

“GIMEMA: passato, presente, futuro”

Aggiornamenti in Ematologia

Treviso, 25-26 novembre 2016

Marco Vignetti





EUROPEAN COMMISSION
DIRECTORATE-GENERAL FOR HEALTH AND FOOD SAFETY

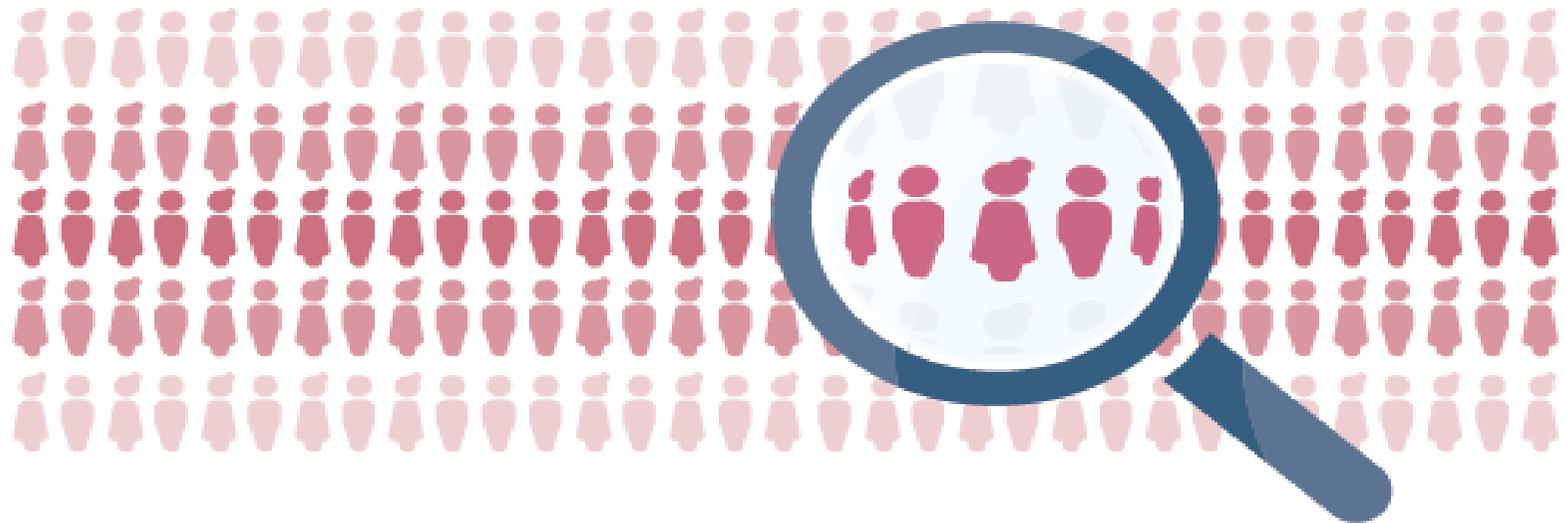
Directorate B - Health systems, medical products and innovation
B5 – Medicines – policy, authorisation and monitoring
Head of unit

Brussels, 14 November 2016

2004:
NOTE TO THE MEMBERS OF THE STANDING COMMITTEE ON MEDICINAL PRODUCTS FOR
HUMAN USE/STANDING COMMITTEE ON VETERINARY MEDICINAL PRODUCTS

...PASSATO
Subject: Adoption of COMMISSION IMPLEMENTING DECISION
amending the marketing authorisation granted by Decision
C(2002)980 for “Trisenox - Arsenic trioxide”, a medicinal product
for human use

GIMEMA: Un modello di organizzazione collaborativa per raggiungere risultati di “eccellenza” nella **ricerca E** nella **pratica clinica**



Origini

“... Con l’obiettivo di migliorare le conoscenze nella diagnosi e nella terapia delle malattie ematologiche maligne dell’adulto ...”

Primi **9** centri

1982 nasce
GIMEMA

*Bari
Napoli “Federico II”
Perugia
Pescara
Reggio Calabria
Roma “La Sapienza”, Roma Cattolica
San Giovanni Rotondo
Torino*

Le origini

[Med Pediatr Oncol.](#) 1978;4(3):231-40.

