

JPND Research Strategy

Tackling the challenge of Alzheimer's and other neurodegenerative diseases in Europe

Riepilogo del progetto



JPND
research

EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research

1. Contesto e scopo della agenda strategica

Le malattie neurodegenerative (MN) sono condizioni debilitanti e in gran parte incurabili, strettamente legate all'invecchiamento. Tra queste patologie, le demenze sono le più diffuse; la patologia di Alzheimer e altre malattie simili interessano circa 7 milioni di persone in Europa e questa cifra è destinata a raddoppiare ogni 20 anni, con l'invecchiamento della popolazione. Il costo delle cure per le persone affette da demenza in Europa è nell'ordine di 130 miliardi di Euro l'anno, evidenziando come le malattie neurodegenerative legate all'invecchiamento siano una delle principali sfide di carattere medico e sociale nella nostra società.


Il progetto di programmazione congiunta dell'Unione Europea - ricerca sulle malattie neurodegenerative (EU Joint Programme-Neurodegenerative Disease Research (JPND)) - è un progetto di ricerca collaborativa innovativo creato per affrontare le crescenti sfide poste da queste patologie. Lo scopo del JPND consiste nel miglioramento dell'impatto della ricerca nel settore tramite l'allineamento dei programmi nazionali esistenti e il loro ampliamento a livello comunitario. Questo richiede l'identificazione di obiettivi comuni che trarrebbero beneficio da un'azione collettiva. Questa agenda strategica rappresenta un quadro di riferimento per futuri investimenti e indica come le risorse della ricerca europea possano essere sfruttate in modo più efficace per il miglioramento della prevenzione, diagnosi, cura e assistenza al paziente per queste patologie dal costo personale e sociale unico.

2. Priorità scientifiche e Attività possibili

Priorità scientifiche

Allo scopo di ottimizzare l'impatto, vi è la necessità di incoraggiare approcci nuovi e allo stesso tempo multidisciplinari e di rafforzare ed estendere le capacità esistenti nell'intera gamma della ricerca di base, clinica, assistenza sanitaria e sociale e della ricerca traslazionale. Tematiche prioritarie per la ricerca futura sono state identificate nei seguenti punti:

- **Le origini delle malattie neurodegenerative (MN):** Sono necessarie conoscenze più approfondite riguardanti le cause di specifiche MN, i fattori di rischio e che determinano resistenza e gli eventi scatenanti che portano alla malattia. La caratterizzazione delle popolazioni "a rischio" dovrebbe alla fine fornire informazioni sulle strategie preventive, e questo richiede ricerche volte ad identificare nuovi fattori di rischio per le MN genetici, epigenetici e ambientali, e a chiarire le loro interazioni. Allo stesso tempo, vi è la necessità di comprendere meglio il normale processo di invecchiamento e come questo si relazioni allo sviluppo e alla progressione delle MN. L'identificazione dei fattori ambientali e comportamentali che modulano questi processi indicherà anche quali sono i fattori che determinano la protezione dalle, e la resistenza alle, malattie neurodegenerative.
- **Meccanismi dell'insorgenza delle patologie e nuovi modelli sperimentali:** una più completa comprensione dei meccanismi della malattia è necessaria per sostenere lo sviluppo di nuovi approcci diagnostici e terapeutici, nonché per identificare appropriate finestre temporali per l'intervento terapeutico. Tra i molteplici approcci da perseguire, vi è la necessità di stabilire nuovi modelli cellulari e animali che rappresentino accuratamente elementi chiave del processo patologico, e che tengano conto di fattori quali la natura progressiva della MN, la comorbidità, il sesso e l'invecchiamento. Saranno necessari ulteriori sforzi per chiarire le basi biologiche e ambientali dei sintomi comportamentali e psicologici nelle MN.
- **Le definizioni delle malattie e la diagnosi:** Le valutazioni cliniche oggi utilizzate non riescono ad abbracciare la complessità delle comuni MN, rendendo necessaria la ridefinizione e l'aggiornamento degli attuali criteri diagnostici. Le varie forme e sottotipi di MN, compresi gli stadi prima dell'esordio dei sintomi clinici, richiedono una migliore definizione, mentre sono necessari strumenti di diagnostica nuovi o perfezionati per consentire una diagnosi precoce e più accurata delle MN. E' indispensabile individuare nuovi biomarcatori che permettano di comparare efficacemente gli studi condotti sull'uomo e quelli condotti sugli




animali, oltre a dare la possibilità di valutare la progressione della malattia, la prognosi e gli effetti della terapia. Il raggiungimento di una standardizzazione e armonizzazione, attraverso tali strumenti e valutazioni, sarà fondamentale per assicurare la comparabilità dei risultati e per supportare studi trasversali.

