



*Ministero della Salute*

**Audizione del dott. Giovanni Leonardi, Direttore generale della ricerca e dell'innovazione in sanità**

**Commissione Affari Sociali della Camera dei Deputati  
9 febbraio 2021**

**Oggetto:** Piano Nazionale di ripresa e resilienza – Proposte in materia di ricerca sanitaria

On.le Presidente, On.li Componenti della Commissione, ringrazio per questa audizione che mi dà l'opportunità di rappresentare le linee progettuali che si intendono sviluppare nel campo della ricerca sanitaria.

La ricerca scientifica è uno degli asset strategici del nostro Paese, ma si rilevano alcune tendenze strutturali su cui è importante intervenire: l'insufficienza di fondi destinati alla ricerca; la necessità di fornire nuove opportunità di cura; il numero ridotto di brevetti, pur a fronte della riconosciuta eccellenza della produzione scientifica; la carenza di capitali di rischio e di competenze che possano facilitare il trasferimento tecnologico. Nell'introduzione al PNRR, il Presidente del Consiglio evidenzia come "La modernizzazione dell'economia comporta il completo abbandono di paradigmi produttivi ormai superati per passare pienamente a una economia della conoscenza." Il settore delle Scienze della vita si fonda sulla conoscenza e la sua rilevanza per il Paese non è legata solamente all'attualità, ma si è rivelata cruciale per l'economia nazionale anche per la funzione anticiclica svolta durante la crisi economica scaturita dalla crisi finanziaria del 2008.

Le proposte di seguito riportate forniscono alcune risposte alle sfide sopra indicate, promuovendo e rafforzando il settore della ricerca scientifica in campo sanitario, per offrire nuove soluzioni diagnostiche e terapeutiche ai cittadini e occasioni di sviluppo per il sistema

produttivo del Paese. Gli interventi, per complessivi 300 milioni di euro, sono ripartiti su tre filoni di attività: finanziamento della ricerca clinica nel campo delle malattie rare, sostegno alla ricerca applicata, rafforzamento delle infrastrutture di sostegno alla collaborazione pubblico-privato ed al trasferimento tecnologico. Una quarta linea di intervento riguarda la rivisitazione della normativa concernente gli Istituti di ricovero e cura a carattere scientifico.

Prima di pervenire alla illustrazione degli interventi, mi sia consentito ringraziare la Commissione e, tramite essa, il Parlamento tutto per il riconoscimento e concreto sostegno accordato alla ricerca sanitaria, lo scorso anno con il finanziamento dei progetti CAR-T e Previtall, in cui sono tutt'ora impegnate le Reti IRCCS e quest'anno con l'incremento dei fondi della ricerca corrente.

- **Valorizzazione e potenziamento della ricerca biomedica del SSN**

**Programma di ricerca su Malattie rare e Tumori rari**

Una malattia si definisce rara quando colpisce non più di 5 individui ogni 10mila persone. Si conoscono tra le 6mila e le 8mila malattie rare, molto diverse tra loro ma spesso con comuni problemi di ritardo nella diagnosi, mancanza di una cura specifica, elevato carico assistenziale.

Più di 5.000 di tali entità nosologiche sono "ultra-rare", interessando meno di una persona ogni 100.000 o addirittura meno di una persona ogni milione.

Il loro numero complessivo configura un problema sanitario di dimensioni sociali. Si tratta di condizioni croniche, spesso ad elevata complessità assistenziale con ripercussioni non solo sul paziente, ma sull'intero nucleo familiare.

In Italia dal 2001 opera la Rete nazionale malattie rare, costituita dai centri individuati dalle Regioni e dalle Province Autonome, dedicati alla formulazione della diagnosi, all'erogazione delle prestazioni finalizzate al trattamento, alla prevenzione e alla sorveglianza delle malattie rare.

A livello europeo, la Direttiva 2011/24/UE sui diritti dei pazienti all'assistenza sanitaria transfrontaliera, promuove la cooperazione tra i sistemi sanitari degli Stati membri attraverso l'istituzione delle Reti europee di Riferimento (ERN). L'articolo 12 della Direttiva identifica nelle malattie rare il settore strategico da cui partire, in ragione delle loro specificità: l'esiguo

numero dei pazienti, la frammentazione delle competenze e l'insufficienza dei finanziamenti dedicati.

Il secondo ambito di intervento riguarda i tumori rari, qualificati secondo il criterio dell'incidenza, la cui soglia è fissata in 6 casi su 100.000. Tale criterio è stato proposto nel 2011 dal progetto di sorveglianza dei tumori rari RARE-CARE, finanziato dalla Commissione Europea e coordinato dall'Istituto Nazionale dei Tumori di Milano. Sebbene le informazioni epidemiologiche siano scarse, gli esperti impegnati in RARE-CARE stimano che nell'insieme i tumori rari rappresentino circa il 20-25% di tutte le neoplasie e che comprendano oltre 250 tipologie tumorali, che interessano tutti i distretti del corpo.

