inoltre, stabilire una collaborazione ad alto livello riunendo tutti i soggetti interessati (operatori sanitari, pazienti, ricercatori, industria, finanziatori, politici ed enti regolatori) in un partenariato di alto valore aggiunto, in modo da poter eliminare gli ostacoli e trovare soluzioni adeguate per offrire un'assistenza efficiente ai pazienti oncologici.

È arrivato il momento di affrontare diverse questioni, quali come ottimizzare la ricerca per poter rispondere alle necessità e agli obiettivi dei diversi soggetti coinvolti con interessi concorrenziali, come ottimizzare le limitate opportunità per

rispondere a importanti quesiti di ricerca, come migliorare la collaborazione transfrontaliera, specialmente tra diversi portatori di interessi, e come incentivare lo sviluppo dei biomarcatori.

Allo stesso tempo, è necessario comprendere quali soluzioni possano contribuire a migliorare lo scambio di informazioni sulla ricerca esistente al fine di evitare decisioni cliniche non ottimali. Questo può portare, infatti, ad un ritardo nell'attuazione delle migliori prassi nella ricerca clinica e nella pratica.

## Diagnostici

Risulta necessario stabilire un livello di prova per lo sviluppo e la validazione dei biomarcatori, oltre ad un quadro normativo che regoli il co-sviluppo di un biomarcatore e i diagnostici di accompagnamento. Il contesto normativo deve riflettere la velocità alla quale si stanno sviluppando e validando i biomarcatori per personalizzare le terapie, compresi i biomarcatori non impiegati nel processo di sviluppo dei farmaci. Lo scopo è formulare delle linee guida europee per i biomarcatori al fine di armonizzare l'attività in tutta l'Unione europea, compresa l'Italia.

***"L'individuazione e la validazione di nuovi biomarcatori sono fondamentali per un'attuazione efficace della medicina personalizzata. Occorrono controlli di qualità per assicurare la precisione dei risultati di questi biomarcatori al fine di garantire, da un lato, che non venga erroneamente negato l'accesso a cure efficaci a pazienti che presentino risultati dei test dei biomarcatori falsamente negativi o, dall'altro lato, che i pazienti non siano trattati con una cura che non sia per loro efficacie esponendoli a inutili effetti collaterali."***

**Giampaolo Bianchini,  
Ospedale San Raffaele, Milano**

Occorre stabilire livelli comuni per le prove cliniche di sostegno alle ipotesi diagnostiche che suggeriscono l'uso di un trattamento specifico.

Le analisi per uso interno prodotte dai laboratori clinici devono soddisfare gli stessi criteri di qualità, sicurezza e criteri normativi dei dispositivi medico-diagnostici in vitro (IVD), al fine di garantire lo stesso livello di qualità e funzionamento dei diagnostici di accompagnamento ai quali si sostituiscono.

L'Unione europea ha già pubblicato un nuovo Regolamento degli IVD in sostituzione all'attuale Direttiva 98/79/EC sui

dispositivi medico-diagnostici in vitro. Il nuovo Regolamento inquadra tutti i dispositivi presenti sul mercato.

Tale Regolamento introduce cambiamenti significativi per il settore degli IVD. In seguito alla modifica del sistema di classificazione dei dispositivi IVD e delle procedure di valutazione di conformità, l'80% circa dei prodotti IVD dovrà dotarsi di un Notified Body.

Il Regolamento introduce cambiamenti sostanziali anche per quanto concerne le prove cliniche e le procedure di vigilanza sui dispositivi.

### **Dati**

L'EAPM, insieme ad altri portatori di interessi, ha premuto affinché il quadro normativo prevedesse un ampio consenso per studi futuri con l'utilizzo di dati memorizzati, contemplando anche la condivisione a livello internazionale dei dati relativi ai pazienti.

In occasione di una riunione straordinaria tenutasi il 17 dicembre 2015, la commissione per le libertà civili, la giustizia e gli affari interni del Parlamento europeo si è espressa riguardo al testo elaborato durante le negoziazioni in sede di trilogia tra il Consiglio, il Parlamento europeo e la Commissione per il regolamento generale sulla protezione dei dati.

Si prevede che il nuovo regolamento entrerà in vigore nella primavera 2018. Successivamente dovrà essere recepito da tutte le regioni italiane.

### **Genomica**

"Healthcare genomics" è il nome di una campagna guidata dall'EAPM e dai suoi affiliati il cui lancio è previsto per il mese di aprile 2016 e alla quale intendiamo prendere parte attiva a livello nazionale grazie all'Alleanza Italiana per la Medicina Personalizzata.

L'iniziativa è volta a sensibilizzare la classe politica italiana al fine di creare un contesto adeguato per la corretta applicazione della genomica e delle relative tecnologie in ambito sanitario.