- **Trattamenti e prevenzione:** Il progresso nell'individuazione di nuovi bersagli e lo sviluppo di farmaci contro di essi sarà rafforzato promuovendo una connettività bidirezionale tra gli studi in modelli animali e cellulari e su pazienti, mentre le procedure per migliorare la selezione (o stratificazione) dei soggetti che partecipano alle sperimentazioni cliniche potrebbero anche migliorare le possibilità di dimostrare l'efficacia clinica di nuovi trattamenti. Sarebbero auspicabili anche studi volti a un maggiore sviluppo di iniziative psicosociali, prestando attenzione al coinvolgimento sociale e delle persone che si prendono cura del malato, mentre la creazione di gruppi di pazienti con MN allo stadio preclinico dovrebbe fornire le basi per la sperimentazione futura di azioni volte a prevenire o rallentare la progressione della malattia. Infine, dovrebbero essere perseguiti approcci più a lungo termine che promuovano strategie di rigenerazione e che sviluppino nuovi sistemi per la distribuzione e l'arrivo di farmaci e molecole di natura biologica a siti specifici del cervello e del sistema nervoso.
- **Sanità e assistenza sociale:** Al momento non vi è un efficiente coordinamento tra sistemi sanitari e di assistenza sociale nei singoli Paesi, questo indica la necessità di una valutazione globale sulla equità di accesso a percorsi di diagnosi, trattamento, cura e supporto per le MN in tutta Europa, che sia efficace e di costi contenuti. Vi è la necessità di identificare i fattori critici che hanno un impatto sulla disabilità e sulla qualità della vita in relazione allo stato di salute nelle MN, inclusi gli effetti della comorbidità, della nutrizione e dello stato di fragilità e l'interazione con la famiglia, gli accompagnatori, l'ambiente e i sistemi di assistenza terapeutica e sociale. E' anche necessario considerare il fatto che le basi delle attuali evidenze scientifiche riguardo le strategie terapeutiche derivano in gran parte da studi intensivi e di breve durata, che non si applicano facilmente nel "mondo reale", sono necessarie quindi misure che riflettano maggiormente le prospettive del paziente e di chi se ne prende cura. Tecnologie disegnate per l'assistenza dei disabili possono aiutare ad affrontare le necessità dei pazienti con MN sia allo stadio precoce che in fase moderatamente avanzata, anche se maggiore importanza andrebbe attribuita alla necessità di affrontare il problema specifico delle MN piuttosto che focalizzarsi sull'invecchiamento in generale. Ulteriori ricerche dovrebbero anche essere intraprese allo scopo di migliorare l'informazione del personale che si occupa di cure palliative e dei malati terminali e, unitamente ad altre aree di ricerca sulle MN, dovrebbero opportunamente integrare la ricerca e le complesse questioni etiche relative alle MN.

Attività volte all'attuazione delle strategie

Una serie di attività trasversali saranno necessarie per lo sviluppo delle tematiche scientifiche di cui sopra:

- **Conoscere le nostre possibilità di ricerca:** E' stata creata una mappa della ricerca sulle MN a livello nazionale ed europeo, allo scopo di identificare sia le lacune della ricerca che le opportunità che possono essere affrontate attraverso una migliore coordinazione e investimenti. Questo fornisce le basi per un database pubblico che metterà in mostra le ricerche sulle MN in tutta Europa e promuoverà un migliore uso delle risorse e delle infrastrutture.
 - **Le strutture di supporto e piattaforme:** Nel tentativo di creare un ambiente favorevole per la ricerca sulle MN, vi è la necessità di favorire l'integrazione e l'armonizzazione dei dati e materiali e di promuovere un approccio di libero accesso al loro utilizzo. Dovrebbero essere promosse linee guida standardizzate, metodi e strumenti per la raccolta e analisi dei dati, allo scopo, ad esempio, di soddisfare le richieste di piattaforme tecnologiche ad alta-produttività e biobanche, e di sfruttare al meglio gruppi di popolazione. Politiche comuni dovrebbero essere attuate per agevolare la ricerca in tutta la gamma delle strutture sanitarie, compresi gli ospedali generali e strutture per le cure primarie e della comunità.
- 