Come nel caso delle malattie rare, anche per i tumori rari, a causa delle ancora limitate conoscenze, la presa in carico è spesso complessa. Le competenze cliniche sui tumori rari non sono reperibili con facilità dai pazienti, in quanto i centri che ne dispongono sono pochi e non distribuiti in maniera omogenea sul territorio nazionale. Inoltre, il trattamento dei tumori rari richiede spesso approcci multidisciplinari, e dunque la dispersione geografica delle competenze risulta ancora più frequente.

Fra il 1997 e il 2003, per rispondere ai bisogni di assistenza e continuità delle persone con tumore raro, si è avviata una collaborazione permanente tra diversi centri del territorio nazionale (circa 200), con il coordinamento della Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori di Milano, per la condivisione di criteri diagnostici e terapeutici uniformi. La Rete nazionale dei tumori rari è stata costituita con l'Intesa Stato Regioni del 21 settembre 2017 che prevede anche il collegamento con le Reti di riferimento europee – ERN.

Da quanto esposto si evidenzia che tumori rari e malattie rare si caratterizzano per elevata complessità biomedica, spesso ad espressione multiorgano, necessitano della convergenza di specifica competenza clinica e di avanzate attività diagnostiche e di ricerca e richiedono tecnologie di eccellenza e il coordinamento di reti collaborative a livello nazionale ed europeo.

Al fine di rafforzare la capacità di risposta dei centri di eccellenza presenti in Italia, si intende, dunque, lanciare un programma di ricerca di ampio respiro, sviluppato anche mediante l'utilizzo delle scienze omiche e dell'intelligenza artificiale, con un finanziamento dedicato per complessivi 100 mln avente la finalità di sviluppare prevenzione, diagnosi e terapie mirate, nonché modelli innovativi che migliorino la qualità complessiva della presa in carico.

Il programma sarà sviluppato in sinergia con le associazioni dei pazienti e i gruppi di ricerca, al fine di individuare quesiti di ricerca che rispondano alle reali esigenze dei pazienti e delle loro famiglie

### **Proof of Concept (POC) - Progetto per la prova di fattibilità di idee innovative**

I ricercatori italiani sono tra i più produttivi al mondo, come confermato dall'Istat nell'ultimo Rapporto sulla Conoscenza. Nonostante l'elevata produttività della ricerca italiana si incontrano ancora molti limiti nella capacità di trasferire questo patrimonio di conoscenze in prodotti, nuove terapie e dispositivi diagnostici e terapeutici in grado di fornire risposte ai bisogni insoddisfatti di salute.

È opportuno rilevare, inoltre, che i Paesi che hanno un'elevata crescita del numero di domande di brevetto registrano una maggiore crescita del Prodotto Interno Lordo. Il settore delle Scienze della Vita costituisce un asset strategico importante del nostro Paese. Il valore della produzione è pari a circa il 10% del PIL nazionale. Per sua stessa natura, questo settore è soggetto ad una forte competizione internazionale e necessita di continua innovazione per mantenere le quote di mercato mondiale. È necessario, pertanto, rafforzare i rapporti tra imprese e ricerca e sperimentare modelli innovativi di collaborazione tra pubblico e privato, innalzando la quota complessiva di investimento del sistema in una prospettiva di continuità e di condivisione strategico programmatica. Gli impatti attesi non possono che generare crescita economica, creazione di posti di lavoro altamente qualificati, in particolare connettendo la formazione Universitaria con i fabbisogni della filiera e del sistema sanitario.

In tale contesto, la finalità che si vuole raggiungere attraverso il finanziamento di progetti che mirano a fornire evidenze sulla efficacia e fattibilità di una idea innovativa, è di contribuire a colmare il *gap* tra ricerca e industria, che si crea nell'intervallo tra la fase della scoperta e quella della messa a punto. Portare l'idea iniziale ad una fase di realizzazione più avanzata da un lato ne accresce il valore per il centro di ricerca e, dall'altro, mitiga il rischio d'impresa per i potenziali investitori e rende più concreto l'investimento.

Il Progetto PoC costituisce un ponte tra la Missione 6 e la Missione 4 del Piano e si svilupperà in maniera sinergica con gli interventi previsti in "4.2, dalla Ricerca all'Impresa", anche attraverso iniziative congiunte.

Con il finanziamento di progetti PoC per complessivi 100 milioni di euro, selezionati sulla base di bandi competitivi, vengono quindi rese disponibili risorse finanziarie a breve termine per realizzare esperimenti che dimostrino la fattibilità di una tecnologia o del concept di un prodotto, per:

- a) realizzare/migliorare un prototipo;
- b) verificare la fattibilità commerciale o effettuare test per la produzione in serie;
- c) accrescere il valore del bene e mitigare il rischio per i potenziale investitori;
- d) affrontare uno dei maggiori ostacoli nel processo di trasferimento tecnologico.