Ciò rappresenterà un contributo significativo alla realizzazione delle grandi potenzialità della medicina personalizzata.

Gli studi sulla genomica si sono sviluppati in maniera sostanziale dal 2000, anno in cui nell'ambito del Progetto genoma umano (Human Genome Project) si è riusciti a sequenziare gran parte del genoma umano.

Nel corso degli ultimi 15 anni la ricerca ha contribuito

enormemente alla comprensione delle implicazioni del genoma per la salute. Questo progresso è stato accompagnato da una grande rivoluzione in campo tecnologico, compreso lo sviluppo della tecnica Next Generation Sequencing (NGS). L'abbassamento dei costi rende tali tecnologie più accessibili e utilizzabili in ambito clinico.

*"Da un punto di vista clinico e scientifico risulta di fondamentale importanza promuovere la piena introduzione delle tecnologie NGS nelle sperimentazioni cliniche e nella cura delle patologie moderne, in modo da poter applicare i risultati prodotti da queste nuove tecnologie direttamente sui pazienti. Anche la medicina genomica può contribuire al miglioramento dell'assistenza medica sia da un punto di vista del rapporto costo/qualità (stratificazione più precisa dei pazienti per i trattamenti) sia per quanto concerne la qualità di vita del paziente (riducendo la probabilità di intraprendere trattamenti tossici)."*

*Gordon McVie,  
EAPM Board Member,  
European Institute of Oncology*

### **RICERCA**

Più investimenti e una maggiore collaborazione tra i centri di ricerca europei ed italiani sono fondamentali per garantire finanziamenti e sostenibilità a lungo termine alle efficienti infrastrutture necessarie per l'utilizzo della medicina personalizzata.

Occorre aumentare gli investimenti in nuove tecnologie per la scoperta e lo sviluppo dei farmaci. Alla luce delle nuove conoscenze sulla biologia umana, è necessario riclassificare le malattie in maniera più precisa sulla base delle caratteristiche cliniche e dei biomarcatori, al fine di elaborare approcci di cura diversi.

Sarebbe necessario utilizzare nuove tecnologie per l'individuazione e la diagnosi delle malattie e per seguire i trattamenti. Di fronte allo sviluppo di nuove tecnologie, occorrerà standardizzare la raccolta dei tessuti o le biobanche.

# RACCOMANDAZIONI DELL' ALLEANZA ITALIANA PER LA MEDICINA PERSONALIZZATA (IAPM)

*Un'azione strategica per la ricerca sanitaria europea può accelerare la ricerca biomedica e promuovere l'Europa come centro d'innovazione per la ricerca sanitaria; coordinare i programmi di finanziamento della ricerca biomedica; definire e sostenere la ricerca di lungo termine che affronta la questione del ciclo di innovazione e della collaborazione interdisciplinare; coinvolgere non solo gli scienziati ma anche rappresentati dei pazienti e importanti ricercatori di altri campi, al fine di potenziare creatività e innovazione nel settore e promuovere un'Italia più sana.*

## **Collaborazione**

Risulta fondamentale stabilire una collaborazione strategica nella ricerca sanitaria nell'ambito del programma quadro dell'UE per la ricerca, il quadro Horizon 2020, guidato dalla comunità scientifica con il coinvolgimento anche di altri portatori di interessi, come le organizzazioni di pazienti, al fine di evitare sovrapposizioni e sfruttare al meglio le risorse.

L'UE dovrebbe promuovere nuove forme di collaborazione tra il mondo accademico e l'industria per la scoperta e la validazione dei biomarcatori predittivi pre-trattamento per la stratificazione dei pazienti. La bioinformatica e la biologia dei sistemi si stanno sviluppando sempre di più insieme ad una infrastruttura tecnologica nella ricerca clinica per l'identificazione e la validazione dei biomarcatori predittivi.

Occorre creare una piattaforma comune per la ricerca sui biomarcatori, data la complessità e i costi di tale attività. È inoltre necessario sensibilizzare riguardo all'importanza di una raccolta di tessuti obbligatoria e standardizzata. Sarà opportuno creare banche dati avanzate per i dati clinici e biologici, oltre a banche dati cliniche per i risultati della ricerca. Per armonizzare i protocolli ed integrare i dati interoperabili sarà inoltre necessario scambiare informazioni e buone prassi.

La coordinazione tra le varie reti di ricerca sulla medicina personalizzata è fondamentale al fine di evitare duplicazioni nelle attività e raggiungere la massa critica necessaria.

La ricerca clinica innovativa sulla medicina personalizzata richiede maggiore integrazione tra la ricerca di base/preclinica

e la ricerca clinica. In particolare, il mondo accademico deve migliorare la collaborazione con le industrie attraverso progetti congiunti per scoprire e validare i biomarcatori predittivi pre-trattamento per la stratificazione dei pazienti.