[Related Articles, Links](#)

Daunomycin, cytosine arabinoside and 6-thioguanine (DAT) vs vincristine, cytosine arabinoside and 6-thioguanine (VAT) in the induction treatment of acute nonlymphocyte leukemia: a randomized collaborative study.

[Mandelli F, De Lipsis E, Grignani F, Martelli M, Liso V, Amadori S.](#)

Nel **1978** il
primo studio del
GIMEMA

One hundred patients were entered in a cooperative study comparing the efficacy of two different regimens in the induction treatment of acute nonlymphocytic leukemia (ANLL). Patients were randomly allocated to receive either the DAT or VAT combination; half of the patients were also randomized to receive CNS prophylaxis including intrathecal methotrexate + prednisone and cranial irradiation. Consolidation and maintenance therapy were uniform in responding patients. Out of 82 evaluable patients 41 (50%) attained complete remission (CR) with no significant difference between the two regimens. Median remission duration was slightly longer in the DAT group (32.5 vs 22 weeks) median survival was 34 weeks for all evaluable patients with no difference between the two schedules. Meningeal relapse occurred only in two patients after 19 and 99 weeks of continuous remission. Fourteen patients are still alive after 61 to greater than or equal to 153 weeks, of whom seven are in their initial remission (six in the DAT and one in the VAT group). We conclude that 1) DAT and VAT are equally effective in inducing CR in a high proportion of ANLL; 2) until marrow remission can be prolonged significantly, preventing CNS leukemia will not have any significant impact of the course of ANLL.

Publication Types:

- [Clinical Trial](#)
- [Randomized Controlled Trial](#)



La sopravvivenza era di 34 settimane!



Più di 140 Centri in Italia

Attraverso un network organizzativo, tutti i centri italiani afferenti al gruppo GIMEMA sono in grado di offrire ai pazienti le stesse possibilità terapeutiche a prescindere dal luogo della cura.

GIMEMA Working Parties (disease and problem oriented...):

Acute Leukemia
Sergio Amadori

Chronic Myeloid Leukemia
Michele Baccharani

Multiple Myeloma
Mario Boccardo

Chronic Myeloproliferative Diseases
Tiziano Barbui

Chronic Lymphoproliferative Diseases
Robin Foà

Infection Program
Albano Del Favero

Thrombocytopenia & Anemia
Francesco Rodeghiero

Quality of Life
Fabio Efficace

Myelodysplastic Syndromes
Mario Cazzola

Hemostasis & Thrombosis
Valerio De Stefano

GIMEMA Central Office

Direzione

Paola Fazi – Marco Vignetti

Biostatistica

Alfonso Piciocchi
Francesca P. Paoloni
Sonia Orlando

Project Management

Enrico Crea
Giulio D'Alfonso
Edoardo La Sala

Regolatorio

Anna Di Cicco
Antonella Graziosi
Alessandra Mancino

HR-QoL and PRO

Fabio Efficace
Laura Cannella
Francesco Cottone
Elisabetta Meloni
Alessandro Perreca
Salvatore Soldati
Francesca Tartaglia

CRA e QA

Michele Griguolo
Mariangela Iodice

Farmacovigilanza

Laura Di Donato

Data Management

Francesca Cotugno
Erika Criado
Sandra De Simone

I.T.

Luca Pizzato

Amministrazione

Tiziana Mazzini
Silvia Fiocca

Segreteria

Marcello Passeri

Ufficio Legale

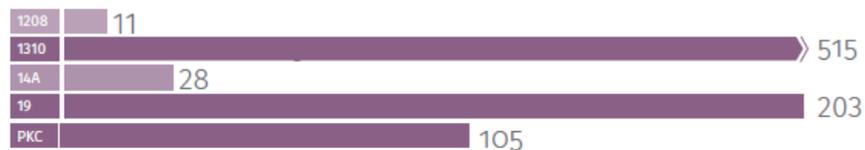
Marco Ferrante

Ufficio Personale

Sandra Privitera

Nel corso del 2015 sono stati oltre 3000 i pazienti gestiti dalla Fondazione GIMEMA

