

**Mini Corso Accademia del Paziente Esperto EUPATI/Parent Project aps**  
**Percorso formativo “Lo sviluppo dei nuovi farmaci”**  
**“Dalla scoperta della molecola agli studi clinici”**

**PROGRAMMA**

**14 NOVEMBRE 2020**

Evento on line

Iscrizioni [centroascolto@parentproject.it](mailto:centroascolto@parentproject.it)

**10.00 Introduzione**

**10.10 Dalla scoperta in laboratorio alla pianificazione di sviluppo di un farmaco.** Sabrina Grigolo,  
*Paziente Esperto - EUPATI Italia*

A seguire **I vari tipi di farmaci e il loro utilizzo** – Sabrina Grigolo, *Paziente Esperto - EUPATI Italia*

**10.45 Discussione**

**11.00 Studi pre-clinici e clinici** – Paola Kruger, *Paziente Esperto - EUPATI Italia*

**11.45 Discussione**

**12.00 Il coinvolgimento del Paziente Esperto:** narrazione di due esperienze – *Pazienti Esperti - EUPATI Italia.*

**12.30 Conclusioni e Saluti**

**13.00 Fine**

## 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