

HORIZON-JU-IHI-2023-04-04-two-stage: Stabilire nuovi approcci per migliorare gli studi clinici per le malattie rare e ultra-rare

PROGRAMMA DI FINANZIAMENTO	Horizon Europe
TITOLO BANDO (ITA/ENG)	<ul style="list-style-type: none"> • HORIZON-JU-RIA HORIZON JU Call 4 - Azioni di ricerca e innovazione: Stabilire nuovi approcci per migliorare gli studi clinici per le malattie rare e ultra-rare (IT) • HORIZON-JU-RIA HORIZON JU Call 4 - Research and Innovation Actions: Establishing novel approaches to improve clinical trials for rare and ultra-rare diseases (EN)
DATA DI SCADENZA	08 novembre 2023 (SPs), h 17:00 - 1° step 23 aprile 2024 (FPs), h 17:00 - 2° step
ENTE FINANZIATORE	Commissione Europea
BUDGET (€)	83.350.000 € totale per tutti i topic IHI-04
CO-FINANZIAMENTO UE (€) PER OGNI PROGETTO	100%
DURATA	60 mesi
SETTORE SPECIFICO/TEMATICA/PRIORITÀ	ricerca e innovazione (R&I), sviluppo di farmaci per le malattie rare/ultra-rare, migliorare accesso alle cure dei pazienti, diffusione di playbook
DESCRIZIONE	<p>L'azione (progetto) di ricerca e innovazione (R&I) da finanziare nell'ambito di questo tema dovrebbe trasformare il panorama della ricerca clinica e dare impulso allo sviluppo di farmaci per le malattie rare, migliorando l'accesso dei pazienti agli studi clinici e la preparazione dei siti di sperimentazione, aumentando l'accettabilità di nuovi strumenti e metodi e prevenendo la frammentazione della ricerca in Europa. Avrà un impatto diretto non solo sui pazienti affetti da malattie rare e ultra-rare, ma anche su tutte le parti interessate coinvolte nello sviluppo di farmaci.</p> <p>Nel complesso, il successo del progetto dovrebbe essere determinato misurando l'aumento dell'uso di sperimentazioni innovative, comprese quelle complesse, progettate per rivolgersi a popolazioni selezionate affette da malattie rare/ultra-rare, e l'uso e la diffusione di playbook, che ottimizzeranno la situazione attuale e aumenteranno il numero di nuovi farmaci approvati per malattie rare/ultra-rare che attualmente sono poco servite.</p>
OBIETTIVI	<p>Si prevede di conseguire tutti i seguenti risultati:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Playbooks 3 per la progettazione di nuovi studi clinici (CT) per malattie rare/cluster di malattie che possono essere utilizzati anche per l'istruzione e la formazione. Creati e convalidati congiuntamente con le autorità di regolamentazione e gli organismi di valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA), questi manuali dovrebbero includere: <ul style="list-style-type: none"> - raccomandazioni di buone pratiche per studi innovativi multinazionali, registri gestiti da cartelle cliniche elettroniche (EHR) e studi longitudinali di storia naturale; - processi standardizzati in tutte le aree, paesi e siti legati alle malattie per processi di fattibilità rapidi e affidabili, consentendo, ad esempio, una valutazione precoce della fattibilità per supportare la progettazione di programmi di sviluppo fattibili. Valutazione dell'efficacia dei progetti TC ottimizzati rispetto al progetto TC "gold standard" per le malattie rare;

