



Innovation Acta (INN-ACTA) - Italy  
[www.innovationacta.eu](http://www.innovationacta.eu)



Association Francaise Gougerot-Sjogren (AFGS) - France  
[www.afgs-syndromes-secs.org](http://www.afgs-syndromes-secs.org)



Queen Mary University Of London (QMUL) - United Kingdom  
[www.qmul.ac.uk](http://www.qmul.ac.uk)



Università degli Studi di Udine (UNIUD) - Italy  
[www.uniud.it](http://www.uniud.it)



Institut Pasteur (IP) - France  
[www.pasteur.fr](http://www.pasteur.fr)



Helse Stavanger HF (SUS) - Norway  
<https://helse-stavanger.no>



Academisch Ziekenhuis Groningen (UMCG) - Netherlands  
[www.umcg.nl](http://www.umcg.nl)



Fundacio Clinic per la Recerca Biomedica (FCRB) - Spain  
[www.clinicbarcelona.org/idibaps](http://www.clinicbarcelona.org/idibaps)



Novartis Pharma Ag (NOVARTIS) - Switzerland  
[www.novartis.com](http://www.novartis.com)



Glaxosmithkline Research And Development LTD (GSK) - United Kingdom  
[www.gsk.com](http://www.gsk.com)



Bristol-Myers Squibb Company (BMS) - United States  
[www.bms.com](http://www.bms.com)



Institut de Recherches Internationales Servier (Servier) - France  
[www.servier.fr](http://www.servier.fr)

# necessity

## necessity

Coordinatore del progetto: Xavier Mariette- Institut National de la Santé et de la Recherche Medicale- Francia  
 Responsabile del progetto: Peter Gergely- Novartis Pharma Ag- Svizzera

[www.necessity-h2020.eu](http://www.necessity-h2020.eu)

Per qualsiasi ulteriore informazione, non esitate a contattare il nostro team tramite Alena Piatrova  
 ([alena.piatrova-ext@aphp.fr](mailto:alena.piatrova-ext@aphp.fr))



This project has received funding from the Innovative Medicines 2 Joint Undertaking under grant agreement No 806975. This Joint Undertaking receives support from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme and EFPIA

Start date: 01/01/2019 - Duration: 72 months  
 Total cost: €15.4 million

Nuovi endpoint clinici nella  
 sindrome di Sjögren primaria:  
 uno studio interventistico basato  
 sulla stratificazione dei pazienti



This project has received funding from the Innovative Medicines 2 Joint Undertaking under grant agreement No 806975. This Joint Undertaking receives support from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme and EFPIA

## LIST OF PARTNERS



Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale (INSERM) - France  
[www.inserm.fr](http://www.inserm.fr)



The University of Birmingham (UoB) - United Kingdom  
[www.birmingham.ac.uk](http://www.birmingham.ac.uk)



Karolinska Institutet (KI) - Sweden  
<https://ki.se>



University of Newcastle Upon Tyne (UNEW) - United Kingdom  
[www.ncl.ac.uk](http://www.ncl.ac.uk)



Hopitaux Universitaires de Strasbourg (HUS) - France  
[www.chru-strasbourg.fr](http://www.chru-strasbourg.fr)



Universitair Medisch Centrum Utrecht (UMC UTRECHT) - Netherlands  
[www.umcutrecht.nl](http://www.umcutrecht.nl)



Université de Bretagne Occidentale (UBO) - France  
[www.univ-brest.fr](http://www.univ-brest.fr)



Fundacion Publica Andaluza Progreso y Salud (FPS) - Spain  
[www.juntadeandalucia.es](http://www.juntadeandalucia.es)



Ethniko Kai Kapodistriako Panepistimio Athinon (NKUA) - Greece  
[www.elke.uoa.gr](http://www.elke.uoa.gr)



Université de Paris (UnivParis) - France  
<https://u-paris.fr/en/498-2>



Assistance Publique - Hopitaux de Paris (AP-HP) - France  
[www.aphp.fr](http://www.aphp.fr)



