



**Mini Corso Accademia dei Pazienti/SANOFI**  
**“Dalla scoperta della molecola agli studi clinici”**  
Responsabile Scientifico Francesca Ceradini\*

**9.30 Introduzione**

*Dominique Van Doorne* - Vice Presidente, Accademia dei Pazienti - EUPATI Italia

*Fulvia Filippini* - Direttore Public Affairs, Sanofi Italia

9.45 **I vari tipi di farmaci e il loro utilizzo** - *Francesca Calabrese* \*\*

10.25 Discussione

10.45 Coffee Break

11.00 **Dalla scoperta in laboratorio alla pianificazione di sviluppo di un farmaco** -*Francesca Calabrese*

11.40 Discussione

12.00 **Fase pre-clinica e lo sviluppo farmacologico** – *Stefano Mazzariol* \*\*\*

12.40 Discussione

13.00 Pranzo

14.00 **Gli studi clinici** – *Stefano Mazzariol*

15.15 Discussione

15.35 **Il coinvolgimento del Paziente Esperto** – *Paola Kruger* \*\*\*\*

16.15 Coffee Break

16.30 **Esercitazione con il Toolbox**

17.30 Saluti

\* Francesca Ceradini - Biologa Molecolare – Divulgatrice Scientifica e Responsabile Comunicazione Accademia dei Pazienti Onlus - Responsabile Comunicazione Scientifica Parent Project Onlus

\*\* Francesca Calabrese - Tecnico Variazioni ed Autorizzazioni in Commercio presso AIFA e membro Consiglio Direttivo UNIAMO

\*\*\* Stefano Mazzariol - papà di un bimbo con Distrofia Muscolare Duchenne - Vice Presidente Parent Project Onlus - EUPATI Fellow

\*\*\*\* Paola Kruger -Paziente con Sclerosi Multipla che da 5 anni collabora con il Centro SM del Ospedale San Camillo di Roma per la realizzazione di progetti paziente-centrici - EUPATI Fellow

## 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

### **Lezione pratica-interattiva sul Toolbox**

Il “Toolbox”, o “cassetta degli attrezzi”, è uno strumento online, lanciato a gennaio 2016 da EUPATI, ideato per fornire ai pazienti e/o familiari e ai rappresentanti dei pazienti tutte le informazioni e conoscenze nell’ambito della R&S dei farmaci. Il Toolbox, è disponibile in sette lingue (Inglese, Francese, Tedesco, Spagnolo, Italiano, Polacco e Russo), è suddiviso in 12 temi e illustra 110 argomenti con oltre 3.000 materiali informativi che spiegano dalla A alla Z la R&S dei farmaci. I contenuti sono di alto livello didattico e includono schede informative, grafici e illustrazioni, presentazioni in powerpoint, video, webinar e un glossario. Tutto il materiale è scaricabile e condivisibile. Uno dei punti di forza del Toolbox è di essere uno strumento valido ed esaustivo, con un linguaggio semplice e chiaro, facile da utilizzare e accessibile a tutti al seguente link [www.eupati.eu/it/](http://www.eupati.eu/it/)

Una esercitazione pratica sul Toolbox permetterà ai partecipanti di verificare i concetti appresi durante il mini corso, e di imparare ad utilizzare una piattaforma online che potrà poi essere facilmente consultabile dall’ufficio o da casa per consolidare le conoscenze, o anche per preparare delle presentazioni su argomenti inerenti alla R&S dei farmaci.

Lo stesso Toolbox è, inoltre, un ottimo strumento di “pre-reading” per i partecipanti del mini corso.