

## ASPETTI REGOLATORI, BREVETTUALI ED ECONOMICI NELLE BIOTECNOLOGIE (A000216)

### 1. lingua insegnamento/language

Italiano.

### 2. contenuti/course contents

Coordinatore/Coordinator: Prof. TRINGALI GIUSEPPE

Anno di corso/Year Course: II

Semestre/Semester: 1°

CFU/UFC: 8

Moduli e docenti incaricati /Modules and lecturers:

- ASPETTI REGOLATORI E TRASFERIMENTO TECNOLOGICO (A000253) - 2 cfu - ssd BIO/14

Prof. Pierluigi Navarra, Giuseppe Tringali

- BUONE PRATICHE DI LABORATORIO (A000252) - 2 cfu - ssd BIO/13

Prof. Alessandra Battaglia

- MARKETING E GESTIONE AZIENDALE (A002579) - 2 cfu - ssd NN

Prof. Alessandro Campana

- NORMATIVE EUROPEE NELLE BIOTECNOLOGIE (A002580) - 2 cfu - ssd IUS/13

Prof. Ilja Richard Pavone

### 3. testi di riferimento/BIBLIOGRAPHY

#### - **Buone Pratiche di Laboratorio:**

- Il docente fornirà durante il corso indicazioni per la consultazione di documenti di approfondimento (articoli, fascicoli estratti dagli annali dell'ISS, documenti normativi, esempi di procedure operative). Sia le slide utilizzate per la didattica sia i documenti disponibili in formato elettronico saranno resi accessibili sulla piattaforma *Blackboard*.

#### - **Aspetti regolatori e trasferimento tecnologico:**

- *Package* didattico (slide, articoli), accessibile elettronicamente sulla piattaforma *Blackboard*.
- Testi di approfondimento:  
"L'uso dei Farmaci in Italia - Rapporto Nazionale – OsMed" (ultima edizione on line) [Capitolo 1: sezioni 1.1, 1.2 e 1.3; Capitolo 2: sezioni 2.1, 2.2, 2.3 e 2.4; Capitolo 4; Appendice 1].

#### - **Marketing e gestione aziendale:**

- Materiale didattico distribuito durante il corso (ricerche, articoli scientifici ed istituzionali inerenti al settore delle biotecnologie e della gestione delle imprese innovative). Il materiale sarà completato da casi aziendali di imprese innovative dei settori delle biotecnologie e sanitario.
- Testi di approfondimento didattico:  
"Principi di Microeconomia" di Marc Lieberman e Robert Hall, APOGEO Milano.  
"Lezioni di Economia Aziendale" Università degli Studi di Torino – Facoltà di Economia e Commercio, Dipartimento di Economia Aziendale – G. Giappichelli Editore – Torino.

#### - **Normative europee nelle Biotecnologie:**

- P. Acconci, Tutela della salute e diritto internazionale, CEDAM, Milano, 2011, capitolo V (sez. I, II e III), capitolo VI (sez. II), capitolo IX.

- Il docente fornirà durante il corso letture di approfondimento e materiale didattico.

#### 4. obiettivi formativi/LEARNING OBJECTIVES

L'insegnamento si propone di fornire agli studenti le nozioni di base per interpretare in maniera critica le componenti e le dinamiche organizzative ed economiche delle strutture e delle aziende nel settore biotecnologico.

**Conoscenza e capacità di comprensione - (Dublino 1):** alla fine del corso lo studente deve dimostrare di avere acquisito la conoscenza degli aspetti metodologici specifici dell'insegnamento e la capacità di elaborare idee originali relative:

- ai principi della Buona Pratica di Laboratorio (BPL) come strumento per promuovere la qualità e la validità nella conduzione delle ricerche di laboratorio per le prove non cliniche e, soprattutto, per quelle utili alla valutazione del profilo di sicurezza dei prodotti chimici sull'uomo, sugli animali e sull'ambiente.
- agli aspetti regolatori e farmaco-economici nell'ambito della sperimentazione preclinica e clinica di protocolli di ricerca in ambito biotecnologico, con particolare attenzione agli aspetti di innovazione e di trasferimento tecnologico.
- ai principi di funzionamento e di gestione delle aziende, con particolare riferimento al settore delle biotecnologie e dell'innovazione; oltre che alle tecniche di marketing e sulla loro adozione in materia di prodotti innovativi in ambito biotecnologico e sanitario.
- agli aspetti etico-giuridici collegati agli sviluppi delle biotecnologie in ambito medico-sanitario ed al loro impatto ambientale nel contesto dell'Unione Europea.