	<ul style="list-style-type: none"> - protocolli di studio co-creati da reti di esperti con regolatori, organismi di HTA, pazienti e industria; - accordo su un insieme minimo di variabili di dati da includere in ogni registro/fonte di dati del mondo reale (RWD) di nuova concezione (caratteristiche di base del paziente, informazioni relative alla malattia, ecc.) per garantire l'utilizzabilità per il processo decisionale normativo e la pianificazione dello studio; - informazioni a supporto della creazione di reti di ricerca clinica per la conduzione di sperimentazioni innovative che includono, ad esempio, prove del mondo reale (RWE), elementi remoti, ecc.; - guida da parte di esperti agli sviluppatori su aspetti specifici durante la progettazione dei CT. <ul style="list-style-type: none"> • Allineamento e complementarità con il partenariato europeo sulle malattie rare (in particolare la "Rete di ricerca clinica") cofinanziato da Orizzonte Europa e dagli Stati membri e dai paesi associati, per creare sinergie ed evitare sovrapposizioni. • Siti di sperimentazione clinica certificati/qualificati dal punto di vista scientifico e operativo (in particolare nelle aree degli ATMP) con pool di pazienti prontamente disponibili pronti per essere reclutati nei CT, ove appropriato; lavorando secondo gli standard concordati del sito lungo processi comparabili e standard di qualità. • Sistema strutturato e prevedibile per l'invio dei pazienti (fisicamente e virtualmente) a centri esperti, facilitato attraverso incentivi ed evitando svantaggi per i pazienti (viaggi, ecc.) e incongruenze tra gli operatori sanitari.
<p>ATTIVITÀ</p>	<ul style="list-style-type: none"> • identificare le buone pratiche per la progettazione, l'uso e l'implementazione di studi clinici innovativi (ad esempio, studi a paniere, studi a piattaforma, studi in silico) e di strumenti/metodi (ad esempio, RWD, tecnologie sanitarie digitali, approcci quantitativi, studi con elementi remoti) sviluppati per popolazioni di piccole dimensioni e gruppi di malattie, affrontando al contempo le sfide scientifiche e statistiche legate alla generazione e all'interpretazione di insiemi di dati piccoli, incompleti e/o eterogenei per contribuire a supportare la CT e l'approvazione del prodotto; • identificare le buone pratiche per colmare le lacune conoscitive, tra cui la raccolta di dati di storia naturale, lo sviluppo di nuovi endpoint rilevanti e di esiti riferiti dai pazienti (PRO) che dovrebbero essere incorporati nel disegno della CT; • valutare nuovi disegni di studi clinici (ad es. basket, CT a piattaforma, studi a braccio di controllo condiviso tra diversi sponsor...) che dovrebbero essere valutati e confrontati con l'attuale modello di CT "gold standard" per le malattie rare (ad es. a braccio singolo); • concentrarsi sulle malattie rare pediatriche e dell'adulto ("punti bianchi"); • sviluppare capacità e competenze adeguate per le sperimentazioni cliniche innovative, nonché programmi di istruzione e formazione basati sugli insegnamenti tratti dalle iniziative esistenti e dall'esperienza degli sviluppatori, in modo da poter condividere e diffondere le migliori pratiche per ottimizzare lo sviluppo dei farmaci nelle malattie rare e distribuire i playbook; • sviluppare una piattaforma virtuale per la condivisione di conoscenze e strumenti, che potrebbe essere utilizzata anche per la diffusione dei playbook; • identificare siti di sperimentazione clinica certificati/qualificati dal punto di vista scientifico e operativo (soprattutto per quanto riguarda le ATMP), con pool di pazienti prontamente disponibili e pronti per essere reclutati nelle CT, ove opportuno. Tenendo conto delle dimensioni della coorte di tali studi clinici, sarà molto importante garantire la distribuzione culturale e geografica delle CT a livello europeo.



CHI PUÒ PRESENTARE IL PROGETTO	Enti pubblici e privati (e organizzazioni internazionali) stabiliti negli Stati Membri dell'UE e non-UE; enti pubblici e privati stabiliti nei paesi EEA e associati al programma Horizon Europe.
MODALITÀ DI PARTECIPAZIONE	Funding & tender
LINK A DOCUMENTAZIONE	https://www.ih.europa.eu/apply-funding/call-documents
LINK AD EVENTUALI APPROFONDIMENTI	https://www.ih.europa.eu/sites/default/files/uploads/Documents/Calls/IHI_Call4_CallText.pdf