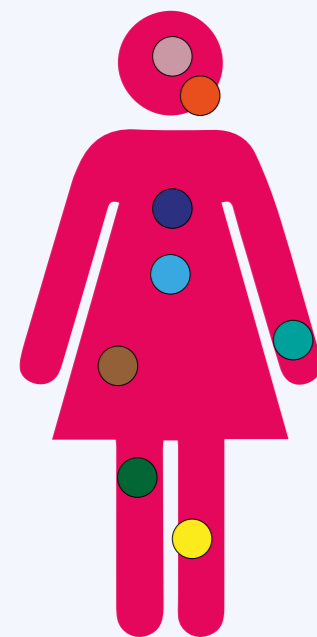
Ecrin European Clinical Research Infrastructure Network (ECRIN) - France  
[www.ecrin.org](http://www.ecrin.org)



**NEW Clinical Endpoints in primary Sjögren's Syndrome: an Interventional Trial based on stratifying patients**

La sindrome di Sjögren primaria è la seconda malattia autoimmune sistemica cronica più diffusa dopo l'artrite reumatoide. Colpisce tipicamente le donne di età superiore ai 40 anni, anche se può colpire anche gli uomini. Sempre più spesso viene diagnosticata anche nei giovani. Quasi tutti i pazienti sperimentano estrema secchezza degli occhi, della bocca, della pelle e dei genitali, dolori articolari ed estrema stanchezza. Circa la metà dei pazienti presenta anche complicazioni in altri organi (ad esempio, polmoni e reni). Raramente, i pazienti possono sviluppare un tipo di tumore chiamato linfoma.

 **9 donne / 10 pazienti**



-  **Secchezza (occhi, bocca)**
-  **Linfoma**
-  **Dolori articolari**
-  **Affaticamento**
-  **Neuropatia**
-  **Vasculite**
-  **Malfunzionamento dei reni**
-  **Malattia polmonare**



La qualità di vita dei pazienti è molto scarsa e purtroppo non esiste una cura per la sindrome di Sjögren primaria. Alcuni trattamenti migliorano la secchezza e il dolore (come lacrime artificiali, farmaci antinfiammatori, antidolorifici), ma sono onerosi per i pazienti.

Non esiste un trattamento per la stanchezza estrema che contribuisce alla depressione e all'ansia. La perdita di produttività lavorativa e l'isolamento sociale sono molto frequenti nei pazienti affetti da sindrome di Sjögren primaria.

### Sviluppare nuovi strumenti per accelerare la scoperta di nuovi trattamenti

Ad oggi, gli studi clinici sulla sindrome di Sjögren primaria non sono riusciti a dimostrare che un farmaco possa migliorare la salute del paziente. Gli scienziati e i medici si sono resi conto che il fatto che la presentazione clinica varia notevolmente da paziente a paziente complica l'interpretazione degli studi clinici. Per esempio, alcuni pazienti presentano solo secchezza, dolore e affaticamento e nessuna complicazione in altri organi; altri invece presentano danni ai polmoni, ai reni e sviluppano un linfoma. Questi due gruppi di pazienti richiedono un approccio terapeutico diverso.

Poiché un farmaco può essere efficace per alcuni pazienti, ma non per altri, gli esperti hanno capito che gli studi clinici dovrebbero analizzare i dati in base a sottogruppi di pazienti con una presentazione clinica simile (chiamata stratificazione dei pazienti). Questi sottogruppi potrebbero essere basati, ad esempio, sull'attività della malattia, sull'intensità di un sintomo o sui livelli di un particolare biomarcatore nel sangue. Analizzando questi sottogruppi separatamente, anziché l'intera popolazione di pazienti, si può determinare se il farmaco funziona per quel sottogruppo di pazienti.

