



# Η συμβολή των ασθενών στην κλινική έρευνα και ανάπτυξη νέων θεραπειών

Δρ Βαρβάρα Μπαρούτσου, Παθολόγος

Βήμα Διαλόγου Ασθενών

Αθήνα Ιούνιος 2016

# Δήλωση σύγκρουσης συμφερόντων

---

- Αντιπρόεδρος Ελληνικής Εταιρείας Φαρμακευτικής Ιατρικής
- Συντονίστρια Επιτροπής Ιατρικών Υποθέσεων & κλινικών μελετών ΣΦΕΕ
- Western Europe Chief Scientific Officer Novartis

# Disclaimer

---

No part of this presentation shall be reproduced or distributed in any form or by any means, or stored in a database or retrieval system, without the prior written permission of the Novartis Hellas S.A.

Information contained in this presentation is subject to change without notice. Access to this presentation is licensed subject to the condition that it shall not, by way of trade or otherwise, be lent, resold, hired out, or otherwise circulated without prior consent of Novartis Hellas S.A in any form, whilst every effort has been made to ensure the accuracy of presentation.

Novartis Hellas S.A cannot accept any responsibility for any inaccuracy or omission contained herein.

Other company names, products, marks and logos mentioned in this document may be the trade mark of their respective owners. By making use of this service you accept Novartis Hellas S.A terms and conditions, available on request.

© Novartis Hellas S.A

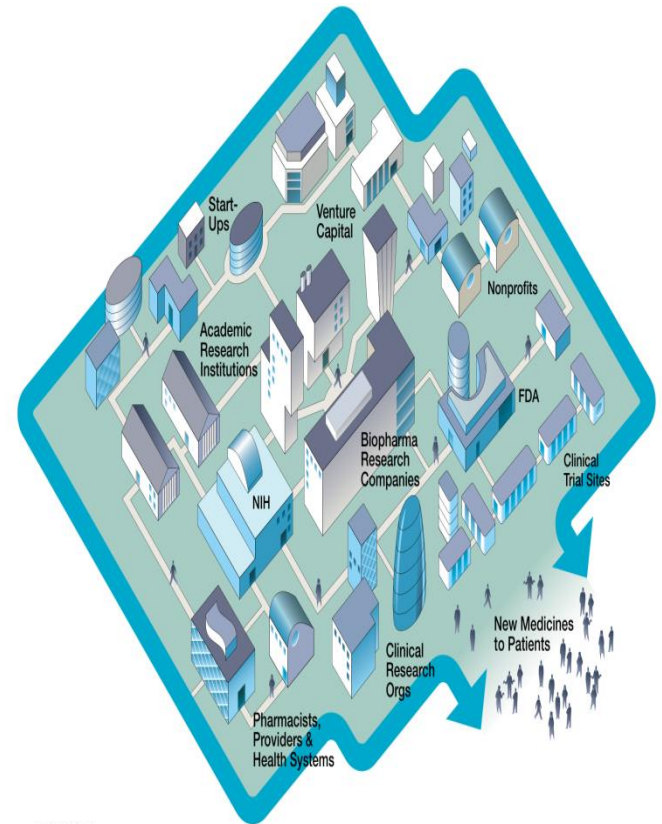




# Rethinking drug discovery – Turning the Titanic?

*Elias A. Zerhouni, President Global R&D, Sanofi  
Editorial in Science Translational Medicine, January 2014*

**‘We must acknowledge that no single institution, company, university, country, or government has a monopoly on innovation.’**



SOURCE: PHARMA 2014

Copyright © 2016 by the  
Pharmaceutical Research  
and Manufacturers of  
America.






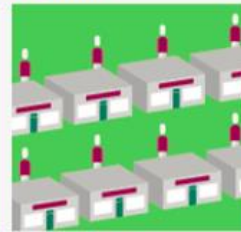
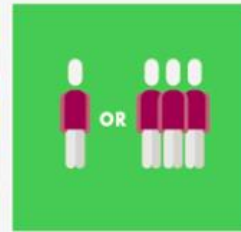



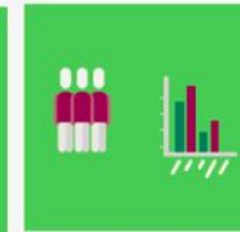


The Signature Clinical Trial Program is a US-based pilot developed by Novartis, which aims to change the traditional clinical paradigm by bringing the protocol to the patient through the identification of certain genetic mutations.

