

# Interazione di pazienti, enti di regolamentazione & industria

Partecipanti appartenenti a enti di regolamentazione, organizzazioni di pazienti, università, organizzazioni no-profit e industria si sono riuniti a Berlino per far avanzare e stimolare l'interazione di noi tutti in relazione al coinvolgimento e all'impegno dei pazienti nella ricerca e nello sviluppo dei farmaci (research and development, R&D).

Oggigiorno è ampiamente riconosciuto che i contributi dei pazienti alla scoperta, sviluppo e valutazione dei farmaci arricchiscano la qualità della ricerca e dello sviluppo, la qualità delle evidenze e delle opinioni, la trasparenza, la fiducia e il rispetto reciproco. Il coinvolgimento dei pazienti richiede un coinvolgimento sistematico di tutte le parti in causa: industria farmaceutica, enti di regolamentazione e organismi di valutazione delle tecnologie sanitarie (Health Technologies Assessment, HTA), organizzazioni di pazienti e di consumatori, operatori sanitari, organizzazioni no-profit e università.

Il nostro direttore, Jan Geissler, ha condiviso alcuni dati preliminari sull'impatto di EUPATI provenienti da un'indagine tra membri di EUPATI che hanno partecipato al corso di formazione per pazienti esperti. Ne risulta che quest'ultimi hanno accresciuto i propri ruoli di consulenza in modo significativo, confrontando il loro coinvolgimento prima e dopo il corso:

- l'offerta di consulenze all'industria farmaceutica è aumentata dall'8% al 52%,
- agli enti di regolamentazione dal 12% al 40% e
- agli organismi di HTA dal 4% all'8%.

Malgrado tali progressi, restano alcune sfide da affrontare, come la mancanza di mutuo apprendimento, di fiducia reciproca e di metriche standardizzate per la misurazione dei benefici e dell'impatto, barriere percepite e/o reali relative alla questione del conflitto di interessi nonché la mancanza di capacità nell'ambito delle organizzazioni di pazienti. Ho evidenziato che, sulla base del successo di EUPATI nel realizzare il toolbox multilingue EUPATI nonché il corso di formazione per pazienti esperti di EUPATI, sono state prese decisioni per continuare oltre il 2016 in veste di unica struttura di formazione e marchio affidabile dedicato al coinvolgimento dei pazienti nella R&D dei farmaci. La sostenibilità a lungo termine di EUPATI è di interesse pubblico primario, ma assicurarsi finanziamenti pubblici al di là della presente fase di progetto finanziato dall'Iniziativa sui farmaci innovativi (Innovative Medicines Initiative, IMI) rimane una sfida.

**Isabelle Moulon, dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA),** ha evidenziato che i pazienti possono collaborare in vari modi nei processi normativi: possono essere membri di comitati, agire come rappresentanti di un'organizzazione o essere individui esperti, e ha chiarito in che modo vengono valutate le dichiarazioni d'interesse per ciascuno di questi ruoli. L'EMA ha stabilito una rete di organizzazioni europee di pazienti e di consumatori per la collaborazione riguardo a vari argomenti. Il Gruppo di lavoro dei pazienti e dei consumatori (Patients' and Consumers' Working Party, PCWP) dell'EMA svolge un ruolo chiave nel consentire tali interazioni. Al fine di supportare la migliore cooperazione possibile, l'EMA riconosce che i pazienti coinvolti con l'Agenzia devono possedere adeguate conoscenze in merito al lavoro dell'agenzia stessa e quindi offre diverse opportunità di formazione, facendo riferimento anche alle iniziative di EUPATI.

**Matthias Gottwald, della Bayer,** ha presentato una "roadmap"

pratica per il coinvolgimento dei pazienti in tutte le fasi del processo di R&D. Ha inoltre condiviso alcune osservazioni preliminari provenienti da uno studio effettuato dalla DIA con l'Università di Tufts:

- tra 20 aziende farmaceutiche, solo tre si considerano "paziente-centriche",
- quattro "non molto paziente-centriche",
- la maggioranza sono "abbastanza paziente-centriche".

Le iniziative programmate più comunemente erano disegni di studi adattivi e licenze adattive. La funzione del coinvolgimento dei pazienti viene posizionata in modo differente nelle aziende e per lo più in operazioni cliniche o nello sviluppo clinico. Le spinte aziendali per la creazione di una funzione di coinvolgimento dei pazienti sono l'impegno dell'azienda ed evidenti benefici per il miglioramento del processo. Le sfide per il coinvolgimento dei pazienti in R&D sono le seguenti:

- Preoccupazione per l'indipendenza dei pazienti
- Necessità di un orientamento esauriente mirato a tutte le parti in causa
- Mancanza di infrastrutture per l'"abbinamento"
- Mancanza di un approccio consolidato per il coinvolgimento dei pazienti nell'industria
- Mancanza di metriche per la valutazione dell'impatto.