Sarebbe importante promuovere la collaborazione tra le industrie farmaceutiche e le industrie di prodotti diagnostici, specialmente tramite partenariati con la ricerca accademica.

Di seguito riportiamo una sintesi dell'attività dell'Alleanza Italiana a livello nazionale:

- Attività di sensibilizzazione ed empowerment
- Integrazione dei mega-dati e delle soluzioni informatiche
- Traduzione della ricerca di base, clinica e altri tipi di ricerca
- Creazione di un'assistenza sanitaria sostenibile

## **Finanziamenti**

I finanziamenti rappresentano un aspetto imprescindibile della difficile ricerca sulla complessità biologica delle malattie. Il programma Horizon 2020 deve stanziare fondi sufficienti per la ricerca sulla medicina personalizzata realizzata da scienziati, medici e pazienti.

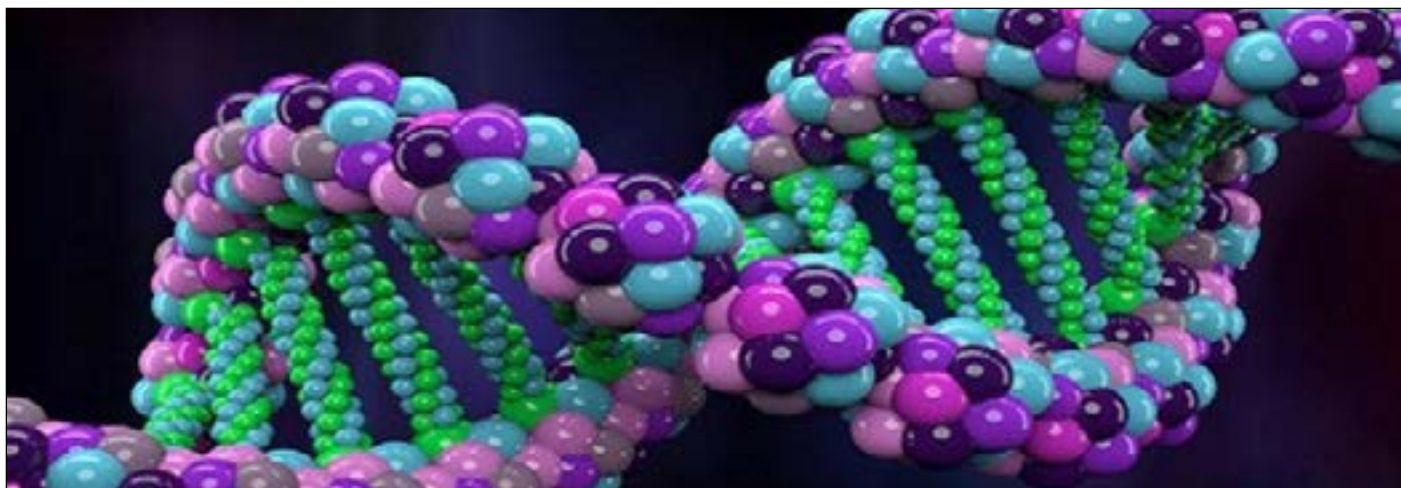
Sono necessari finanziamenti per identificare e validare nuovi biomarcatori. Spesso per ogni tipologia di tumore è necessario analizzare diversi marcatori prima di identificarne e validarne uno adeguato. Di conseguenza, risulta evidente come investire nella ricerca oggi contribuisca in modo significativo all'attuazione della medicina personalizzata.

La collaborazione tra pubblico e privato nella ricerca e innovazione nel campo delle scienze naturali prevista dal programma Horizon 2020 (e IMI II) dovrebbe concentrarsi sulla medicina personalizzata.

## **Procedure**

Occorre snellire i procedimenti normativi che regolano l'attività di ricerca, al fine di inserire i nuovi progetti di sperimentazione e le analisi statistiche. È inoltre necessario un miglior allineamento tra le metodologie di valutazione attualmente esistenti e le richieste di dati per la valutazione rischi/benefici.

Si richiedono anche ulteriori incentivi alla ricerca sotto forma di maggiore flessibilità per l'approvazione condizionata o un'indennità di esclusività dei dati nel caso in cui la ricerca non soddisfi i requisiti.



## FORMAZIONE

Dal momento che l'esercizio della medicina personalizzata richiederà il coinvolgimento di molti gruppi diversi (enti regolatori, operatori sanitari, tecnici, e molti altri), sarà necessario fornire una formazione multidisciplinare, al fine di ridurre la frammentazione delle conoscenze e i problemi di comunicazione.

