



# **CANCER REAL WORLD**

from needs to challenges

**MILANO, 24 | 25 gennaio 2019**

Auditorium Giorgio Gaber - Palazzo Pirelli

**TITOLO INTERVENTO**

**Dott. Pierre Demolis ANSM EMA**

# IL RUOLO DELLE EVIDENZE DAL MONDO REALE

PROSPETTIVA DELL'AGENZIA EUROPEA DEI MEDICINALI

Più che altro, una prospettiva tutta personale

[pierre.demolis@ansm.sante.fr](mailto:pierre.demolis@ansm.sante.fr)

ANSM (Agenzia Francese del Farmaco)

EMA (ex-CHMP, SAWP e Oncology Working Party).

NON PARLO IN NOME DEI PADRONI...



# IL RUOLO DELLE EVIDENZE DAL MONDO REALE

PROSPETTIVA DELL'AGENZIA EUROPEA DEI MEDICINALI



Studi clinici / Mondo reale : cosi' diversi ?

Prima dell'autorizzazione : un mondo ideale, costruito per evidenziare l'efficacia (sicurezza nelle grande linee).

	Studi Clinici	Mondo reale
Dimensione tipica	X 100	X 100 000
Pazienti	Controllati, calibrati, consapevoli	Come vengono (età, sanità, ambiente sociale e economico)
Regole	Rigidissime	Più o meno flessibili

Dopo (nella realtà) : benefici ridotti, più effetti indesirabili, accessibilità a volte problematica, misteri lasciati da parte. Endpoints (PFS)

# IL RUOLO DELLE EVIDENZE DAL MONDO REALE

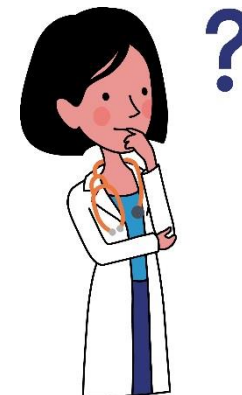
PROSPETTIVA DELL'AGENZIA EUROPEA DEI MEDICINALI



- Autorizzazioni con un elastico : condizionale, *under exceptional circumstances*
- Ogni farmaco puo' venire sospeso (PRAC, farmacovigilanza)
- Domande più 'scientifiche'.
  - Herceptin, HER2 test, FISH o IHC ?
  - Caprelsa, attivo in RETmut esclusivamente ?
  - Olaparib, è tutto spiegato dalle mutazioni BRCA ?

# IL RUOLO DELLE EVIDENZE DAL MONDO REALE

PROSPETTIVA DELL'AGENZIA EUROPEA DEI MEDICINALI



- Non escludiamo le domande più ‘pratiche’.
  - Thalidomide, Revlimid e rischio teratogene, controlliamo bene ?
  - Registri e CAR-T cells, come descrivere i pazienti trattati/non trattati in pratica ?
  - Farmacoepidemiologia
  - Pazienti
- Altri sono interessati ad altre domande
  - HTAs : conseguenze economiche delle immunoterapie ?
  - Organizzazione sanitaria : come gestire i rifiuti della chemio a casa ?

# IL RUOLO DELLE EVIDENZE DAL MONDO REALE

PROSPETTIVA DELL'AGENZIA EUROPEA DEI MEDICINALI

Come fa l'EMA a fare domande (ed ottenere risposte)



## Prima dell'autorizzazione,

Gli avvisi scientifici dell'EMA (Scientific Advisory Working Party)

<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/scientific-advice-protocol-assistance>

PRIME e Adaptive Pathway : <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines>

Gli industriali (accademici) chiedono un avviso, lista di domande con giustificazione, risposta scritta dopo un possibile incontro all'EMA.

PRIME: progetti selezionati, avvisi ripetuti, con HTAs (e altre agenzie tipo FDA)

# IL RUOLO DELLE EVIDENZE DAL MONDO REALE

PROSPETTIVA DELL'AGENZIA EUROPEA DEI MEDICINALI

Come fa l'EMA a fare domande (ed ottenere risposte)



Dopo l'autorizzazione,

<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/post-authorisation/post-authorisation-procedural-qa/post-authorisation-measures-questions-answers>

Le '**Specific Obligations**' (condizionale e *under exceptional circumstances*) : studi per stabilire incertezze (Ph III dopo somministrazione della Ph II, combinazione con medicine più moderne...). Spesso domande 'scientifiche', ancora lontane dal mondo reale.

Le '**Annex-II conditions**' (per tutte le autorizzazioni) e le '**LEG**'. Spesso domande di sicurezza

Le **PASS** e **PAES** (studi di sicurezza o efficacia dopo l'autorizzazione)

# IL RUOLO DELLE EVIDENZE DAL MONDO REALE

PROSPETTIVA DELL'AGENZIA EUROPEA DEI MEDICINALI



Domande nazionali, europee, mondiali ?

L'EMA (La Commissione) lascia tutta libertà ai membri per domande nazionali.

Livello continentale : pesante, uniforme. Potente

Livello mondiale : dialogo tra agenzie.

Dialogo con organizzazioni accademiche (EORTC, NCI...)



# IL RUOLO DELLE EVIDENZE DAL MONDO REALE

PROSPETTIVA DELL'AGENZIA EUROPEA DEI MEDICINALI

Grazie

A voi per l'invito e perchè m'avete ascoltato con pazienza

All' ANSM che m'ha mandato a Milano

Alla famiglia Bigiarini e agli amici italiani che hanno provato ad insegnarmi la lingua.

Non ringrazio il sorteggio che ha selezionato Amsterdam

