



Studi clinici pragmatici per ottimizzare trattamenti per i pazienti con tumori refrattari

Pragmatic clinical trials to optimise treatments for patients with refractory cancers

TOPIC ID: HORIZON-MISS-2022-CANCER-01-03

Ente finanziatore: Commissione europea, Programma Horizon Europe

Obiettivi ed impatto attesi: Mentre la ricerca sul cancro e l'innovazione hanno generato nuove opzioni terapeutiche, i pazienti oncologici di tutta Europa hanno bisogno di accedere a interventi più efficaci e incentrati sul paziente, che tengano il passo con le crescenti richieste in un panorama sanitario oncologico complesso e frammentato, con costi sanitari in continua crescita.

Inoltre, la pandemia di COVID-19, con il suo impatto negativo sul controllo del cancro, ha dimostrato la necessità di progettare studi clinici diversi, con meno criteri di inclusione ed esclusione, che permettano di valutare l'efficacia nel mondo reale e che portino a soluzioni terapeutiche migliori e più accessibili in tutte le regioni dell'UE, negli Stati membri e nei Paesi associati.

Gli studi clinici pragmatici si concentrano sulla scelta tra le opzioni di cura. Gli studi pragmatici valutano l'efficacia, ovvero l'effetto del trattamento nella pratica clinica di routine (del mondo reale). Alcuni esempi sono il trattamento rispetto alla sorveglianza attiva nella gestione dei pazienti, la combinazione di interventi terapeutici, la determinazione della dose ottimale e dello schema di dosaggio, la de-escalation dell'intervento terapeutico, l'efficacia comparativa di diversi interventi terapeutici.

Le proposte relative a questo argomento devono mirare a fornire risultati che indirizzino, adattino e contribuiscano a tutti i seguenti risultati attesi:

I pazienti affetti da cancro e coloro che li assistono avranno accesso a interventi terapeutici ottimizzati ed economicamente accessibili che aumentino la loro qualità di vita, in tutte le regioni dell'UE, negli Stati membri e nei Paesi associati;

Gli operatori sanitari e il mondo accademico genereranno prove cliniche, valutando l'efficacia in studi clinici pragmatici randomizzati o cluster-randomizzati avviati da ricercatori accademici[1], su come eseguire e distribuire al meglio gli interventi terapeutici basati sull'evidenza che migliorano i risultati nella vita reale per l'assistenza sanitaria di routine, compresa la qualità della vita dei pazienti oncologici che spesso presentano co-morbilità;

gli operatori sanitari nazionali, i responsabili politici e le autorità delle Regioni, degli Stati membri e dei Paesi associati dell'UE disporranno delle prove per implementare trattamenti ottimizzati e

accessibili nei loro sistemi sanitari, anche nella pratica medica quotidiana.

Ambito di applicazione:

Le proposte devono riguardare tutti i seguenti aspetti:

- Progettare e condurre studi clinici pragmatici randomizzati o randomizzati a grappolo, condotti da ricercatori accademici, per fornire interventi terapeutici efficaci e basati su prove di efficacia da implementare nei sistemi sanitari a livello di comunità locali, regioni dell'UE, Stati membri e Paesi associati, tenendo conto della stratificazione socioeconomica e biologica, come la biologia della malattia, il sesso, lo stadio del cancro e l'età.
 - L'intervento o gli interventi terapeutici scelti[2] devono essere adattati alle esigenze particolari della popolazione target e alle specificità dell'offerta di assistenza a livello locale, regionale o nazionale, riflettendo debitamente la diversità tra gli Stati membri e i Paesi associati. Inoltre, si dovrà tenere conto dell'accessibilità e dell'economicità.
 - Le proposte selezionate riguarderanno interventi di trattamento per pazienti con tumori refrattari (tumori con una sopravvivenza globale a 5 anni inferiore al 50% dal momento della diagnosi) in qualsiasi fase della malattia, per qualsiasi sottotipo di tumore, in qualsiasi gruppo di età o parte della società.
 - Le proposte selezionate dovranno giustificare e descrivere chiaramente le prove a sostegno dell'intervento terapeutico scelto.
 - Gli endpoint primari e secondari dello studio clinico pragmatico devono riguardare la sopravvivenza globale, i benefici clinici preferiti dai pazienti, gli esiti riferiti dai pazienti e gli aspetti della qualità della vita considerati importanti da e per i pazienti oncologici e i loro caregiver. Tali endpoint dovrebbero essere definiti insieme ai pazienti e ai loro caregiver attraverso modelli di ricerca che utilizzino la conoscenza aperta, i sistemi di innovazione (sociale) e supportino il coinvolgimento degli utenti finali (ad esempio, i laboratori viventi).
 - Tra gli attuatori delle sperimentazioni cliniche pragmatiche e dei risultati delle sperimentazioni dovrebbero esserci medici, università, pazienti e loro assistenti, rappresentanti dei pazienti, pagatori, enti e fondazioni di beneficenza, organizzazioni di ricerca, società civile, organizzazioni di ricerca e innovazione regionali e nazionali e autorità sanitarie.
- Gli studi clinici pragmatici di successo, comprese le loro analisi, devono essere completati entro 5 anni dall'inizio del progetto. La ricerca traslazionale non rientra nell'ambito di questo tema. In tutti i casi, devono essere prese in considerazione le questioni legate al sesso e al genere. Tutti i dati devono essere disaggregati per sesso, genere, età e altre variabili rilevanti, come ad esempio le misure dello status socio-economico. Questo tema richiede il contributo effettivo delle discipline delle scienze sociali e umane (SSH) e il coinvolgimento di esperti SSH, istituzioni e l'inclusione di competenze SSH pertinenti, al fine di produrre effetti significativi e significativi che rafforzino l'impatto sociale delle attività di ricerca correlate.