### Traditional Clinical Trials

						
Sites can take ~8months to open a trial <sup>1</sup>	Participation is limited to a fixed number of sites	Each site must enroll multiple patients	Many patients need to be screened to identify eligible patient <sup>2</sup>	Site is identified, activates trial and then recruits eligible patients	Criteria is limited to one tumor type	Many patients must be enrolled; data is analyzed upon availability of final results

### SIGNATURE Trial Program

						
Site can be open in approximately 3 weeks <sup>3-4</sup>	No fixed number of sites <sup>5</sup>	Site can enroll one or multiple patients <sup>5</sup>	Patient pre-identified, no screening necessary <sup>4</sup>	Patient is identified at site; then study is activated. Program is actively seeking new sites <sup>4-5</sup>	Patients with any tumor type and relevant genetic mutation can enroll <sup>3-4</sup>	Fewer patients can be enrolled, and data is analyzed on a frequent basis <sup>3-4</sup>

1. Survey Results of Start-Up Cycle Times, Tufts CSDD 2012. Available at <http://www.appliedclinicaltrials-online.com/appliedclinicaltrials/article/articleDetail.jsp?id=796689>. Last accessed April 2, 2014  
 2. Screening Tests Prior to Study Enrollment – Information Sheet. Available at <http://www.fda.gov/RegulatoryInformation/Guidances/ucm126430.htm>. Last accessed April 7, 2014

3. Signature Website. <http://www.signaturetrial.com/> Last accessed April 11, 2014  
 4. "Bring the Protocol to the Patient." American Society of Clinical Oncology Annual Meeting 2014 Panel.  
 5. "Signature Clinical Trial Program." Patient Recruitment Informational Deck.



# Ποιές είναι οι απόψεις των αρχών

## Για να είναι η πρόσβαση στα φάρμακα προσιτή

### ■ Drug Regulation and Pricing — Can Regulators Influence Affordability?

Hans-Georg Eichler, M.D., Hugo Hurts, M.Sc., Karl Broich, M.D., and Guido Rasi, M.D.  
N Engl J Med 2016; 374:1807-1809 | May 12, 2016 | DOI: 10.1056/NEJMp1601294

Share:     

Article

References

Metrics

Public debate in the 1990s over drugs' clinical toxicity has given way to concerns about their financial toxicity. Although drug regulators aren't supposed to be concerned with pricing, they've been drawn into an acrimonious debate over the cost of medicines.

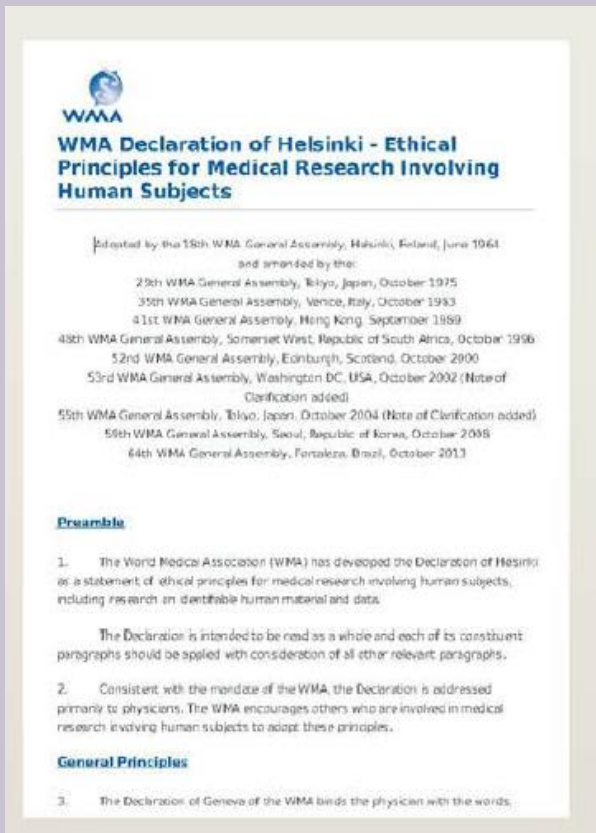
- 12/05/2016
- **Can regulators influence the affordability of medicines? Top EMA and national authority representatives discuss options in a NEJM article**
- 'Enable the **rapid approval of generics and biosimilars**, as this facilitates competition and drives down prices;
- Work to ensure 'me-too' products (medicines comparable to already approved options) continue to come on the market at reasonable speed, again to drive down prices through increased competition;
- Encourage companies to conduct clinical trials that both satisfy the needs of regulators (i.e. demonstrate quality, safety and efficacy of the medicine) as well as the **health-technology-assessment bodies**
- Facilitate the collection of other data that are important for payers by taking their needs into account when asking companies to **conduct post-approval studies**. This could for example help payers when considering **outcome-focused deals that tie the price of a medicine to the result for patients**;
- Support higher efficiency of research and development in the area of medicines: by fostering a better model for the development of medicines, it is expected that companies would potentially be able to reduce the price of their medicines. This could also mean reflecting on new approaches to medicines' development, such as the **adaptive pathways** approach that is being explored by EMA;



