

TAVOLA ROTONDA: NUOVE TECNOLOGIE E NUOVI FARMACI. SPECIALISTI, ASSOCIAZIONI E INDUSTRIA A DIFESA DELL'ART. 32 DELLA COSTITUZIONE

Daniele Alberti, Direttore Medico
Novartis Oncology – Origgio (VA)

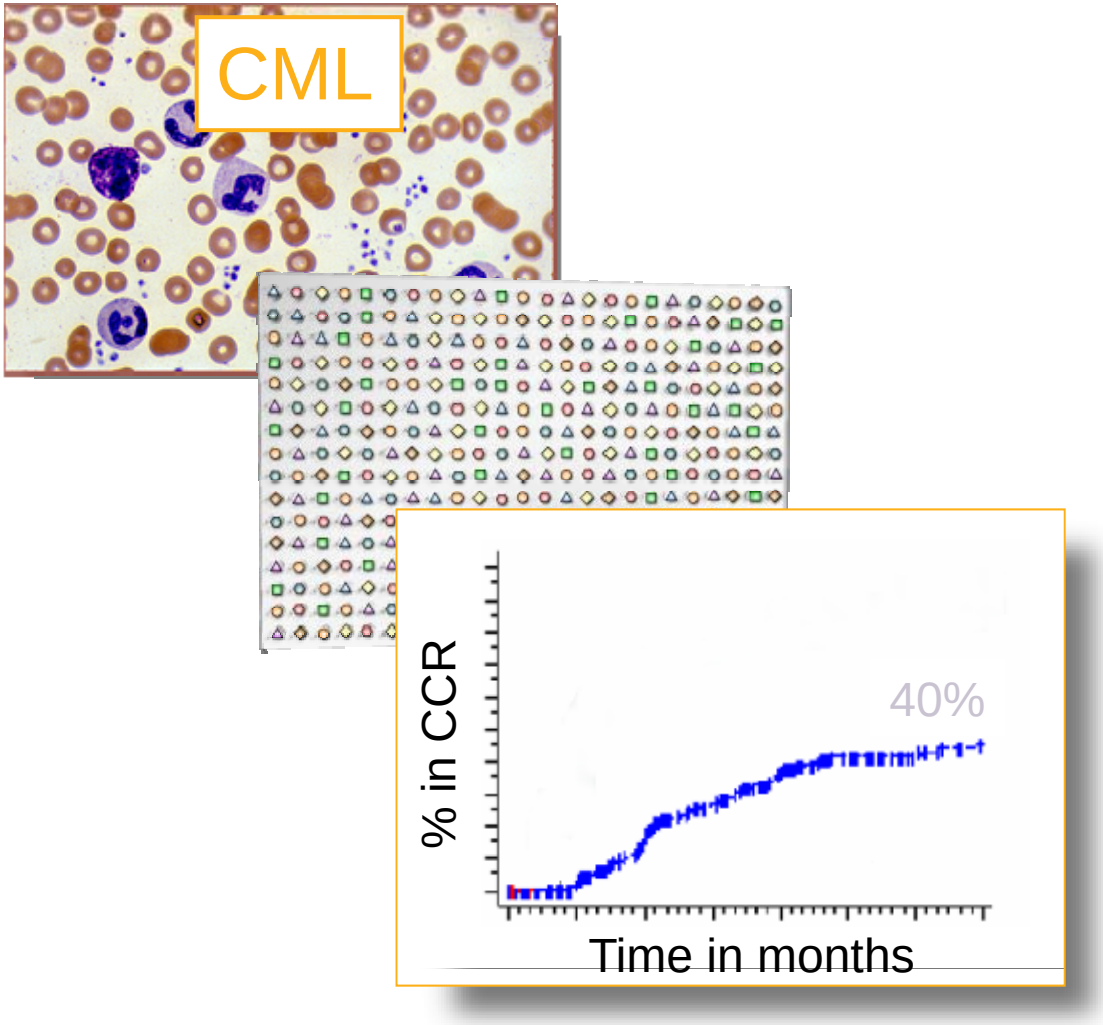
NOVARTIS ONCOLOGY

Approccio empirico per la scoperta dei nuovi farmaci: l'era pre-imatinib

Disease

Trial and Error

Interferon
Cytarabine



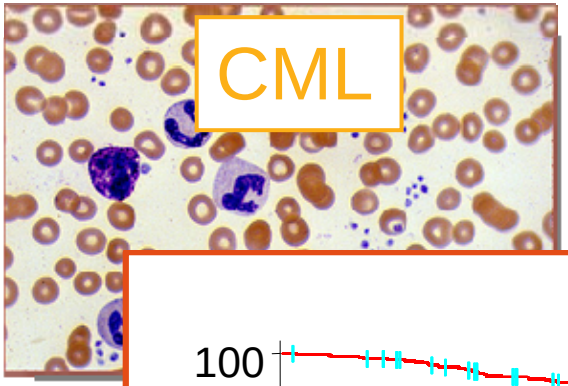
NOVARTIS
ONCOLOGY

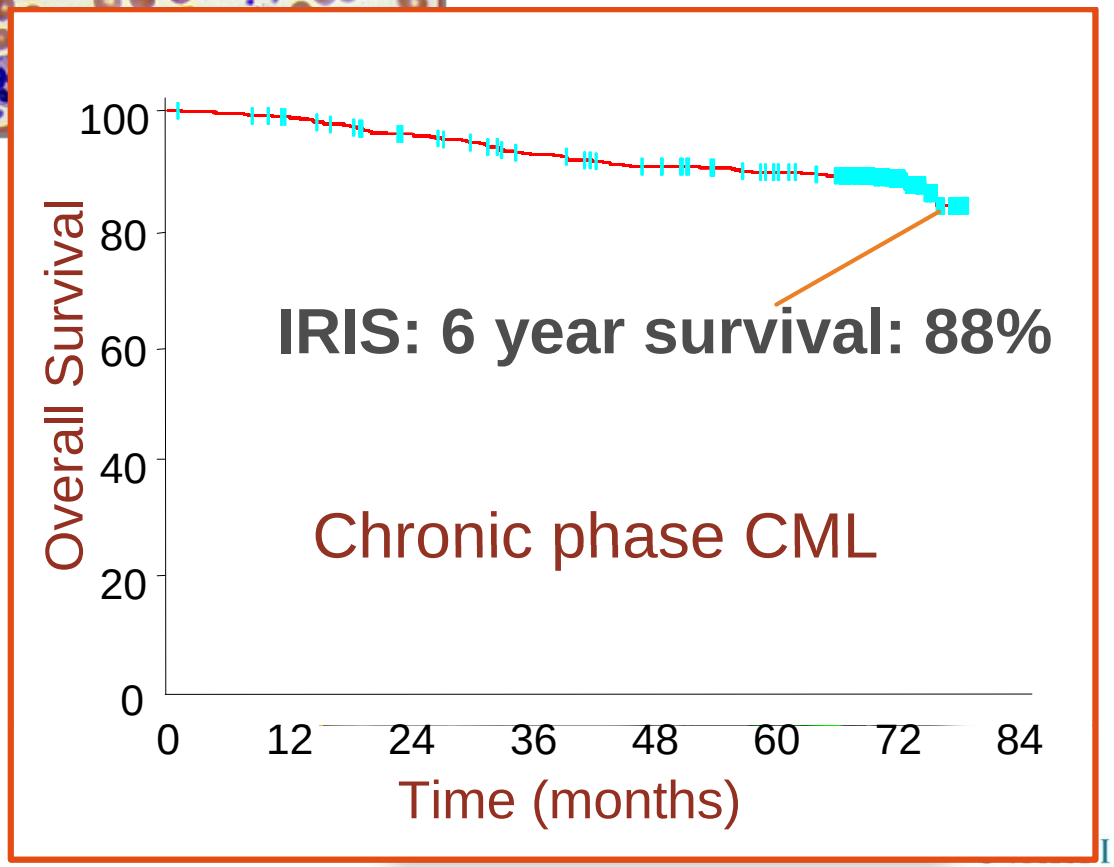