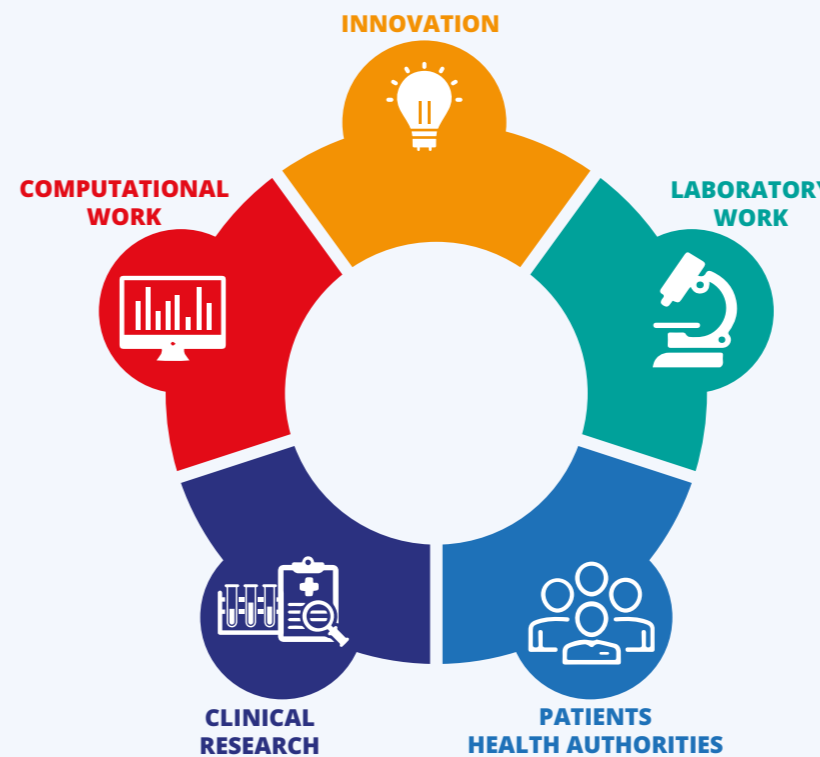


Il **progetto NECESSITY** è stato istituito per fornire alla comunità Sjögren gli strumenti necessari per creare sottogruppi di pazienti durante gli studi clinici.

- **Sviluppare un nuovo sistema di valutazione dell'attività della malattia e dei sintomi del paziente.**
- **Sviluppare nuovi dispositivi e test per valutare i sintomi e le sensazioni dei pazienti.**
- **Scoprire biomarcatori facilmente rilevabili nel sangue.**

Il progetto NECESSITY utilizzerà un approccio multidisciplinare per raggiungere i suoi ambiziosi obiettivi. Utilizzeremo il lavoro computazionale per sviluppare un nuovo sistema di punteggio, il lavoro di laboratorio per trovare nuovi biomarcatori e la ricerca clinica per sviluppare nuovi dispositivi e test per valutare i sintomi dei pazienti.

Verrà organizzata una sperimentazione clinica in 8 Paesi (Francia, Grecia, Italia, Paesi Bassi, Norvegia, Spagna, Svezia e Regno Unito) per valutare la fattibilità e l'utilità dei nuovi strumenti sviluppati dal progetto.



Clinici di fama, scienziati, sperimentatori, statistici, biologi e rappresentanti dei pazienti si sono riuniti per formare il **Consorzio NECESSITY**. È composto da 25 partner provenienti da 10 Paesi, tra cui 20 partner accademici, 4 aziende farmaceutiche e un'associazione di pazienti.



Il progetto, iniziato ufficialmente il 1° gennaio 2019, è finanziato dalla **"Innovative Medicine Initiative-2 Joint Undertaking"**. Si tratta di un partenariato pubblico-privato tra la Commissione europea e la Federazione europea delle industrie e delle associazioni farmaceutiche (EFPIA).

### Rispondere ai bisogni insoddisfatti dei pazienti

Nel corso del progetto, la nostra strategia sarà guidata da una costante interazione con i pazienti e le autorità sanitarie. Le opinioni dei pazienti sono fondamentali per identificare gli aspetti sottovalutati o ignorati della malattia. Il punto di vista dei pazienti sarà fornito dal gruppo consultivo dei pazienti di NECESSITY, che comprende pazienti provenienti da diversi Paesi europei. Inoltre, il confronto con le autorità sanitarie ci consentirà di ottenere le loro raccomandazioni sullo sviluppo dei nuovi strumenti.



L'impatto del progetto NECESSITY sarà di vasta portata. Saranno disponibili nuovi strumenti e metodologie per la valutazione di nuovi farmaci da parte dell'industria. **L'assistenza clinica** sarà migliorata grazie a una migliore comprensione della malattia, a una diagnosi più rapida e a nuove terapie per il trattamento e la gestione della malattia. Verranno identificate le esigenze di assistenza sanitaria a sostegno dei pazienti, che porteranno all'evoluzione **delle politiche pubbliche**. Tutti questi aspetti contribuiranno a migliorare la qualità di vita dei pazienti affetti dalla sindrome di Sjögren primaria.