# Κλινικές Μελέτες : εξελισσόμενο δεοντολογικό & νομικό πλαίσιο

11

## Δεοντολογία , Νομοθεσία και Ορθή Κλινική πρακτική



Νόμος 2071/1992 Εθνικού Συμβουλίου Ιατρικής Ηθικής και Δεοντολογίας

Νόμος Ευαίσθητων Προσωπικών Δεδομένων 2472/1997

Νόμος 2667/1998 : Εθνική Επιτροπή Βιοηθικής

Νόμος 2619/1998: Oviedo Convention

Υπουργική Απόφαση /89292/31.12.2003 ενσωμάτωση Directive 2001/20/EE

Νόμος 3418/2005 Ιατρικής Δεοντολογίας

Νόμος 3653/2008 για την έρευνα και τεχνολογία

# Οι ασθενείς στην διαμόρφωση της ιατρικής προόδου

European Patients Academy [www.eupati.eu](http://www.eupati.eu).



Press Release / Announcement

Contact: Rob Camp, Barcelona, Spain, +34.600207455, rob.camp@patientsacademy.eu

## EUPATI launches a new educational Toolbox on Medicines Research & Development

- More than 100 topics in 7 languages for patient advocates to discover, adapt and share
- Online information resource designed to enable more meaningful patient involvement
- Information and education to help engage patients and patient advocates

(27 January 2016-Europe) – The European Patients' Academy (EUPATI) today announces the launch of its new online [Toolbox on Medicines Research & Development](#). The toolbox is available to European patient groups, patient advocates and anyone who is interested in learning more about the medicines research and development (R&D) process. Users can acquire the knowledge to make a meaningful contribution to medicines development and to the broader dialogue around patient empowerment. This online educational resource allows users to freely discover, adapt, and share materials.

*EUPATI Toolbox on Medicines R&D'*  
by [watching the video](#).

- "Patients no longer view themselves as 'recipients' of healthcare innovation. They are embracing their new power to shape the medical advances that are shaping their lives. We hope this toolbox will be a helpful resource to empower patients with more knowledge about how biomedical R&D works,"

Copyright EUPATI ©.



# Ευρεία αναφορά στο διαδίκτυο

Επιστημονικοί, ερευνητικοί, διεθνείς, ιδιωτικοί φορείς, ΜΚΟ & άλλοι





# Πρόσβαση στις κλινικές μελέτες στις ΗΠΑ

## Ιστότοποι

**ClinicalTrials.gov**

A service of the U.S. National Institutes of Health

ClinicalTrials.gov is a registry and results database of publicly and privately supported clinical studies of human participants conducted around the world. Learn more about clinical studies and about this site, including relevant history, policies, and laws.

Find Studies ▾ About Clinical Studies ▾ Submit Studies ▾ Resources ▾ About This Site ▾

ClinicalTrials.gov currently lists 210,680 studies with locations in all 50 States and in 192 countries.

Text Size ▾

### Search for Studies

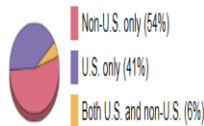
Example: "Heart attack" AND "Los Angeles"

[Advanced Search](#) [See Studies by Topic](#)  
[See Studies on Map](#)

### Search Help

- How to search
- How to find results of studies
- How to read a study record

### Locations of Recruiting Studies



Total N = 37,508 studies  
(Data as of March 15, 2016)

- See more trends, charts, and maps

### Learn More

- [Tutorials for using ClinicalTrials.gov](#)
- [Glossary of common site terms](#)
- [For the press](#)
- [Using our RSS feeds](#)

### For Patients and Families

- [How to find studies](#)
- [See studies by topic](#)
- [Learn about clinical studies](#)