### **Due gruppi di lavoro, uno sull'industria, l'altro sugli enti di regolamentazione**

Secondo il gruppo sull'industria, è necessario acquisire maggiore chiarezza in relazione alla questione del conflitto di interessi al fine di poter coinvolgere i pazienti in modo adeguato. Vi è anche il bisogno di stabilire uno standard per il compenso e le commissioni nell'ambito dell'industria. Tutti i partner dell'industria sono interessati a uno schema comune di lavoro per il coinvolgimento dei pazienti in tutte le parti

in causa. È tempo di sviluppare ciò che EUPATI ha già realizzato ed elaborare processi chiari e più dettagliati. L'industria è desiderosa di condividere migliori pratiche ma ha bisogno di una piattaforma per farlo. La dimostrazione del valore è inoltre di massima importanza e forse potrebbe essere fatto per estrarre metriche a partire da casi di studio esistenti. L'industria desidera andare avanti e che gli enti di regolamentazione facciano parte di questo percorso nel portare il coinvolgimento dei pazienti al livello successivo.

Il gruppo che si occupa degli enti di regolamentazione ha rivelato gli approcci molto differenti al coinvolgimento dei pazienti a livello nazionale e nell'ambito dell'EMA, riportati in casi di studio e dibattiti, e ha espresso il bisogno di continuare tale dialogo. Che tipo di pazienti/gruppi di pazienti devono essere coinvolti? E in che fase del processo ciò è utile? In che modo compensare i partecipanti? È necessario condividere esperienze e sviluppare migliori pratiche, ed EUPATI ha espresso il suo accordo per l'inizio di uno scambio di esperienze più strutturato sul coinvolgimento dei pazienti negli affari normativi. La maggior parte della cooperazione nazionale attualmente è informale e malgrado vi siano alcune disposizioni normative, potrebbero essere utili un più ampio consenso sui processi e un inquadramento normativo. Sono necessarie metriche comunemente accettate dei risultati relativi al valore del coinvolgimento dei pazienti.

**Nella riunione plenaria**, abbiamo preso in considerazione il bisogno di ampliare l'audience target di EUPATI. la formazione potrebbe essere allargata a ospedali, enti di regolamentazione, industria e altri operatori sanitari, i quali insegneranno anche a costruire ulteriormente collaborazioni e fiducia. Inoltre, vi è bisogno di uno strumento di abbinamento al fine di collegare pazienti a progetti. EUPATI attualmente dispone di una sezione online in relazione all'"abbinamento" al fine di collegare le parti in causa e di permettere un dialogo bilaterale tra di esse. È

possibile sviluppare tutto questo?

Specificamente per IMI e il futuro, il testo riguardante i temi dell'invito a è stato rivisto al fine indicare dove i pazienti possono impegnarsi. L'impresa congiunta dell'IMI indica inoltre in modo proattivo il ruolo dei pazienti quando lancia i suoi inviti. Attualmente sono stati raccolte esperienze provenienti dai due progetti in cui sono stati coinvolti i pazienti. Ai pazienti che desiderano essere coinvolti in progetti IMI viene richiesto di registrarsi nel database.

***I messaggi da portare a casa:***

Sono necessarie maggiore chiarezza e una comprensione comune riguardo alle esigenze, aspettative e restrizioni in relazione ai rappresentanti dei pazienti in diversi ruoli in veste di membri di comitati, che agiscono come rappresentanti di un'organizzazione o che sono individui esperti.

Nel caso in cui la formazione di EUPATI sia ampliata ad altri gruppi target oltre ai pazienti? E l'IMI può coinvolgere i pazienti in modo più proattivo, ad esempio tramite la nuova strategia di coinvolgimento dei pazienti dell'IMI?

Gli approcci molto diversi al coinvolgimento dei pazienti nell'ambito delle autorità nazionali competenti e dell'EMA devono essere allineati sulla base di maggiori conoscenze sulle esperienze e buone pratiche correnti, portando potenzialmente a un coinvolgimento più sistematico nel lavoro quotidiano delle agenzie nazionali ed europee. Questo lavoro sarà portato avanti nell'ambito della Rete europea sulla regolamentazione dei farmaci.

I processi di coinvolgimento dei pazienti nell'industria si sono evoluti, ma l'evoluzione di schemi, meccanismi, metriche e processi avviene ad hoc senza particolare allineamento e condivisione. È necessario – e ciò sarà studiato ulteriormente – stabilire una piattaforma neutrale, ad esempio la DIA, al

fine di condividere una condivisione e un allineamento non competitivi.

Sia gli enti di regolamentazione che l'industria hanno individuato il bisogno di chiarezza e allineamento per quanto riguarda il compenso. Tale questione può essere affrontata in dibattiti tra diverse parti in causa.

Sia gli enti di regolamentazione sia l'industria hanno individuato la necessità di metriche condivise in merito ai risultati conseguiti dal coinvolgimento dei pazienti. Tale iniziativa potrebbe/dovrebbe essere presa dall'IMI.