Il cambio di paradigma - La prima terapia mirata di successo: Leucemia Mieloide Cronica e Imatinib

Disease

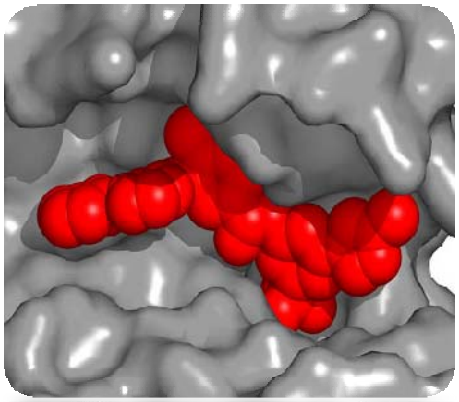
Pathogenesis

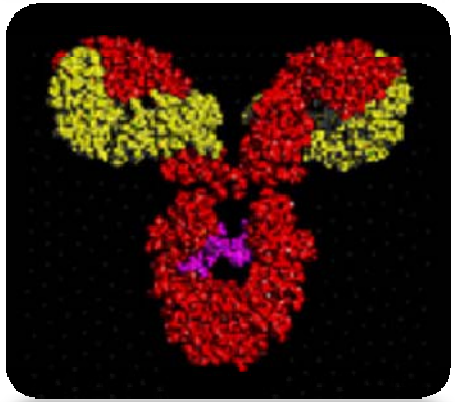
Target-based drug discovery





OTM – Oncology Translational Medicine - sviluppa nuovi farmaci mirati basati sulle conoscenze genetico-molecolari
→ Nuove terapie capaci di modificare le aspettative e la qualità di vita dei pazienti emato-oncologici