AML



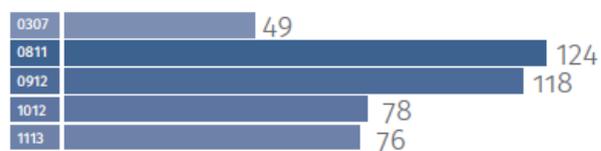
APL



CAD



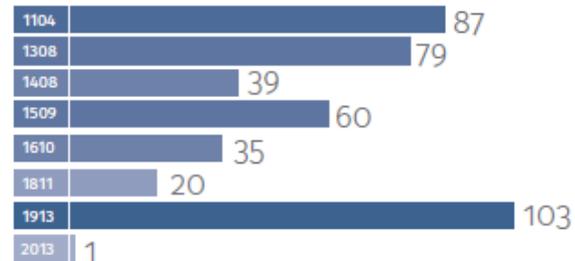
CML



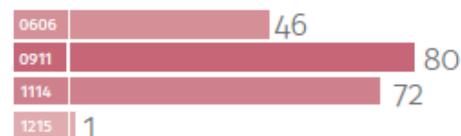
ITP



LAL



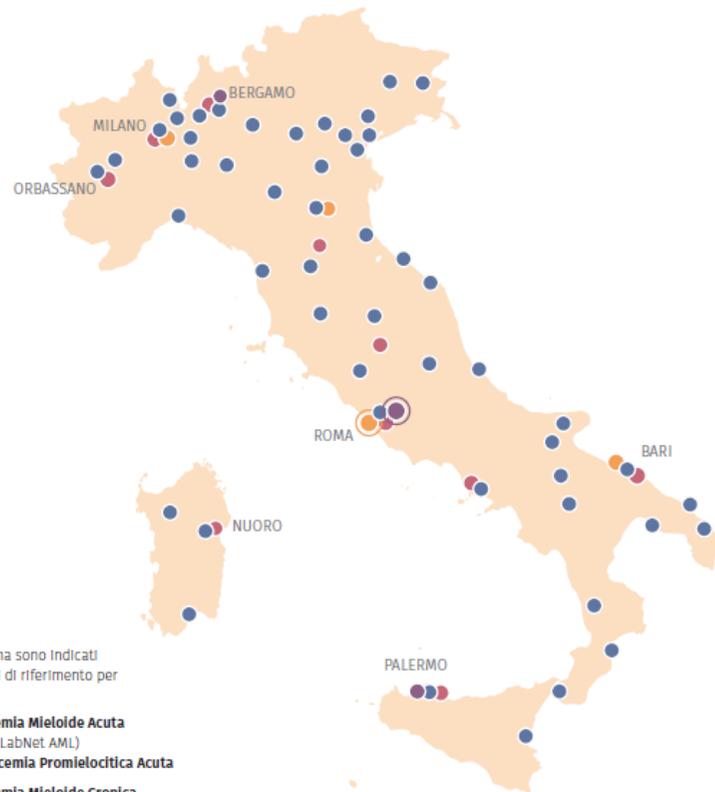
LLC



MDS



Centralizzazione dei campioni



Per assicurare una standardizzazione delle procedure diagnostiche è sempre più comune avvalersi della centralizzazione dei campioni presso uno o più laboratori di riferimento.

È un'attività logisticamente complessa e dispendiosa.



PROTOCOLLI NAZIONALI ED INTERNAZIONALI

Modifiche al protocollo “in corsa”

Inserimento di nuovi Centri

“Aggiustamenti” (miglioramenti)

Modifica sperimentatori

Estensione della durata

Incremento del numero di casi previsti

Aggiunta di studi biologici

Analisi dei risultati

...