Tutti gli operatori interessati (psicologi, infermieri, medici di base, ecc.) dovranno intraprendere un percorso di formazione sugli aspetti principali della medicina personalizzata, come ad esempio lo studio di casi clinici.

L'EAPM organizzerà nel mese di luglio 2016 il primo innovativo corso estivo annuale sulla medicina personalizzata, dal nome TEACH. L'acronimo TEACH significa "Formazione e istruzione per medici specialisti ed operatori sanitari" (Training and Education for Advanced Clinicians and HCPs). Lo scopo dell'iniziativa è formare e aggiornare i giovani operatori sanitari sugli ultimi sviluppi in questo campo nuovo ed entusiasmante.

TEACH si rivolge agli operatori sanitari con età compresa tra i 28 e i 40 anni e si propone di affrontare tematiche quali gli anticorpi monoclonali, i farmaci inibitori e l'importanza di porre il paziente al centro della terapia, il tutto nel contesto della medicina personalizzata.

L'evento si terrà a Cascais, in Portogallo, dal 3 al 7 luglio e nel corso delle varie giornate un corpo composto da 20 esperti guiderà sessioni plenarie, discussioni di gruppo e simulazioni che coinvolgeranno gli all'incirca 80 operatori sanitari partecipanti.

Tra gli innumerevoli aspetti positivi, il corso rappresenterà la sede ideale per presentare nuovi dati emersi dalle sperimentazioni cliniche e dalla ricerca di base e per scambiare idee e punti di vista sull'innovazione.

I partecipanti avranno la possibilità di accrescere la propria conoscenza degli approcci basati sulle prove di efficacia per la diagnosi e il trattamento, avere accesso ai risultati più recenti

della ricerca clinica e traslazionale e aggiornare le proprie conoscenze riguardo le innovative tecniche emergenti, gli strumenti diagnostici e altro ancora.

L'Alleanza Italiana per la Medicina Personalizzata (IAPM) sostiene fortemente l'importanza dell'istruzione e della formazione degli operatori sanitari. Fin da subito, infatti, si richiede loro un elevato livello di competenza e, per stare al passo con gli sviluppi scientifici, tali competenze devono essere periodicamente aggiornate e accresciute.

L'Europa deve assicurare che a nessun paziente venga negato un trattamento adeguato e mirato a causa di una mancata conoscenza o di una preparazione inadeguata da parte dell'operatore sanitario che lo assiste.

Sul tema dell'istruzione in generale l'IAPM ha fatto appello all'UE, affermando che: "Entro l'anno 2020, l'UE dovrebbe sostenere lo sviluppo di un sistema di istruzione e formazione degli operatori sanitari a livello europeo per l'era della medicina personalizzata. L'UE dovrebbe, quindi, promuovere lo sviluppo di una Strategia di istruzione e formazione in medicina specializzata degli operatori sanitari."

### Programmazione

Mentre il finanziamento alla formazione può essere lasciato

***"È importante che gli operatori sanitari abbiano accesso ai test giusti al momento giusto e che siano posti nella condizione di poter interpretare correttamente i risultati al fine di individuare la terapia adeguata e comunicarla, motivandola, al paziente. I pazienti devono sapere che il test può essere importante per individuare la terapia adeguata e devono poter decidere consapevolmente riguardo al loro percorso terapeutico. "***

***Denis Horgan,  
Executive Director, EAPM***

# RACCOMANDAZIONI DELL' ALLEANZA ITALIANA PER LA MEDICINA PERSONALIZZATA (IAPM)

nelle mani dei portatori di interessi, a livello europeo è necessario delineare un piano strategico per individuare le aree più importanti da finanziare nell'ambito del quadro H2020, in un partenariato tra pubblico e privato. Sono necessari quadri di

riferimento per la formazione di medici e biologi nei diversi stadi della ricerca e per la prassi nei vari stati membri.

## Comunicazione

I medici si troveranno ad affrontare numerose sfide derivanti non solo dalla complessità dei dati da analizzare, ma anche dalla necessità di comunicare al paziente la terapia e motivare la scelta. Per questo motivo, avranno bisogno di un ulteriore supporto tecnologico e di conoscenza, compreso il supporto dei bioscienziati e dei tecnici che forniscono i dati, i quali dovranno a loro volta possedere solide conoscenze di assistenza medica.

*"I programmi di formazione per l'uso delle terapie personalizzate sono stati elaborati per ogni tipologia di operatore sanitario, concentrando l'attenzione in particolare sulle terapie stratificate per i gruppi di pazienti oncologici. Tuttavia, solo attraverso un approccio interdisciplinare sarà possibile svilupparne appieno le potenzialità."*

*Christine Chomienne,  
Past president,  
European Hematology Association*

I programmi dovranno includere l'intero spettro della ricerca (ricerca di base, pre-clinica, clinica e risultati) e affrontare non solo i progressi scientifici, ma anche i relativi aspetti etici. L'unico modo per creare un terreno comune in breve tempo è attraverso l'istruzione interdisciplinare, in modo da ridurre la frammentazione delle conoscenze e i problemi di comunicazione.