- La nostra missione è quella di identificare nuove terapie antitumorali che **facciano la differenza** per i pazienti e le loro famiglie
- OTM è stato creato per **integrare la ricerca di base con lo sviluppo clinico**
- Il nostro compito è quello di identificare **forti segnali** di attività in **pazienti selezionati** con alta probabilità di trarre beneficio dai nostri farmaci
- Possediamo un ampio portfolio prodotti con **successi multipli basti sulla selezione dei pazienti**

NOVARTIS ONCOLOGY

Biomarkers Predittori di Risposta Clinica e Sviluppo di Terapie Antitumorali Mirate



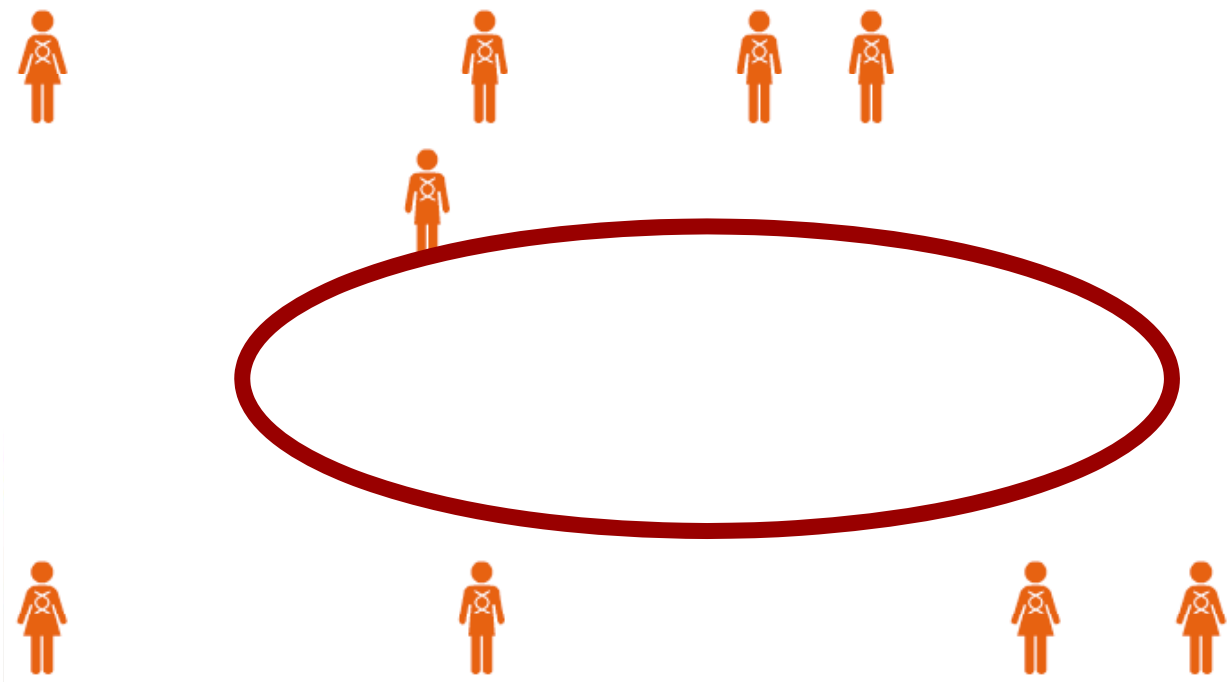
Attese:

- ***Migliori benefici per il paziente*** perchè la crescita tumorale dipende unicamente /principalmente dal bersaglio su cui agisce il farmaco
- ***Aumentata probabilità di successo*** degli studi clinici pre-selezionando i pazienti suscettibili di risposta e escudendo a priori i non-responders
- ***Massimo beneficio farmaco-economico*** con farmaci usati solo in pazienti suscettibili di risposta
- ***"Time to market" più rapido con costi di sviluppo inferiori*** mediante studi più piccoli con segnali più validi

NOVARTIS ONCOLOGY

Nuovo Modello di Sviluppo dei Farmaci Emato-oncologici

Ricerca	Sviluppo	Lancio
Iniziare dal Target	Selezionare una popolazione specifica di pazienti Dimostrare un chiaro beneficio	Registrazione & benefici per i pazienti anticipati