### For Researchers

- [How to submit studies](#)
- [Download content for analysis](#)
- [About the results database](#)
- [Learn more](#)

### For Study Record Managers

- [Why register?](#)
- [How to register your study](#)
- [FDAAA 801 requirements](#)
- [Learn more](#)

Home » Health Information » NIH Clinical Research Trials and You

## NIH CLINICAL RESEARCH TRIALS AND YOU

### NIH Clinical Research Trials and You


### Finding a Clinical Trial

#### The Basics

- [Finding a Clinical Trial](#)
- [List of Registries](#)
- [Personal Stories](#)
- [For Parents and Children](#)
- [For Health Care Providers](#)
- [Resources for Trial Sites](#)
- [Educational Resources](#)
- [Glossary of Common Terms](#)

#### Around the Nation and Worldwide

NIH conducts clinical research trials for many diseases and conditions, including cancer, Alzheimer's disease, allergy and infectious diseases, and neurological disorders. To search for other diseases and conditions, you can visit [ClinicalTrials.gov](#).



[ClinicalTrials.gov](#) [ [Tips for finding trials on ClinicalTrials.gov](#) ]

This is a searchable registry and results database of federally and privately supported clinical trials.



# Διαφάνεια & ενημέρωση των δεδομένων στην ΕΕ

Συνοψείς αποτελεσμάτων κλινικών μελετών για τους ασθενείς

- Δημοσιοποίηση των συνοπτικών αποτελεσμάτων των κλινικών μελετών
  - Από το **2014** στο **EU clinical trials registry** στα αγγλικά
- Δημοσιοποίηση των αναλυτικών αποτελεσμάτων όλων των κλινικών μελετών
  - Από το **Σεπτ 2016** στο **EU clinical trials registry** στα αγγλικά
- Ειδικές συνοψείς των αποτελεσμάτων των κλινικών μελετών για τους συμμετέχοντες ασθενείς και λοιπούς ασθενείς
  - Απαίτηση με βάση την νέα νομοθεσία- ευρωπαϊκό κανονισμό για τις κλινικές μελέτες 536/2014
  - Σε κατανοητή γλώσσα και στην τοπική γλώσσα **2018-2020**

# Διαφάνεια στις κλινικές μελέτες στην Ευρώπη

## EU Clinical Trials Register



### EU Clinical Trials Register

Home & Search

Joining a trial

Contacts

About

### Clinical trials

The European Union Clinical Trials Register allows you to search for protocol and results information on:

- interventional clinical trials that are conducted in the European Union (EU) and the European Economic Area (EEA);
- clinical trials conducted outside the EU / EEA that are linked to European paediatric-medicine development.

Learn [more about the EU Clinical Trials Register](#) including the source of the information and the legal basis.

The EU Clinical Trials Register currently displays **27503** clinical trials with a EudraCT protocol, of which **4080** are clinical trials conducted with subjects less than 18 years old.

The register also displays information on **18612** older paediatric trials (in scope of Article 45 of the Paediatric Regulation (EC) No 1901/2006).