Quadro Generale

- **57 studi «attivi»**
 - 31 «aperti»
 - 26 «chiusi» all'arruolamento
 - 8 Internazionali
- **10 Aziende farmaceutiche coinvolte**
- **Circa 9.000 Pazienti arruolati**
- **193 Centri coinvolti**
 - 143 Italiani
 - 50 Stranieri

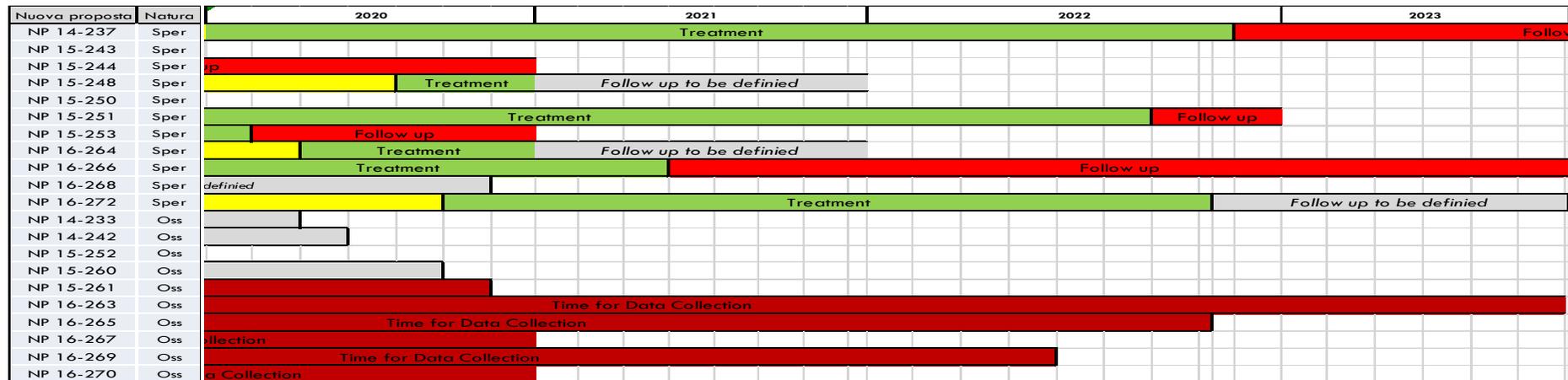
NUOVI PROGETTI

in corso di elaborazione: 25

| SPERIMENTALI | 12 |
|-------------------------------|----|
| CML | 4 |
| LGL | 1 |
| Osteoartrite (<i>ECRIN</i>) | 1 |
| MDS | 1 |
| Complicanze infettive | 1 |
| CLL | 3 |
| Mastocitosi | 1 |

| OSSERVAZIONALI | 13 |
|-----------------------|----|
| CML | 1 |
| LAP | 1 |
| AML | 3 |
| Outcome platform | 1 |
| Complicanze infettive | 1 |
| CLL | 3 |
| ALL | 1 |
| ITP | 1 |
| Sarcoma | 1 |

Carico di lavoro ad oggi





"BENEDICT CUMBERBATCH IS OUTSTANDING"

RADIO TIMES

"THE BEST BRITISH FILM OF THE YEAR"



THE INDEPENDENT

"AN INSTANT CLASSIC"



GLAMOUR

"A SUPERB THRILLER"



EMPIRE



TIME OUT

THE TIMES

THE IMITATION GAME

BENEDICT CUMBERBATCH

KEIRA KNIGHTLEY

12A MODERATE SEX REFERENCES

BASED ON THE INCREDIBLE TRUE STORY

BLACK BEAR PICTURES PRESENTS IN ASSOCIATION WITH FILMATION ENTERTAINMENT A BLACK BEAR PICTURES PRODUCTION A BRISTOL AUTOMOTIVE PRODUCTION THE IMITATION GAME BENEDICT CUMBERBATCH KEIRA KNIGHTLEY MATTHEW DOODE RORY KINNEAR
with CHARLES DANCE and MARK STRONG *** NINA GOLD *** IAN VAUGHAN PRINIMAC *** SAMMY SHELDON JEFFER *** MARIA DUKOROVIC *** ALEXANDRE DESPLAT *** WILLIAM GOLDENBERG *** OSCAR FAURA *** PETER HESLOP *** GRAHAM MOORE
*** NORA GROSSMAN *** ILO OSTROVSKY *** LEO SCHWARZMAN *** GRAHAM MOORE *** MORTEN TYLDUM ***

[f/ImitationGameUK](#)

IN CINEMAS NOVEMBER 14

La Ricerca ...

