



Ricerca e innovazione: le risposte del sistema regolatorio

Ascesa della medicina personalizzata

Armando Magrelli

02/04/25

Dichiarazione di trasparenza/interessi*

Le opinioni espresse in questa presentazione sono personali e non impegnano in alcun modo l'AIFA

Interessi nell'industria farmaceutica	NO	Attualmente	Da 0 a 3 anni precedenti	oltre 3 anni precedenti
<i>INTERESSI DIRETTI:</i>				
1.1 Impiego per una società: Ruolo esecutivo in una società farmaceutica	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.2 Impiego per una società: Ruolo guida nello sviluppo di un prodotto farmaceutico	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.3 Impiego per una società: altre attività	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
2. Consulenza per una società	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
3. Consulente strategico per una società	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
4. Interessi finanziari	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
5. Titolarità di un brevetto	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
<i>INTERESSI INDIRETTI:</i>				
6. Sperimentatore principale	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
7. Sperimentatore	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
8. Sovvenzioni o altri fondi finanziari	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
9. Interessi Familiari	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo

* **Armando Magrelli**, secondo il Regolamento per la disciplina dei conflitti di interesse all'interno dell'Agenzia Italiana del Farmaco approvato dal CdA AIFA con Delibera n. 37 del 13 ottobre 2020.

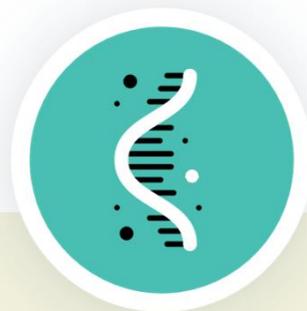
N.B. <Per questo intervento non ricevo alcun compenso> oppure
< Il compenso ricevuto per questo intervento è regolato dalla contrattazione collettiva >.

MEDICINA PERSONALIZZATA E DI PRECISIONE



Genomica e editing genetico

Strumenti come CRISPR-Cas9, trattamenti standard per malattie genetiche entro 2035



Terapie RNA

Espansione post-vaccini mRNA, per malattie genetiche rare e tumori



Oncologia personalizzata

Approcci basati su sequenziamento di nuova generazione e biopsie liquide



Farmacogenomica

Profilazione genetica per prescrizioni personalizzate, minori reazioni avverse

9 September 2024
EMA/CHMP/CVMP/83833/2023
Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP)
Committee for Medicinal Products for Veterinary Use (CVMP)

Reflection paper on the use of Artificial Intelligence (AI) in the medicinal product lifecycle

Draft agreed by Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) Methodology Working Party	July 2023
Draft adopted by CVMP for release for consultation	13 July 2023
Draft adopted by CHMP for release for consultation	10 July 2023
Start of public consultation	19 July 2023
End of consultation (<i>deadline for comments</i>)	31 December 2023
Final version agreed by MWP	6 September 2024
Final version adopted by CHMP	9 September 2024
Final version adopted by CVMP	11 September 2024

Keywords	<i>Artificial intelligence, AI, machine learning, ML, regulatory, medicine, human medicinal product, veterinary medicinal product</i>
-----------------	---

20 March 2025
EMADOC-1700519818-1761332
Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP)

Qualification opinion for Artificial Intelligence-Based Measurement of Non-alcoholic Steatohepatitis Histology in Liver Biopsies to Determine Disease Activity in NASH/MASH Clinical Trials

Draft agreed by Scientific Advice Working Party (SAWP)	31 October 2024
Adopted by CHMP for release for consultation	14 November 2024 ¹
Start of public consultation	6 December 2024 ²
End of consultation (<i>deadline for comments</i>)	24 January 2025
Adoption by CHMP	27 February 2025

Keywords	NASH/MASH clinical trials, Artificial Intelligence based tool to aid trial pathologists in scoring liver biopsies, AIM-NASH, patient inclusion, evaluation of study endpoints, NAS, fibrosis stage, Qualification of Novel Methodology
-----------------	--

¹ Last day of relevant committee meeting
² Date of publication on the EMA public website

ANITARIA



Farmacovigilanza

Monitoraggio
automatizzato di reazioni
avverse

SALUTE DIGITALE E TERAPIE CONNESSI

Terapie Digitali

Applicazioni per malattie croniche,
integrazione con farmaci.