X

Search

**Examples:** Cancer AND drug name. Pneumonia AND sponsor name.

# Εταιρικός ιστότοπος ,εφαρμογές και μέσα κοινωνικής δικτύωσης

## Παραδείγματα



## Clinical Trials

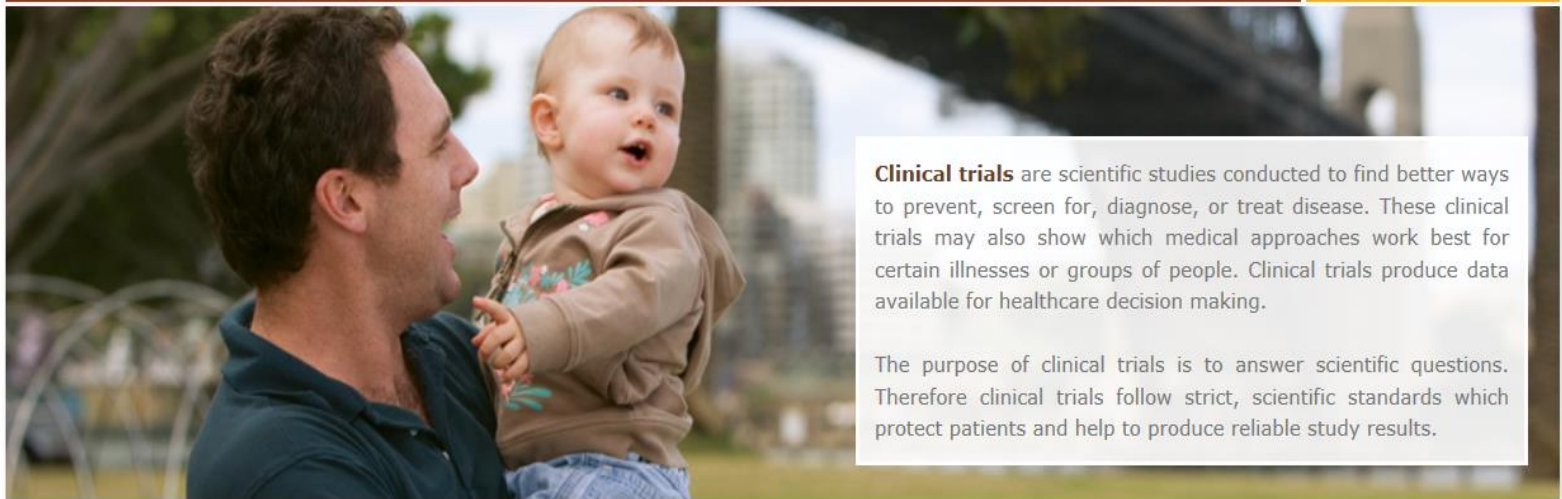


Home

Clinical study results

Ongoing trials

Patient-level data



Search for Novartis-sponsored clinical trials

Opportunities near you

Search

Novartis is currently conducting clinical trials around the world for a number of diseases. Search for more information about ongoing interventional Novartis-sponsored clinical trials.