Il matematico e crittoanalista inglese [Alan Turing](#), durante la [Seconda guerra mondiale](#) mise le proprie capacità al servizio dell'esercito, per decriptare il [Codice Enigma](#).

T u r i n g m i s e i n s i e m e p r e s s o l a
[Government Code and Cypher School](#) del
[Government Communications Headquarters](#)

una potente struttura di ricerca

basata su un gruppo di matematici ... oltre a scacchisti e linguisti.

La Ricerca è ...

... avere un'IDEA

- ✓ INNOVAZIONE
- ✓ METODOLOGIA
- ✓ COLLABORAZIONE
- ✓ COMPETIZIONE
- ✓ UMILTA'
- ✓ PERSEVERANZA
- ✓ RISPETTO DELLE REGOLE ...
- ✓ ... *PUR CON LA CAPACITA' DI "SUPERARE" LE REGOLE QUANDO E' NECESSARIO*



The way clinical trials are conducted in the European Union (EU) **will undergo a major change** when the Clinical Trial Regulation comes into operation in 2018.

Post-opinion

Clinical Trial Regulation

Email Print Help Share

Post-authorisation

The way clinical trials are conducted in the European Union (EU) will undergo a major change when the Clinical Trial Regulation comes into operation in 2018. The Regulation harmonises the assessment and supervision processes for clinical trials throughout the EU, via an EU

Related EU legislation

▶ [Clinical Trial Regulation EU No. 536/2014](#)

What we publish

Product information

The goal of **Clinical Trial Regulation EU No. 536/2014** is to create an environment that is favourable to conducting clinical trials in the EU, with the highest standards of **safety** for participants and increased **transparency** of trial information.

Supporting SMEs

Research, while helping avoid unnecessary duplication of clinical trials or repetition of unsuccessful trials.

Paediatric medicine

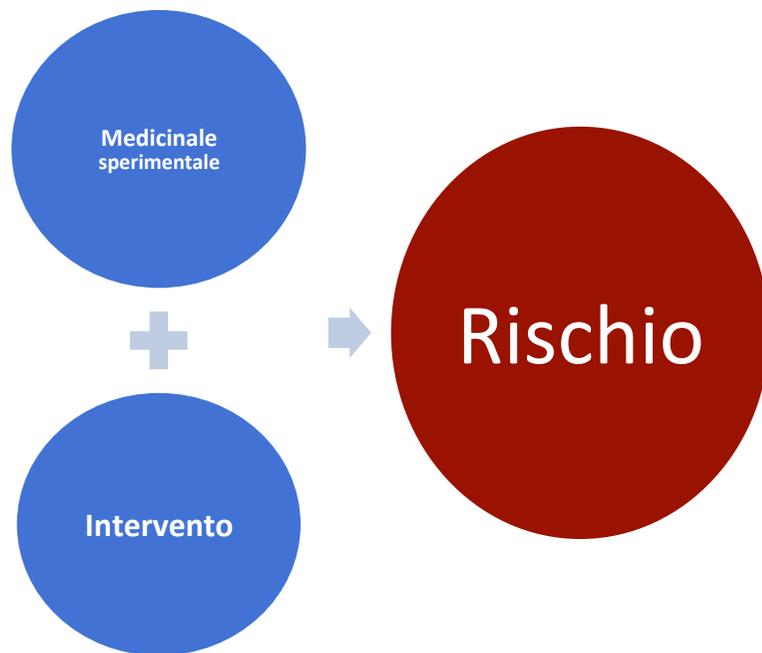
When the Regulation becomes applicable, it will replace the existing EU Clinical Trial Directive (EC) No. 2001/20/EC and national legislation that was put in

Geriatric medicine

Aspetti innovativi.