- **Ecosistema innovativo**

Sullo stesso filone si colloca il terzo intervento. Lo sviluppo di un ecosistema per l'innovazione nell'Area "Salute", così come individuato dal Programma Nazionale per la Ricerca (PNR) e dalla Strategia Nazionale di Specializzazione Intelligente (SNSI), costituisce la principale strategia per rispondere alle sfide poste dalla specificità e complessità dell'innovazione nelle Scienze della Vita, quali la scansione delle tempistiche della ricerca sanitaria, la complessità regolatoria e le implicazioni etiche.

Occorre generare con continuità nuove occasioni di innovazione, sviluppo e occupazione qualificata nell'Area Salute, anche attraverso partenariati pubblico-privati, mediante la collaborazione virtuosa tra Sistema Sanitario, Università, Incubatori d'impresa, Centri di ricerca, sistema industriale ed altri soggetti del mondo produttivo, della ricerca e degli Investitori istituzionali, finalizzata al consolidamento della catena dell'innovazione a cui agganciare lo sviluppo competitivo dell'Ecosistema Salute e potenziare la capacità di risposta del SSN.

Il progetto, che si svilupperà in coerenza e collaborazione con i programmi di ecosistema della ricerca elaborati dal Ministero dell'università e della ricerca e di trasferimento tecnologico del Ministero dello sviluppo economico, anche attraverso iniziative congiunte, si pone in continuità con il Piano Operativo Salute della Strategia nazionale di specializzazione intelligente, in fase di implementazione, che prevede la realizzazione di infrastrutture di sviluppo nel settore delle Scienze della vita e si articola principalmente in due interventi: di progetti/programmi di sviluppo per la realizzazione di una rete coordinata

di centri di trasferimento tecnologico, e la realizzazione di infrastrutture innovative specializzate per area geografica (Nord - Centro - Sud) per il rafforzamento e lo sviluppo qualitativo e quantitativo di Hub Scienze della vita.

Le risorse pari a 100 milioni di euro, pertanto, saranno rese disponibili, da un lato, per il rafforzamento degli Hub esistenti, l'eventuale realizzazione di nuovi centri in aree del Paese non coperte e, dall'altro, per la realizzazione di progetti finalizzati su una linea specifica di ricerca e trasferimento tecnologico.

- **Revisione normativa IRCCS**

Ulteriore elemento qualificante del Piano riguarda la Riorganizzazione della rete degli IRCCS per contribuire al miglioramento delle eccellenze SSN.

Si rileva, al riguardo che l'attuale assetto degli Istituti di ricovero e cura a carattere scientifico è definito dal decreto legislativo n. 288 del 2003. Al momento dell'emanazione del d.lgs. 288/2003, operavano 35 Istituti, in maggioranza pubblici. Il numero è progressivamente cresciuto negli anni, fino agli attuali 52, di cui 30 in regime di diritto privato.

L'evoluzione del SSN e i progressi della medicina legati ai progressi scientifici e tecnologici (scienze omiche, robotica, IoT, medicina personalizzata, ecc.) degli ultimi 15 anni rendono quanto mai opportuna una riflessione sulle possibili modifiche del citato decreto 288/2003, al fine di consentire al Sistema degli IRCCS di rispondere alle nuove sfide del SSN.

È ormai evidente, infatti, come la progressiva regionalizzazione del SSN abbia generato, come effetto collaterale, una pressione sui centri di eccellenza (tra i quali molti IRCCS), che necessitano di un respiro sovraregionale per esprimere al meglio le proprie potenzialità. Non si tratta di ritornare a modelli centralistici, ma di riconoscere che per mantenere gli elevati standard del SSN occorre assicurare ai centri di eccellenza quel *quid pluris* che consenta loro di competere a livello internazionale e di garantire prestazioni di elevata complessità ai cittadini.

Gli IRCCS non sono le uniche strutture di eccellenza del SSN. Le aziende ospedaliero-universitarie ed alcune delle maggiori aziende ospedaliere garantiscono elevati standard delle prestazioni paragonabili e talvolta superiori agli stessi IRCCS. Il motivo per cui ci si sofferma solo su tale categoria di strutture risiede nel peculiare regime giuridico che

li accomuna e che li rende, in quanto enti regionali di rilievo nazionale, momento privilegiato della collaborazione tra Stato e Regioni

Sulla base di queste considerazioni, gli argomenti sui quali si proporrà una riflessione per pervenire alle modifiche dell'attuale regime giuridico attengono ai seguenti aspetti:

- Assetto giuridico
- criteri per il riconoscimento e la revoca dello status di IRCCS
- differenziazione tra Istituti mono specialistici e a vocazione plurispecialistica
- Reti IRCCS
- direzione strategica degli IRCCS pubblici
- status del direttore scientifico degli IRCCS pubblici
- status del personale di ricerca del SSN
- Finanziamento
- Valutazione d'impatto della ricerca
- Promozione delle politiche di *research integrity*
- trasferimento tecnologico

Ringrazio per il tempo concesso e rimango a disposizione della Commissione per ogni approfondimento.