Search

Advanced search   GPS search   Global search

**?** What are clinical trials?  
Clinical trials are scientific studies that try to find =

**↔** Clinical trial benefits & risks  
Taking part in a clinical trial can have both benefits and risks =



# Η άποψη των ασθενών στην έρευνα , ανάπτυξη και στις κλινικές μελέτες



# Πρωτοβουλία του FDA για 20 νοσήματα σε μια 5ετία

Ανάπτυξη φαρμάκων για τις ανάγκες των ασθενών :2013-2017



U.S. Food and Drug Administration  
Protecting and Promoting Public Health

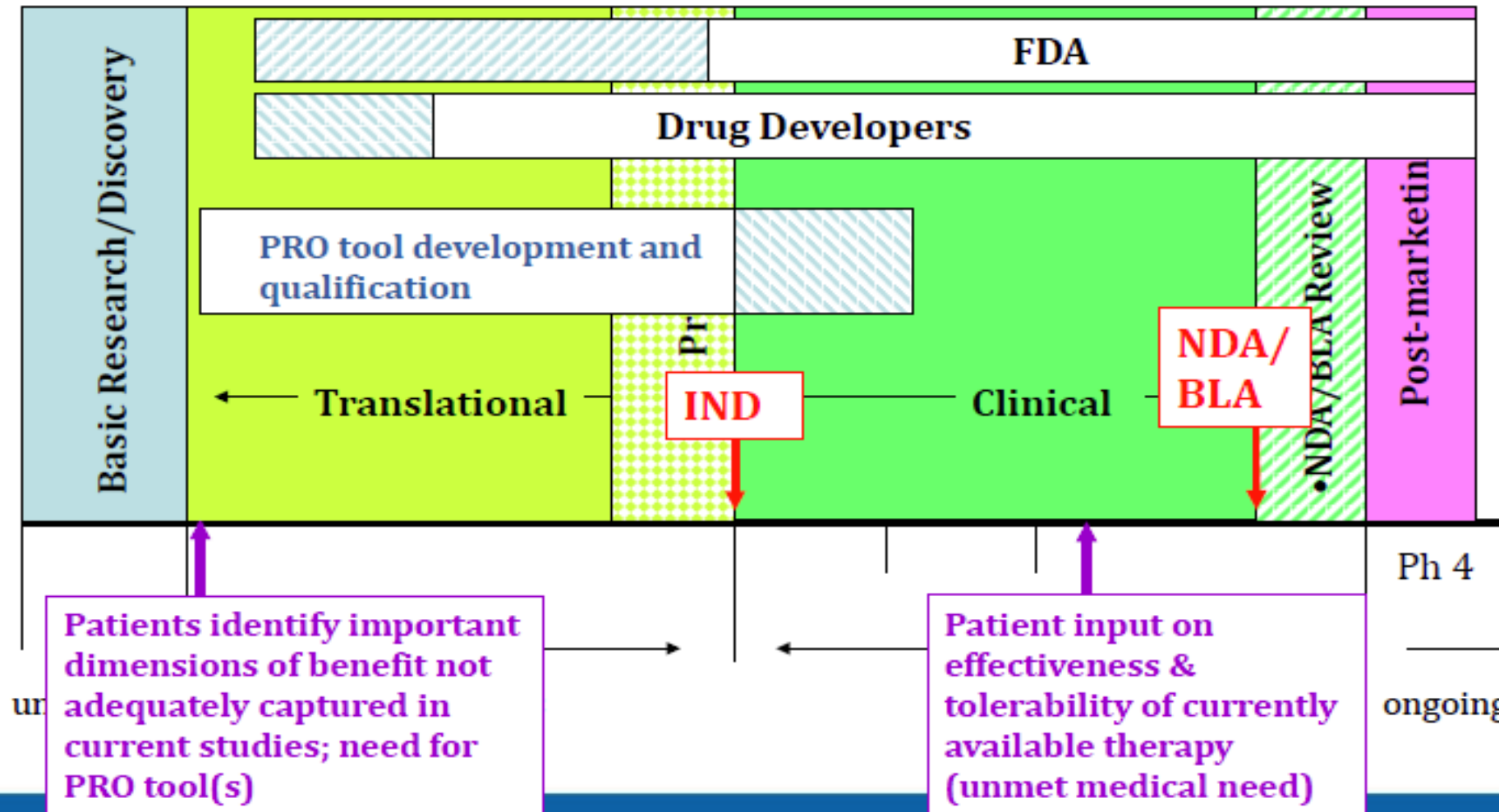
www.fda.gov

## FDA's Patient-Focused Drug Development Initiative

**What is it:** As part of its commitment under the recently approved Prescription Drug User Fee Act (PDUFA V), the Food and Drug Administration (FDA) will be conducting an initiative, called the patient-focused drug development initiative, to provide for a more systematic approach to obtain the patient's perspective on the disease severity and the currently available treatments. The intent is to ensure a thorough understanding of the severity of the treated condition and the adequacy of the existing treatment options.

