

## **Agevolazione della conduzione di studi clinici multinazionali su dispositivi orfani e/o su dispositivi altamente innovativi (“breakthrough”)**

### **Facilitating the conduct of multinational clinical studies of orphan devices and/or of highly innovative (“breakthrough”) devices**

#### **TOPIC ID:**

HORIZON-HLTH-2025-03-IND-03-two-stage

#### **Ente finanziatore:**

Commissione europea  
Programma Horizon Europe

#### **Obiettivi ed impatto attesi:**

Risultati attesi

Questo topic mira a supportare attività che consentano o contribuiscano a uno o più impatti attesi della destinazione “Mantenere un’industria sanitaria dell’UE innovativa, sostenibile e competitiva”. A tal fine, le proposte presentate nell’ambito di questo topic dovrebbero mirare a fornire risultati che siano diretti, orientati e contribuiscano a tutti i seguenti risultati attesi:

- I prestatori di assistenza sanitaria aumentano la loro esperienza pratica riguardo l’uso clinico di dispositivi orfani e/o di dispositivi altamente innovativi (“breakthrough”) e ottengono accesso tempestivo a tali dispositivi con benefici clinici dimostrati;
- Gli sviluppatori e i fabbricanti raccolgono e ottengono prove scientifiche sull’intervento/procedura proposti tramite il dispositivo oggetto di studio;
- I pazienti beneficiano dello sviluppo, degli studi e dell’uso di dispositivi orfani e/o dispositivi altamente innovativi (“breakthrough”);
- Le aziende nell’UE e nei Paesi associati migliorano la loro posizione di mercato in questo campo e accrescono le loro conoscenze su come condurre studi clinici multinazionali per tali dispositivi.

#### **Ambito**

Il focus di questo topic riguarda studi clinici multinazionali su dispositivi orfani e/o su dispositivi altamente innovativi (“breakthrough”), inclusi strumenti e tecniche digitali e basati sull’intelligenza artificiale (IA). La ricerca e l’innovazione nel campo delle malattie rare si sono concentrate prevalentemente sui farmaci, lasciando una lacuna evidente nel supporto allo sviluppo di dispositivi orfani. I dispositivi orfani sono specificamente destinati all’uso in malattie o condizioni rare, oppure in indicazioni specifiche per coorti rare di pazienti affetti da una condizione non rara. Poiché, per loro natura, i dispositivi orfani sono destinati a un numero limitato di individui all’anno, spesso neonati e bambini, la generazione di dati clinici entro un periodo di tempo appropriato e la conduzione di indagini cliniche risultano particolarmente difficili a causa dei bassi volumi di reclutamento dei pazienti.

Oltre ai dispositivi orfani, rientrano nello scopo del topic anche i dispositivi altamente innovativi

("breakthrough") se si prevede che forniscano benefici clinici significativi per il trattamento, la diagnosi o la prevenzione di una malattia o condizione grave, debilitante o cronica, a prescindere dalla dimensione della popolazione target. Tali dispositivi mirano a soddisfare bisogni medici non ancora soddisfatti, intendendo per tali una condizione per la quale non esiste un metodo soddisfacente di diagnosi, prevenzione o trattamento nell'UE oppure, anche se esistente, rispetto al quale il dispositivo in questione apporta un vantaggio rilevante per i pazienti. Questo può includere dispositivi basati su strumenti digitali e tecnologie IA.

Gli sviluppatori di tali dispositivi affrontano spesso difficoltà nel generare dati clinici nella fase pre-commerciale entro tempi adeguati.

Il tempo e i costi per la raccolta dei dati clinici possono incidere negativamente sulla salute pubblica, ritardando in modo significativo la disponibilità di dispositivi necessari per la diagnosi o il trattamento delle malattie rare o per il miglioramento dell'assistenza ai pazienti. Molti dispositivi vengono utilizzati off-label per rispondere a tali bisogni. Tuttavia, è necessaria un'elevata qualità dell'evidenza clinica, basata su dati approfonditi, per garantire la sicurezza del paziente.

Le strategie di sviluppo clinico che prevedono l'esecuzione di studi clinici multinazionali hanno il potenziale di aumentare l'efficienza e di raggiungere campioni di pazienti più ampi. Possono tuttavia sorgere difficoltà legate a incertezze sulle disparità regionali (regolatorie, cliniche, etiche, culturali e di business), che possono influenzare la progettazione dello studio, la conduzione, l'interpretazione dei dati e altri risultati. Questo topic affronta tali sfide supportando studi multinazionali volti a raccogliere dati clinici pre- o post-commercializzazione per dimostrare la sicurezza e la prestazione clinica del dispositivo (inclusa la determinazione degli effetti indesiderati e la loro accettabilità rispetto ai benefici clinici attesi).