**Conoscenza e capacità di comprensione applicate - (Dublino 2):** Al termine del corso lo studente dovrà essere in grado di applicare le proprie conoscenze e abilità per individuare soluzioni a problemi nuovi o non familiari:

- nell'ambito della progettazione di attività di studio finalizzate alla definizione al monitoraggio del profilo di sicurezza di sostanze in sviluppo, nonché nell'ambito della conduzione di verifiche ispettive indipendenti volte a valutare il livello di conformità ai principi della Buona Pratica di Laboratorio presso Centri di Saggio in grado di sviluppare tali studi.
- nell'ambito dello sviluppo, degli aspetti regolatori ed economici necessari per l'organizzazione e la gestione dei farmaci innovativi e il loro trasferimento tecnologico.
- nell'ambito della gestione, dell'organizzazione e del marketing di aziende in ambito biotecnologico e sanitario.
- nell'ambito della disciplina etico-giuridica europea, applicabile alle problematiche medico-sanitarie biotecnologie.

**Autonomia di giudizio - (Dublino 3):** Alla fine del corso lo studente sarà in grado di integrare le proprie conoscenze e di sviluppare in maniera autonoma quanto studiato, in modo da valutare in maniera critica le normative sui sistemi di gestione della qualità, le attività brevettuali, regolatorie e farmaco-economiche delle aziende del settore biotecnologico.

**Abilità comunicative - (Dublino 4):** Alla fine del corso lo studente deve riuscire a comunicare in modo chiaro e coerente le principali nozioni apprese, utilizzando un linguaggio tecnico adeguato alle sue conoscenze, sia con interlocutori specialisti e non specialisti.

**Capacità di apprendere - (Dublino 5):** Lo studente deve essere in grado di ampliare ed approfondire le proprie conoscenze in maniera autonoma, attingendo alle nozioni e all'approccio metodologico appreso durante il corso. Dovrà, inoltre, essere in grado di consultare in modo autonomo, i testi e gli articoli tratti dalla letteratura più accreditata del settore, sviluppando una sempre maggiore maturità e comprensione delle problematiche specifiche.

#### 5. prerequisiti/prerequisites

Per la comprensione dei contenuti del corso è richiesta una formazione di base nelle discipline scientifiche e biotecnologiche acquisite nel primo anno di corso. Ai fini dell'accesso all'esame è necessario aver superato tutti gli esami del primo anno, come stabilito dal piano degli studi.

#### 6. metodi didattici/TEACHING METHODS

La metodologia didattica si basa su lezioni frontali erogate fornendo sia gli elementi di base delle varie discipline che le prospettive applicative. Le lezioni si basano su modalità interattive, integrando alla didattica standard attività improntate all'apprendimento attivo, quali: "*problem-based learning*", "*self-learning*", e "*case study*".

I metodi didattici utilizzati in questo corso sono disegnati per consentire allo studente di perseguire gli obiettivi formativi, in virtù delle seguenti caratteristiche:

Conoscenza e capacità di comprensione – la didattica frontale tratterà sistematicamente tutti gli argomenti elencati nel programma di seguito dettagliato, soffermandosi sugli aspetti più rilevanti ed imprescindibili, in modo da fornire agli studenti il quadro completo degli argomenti integrati ed il corretto metodo di studio per rafforzare le conoscenze teoriche.

Conoscenza e capacità di comprensione applicate – il ricorso ad esempi pratici, esercitazioni in aula e "*case study*" consente agli studenti di apprendere le potenzialità applicative degli argomenti trattati.

I metodi di apprendimento attivo adottati nel corso, tra cui discussioni guidate, analisi di casi ed esercitazioni applicative, consentono allo studente di sviluppare capacità di analisi critica, valutare autonomamente problemi e alternative e formulare giudizi motivati. Il confronto in aula e l'applicazione dei contenuti teorici a situazioni concrete favoriscono l'elaborazione autonoma di idee, interpretazioni e decisioni.

Abilità comunicative – i metodi di apprendimento attivo e la costante interazione con il docente durante le lezioni frontali saranno condotte in maniera da consentire allo studente la progressiva acquisizione di abilità comunicative mirate all'esposizione di argomenti relativi alle tematiche del corso con la corretta terminologia scientifica.

