



KÖZVETLEN BRÜSSZELI FORRÁS PÁLYÁZATI TÁJÉKOZTATÓ

Program	Horizon 2020
Pályázat megnevezése (magyar)	Szenzitív és validált klinikai végpontok fejlesztése az elsődleges Sjögren szindróma (pSS) vonatkozásában
Pályázat megnevezése (angol)	Development of sensitive and validated clinical endpoints in primary Sjögren's Syndrome (pSS)
Pályázat kódja	IMI2-2017-12-03

Általános információk

Célok

Az elsődleges Sjögren-szindróma vonatkozásában jelenleg kevés, placebóval kontrollált és megfelelően megvalósított klinikai kísérletekből származó, közzétett adat áll rendelkezésre. Bár a közelmúltban sor került olyan specifikus, új kezelési intézkedések fejlesztésére mint az Európai Szövetség a Reuma Ellen (EULAR) Sjögren-szindróma betegség aktivitási index (ESSDAI), valamint az EULAR Sjögren-szindróma beteg jelentett index (ESSPRI), ezek klinikai kísérletek során történő alkalmazása vegyes eredményeket hozott. Az elsődleges Sjögren-szindróma fő jellegzetességei olyanok, mint a nyelési nehézségek, szexuális diszfunkciók zavar, táplálkozási, fogászati, és a mentális egészséggel kapcsolatos problémák nem megfelelően meghatározottak. Általánosságban, a jelenleg elérhető intézkedések (beleértve a változásra mutató érzékenységet a beteg által jelentett eredmények és különböző ESSDAI területek során) használhatósága egy fejlesztés alatt álló gyógyszer hatékonysága, illetve betegségmódosító képessége vonatkozásában még meghatározandó. Továbbá, jelenleg nem áll rendelkezésre a betegség aktivitását jelző, objektív, validált mérték vagy funkcionális marker, amely a javulás terápiás előnyeinek értékelését tenné lehetővé. Mindezek következtében az elsődleges Sjögren-szindrómára irányuló gyógyszerfejlesztés sikerének valószínűségét növelendő, érzékeny és validált végpontok, beleértve a javulás vonatkozásában releváns objektív mértékek/biomarkerek kialakítása szükséges.

Jelen felhívás célja az elsődleges Sjögren-szindróma vonatkozásában releváns, a kezelés kimenetének mérésére alkalmas paraméterek/biomarkerek - nevezetesen a klinikai, beteg által jelentett eredményekre vonatkozó laboratóriumi, a viselkedést meghatározó, biológiai folyamatokhoz kapcsolódó, valamint képalkotási paraméterek/biomarkerek - azonosítása, fejlesztése és validációja, az alábbi megközelítés alkalmazásával:

- adatgenerálás és felülvizsgálat. Ennek keretében már meglevő (köztük közzétett



epidemiológiai adatok, beavatkozással, vagy azzal nem járó vizsgálatok, valamint pSS adatbázisokból származó adatok) felülvizsgálatára és elemzésére kerül sor;

- a kezelés kimenetének mérésére alkalmas, a felülvizsgálat és elemzés eredményeire alapuló új módszerek fejlesztése;
- a pSS vonatkozásában fejlesztett, fentiek szerinti módszerek alkalmazása és validációja, azok, valamint már meglévő módszerek tesztelésével, legalább egy, előremutató klinikai vizsgálat keretében;
- a validációs vizsgálat eredményének elemzése, valamint új végpontok validációja. A kezelési eredmények új módszerei, illetve a kidolgozott pontozási rendszer teljesítménye a már meglévőkkel kerül összehasonlításra, a legígéretesebb módszer jövőbeli validációja céljából.

Várakozások szerint a pontozási rendszerek az eredmények mérésére alkalmas objektív és szubjektív elemek ötvözésével kell, hogy kialakításra kerüljenek, a jelenlegi pontozórendszerek továbbfejlesztése érdekében.

Amennyiben a projekt során az iparág által támogatott, nagy léptékű, harmadik fázisú klinikai vizsgálat megvalósítására kerül sor új terápiák érdekében, a projekt keretében zajló validációs vizsgálattal párhuzamosan, ugyanakkor attól függetlenül, lehetőség van az új végpontoknak a harmadik fázisú klinikai vizsgálat során kísérleti végpontként történő alkalmazására. Ezen vizsgálatok elemzésére azonban a jelen IMI intézkedés időtartamát követően kerülhet sor.

Az egészségügyi technológiával kapcsolatos értékelést, valamint a finanszírozók véleményét és elvárásait összesítik a hatósági jóváhagyásra és paci hozzáférésre vonatkozó követelmények végpontjainak meghatározása során. Az elemzéskor betegcsoportoktól származó információk felkutatására/megfontolására is sor kerül, a betegség alábecsült, vagy figyelmen kívül hagyott, releváns és aktuális aspektusainak feltérképezése érdekében.

Míg a fejlesztés olyan új, érzékeny és validált klinikai végpontokra irányul, amelyek alkalmazása elsődlegesen a felnőttkori pSS vonatkozásában releváns, későbbi klinikai vizsgálatokban realizálódik, ezek gyermekgyógyászati alkalmazhatósága is körültekintő értékelés tárgyát képezi. Ez utóbbira való tekintettel a projekt fenntarthatósági terve keretében további validáció megvalósítása elvárás.

Kedvezményezett	• Kutatóközpont (kutatóhely, egyetemi kutatóközpont) • Nagyvállalat • Mikro-, kis- és középvállalkozás • Non-profit szervezet (civil szervezet) • Non-profit szervezet (állami fenntartású intézmény) • Egyházi jogi szervezet • Egyéb gazdasági társaság (pl. szociális szövetkezet)
Résztvételi forma	Konzorciumban történő pályázás



MAGYAR FEJLESZTÉSI KÖZPONT

Konzorcium	A konzorcium tagjai minimum három különböző EU tagországból vagy csatlakozott országból kell, hogy érkezzenek.
Pénzügyi információk	
Teljes keret	8.200.000 EUR
Támogatási intenzitás	100%
Támogatási forma	Vissza nem térítendő
Előfinanszírozás	30-45% előleg kérhető.
Elszámolható közvetett költségek	A közvetlen költségeket kiegészíti a közvetett költségek átalány-alapú támogatása, melynek mértéke a közvetlen költségek 25%-ával egyezik meg. Az átalány alvállalkozói teljesítményre nem igényelhető.
Határidők	
Benyújtási határidő	2017.10.24.17:00
Benyújtás	Elektronikusan https://ec.europa.eu/research/participants/portal/desktop/en/opportunities/h2020/topics/imi2-2017-12-03.html