- **Operare in collaborazione con l'industria:** Molte diverse organizzazioni commerciali, che vanno dal settore farmaceutico, diagnostico e biotecnologico all'assistenza sociale e agli operatori sanitari, incluse le case di cura, si impegnano nella ricerca sulle MN. Una connessione tra competenze accademiche e commerciali è fondamentale per fornire nuovi approcci al trattamento e all'assistenza. Anche lo scambio di risorse e di dati tra l'industria e l'università dovrebbe essere incoraggiato.
- **Operare di concerto con le agenzie regolatorie:** la promozione di una traslazione efficace della ricerca a beneficio dei pazienti richiede il coinvolgimento e la cooperazione delle principali agenzie normative europee e nazionali per assicurare che la regolamentazione sia facilmente comprensibile ai ricercatori e proporzionata al rischio. Reti di sostegno normativo sarebbero auspicabili per fornire accesso a linee guida in grado di fornire informazioni sulla progettazione di uno studio e sui potenziali impedimenti in fase iniziale.
- **Collaborazioni internazionali extra-Europee:** è riconosciuto che le necessità cliniche non soddisfatte e l'impatto sociale delle MN costituiscono un problema globale, e che potrebbero emergere opportunità di collegarsi alla ricerca che si sta svolgendo a livello mondiale in questo settore. Tale cooperazione deve essere diretta in modo strategico e offrire un evidente valore aggiunto agli obiettivi del JPND.
- **Potenziamento delle attività:** il numero di ricercatori nell'ambito delle malattie neurodegenerative è troppo limitato e deve essere ampliato. Le difficoltà da affrontare sono soprattutto nella necessità di formare ricercatori con conoscenze altamente multidisciplinari e soprattutto occorre intensificare le iniziative volte a promuovere legami tra ricercatori clinici e di base per formare specialisti in grado di tradurre rapidamente i risultati della ricerca di base al servizio del paziente (specialisti in medicina traslazionale) aumentando nel contempo il numero di ricercatori sulle MN con esperienza in economia sanitaria, statistica, biologia computazionale e bioinformatica. Per assicurare che l'eccellenza nel campo dell'assistenza sanitaria e sociale si collochi su una base più ampia in tutta Europa, si potrebbero creare dei centri metodologici che supportino lo sviluppo dello studio e la valutazione dei percorsi di intervento, assistenza e cura.
- **Istruzione e formazione:** La consulenza fornita ai pazienti con MN da tutta la gamma di diversi professionisti della salute e assistenti sociali dovrebbe basarsi su una buona comprensione della patologia, dei bisogni del paziente tipici della sua condizione, e delle opzioni di trattamento disponibili basate su evidenze scientifiche. Programmi di istruzione e formazione nella clinica e nella ricerca dovrebbero venire adattati a questo scopo e cercare di incorporare una cultura della ricerca in tutto lo spettro completo di assistenza sanitaria e sociale. Allo stesso tempo, vi è la necessità di promuovere messaggi riguardanti la salute pubblica che contribuiscano a ridurre i fattori di rischio di MN associati a uno stile di vita malsano. Comunicazioni riguardanti la salute pubblica devono essere supportate dalla ricerca in modo migliore, per generare un cambiamento comportamentale nella popolazione.
- **Collegamento ai responsabili politici:** JPND fornirà un quadro attraverso il quale mettere in evidenza temi importanti di riflessione politica nazionale, che dovrebbero promuovere la compatibilità tra gli approcci politici dei diversi paesi. Due lacune traslazionali nella politica delle MN devono essere affrontate, in primo luogo, l'implementazione di nuove tecnologie o pratiche, ad esempio, nel campo della telemedicina, dell'assistenza o della fornitura di servizi, e in secondo luogo per garantire che i risultati della ricerca siano effettivamente applicati nella politica della salute pubblica.
- **Comunicazione e informazione:** Per un efficace passaggio alla politica e alla finalizzazione pratica, il programma di ricerca deve connettersi e interagire con una vasta gamma di settori. JPND farà in modo che tutte le comunità coinvolte siano ben informate sulle ricerche sulle MN in corso e sui loro risultati, aumentando la consapevolezza e il sostegno alla ricerca sulle MN nelle figure con poteri decisionali, nelle organizzazioni di pazienti e loro assistenti e nel pubblico. Questo dovrebbe anche contribuire ad aumentare la partecipazione alla ricerca e a ridurre i pregiudizi collegati alle MN.



3. Attuazione dell'agenda strategica

L'agenda strategica per la ricerca fornisce un quadro di opportunità per i Paesi coinvolti in JPND e disposti a partecipare ad azioni congiunte, che saranno attuate tramite attività di cooperazione volte a riallineare o collegare investimenti nazionali per ottenere maggiore impatto che tramite l'ottenimento di nuovi finanziamenti. Il principio guida che dovrà guidare nella attuazione dell'agenda strategica sarà il mantenimento di una ricerca scientifica di altissima qualità.

4. Riassunto

JPND è un esempio pionieristico di “programmazione congiunta”, un approccio nuovo e flessibile che ha la capacità di affrontare una grande sfida sociale che non può essere risolta attraverso i soli programmi nazionali. Il presente documento definisce la visione comune dei 24 paesi europei coinvolti, e fornisce un approccio strategico per sostenere una ricerca di livello mondiale in grado di sfruttare nuove opportunità scientifiche, confrontarsi con gli ostacoli al progresso, e di fornire nuovi approcci alla prevenzione, intervento e cura. Le raccomandazioni delineate nella Strategia di ricerca interessano il panorama completo della ricerca e delle strategie necessarie per avere un impatto, e riconoscono il ruolo importante che gli altri gruppi interessati hanno nella realizzazione di questo programma. L'obiettivo finale è quello di avviare una ricerca che possa risultare in nuovi interventi che migliorino la salute e il benessere dei pazienti con MN, delle loro famiglie e di chi li assiste, e che offra vantaggi economici e sociali a tutta l'Unione europea.

www.neurodegenerationresearch.eu