## Evoluzione

Sul lungo periodo saranno necessari profondi cambiamenti nel sistema di istruzione e formazione, poiché lo sviluppo della medicina personalizzata richiederà operatori con una formazione multidisciplinare. A quel punto l'attenzione si sposterà dagli aspetti tecnici ad approcci in cui il paziente è al centro del dibattito clinico, che coinvolgerà quindi diversi aspetti, come biomarcatori, farmacologia, cure palliative, intossicazione, psicologia e statistica.

## VALUTAZIONE E RIMBORSO

La medicina personalizzata rappresenta una strategia

importante per affrontare un problema comune ai sistemi sanitari in tutta Europa. Se si vuole vincere la resistenza alla spesa da parte di finanziatori e governi, le valutazioni dei medicinali personalizzati dovranno riconoscere la convenienza di questa nuova modalità.

Sarà necessario prestare maggiore attenzione alla ricerca post-autorizzazione. Occorre condurre studi piloti sull'efficacia clinica dei prodotti, al fine di accrescere le informazioni sui costi e sull'efficacia clinica di un nuovo prodotto, quando questo è stato registrato.

Ciò rappresenterebbe un primo passo verso la creazione di una struttura completa per i risultati della ricerca traslazionale, dimostrando così che gli effetti riscontrati nella sperimentazione clinica sono rilevanti anche per l'intera popolazione di pazienti. I dati reali sulla reazione dei pazienti ai nuovi trattamenti sono, infatti, fondamentali per una ricerca continuata.

## Convenienza

Collegando i risultati generali dei pazienti al valore, sarà possibile dimostrare la convenienza delle diagnosi e delle terapie e l'impatto di ogni nuovo farmaco o dispositivo sui costi. La ricerca traslazionale, concentrandosi sull'efficacia clinica di trattamenti specifici, rappresenta un buon indicatore di convenienza.

Grazie a questo tipo di ricerca è possibile incrementare la disponibilità di terapie efficaci (e ridurre l'uso di trattamenti non ottimali) e individuare le priorità in ambito sanitario. Tuttavia, per ottenere questo risultato, è necessario elaborare registri clinici dettagliati attualmente inesistenti.

*La trasparenza e la coerenza sono fondamentali nella fase di post-registrazione, al fine di garantire anche i rimborsi. Il paziente potrebbe persino non avere accesso a un farmaco che dovrebbe essere rimborsato perché ne è stata ridotta la prescrizione per promuovere l'uso del generico (spesso ritardando l'inizio del trattamento fino a quando la malattia è già in fase avanzata e risulta difficile da curare).*

Occorre, inoltre, individuare pratiche soluzioni per i rimborsi per i casi in cui il farmaco è disponibile ma non può essere utilizzato per il trattamento poiché il diagnostico (o il

diagnostico di accompagnamento) non è ancora rimborsabile.

### **Allineamento**

Sarebbe necessario rivalutare gli attuali approcci alla valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA) per considerare i vantaggi offerti dalla medicina personalizzata (come i risparmi sui costi derivanti da un uso ridotto del metodo trial-and-error o da ricoveri ospedalieri più brevi e con meno effetti collaterali), i vantaggi derivanti da una migliore qualità di vita e altri benefici per il paziente.

Gli enti regolatori, le agenzie di HTA e i soggetti interessati devono stabilire una coordinazione migliore ed elaborare un approccio alla valutazione più standardizzato, per far sì che il valore potenziale delle nuove tecnologie sanitarie sia riconosciuto in maniera adeguata.

Occorre risolvere il problema della duplicazione tra le valutazioni di efficacia di HTA e quelle dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA) e organizzare i requisiti allineando metodologie e aspettative reali delle prove di efficacia. Al fine di eliminare le disparità di accesso a causa di norme locali, è necessario sviluppare un sistema di valutazione coordinata a livello nazionale. Si dovrebbero, inoltre, considerare i modelli prodotti dalla comunità delle malattie rare e occorrerebbe una maggiore apertura a eventuali vie alternative.

Sarebbe, infine, importante slegare il concetto di efficacia dal dibattito su costi e rimborsi.

### **Integrazione**

Occorre stabilire una politica di rimborso più integrata, al fine di coordinare le decisioni di rimborsi dei farmaci e diagnostici di accompagnamento. È necessario superare le incoerenze e le incompatibilità nei procedimenti di rimborso dei farmaci e degli abbinamenti farmaco-diagnostico.