# Meetings might stimulate longer-range development of new patient-focused outcome measures

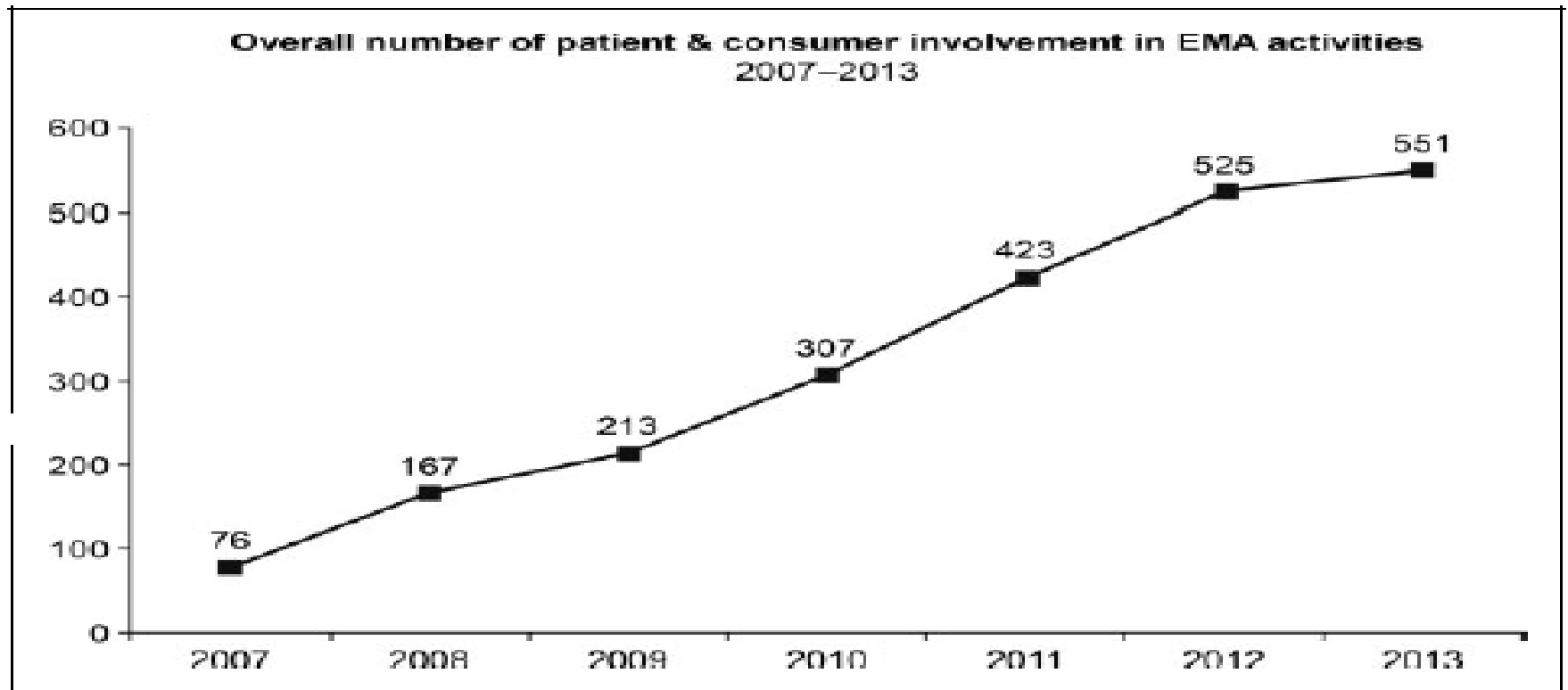
## For a specified disease area





# Partnering with Patients in the Development of Medicines

*A call for action :Therapeutic Innovation ,March 2015 Anton Hoos et al*



**Figure 1. Growth of EMA interactions with patients and consumer organizations between 2007 and 2013. Reproduced with permission from European Medicines Agency.<sup>29</sup>**





# Χρήση e μέσων στις κλινικές μελέτες

## Cloud computing & ψηφιακό ταξίδι



- Ψηφιακή συγκατάθεση ασθενούς
- Ψηφιακή συμπλήρωση ερωτηματολογίων
- Μετάδοση δεδομένων ή και μετρήσεων μέσω κινητών τηλεφώνων
- Καταγραφή ζωτικών σημείων με ανιχνευτές
- Ηλεκτρονική καταγραφή χρήσης του φαρμάκου
- Τηλε ιατρική-παρακολούθηση εξ αποστάσεως

# Εφαρμογή αναφοράς Ανεπιθυμητών ενεργειών

<https://web-radr.eu/>



## INTRODUCING THE YELLOWCARD APP



### Home

- About IMI
- Get involved
- Projects
- Calls for proposals
- News, Events & Media
- Reference documents

### LATEST NEWS

10/06/2016 : Thanks @BIOConvention for a great #BIO2016 - we're already buzzing with ideas for #BIO2017! <https://t.co/YW06fmN8oT>

09/06/2016 : RT @EUPATI\_AT: Über 50 Teilnehmer nehmen gerade an dem ersten EUPATI/ AGES Patientengespräch in Österreich teil. Informationsvermittlung fü...

[Back to overview](#)

## WEB-RADR

Recognising Adverse Drug Reactions



### Summary

WEB-RADR researchers are working together to detect new drug side effects by mining publicly available web and social media content. Thanks to the development a mobile application where patients will be able to directly report potential medicine side effects and also receive reliable information on their drugs, medicine manufacturers and regulators will be able to intervene earlier in case of adverse drug reactions (ADRs), and thus reduce potential harm to patients.

[more](#)

### Facts & Figures

Start Date 01/09/2014  
End Date 31/08/2017

Contributions	€
IMI funding	2 270 000
EFPIA in kind	2 705 155
Other	1 004 466
Total cost	5 979 621

### Achievements & News

**WEB-RADR launches Croatian version of side effect reporting app**  
Croatia has become the third country in Europe to benefit from the **WEB-RADR** mobile app for reporting suspected adverse drug reactions (side effects). [...more](#)

**WEB-RADR side effect reporting app goes Dutch**  
IMI's **WEB-RADR** project has launched a **Dutch version** of its smartphone app that patients, carers and healthcare providers can use

### Links and Documents

Website: <http://web-radr.eu/>

Twitter: @WEBRADR



Καθώς **εστιάζουμε στους ασθενείς**, είναι σημαντικό να γνωρίζουν τι να αναμένουν από τη Novartis

**Πρόσβαση στα Καινοτόμα Φάρμακά μας:**



Συνεργαζόμαστε με όλους τους εταίρους ώστε να βρίσκουμε λύσεις και να παρέχουμε τη σωστή θεραπεία στο σωστό ασθενή τη σωστή στιγμή το ταχύτερο δυνατόν.