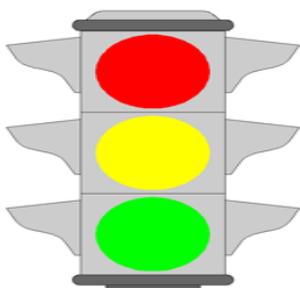
Introduzione del concetto di Sperimentazione Clinica

“a basso livello d'intervento”



Importanza e agevolazioni delle Sperimentazioni Cliniche “a basso livello d’intervento”

Essenziali nella **valutazione** di **trattamenti e diagnosi standard** e **ottimizzazione** dell'**utilizzo** dei medicinali, che contribuisce ad assicurare un **elevato livello di salute pubblica**.

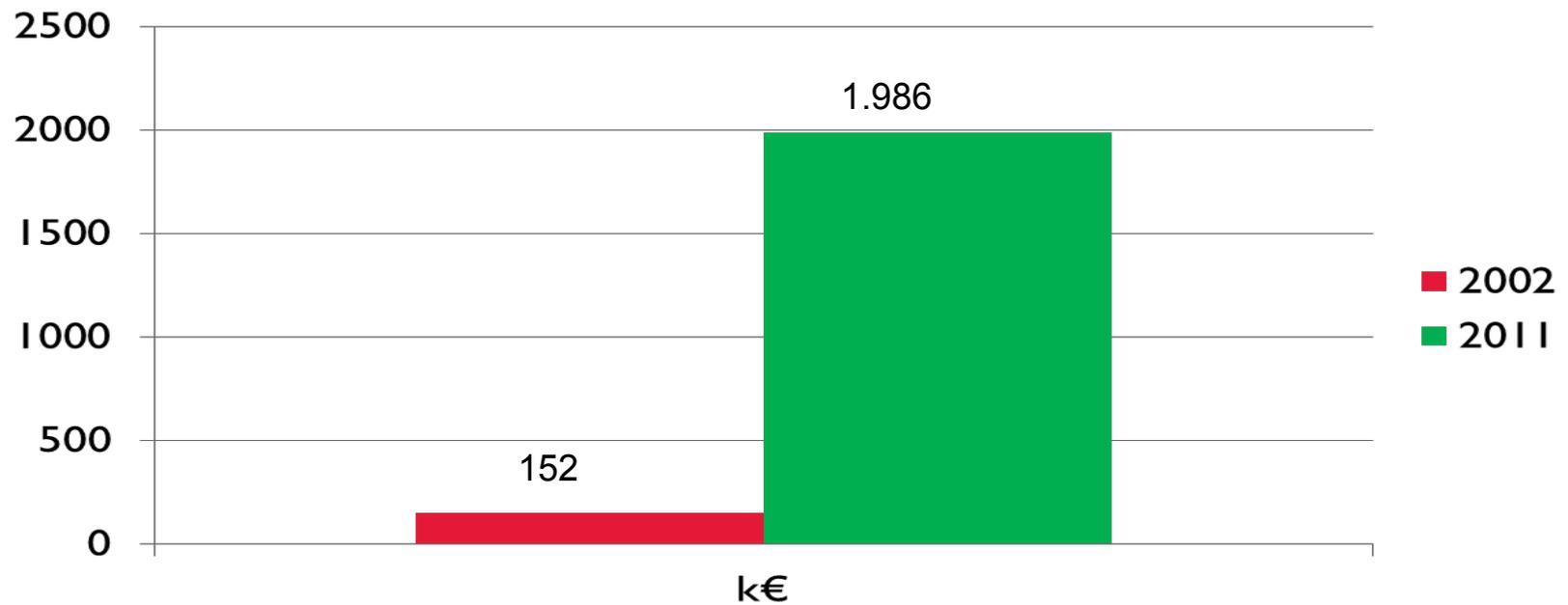


Agevolazioni per il **monitoraggio**, per i **requisiti** applicabili al **contenuto del fascicolo permanente** e per la **tracciabilità** dei medicinali sperimentali, ma soggette alla medesima procedura di domanda a garanzia della sicurezza dei soggetti.