Le proposte devono dimostrare di affrontare tutte le seguenti attività, per un dispositivo che sia orfano o altamente innovativo ("breakthrough") (o entrambi), in qualsiasi fase pre- o post-mercato, inclusa la fase di sviluppo, con l'obiettivo generale di generare dati a supporto della marcatura CE ai sensi del Regolamento sui dispositivi medici (MDR) o sui dispositivi diagnostici in vitro (IVDR):

- Progettazione e conduzione di studi clinici multinazionali in almeno due diversi Paesi UE o associati, focalizzati su dispositivi orfani e/o altamente innovativi ("breakthrough"), al fine di dimostrarne sicurezza e prestazione clinica.
- Presentazione di un solido piano di fattibilità clinica, inclusi criteri appropriati di selezione dei pazienti e piani realistici di reclutamento nei diversi siti, giustificati da pubblicazioni scientifiche o risultati preliminari.
- Adozione di un approccio sensibile al genere e intersezionale, che consideri caratteristiche individuali come sesso, genere, etnia, razza, disabilità e età; e anche fattori socioeconomici, comportamentali e relativi allo stile di vita.
- Coinvolgimento di esperti, istituzioni e discipline delle scienze sociali e umane (SSH), per ottenere effetti significativi sul piano sociale.
- Dimostrazione del potenziale beneficio clinico per pazienti e operatori sanitari, inclusa la qualità della vita e, ove pertinenti, misure riportate dai pazienti (PROs).
- Coinvolgimento attivo di pazienti, organizzazioni di pazienti, caregiver e professionisti sanitari nella progettazione degli studi clinici.

- Identificazione, raccolta e documentazione di buone pratiche ed esperienze relative a progettazione, conduzione, gestione dei campioni, analisi dei dati e reporting dei risultati. Fornitura di raccomandazioni e lezioni apprese.
- Preparazione di una strategia regolatoria e di un piano di interazione con le autorità competenti (es. EMA, panel di esperti EMA, autorità nazionali, enti di HTA) per la generazione di evidenze appropriate e per anticipare il possibile impatto regolatorio.
- È ammessa l'inclusione di più dispositivi, ma è obbligatorio almeno uno.

## Raccomandazioni aggiuntive

- La partecipazione delle PMI è fortemente incoraggiata.
- Per dispositivi orfani o altamente innovativi destinati a pazienti con malattie rare, si raccomanda di considerare sinergie con:
  - o ERDERA (European Rare Diseases Research Alliance) – <https://erdera.org>
  - o Iniziative nell'ambito del programma EU4Health.
- Il Centro Comune di Ricerca della Commissione Europea (JRC) può partecipare come membro del consorzio selezionato, grazie alla sua esperienza nel collegare la ricerca alle attività pre-normative e regolatorie.
- Le proposte devono includere i dettagli dello studio clinico nel modulo tecnico allegato fornito nel sistema di presentazione. Poiché si prevede che i progetti includano studi clinici, l'uso del template è fortemente raccomandato.

## Criteri di eleggibilità:

Qualsiasi soggetto giuridico, indipendentemente dal suo luogo di stabilimento, compresi i soggetti giuridici di paesi terzi non associati o le organizzazioni internazionali (comprese le organizzazioni internazionali di ricerca europee<sup>4</sup>), è ammesso a partecipare (indipendentemente dal fatto che sia ammissibile o meno al finanziamento), a condizione che siano soddisfatte le condizioni stabilite nel regolamento Orizzonte Europa, unitamente a qualsiasi altra condizione stabilita nell'invito/tema specifico. Per "soggetto giuridico" si intende qualsiasi persona fisica o giuridica costituita e riconosciuta come tale ai sensi del diritto nazionale, del diritto dell'UE o del diritto internazionale, dotata di personalità giuridica e che può, agendo in nome proprio, esercitare diritti ed essere soggetta a obblighi, o un ente privo di personalità giuridica<sup>6</sup>. I beneficiari e le entità affiliate devono registrarsi nel registro dei partecipanti prima di presentare la domanda, al fine di ottenere un codice di identificazione del partecipante (PIC) ed essere convalidati dal servizio centrale di convalida prima di firmare la convenzione di sovvenzione. Per la convalida, verrà chiesto loro di caricare i documenti necessari che dimostrino il loro status giuridico e la loro origine durante la fase di preparazione della sovvenzione. Un PIC convalidato non è un prerequisito per la presentazione di una domanda.

## Ammissibilità dei partecipanti e condizioni specifiche

- In riconoscimento dell'apertura dei programmi del National Institutes of Health (NIH) degli Stati Uniti ai ricercatori europei, qualsiasi entità giuridica stabilita negli Stati Uniti d'America è ammissibile

a ricevere finanziamenti dell'Unione.

- Il Centro Comune di Ricerca della Commissione Europea (JRC) può partecipare in qualità di membro del consorzio selezionato per il finanziamento.
- Se i progetti utilizzano osservazione della Terra via satellite, posizionamento, navigazione e/o dati e servizi correlati al tempo, i beneficiari devono fare uso di Copernicus e/o Galileo/EGNOS (possono essere utilizzati anche altri dati e servizi in aggiunta).
- Si applicano le seguenti eccezioni: soggette a restrizioni per la protezione delle reti di comunicazione europee.

## **Contributo finanziario:**

Contributo UE previsto per progetto

La Commissione stima che un contributo dell'UE compreso tra 6,00 e 8,00 milioni di euro per progetto consentirebbe di affrontare in modo adeguato i risultati attesi.

Tuttavia, ciò non esclude la possibilità di presentare e selezionare proposte che richiedano importi differenti.

Budget indicativo

Il budget totale indicativo per il topic è di 40,00 milioni di euro.

Tipo di azione

Azioni di Ricerca e Innovazione (RIA – Research and Innovation Actions)

## **Scadenza:**

Deadline model

two-stage

Opening date

22 May 2025

Deadline dates

16 September 2025 17:00:00 Brussels time

16 April 2026 17:00:00 Brussels time

## **Ulteriori informazioni:**

[wp-4-health\\_horizon-2025\\_en.pdf](#)