**Ασφάλεια των Ασθενών:** Δεσμευόμαστε στην παραγωγή και διάθεση ποιοτικών φαρμάκων που είναι ασφαλή και αποτελεσματικά, ώστε να καλύπτουν τις ανάγκες και τις απαιτήσεις των ασθενών.



**Σεβασμός της Αποψης των Ασθενών:** Πιστεύουμε στην ενεργή συμμετοχή των ασθενών και των πολιτών για τη βελτίωση των υπηρεσιών υγείας και της εξέλιξης των ασθενειών αυτών.



**Διαφάνεια & Ακεραιότητα Δεδομένων για τα Καινοτόμα Φάρμακα:**

Αναγνωρίζουμε την ανάγκη των ασθενών για εμπιστοσύνη στα φάρμακά μας, καθώς και ότι μπορεί να επιθυμούν να έχουν οι ίδιοι πρόσβαση σε σχετική πληροφόρηση. Υποστηρίζουμε την ανάγκη για τήρηση υψηλών δεοντολογικών αρχών ελέγχου και διαφάνειας κατά την κλινική έρευνα.



**Συνεισφορά στο Σχεδιασμό των Κλινικών Μελετών:** Αναγνωρίζουμε ότι οι γνώσεις και οι εμπειρίες των ασθενών σχετικά με τη νόσο τους είναι πολύτιμες κατά το σχεδιασμό των πρωτοκόλλων των κλινικών μελετών και των στόχων τους.

## Τι Μπορούν να Αναμένουν οι Ασθενείς από τη Novartis



## Εμπνεόμαστε από τους ασθενείς

Αυτή η έμπνευση μας παρέχει κίνητρα ώστε να φέρουμε την επανάσταση στην έρευνα, την ανάπτυξη και την παραγωγή καινοτόμων φαρμάκων υψηλής ποιότητας που βοηθούν τους ανθρώπους να έχουν μεγαλύτερη διάρκεια ζωής με καλύτερη ποιότητα, δίνοντάς τους περισσότερο χρόνο να κάνουν τα πράγματα που έχουν σημασία για εκείνους

**Για να κάνουμε το καλύτερο για τους ασθενείς μας, δεν αποδεχόμαστε το status quo.** Εργαζόμαστε για να διασφαλίσουμε την πρόσβαση σε καινοτόμες θεραπείες σε περισσότερους ασθενείς παγκοσμίως ώστε η κοινωνία και οι ασθενείς να μπορέσουν να επωφεληθούν το ταχύτερο δυνατό **Το εύρος και η ισχύς της έρευνας και ανάπτυξης φαρμάκων μας, μας διευκολύνει να αλλάξουμε την ιατρική πρακτική** και να φέρουμε περισσότερα ρηζικέλευθα αποτελέσματα με πραγματικά οφέλη στους ασθενείς και στην κοινωνία

**Συνεργαζόμαστε με επιστήμονες και οργανισμούς σε όλο τον κόσμο** καθώς μέσω της συνεργασίας μπορούμε να επιτύχουμε περισσότερα

**Θέτουμε συνεχείς προκλήσεις στον εαυτό μας σε ό,τι κάνουμε, με τα υψηλότερα πρότυπα συμμόρφωσης, ακεραιότητας και αποτελεσμάτων** ώστε να διασφαλίσουμε και στο μέλλον την καινοτομία για τους ασθενείς, την κοινωνία και τη Novartis

# Δραστηριότητες στην Ελλάδα

Δέσμευση, ενημέρωση και ενεργή ακρόαση των ασθενών

Η δέσμευση  
μας στους  
ασθενείς

Παρουσία μας  
στο δημόσιο  
διάλογο

Ενημερωτικό  
υλικό στην  
ιστοσελίδα μας

Πληροφορίες  
για τις Κλινικές  
Μελέτες

Ανταλλαγή  
απόψεων με  
ενώσεις &  
φορείς  
ασθενών



Σας ευχαριστώ πολύ για την προσοχή σας

Στην διάθεση σας για ερωτήσεις