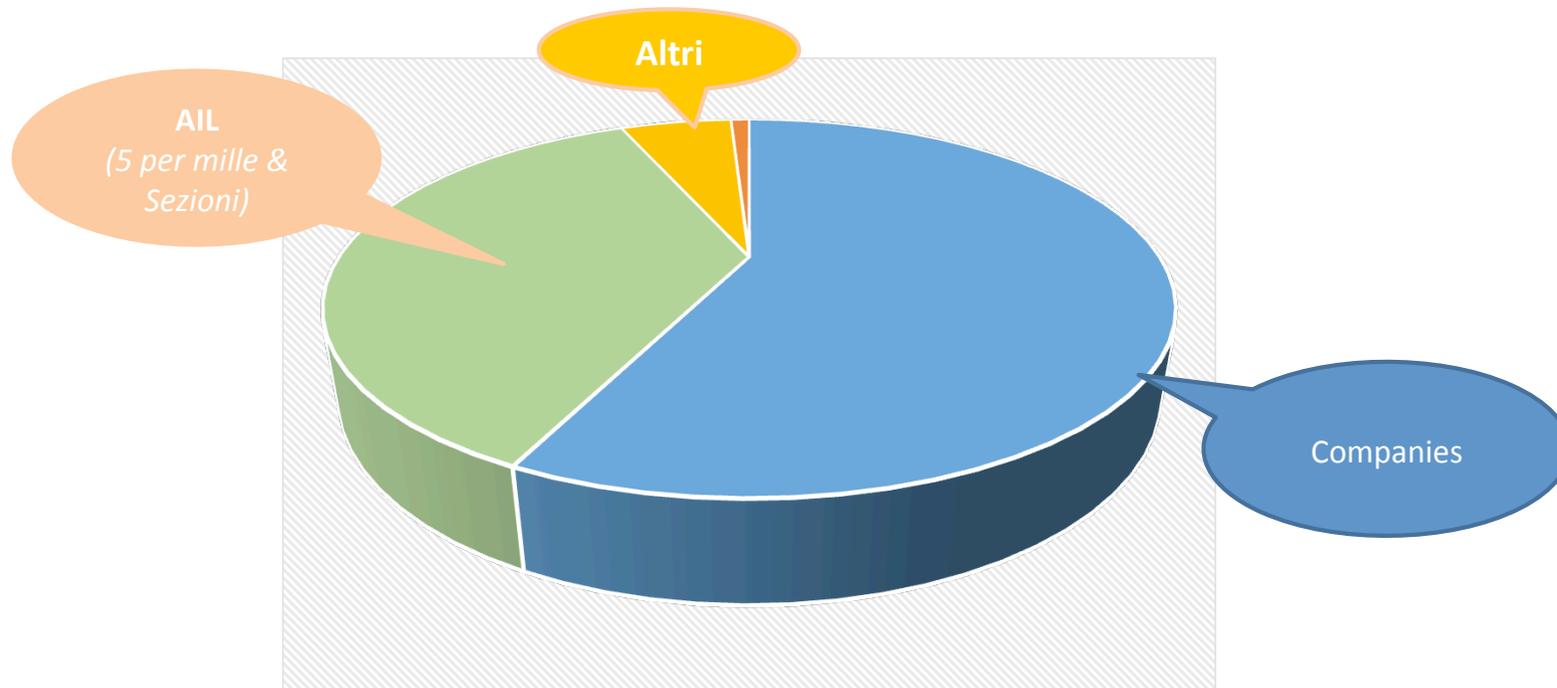


fondazione GIMEMA onlus
per la promozione e lo sviluppo della ricerca scientifica
sulle malattie ematologiche. **FRANCO MANDELLI**