A livello nazionale, la valutazione delle tecnologie sanitarie e i procedimenti di prioritizzazione e rimborso dovrebbero contemplare anche i pazienti e le loro prove di efficacia.

## **SENSIBILIZZAZIONE**

La medicina personalizzata riuscirà a rivoluzionare l'assistenza sanitaria solo se verrà adottata dall'intero settore sanitario e dalla comunità dei pazienti. Risulta quindi necessario promuovere e migliorare la conoscenza e la sensibilizzazione verso questa nuova modalità attraverso un'attività d'istruzione.

### **Interpretazione**

Gli operatori sanitari devono avere accesso al test giusto al momento giusto ed essere posti nella condizione di poter

interpretare correttamente i risultati, al fine di individuare la terapia adeguata. Risulta quindi necessario porre l'attenzione sulle esigenze formative di tutti gli operatori, affinché possano utilizzare le informazioni aggiuntive come una risorsa, piuttosto che sentirsi sopraffatti da esse.

### **Comprensione della genomica**

Un paziente istruito e al quale sono stati forniti gli strumenti di interpretazione adeguati deve comprendere l'importanza dei test per individuare la giusta terapia, vale a dire una terapia che rispetti le differenze genetiche di ognuno e le differenze a livello molecolare tra le diverse malattie.

Occorre stabilire un dialogo tra la comunità scientifica e la popolazione riguardo al ruolo della genomica nell'uso dei farmaci stratificati, evitando però che il flusso di informazioni leda la privacy dei pazienti o generi episodi di discriminazione genetica. È inoltre necessario sviluppare strategie per i processi decisionali condivisi e per rispondere alle preoccupazioni della società riguardo alla medicina personalizzata.

### **Empowerment**

I pazienti saranno posti nella condizione di poter prendere decisioni riguardo al proprio percorso terapeutico. Informare il paziente in maniera adeguata è fondamentale, affinché si possa stabilire una collaborazione efficace e affinché il paziente possa prendere decisioni consapevoli e seguire le terapie prescritte.

Per quanto concerne la comunicazione del rischio, è auspicabile sviluppare un approccio che coinvolga direttamente il paziente, affinché questi sia più consapevole, competente e segua così la terapia in maniera corretta. Gli operatori sanitari dovranno illustrare i rischi al paziente in maniera chiara e assicurarsi che il paziente concordi nell'agire di conseguenza. Solo se il paziente seguirà correttamente la terapia, infatti, quest'ultima si rivelerà efficace.

Durante il semestre di presidenza lussemburghese il ministro della salute del Gran Ducato Lydia Mutsch ha sottolineato che: "La medicina personalizzata si basa sul paziente e sull'innovazione. La medicina personalizzata inizia dal paziente.

"Per molti pazienti rappresenta una grande opportunità di miglioramento della salute e il suo pieno sviluppo può rendere i sistemi sanitari più trasparenti ed efficienti. Il dibattito odierno si concentrerà sulla dimensione pubblica della medicina personalizzata e sul paziente."

Lydia Mutsch ha inoltre ribadito che, in un momento di difficoltà economica, promuovere terapie più mirate e convenienti è in linea con la strategia Europa 2020 e gli obiettivi della Commissione Juncker.

# RACCOMANDAZIONI DELL' ALLEANZA ITALIANA PER LA MEDICINA PERSONALIZZATA (IAPM)

Nelle parole del ministro: "La sfida consiste nell'istituire un quadro che permetta di individuare la terapia giusta per il paziente giusto al momento giusto, secondo il principio dell'accesso universale ad un'assistenza sanitaria di alta qualità" aggiungendo che, tuttavia, tale quadro risulta difficile da integrare nella pratica clinica e nell'assistenza sanitaria quotidiana a causa dei numerosi ostacoli ancora esistenti per quanto concerne l'accesso tempestivo all'assistenza mirata.

## OSTACOLI ALL'ACCESSO

L'EAPM gestisce un gruppo di lavoro sull'accesso tempestivo e su un migliore processo decisionale. Ospita inoltre un gruppo di interesse formato da parlamentari europei. Sin dalla sua nascita, l'Alleanza discute continuamente con i suoi membri di vari temi, tra cui la questione dell'accesso.

L'EAPM evidenzia che i principi di base dell'UE comprendono anche la parità e l'accesso alla migliore assistenza sanitaria per tutti, a prescindere da chi siamo o da dove viviamo. Esistono, tuttavia, grandi barriere fiscali, cliniche, pratiche e organizzative che impediscono la piena introduzione della medicina personalizzata in un unico sistema sanitario europeo. Tali ostacoli diventano ancora più invalicabili quando si tenta di applicare questa nuova modalità su scala paneuropea.

L'Alleanza ritiene che la Commissione europea, in collaborazione con il Parlamento, debba creare quanto prima un contesto normativo che permetta a qualsiasi paziente di avere accesso ai nuovi farmaci e trattamenti.