Telemedicina

Gestione remota di condizioni
croniche saranno routine



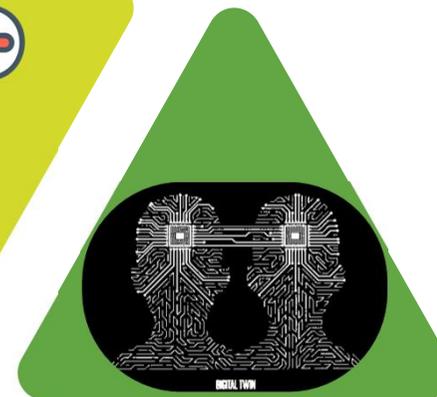
Pillole Intelligenti e Sensori

Monitoraggio aderenza e trasmissione
dati per una corretta
somministrazione



Gemelli digitali

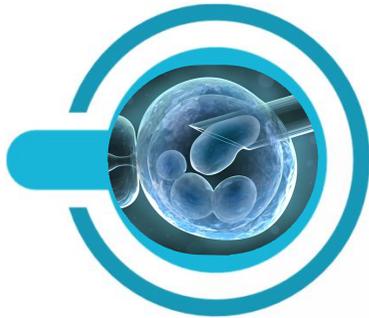
Simulazione effetti farmaci
con repliche digitali dei
pazienti



NUOVE MODALITÀ TERAPEUTICHE

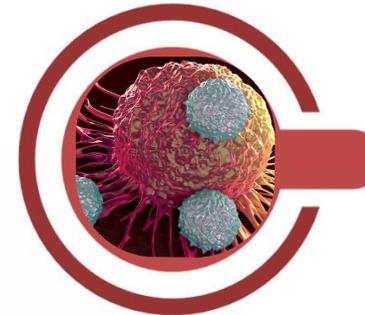
01 Terapie Cellulari e Geniche

Maggior diffusione, soprattutto in oncologia e malattie rare.



02 Immunoterapie e Vaccini

Personalizzati
mutazione specifici,
minori effetti collaterali



03 Biosimilari e Biobetters

Dominio post-scadenza brevetti



04 Coniugati anticorpo-farmaco

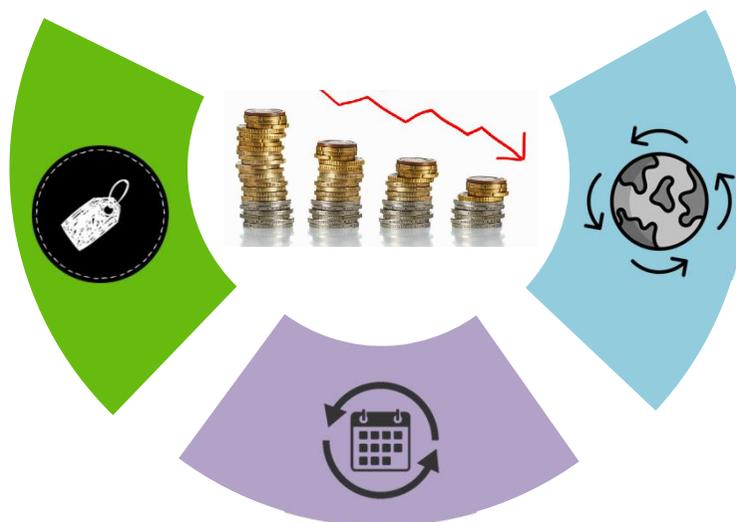
Migliore specificità e efficacia trattamenti.



MODELLI ECONOMICI E DI PREZZO

Prezzi Basati sui Risultati

I modelli di pagamento si legheranno sempre più ai risultati clinici, soprattutto per terapie geniche e cellulari ad alto costo



Strategie di Accesso Globale

Le aziende farmaceutiche implementeranno modelli di prezzo differenziato e accordi di licenza volontaria per espandere l'accesso nei paesi a basso reddito.

Modelli in Abbonamento

I sistemi sanitari potrebbero adottare modelli di abbonamento per le terapie croniche, distribuendo i costi nel tempo.

PRODUZIONE E CATENE DI FORNITURA



Produzione localizzata

Investimenti in impianti locali, soprattutto per farmaci essenziali e biologici.



Produzione continua

Questo approccio sostituirà la produzione in batch, riducendo i costi e l'impatto ambientale



Blockchain

Sistemi basati su blockchain garantiranno la trasparenza e preverranno la contraffazione lungo la catena di approvvigionamento

SOSTENIBILITÀ E FARMACI VERDI



Produzione Carbon-Neutral

Obiettivo 2030 per principali aziende Farmaceutiche



Packaging Ecologico

Packaging riciclabile o biodegradabile nuovo standard industriale

Riduzione Uso di Acqua

Sistemi avanzati di trattamento e riciclo delle acque ridurranno l'inquinamento ambientale



EVOLUZIONE NORMATIVA



DISUGUAGLIANZE NELL'ACCESSO

Iniziative Globali

Programmi collaborativi ridurranno il divario di accesso tra paesi ad alto e basso reddito.



Diffusione di Biosimilari

I biosimilari garantiranno l'accessibilità economica, soprattutto nei mercati emergenti.



CONCLUSIONI



NUOVE OPPORTUNITA' PER LA SALUTE GLOBALE

Armando Magrelli

Dirigente Ufficio Ricerca Indipendente
a.magrelli@aifa.gov.it

aifa.gov.it