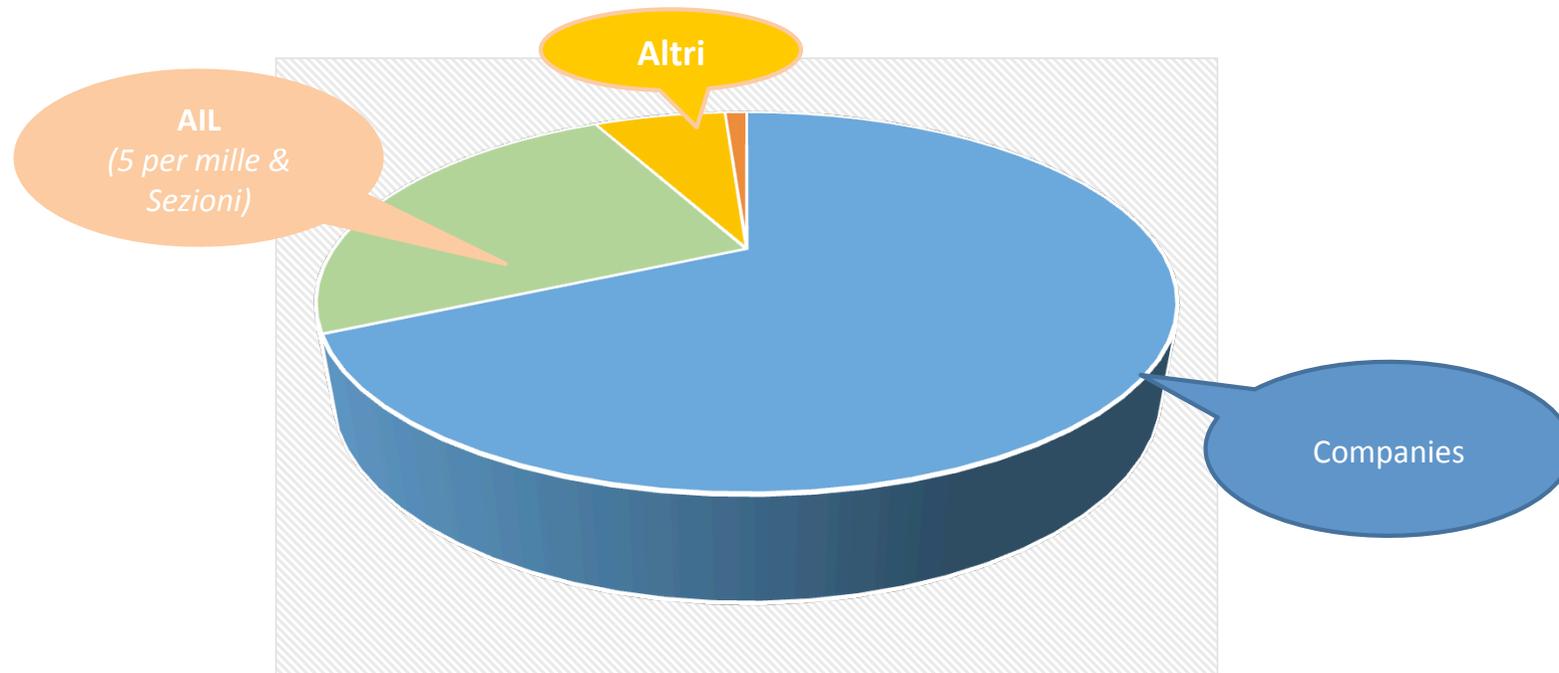
Ricerca «no profit» GIMEMA pre- e post D.M.:
il **COSTO** (k€) ... della qualità o della burocrazia ?



Il finanziamento della ricerca GIMEMA



Il finanziamento della ricerca GIMEMA



LA COLLABORAZIONE VIRTUOSA

Industria



Know how

Potenti strumenti diagnostici

Ricercatori accademici



Contatto diretto con i pazienti



- rapido avanzamento delle conoscenze
- produzione di masse critiche di dati
- miglioramento percorsi diagnostici e terapeutici



fondazione GIMEMA onlus
per la promozione e lo sviluppo della ricerca scientifica
sulle malattie ematologiche. FRANCO MANDELLI

... quando il risultato finale di un progetto di Big Science è un prodotto – come un vaccino o un farmaco – uno dei requisiti critici perché il progetto abbia successo è la partnership con l'industria.

... Le industrie farmaceutiche portano con sé un bagaglio di capacità che sono altamente **COMPLEMENTARI** con quelle dell'accademia, come la tecnologia, il project management, la chimica farmaceutica e la capacità di fare un prodotto.

J Esparza & TYamada. *The discovery value of Big Science*. *J Exp Med* 2007, 204, 701-4.

Ma in realtà non è poi così difficile

**Collaborare quando si è
“piccoli” può far paura ...**



... a chi ci ha insegnato a sognare ...



... Grazie ...