Ultimamente è stata esaminata a fondo l'importanza dell'accesso a farmaci e terapie innovative. Nel 2015, Zanda Kalniņa-Lukaševica, presidente di turno del Consiglio, rappresentando l'allora presidenza lettone affermò che l'accesso dei pazienti a farmaci che curino le malattie in maniera efficace è una questione importante che deve essere affrontata a livello sia nazionale che europeo.

Aggiunse che si tratta di un tema che solleva diverse questioni, quali la disponibilità (sviluppo di nuovi farmaci o adattamento di prodotti esistenti), l'accessibilità (fornire i nuovi prodotti ai pazienti che ne hanno bisogno), l'accessibilità dei prezzi (assicurarsi che pazienti, operatori sanitari e governi possano sostenere la spesa) e la garanzia di qualità (assicurarsi che i prodotti medicinali funzionino correttamente e siano efficaci e sicuri).

A questo proposito il parlamentare europeo Cristian-Silviu Bușoi ha sottolineato che molti cittadini non hanno accesso ai nuovi farmaci, alle tecnologie e ai nuovi sviluppi in campo medico, spesso a causa dei prezzi elevati.

Altri ostacoli sono rappresentati da una burocrazia eccessiva per le procedure di rimborso e dalla mancata applicazione della direttiva sull'assistenza sanitaria transfrontaliera.

Il parlamentare sostiene che i politici europei dovrebbero far sì che le decisioni sulle norme riguardo al valore delle terapie innovative si basino sui bisogni principali dei pazienti e garantire che questi abbiano accesso ai nuovi trattamenti, in seguito a un'analisi centralizzata costi-benefici da parte dell'Agenzia europea per i medicinali.

Il ministro Kalniņa-Lukaševica ha ricordato la creazione del Gruppo di esperti sull'accesso sicuro e tempestivo ai farmaci per i pazienti (STAMP), i cui lavori sono iniziati nel mese di gennaio dello scorso anno.

La Commissione europea ha affermato che il gruppo di esperti STAMP è stato creato al fine di fornire consulenze di vario tipo ai lavori della Commissione per l'implementazione di una legislazione farmaceutica europea e l'elaborazione di programmi e politiche per il settore.

Il gruppo STAMP fornirà informazioni e punti di vista riguardo alle esperienze degli stati membri, esaminerà le iniziative nazionali e studierà come utilizzare in maniera più efficace gli strumenti normativi europei attualmente esistenti, al fine di migliorare ulteriormente l'accesso sicuro e tempestivo e la disponibilità dei medicinali per i pazienti.

Un altro obiettivo sarà individuare modi per potenziare lo scambio di informazioni e la cooperazione tra gli stati membri.

Per introdurre nuovi medicinali sono necessari tempo e investimenti. A questo scopo occorrono approcci più moderni e realistici alla gestione dei rimborsi e un consenso sull'uso dei cosiddetti Big Data, fondamentali per la ricerca, pur essendo consapevoli del fatto che è necessario tutelare i cittadini da uno sfruttamento eccessivo e indesiderato dei propri dati.

Nel momento in cui farmaci innovativi e personalizzati faranno il loro ingresso sul mercato, sarà inoltre necessario garantire la sicurezza e la convenienza di tutti i medicinali e i dispositivi diagnostici in vitro.

Infine, la creazione di una solida base di dati è di fondamentale importanza affinché le decisioni prese permettano di sfruttare le risorse in modo tale che il paziente ottenga il massimo beneficio. Ciò è possibile solo se si considerano i punti di vista dei diversi soggetti interessati e dei singoli sistemi sanitari nazionali. I finanziatori devono poter essere sicuri del fatto che ogni decisione presa poggia su una solida base di dati.

Si richiede urgentemente l'uso della cosiddetta Real World Evidence (RWE), che dovrebbe contribuire a ridurre le incertezze.

Il processo fin qui illustrato dovrebbe iniziare con una discussione e una consulenza scientifica accompagnata dalla raccolta dei dati post-lancio. La coordinazione a livello paneuropeo svolge un ruolo di primaria importanza nella





definizione delle prove, delle necessità e dei protocolli e l'UE deve urgentemente raggiungere un accordo con gli stati membri sulla raccolta e il finanziamento dei dati RWE.

### **INIZIATIVE IN CORSO**

In occasione della conferenza organizzata dall'EAPM nel mese di giugno 2015 è stato introdotto il concetto di "SMART", acronimo di Smaller Member states and Regions Together (Piccoli stati membri e regioni insieme). L'Alleanza ha voluto ampliare questa iniziativa, diffondendone il messaggio in alcuni stati membri, tra i quali anche l'Italia.