Tutti i progetti finanziati nell'ambito di questo tema sono fortemente incoraggiati a partecipare ad attività di rete e congiunte con altri progetti in corso nell'ambito della missione sul cancro e con altri

progetti rilevanti per il cancro, come appropriato. Queste attività di rete e congiunte potrebbero, ad esempio, comportare la partecipazione a workshop congiunti, lo scambio di conoscenze, lo sviluppo e l'adozione di buone pratiche o attività di comunicazione congiunte. Ciò potrebbe anche comportare la creazione di reti e attività congiunte con progetti finanziati nell'ambito di altri cluster e pilastri di Orizzonte Europa o di altri programmi dell'UE, a seconda dei casi.

La Commissione può facilitare il coordinamento specifico della missione attraverso azioni future. Pertanto, le proposte devono includere un budget per la partecipazione a riunioni periodiche congiunte e possono prendere in considerazione la copertura dei costi di altre potenziali attività congiunte, senza il requisito di dettagliare attività congiunte concrete in questa fase. I dettagli di queste attività congiunte saranno definiti durante la fase di preparazione della convenzione di sovvenzione e la durata del progetto.

Criteri di eleggibilità: Per essere ammissibili, i richiedenti (beneficiari ed enti affiliati) devono: -essere soggetti giuridici (enti pubblici o privati) avere sede in uno dei Paesi ammissibili, ovvero Stati membri dell'UE (compresi i Paesi e territori d'oltremare (PTOM)) Paesi non UE:

- Paesi SEE elencati e Paesi associati o Paesi che hanno in corso negoziati per un accordo di associazione e in cui l'accordo entra in vigore prima della firma della sovvenzione (elenco dei Paesi partecipanti)
- Paesi in via di adesione,

I beneficiari e gli enti affiliati devono iscriversi al Registro dei partecipanti - prima di presentare la proposta - e dovranno essere convalidati dal Servizio centrale di convalida (REA Validation). Per la convalida, sarà loro richiesto di caricare documenti che dimostrino lo status giuridico e l'origine. Al fine di garantire un portafoglio di progetti equilibrato per la missione cancro e raggiungere l'obiettivo della missione, le sovvenzioni saranno assegnate alle domande non solo in ordine di graduatoria, ma anche ad almeno due progetti all'interno delle domande che si occupano completamente di cancro nei bambini, negli adolescenti o nei giovani adulti (intendendo con ciò le persone di età compresa tra la nascita e i 24 anni), a condizione che le domande raggiungano tutte le soglie.

Schema di finanziamento: Il budget disponibile per il bando è di 60.000.000 di euro.

I budget dei progetti (importo massimo della sovvenzione) dovrebbero essere compresi tra i 4 e i 6 milioni di euro per progetto.

Tipo di azione : Research and Innovation Actions RIA

Scadenza: 07 settembre 2022 17:00:00 ora di Bruxelles

Ulteriori informazioni:

[wp-12-missions_horizon-2021-2022_en.pdf \(europa.eu\)](#)

