

Partnership d'Ecceellenza nella Sanità

Quando tecnologia e relazioni creano valore per il paziente

cencora
PharmaLex

Con il supporto non condizionante di

medac pharma

ATMP
forum

Partnership d'Ecceellenza nella Sanità

Quando tecnologia e relazioni creano valore per il paziente

Nel panorama della ricerca biomedica, la collaborazione tra pubblico e privato rappresenta sempre più un modello vincente per rispondere tempestivamente ai bisogni non soddisfatti dei pazienti. Un esempio virtuoso di questa sinergia emerge nel campo della *Graft-versus-Host Disease* (GvHD), dove **medac pharma** ha saputo costruire un ponte tra ricerca farmaceutica e pratica clinica, supportando i centri ospedalieri nella richiesta di accesso precoce alle terapie per garantire il farmaco a tutti i pazienti che ne hanno bisogno.

I clinici di alcuni dei principali centri italiani hanno dato vita a un'importante iniziativa di standardizzazione delle procedure di accesso precoce al farmaco. In risposta a questa esigenza, medac pharma si è resa disponibile a supportare la creazione di kit documentali standardizzati, facilitando così l'uniformità del processo. Questa collaborazione ha permesso di ottimizzare il programma di **uso compassionevole**, disciplinato da AIFA attraverso il Decreto Ministeriale del 7 settembre 2017, che regola l'accesso a medicinali sperimentali al di fuori della sperimentazione clinica. Il programma ad uso compassionevole consente la fornitura gratuita di questi farmaci in tre specifiche situazioni: per pazienti affetti da patologie gravi, malattie rare o condizioni che li pongono in pericolo di vita in assenza di valide alternative terapeutiche; per pazienti che non possono essere inclusi in una sperimentazione clinica in corso; e, ai fini della continuità terapeutica, per pazienti che hanno già ottenuto un beneficio clinico documentato nell'ambito di una sperimentazione clinica di fase II conclusa. medac pharma, oltre a supportare la fornitura del farmaco per uso compassionevole, è fortemente impegnata nella ricerca clinica. Sta infatti conducendo studi di Fase II e Fase III per offrire nuove opzioni terapeutiche.

Ciò che rende particolarmente significativa questa esperienza è l'**approccio collaborativo** tra settore pubblico e privato. Attraverso un dialogo costante e strutturato, è stato possibile raccogliere e comprendere le esigenze specifiche dei diversi centri clinici, traducendole in strumenti operativi concreti. Il risultato di questo lavoro sinergico si è concretizzato nella creazione di tre kit documentali, ora a disposizione per ottimizzare e accelerare ogni futura richiesta di *early access*.

Un elemento distintivo di questo progetto è stato il contributo fondamentale dei **Clinical Officer**, figure professionali specializzate nella gestione degli studi clinici e dei processi regolatori all'interno delle strutture ospedaliere. Questi professionisti, grazie alla loro profonda conoscenza delle procedure amministrative e dei requisiti normativi, hanno svolto un ruolo cruciale nel processo di standardizzazione. La loro *expertise* nella gestione delle sperimentazioni cliniche e delle procedure di accesso precoce ai farmaci ha permesso di sviluppare una documentazione che risponde efficacemente sia alle esigenze cliniche che ai requisiti regolatori. I *Clinical Officer* hanno infatti guidato l'intero processo di armonizzazione delle procedure, facilitando il dialogo tra clinici, amministrazione ospedaliera e azienda farmaceutica, contribuendo così a creare un sistema più efficiente e orientato al paziente.

Per approfondire il valore e l'impatto di questa iniziativa, ATMP Forum ha intervistato **Stefania Trinca**, Clinical Trial Officer dell'IRCCS Ospedale San Raffaele di Milano, che ha guidato questo progetto pionieristico. La sua esperienza diretta offre una prospettiva su come la collaborazione tra pubblico e privato possa concretamente migliorare l'accesso alle terapie innovative per i pazienti con GvHD.

Com'è nata l'esigenza di creare questo tavolo tecnico multicentrico e quali sono state le principali sfide da affrontare?