NOVARTIS

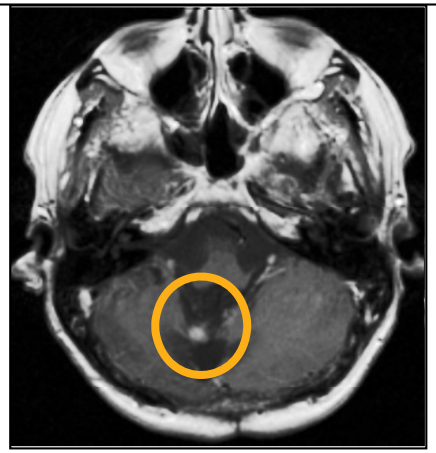
LDE225 –smoothened antagonist: responses in medulloblastoma

Patient A (200 mg QD)

- Prior surgery, radiation, 4 chemotherapy regimens and autologous BMT
- Partial response maintained for 4 months



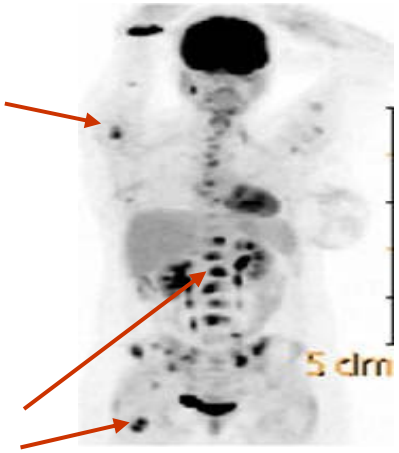
Pre-treatment



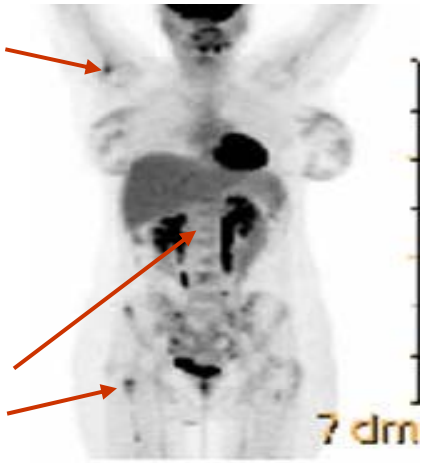
Cycle 2

Patient B (1500 mg QD)

- Prior surgery, radiation, 4 chemotherapy regimens and autologous BMT
- Partial response by PET scan maintained more than 7months



Pre-treatment



Cycle 2

Conseguenze

- Studi clinici su sottopopolazioni di pazienti
- Studi più piccoli in meno centri
- Centri con più studi in parallelo: 1 protocollo per1 target
- Fasi 1 con ricerca di attività clinica tra gli obiettivi, in aggiunta a sicurezza d'impiego e farmacocinetica
- Fasi 2 con valenza registrativa
- Fasi 3 meno frequenti e con valenza confermatoria post-registrativa
- Sviluppo parallelo dei biomarkers
- Necessità di prevenire i centri silenti

NOVARTIS

Alcune proposte di “Sistema Paese” per la Ricerca Clinica

- Università – formazione professionale figure dedicate:
  - Medici ricercatori clinici
  - Data manager
  - Infermieri di ricerca
- Aziende ospedaliere / Università – cogliere le opportunità della ricerca clinica:
  - Centri strutturati di ricerca clinica
  - Risorse umane dedicate
  - Approccio multidisciplinare integrato: clinica, imaging, anatomia patologica, laboratorio
  - Amministrazioni facilitanti i processi autorizzativi e gestionali
  - CE coordinati
- Eliminazione “Silos istituzionali” e razionalizzazione regole per facilitare investimenti di ricerca clinica:
  - Ministero Sanità
  - AIFA
  - ISS
  - Regioni
  - Assicurazioni
  - Garante privacy
  - Criteri fiscali
- Aziende farmaceutiche:
  - Garantire investimenti continuativi
  - Riconoscere contributi Centri di eccellenza in Italia
  - Partnership con realtà locali, regionali e nazionali
  - Attenzione alle Associazioni Pazienti

NOVARTIS ONCOLOGY

Scoperta di farmaci ed innovazione: il dilemma fondamentale

A. INDUSTRIA FARMACEUTICA

1. Costi R&S più alti
2. Redditività più bassa
3. Prodottività R&S decrescente



B. AUTORITA' SANITARIE

1. Costi di farmaci in aumento
2. Focus malattie/tumori rari

European Medicines Agency emea





Scoprire, sviluppare e rendere accessibili terapie efficaci per reali bisogni medici

C. MEDICI

1. Necessità di un utilizzo più efficace dei trattamenti
2. Necessità di progetti scientifici di alto calibro



D. PAZIENTI (ASSOCIAZIONI)

1. Gran bisogno di trattamenti efficaci e sicuri sul mercato



Hanno tutti lo stesso obiettivo!

NOVARTIS ONCOLOGY