Sono già stati organizzati eventi di ampia portata in Polonia (in due occasioni), Austria e Bulgaria. Molti altri verranno organizzati quest'anno in Inghilterra, Francia, Irlanda e Germania.

L'EAPM è partita dalla campagna STEPs (Terapie specializzate per i pazienti europei), che chiede all'UE di impegnarsi a:

- STEP 1: creare un contesto normativo che permetta a tutti i pazienti di avere accesso alla nuova ed efficace medicina personalizzata
- STEP 2: Potenziare ricerca e investimenti per la medicina personalizzata, riconoscendo così il suo valore
- STEP 3: Migliorare l'istruzione e la formazione degli operatori sanitari
- STEP 4: Sostenere nuovi approcci ai procedimenti di rimborso e di HTA necessari per garantire l'accesso alla medicina personalizzata
- STEP 5: Sensibilizzare l'opinione pubblica riguardo alla medicina personalizzata

Gli stati più piccoli hanno partecipato attivamente allo sviluppo di una politica sanitaria a livello europeo e possono ora assumere un ruolo di guida nella creazione di un'agenda normativa. Questo è il caso, ad esempio, della Slovenia, che svolge un ruolo fondamentale nella promozione di una politica di lotta contro il cancro a livello europeo.

L'anno scorso sono stati proprio due tra gli stati più piccoli ad assumere la presidenza di turno dell'UE: la Lettonia e il Lussemburgo (che, nel mese di dicembre 2015, ha pubblicato le storiche Conclusioni del Consiglio sulla medicina personalizzata). Ora è la volta di un altro stato di piccole dimensioni: i Paesi Bassi.

Le politiche sanitarie europee devono riconoscere e affrontare i problemi relativi ai sistemi sanitari, specialmente per quanto concerne gli stati di piccole dimensioni e le regioni degli stati più grandi. Per questo motivo l'EAPM sostiene fortemente l'adozione dell'approccio SMART.

L'idea ha già riscosso grande successo, coinvolgendo enti sanitari, ministri della salute e diversi portatori di interessi nell'attività di promozione della medicina personalizzata.

Il programma SMART è volto a creare le condizioni necessarie per la costruzione di un contesto adeguato per l'inserimento della medicina personalizzata a livello nazionale. A tale scopo è necessario operare nelle seguenti aree (ma non solo):

- Armonizzazione della ricerca tra gli stati membri
- Linee guida comuni e ottimali per le varie malattie
- Empowerment dei pazienti e alfabetizzazione sanitaria
- Ruolo della genomica nell'assistenza sanitaria
- Programma nazionale contro il cancro/biomarcatori



# European Alliance for Personalised Medicine

## **CHI SIAMO: EAPM**

L'Alleanza europea per la medicina personalizzata (EAPM) riunisce esperti sanitari a livello europeo e rappresentanti dei pazienti con gravi malattie croniche. L'obiettivo è migliorare l'assistenza medica, accelerando lo sviluppo e l'attuazione della medicina e dei diagnostici personalizzati attraverso la creazione di un ampio consenso.

L'EAPM è nata nel mese di Marzo 2012 alla luce della crescita del dibattito europeo sulla medicina personalizzata. L'Alleanza è nata in risposta al bisogno di chiarire le priorità e creare un approccio più integrato tra i vari portatori di interessi (professionisti del settore e non). L'EAPM si occupa di casi di studio, istruzione, formazione e comunicazione al fine di produrre raccomandazioni pratiche per il pieno sviluppo del potenziale della medicina personalizzata.

L'Alleanza terrà la sua quarta conferenza annuale a Bruxelles nel mese di aprile 2016.

La natura eterogenea dell'EAPM offre un importante contributo alla medicina personalizzata in termini di

esperienza scientifica, clinica, sanitaria e di formazione per i gruppi di pazienti, il mondo accademico e l'industria. Dipartimenti chiave della Commissione Europea e l'Agenzia europea per i medicinali hanno status di osservatori all'interno dell'Alleanza.

L'obiettivo principale dell'EAPM è contribuire alla creazione di un dialogo costruttivo tra le istituzioni europee e la società, grazie alla collaborazione di tutti i soggetti interessati riuniti nell'Alleanza.

Il Forum dell'EAPM si riunisce ogni 2-3 mesi per rivedere la propria attività e definire la strategia politica. I gruppi di lavoro discutono sulle questioni chiave e formulano proposte e raccomandazioni per il Forum. Il segretariato gestisce le attività quotidiane, predispone le riunioni del Forum e coordina i gruppi di lavoro.

L'EAPM è stata fondata dai suoi stessi membri.

*Per ulteriori informazioni consultare il sito [www.euapm.eu](http://www.euapm.eu) oppure contattare Denis Horgan al numero +32 (0)472 535 104*