La necessità è emersa quando diversi centri clinici hanno iniziato a segnalare difficoltà nell'accesso tempestivo alla terapia, trattamento salvavita per i pazienti. La sfida principale risiedeva nell'interpretazione della normativa: molti centri si basavano sul DM del 16 gennaio 2015¹, applicabile quando non sono ancora disponibili dati di sicurezza relativamente a terapie avanzate preparate su base non ripetitiva, che prevede tempistiche autorizzative da parte di AIFA incompatibili con l'urgenza clinica dei casi. Nel nostro Centro, invece, abbiamo identificato nel DM del 7 settembre 2017², che regola l'uso compassionevole dei medicinali, la strada normativa più appropriata, essendo in corso studi clinici di Fase II e III con dati preliminari di sicurezza sui pazienti. Questo decreto infatti prevede una procedura più snella, basata su una semplice comunicazione ad AIFA, con presa d'atto, e sul parere favorevole del Comitato Etico di riferimento del centro richiedente. medac pharma, recependo queste difficoltà, ha supportato la creazione di una rete di confronto mettendo i vari centri in comunicazione tra loro.

Quali sono stati i passaggi chiave nella creazione di questo network di collaborazione tra clinici e azienda?

Il primo passo fondamentale è stato la condivisione della nostra esperienza nell'applicazione del DM 7 settembre 2017 con altri centri clinici. Abbiamo poi organizzato un incontro tecnico dove abbiamo potuto illustrare ai colleghi le procedure più efficaci per l'accesso alla terapia attraverso l'uso compassionevole. Questo workshop ha permesso lo scambio di esperienze concrete e la discussione delle migliori pratiche amministrative, creando un *network* collaborativo tra i centri.

Quali benefici concreti ha portato questa iniziativa in termini di ottimizzazione del processo di early access?

L'iniziativa ha portato a una significativa ottimizzazione dei tempi di accesso alla terapia. La condivisione delle procedure ha permesso di standardizzare l'approccio all'uso compassionevole, riducendo notevol-

mente i tempi di attesa per i pazienti. Con il supporto dell'Azienda, abbiamo sviluppato kit documentali standardizzati che hanno ulteriormente semplificato il processo amministrativo. Questo ha permesso non solo di velocizzare l'iter di richiesta, ma anche di garantire una maggiore uniformità nelle procedure tra i diversi centri.

Quali sono state le principali lesson learned da questa esperienza di partnership pubblico-privato?

Questa esperienza ha evidenziato come la collaborazione tra strutture pubbliche e aziende private possa portare a risultati concreti quando è guidata da obiettivi comuni e chiari. La chiave del successo è stata la capacità di creare un dialogo costruttivo tra *Clinical Officer*, clinici e azienda, mantenendo sempre al centro l'interesse del paziente. Abbiamo imparato che la standardizzazione delle procedure, quando ben strutturata, non è un ostacolo burocratico ma uno strumento per garantire equità di accesso alle terapie.

Come può questo modello di collaborazione essere replicato in altri contesti terapeutici?

Il modello che abbiamo sviluppato può essere facilmente adattato ad altri contesti terapeutici, poiché si basa su principi fondamentali: la condivisione di *expertise* tra centri, il supporto dell'azienda farmaceutica come facilitatore, e l'ottimizzazione delle procedure amministrative nel rispetto delle normative vigenti. L'elemento chiave per la replicabilità è la creazione di una rete di professionisti disposti a condividere le proprie esperienze, supportati da aziende che comprendono l'importanza di facilitare l'accesso alle terapie. La standardizzazione delle procedure e la creazione di strumenti operativi condivisi sono elementi che possono essere facilmente adattati alle specificità di diversi ambiti terapeutici.

1. Decreto Ministeriale 16 gennaio 2015 - Disposizioni in materia di medicinali per terapie avanzate preparati su base non ripetitiva. (GU Serie Generale n.56 del 09-03-2015)
2. DM 7 settembre 2017 - Disciplina dell'uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica. (GU Serie Generale n.256 del 02-11-2017)

Con il supporto non condizionante di