

Mini Corso Accademia dei Pazienti/Parent Project onlus

Percorso formativo “Lo sviluppo dei nuovi farmaci”

“Dalla scoperta della molecola agli studi clinici”

Responsabile scientifico *Francesca Ceradini*

ROMA 19 MAGGIO 2019

**ERGIFE PALACE HOTEL
ROMA**

9.30 Introduzione *Stefano Mazzariol, Paziente esperto - Eupati Italia. Consigliere e Vice Presidente Parent Project onlus*

9.45 I vari tipi di farmaci e il loro utilizzo - *Sabrina Grigolo, Paziente Esperto - Eupati Italia*

10.45 Coffee Break

11.00 Dalla scoperta in laboratorio alla pianificazione di sviluppo di un farmaco - *Paola Kruger, Paziente Esperto - Eupati Italia*

11.40 Discussione

12.00 Fase pre-clinica e lo sviluppo farmacologico - *Stefano Mazzariol, Paziente esperto - Eupati Italia. Consigliere e Vice Presidente Parent Project onlus*

12.40 Discussione

13.00 Pranzo

14.00 Gli studi clinici - *Stefano Mazzariol, Paziente esperto - Eupati Italia. Consigliere e Vice Presidente Parent Project onlus*

15.15 Discussione

15.35 Il coinvolgimento del paziente esperto - *Sabrina Grigolo e Paola Kruger, Pazienti esperti - Eupati Italia.*

16.30 Saluti

ARGOMENTI DEL CORSO

I vari tipi di farmaci e il loro utilizzo

- Introduzione e definizione dei farmaci
- Come funzionano i farmaci
- Farmaci di “marca” ed equivalenti
- Farmaci biologici e biosimilari
- Terapia genica, staminali e nanoparticelle

Dalla scoperta in laboratorio alla pianificazione di sviluppo di un farmaco

- La malattia e la definizione dei bisogni insoddisfatti
- Selezione del target
- Sviluppo e ottimizzazione della molecola
- Il concetto di Efficacia e Sicurezza
- Il concetto di medicina basato sulle evidenze
- I principi della medicina traslazionale
- La medicina personalizzata e i *Biomarker*

Fase pre-clinica e sviluppo farmacologico

- Obiettivi dello studio pre-clinico
- Principi base dello sviluppo pre-clinico
- I tipi di studi pre-clinici
- Il modello animale

Gli studi clinici

- Panoramica storica
- Etica nella ricerca clinica sull'uomo
- Le diverse fasi della sperimentazione clinica
- Principi fondamentali della farmacologia
- Disegno dello studio clinico e diversi tipi di *trial*
- Nuovi modelli: i disegni adattativi
- Il Comitato Etico
- Arruolamento nei *trial*, consenso informato e coinvolgimento dei pazienti

- La raccolta dati e *patient reported outcomes* (PRO)
- Lettura critica dei risultati
- Popolazioni speciali negli studi clinici
- Diritti, responsabilità dei partecipanti e ruolo delle Associazioni di pazienti
- Compensi e rimborsi spesa per i partecipanti
- Comunicazione e pubblicazione dei risultati

Illustrazione aree di coinvolgimento del Paziente Esperto nel percorso di R&S dei farmaci

- Individuazione delle priorità della ricerca
- *Fundraising* per la ricerca
- Disegno dello studio clinico e definizione del protocollo
- Consenso informato
- Comitato etico
- *Steering Committee*
- Informazione ai pazienti
- Arruolamento
- Aspetti pratici-burocratici
- PRO
- Valutazione dei risultati
- Comunicazione dei risultati