Capacità di apprendere – l'utilizzo di materiale didattico integrativo, anche sotto forma di articoli della letteratura scientifica internazionale, di documenti regolatori e di ambito legislativo, consente allo studente di sviluppare capacità di studio autonomo, approfondimento critico e aggiornamento continuo. Le attività didattiche favoriscono l'acquisizione di strumenti per selezionare, interpretare e utilizzare fonti diverse, permettendo allo studente di proseguire il proprio percorso formativo in modo prevalentemente auto-diretto e autonomo.

## 7. altre informazioni/OTHER INFORMATION

Il Coordinatore del corso, Prof. Giuseppe Tringali, riceve gli studenti su appuntamento presso il proprio studio, situato al terzo piano degli Istituti Biologici – Istituto di Farmacologia, oppure in modalità telematica tramite piattaforma Microsoft Teams. Gli appuntamenti possono essere fissati via e-mail all'indirizzo [giuseppe.tringali@unicatt.it](mailto:giuseppe.tringali@unicatt.it). Gli altri Docenti del Corso integrato ricevono gli studenti previo appuntamento da concordare tramite posta elettronica ai rispettivi indirizzi e-mail istituzionali: ([pierluigi.navarra@unicatt.it](mailto:pierluigi.navarra@unicatt.it) ; [alessandra.battaglia@unicatt.it](mailto:alessandra.battaglia@unicatt.it) ; [alessandro.campana@unicatt.it](mailto:alessandro.campana@unicatt.it) ; [iljarichard.pavone@cnr.it](mailto:iljarichard.pavone@cnr.it) ).

## 8. modalità di verifica dell'apprendimento/METHODS FOR VERIFYING LEARNING AND FOR EVALUATION

La prova d'esame consiste in una prova scritta relativa ai contenuti di tutti i moduli del corso integrato. La prova è composta da 32 domande complessive, suddivise in otto domande per ciascun modulo. Ogni domanda ha valore di un punto. Il punteggio conseguito nella prova scritta è convertito in trentesimi; il punteggio massimo, pari a 30/30 e lode, è attribuito agli studenti che rispondono correttamente ad almeno 31 domande su 32. Il superamento della prova scritta, con una votazione minima di 18/30, consente allo studente di sostenere, in via facoltativa, una prova orale finalizzata al miglioramento del voto. La prova orale, qualora sostenuta, verte sui contenuti di tutti i moduli del corso integrato, secondo i programmi riportati di seguito. Per gli studenti che scelgono di sostenere la prova orale facoltativa, il voto finale massimo, pari a 30/30 e lode, può essere attribuito solo se nella prova scritta è stata conseguita una votazione pari o superiore a 27/30.

L'obiettivo della prova d'esame così organizzata consiste nel valutare l'acquisizione da parte dello studente delle seguenti capacità e conoscenze:

Conoscenza e capacità di comprensione - valutazione della corretta acquisizione dei presupposti teorici relativi alla Buona Pratica di Laboratorio applicata in ambito regolatorio, brevettuale ed economico e nell'area dello sviluppo delle biotecnologie;

Conoscenza e capacità di comprensione applicate – valutazione dell'abilità nel collegare concetti teorici acquisiti alle possibili applicazioni nei processi di sviluppo delle

biotecnologie in ambito diagnostico e terapeutico;  
Autonomia di giudizio – valutazione della capacità di effettuare collegamenti trasversali sugli argomenti trattati;  
Abilità comunicativa – valutazione dell'adeguata padronanza e proprietà di linguaggio e terminologia tecnico/scientifica corretta;  
Abilità di apprendere – valutazione delle capacità di approfondire tematiche di interesse biotecnologico, con riferimento agli ambiti giuridico, economico e regolatorio pertinenti agli obiettivi del corso, in maniera autonoma e di utilizzare ragionamento critico applicato allo sviluppo biotecnologico.

Per conseguire la votazione più elevata, lo studente deve dimostrare di aver acquisito una approfondita conoscenza dei contenuti dell'insegnamento e dimostrare altresì di aver acquisito una buona padronanza del lessico disciplinare.

## 9. programma esteso/program

### Buona Pratica di Laboratorio

- Origini, Riferimenti normativi, Definizione dei termini.
- Scopi e Campi di applicazione.
- Aspetti critici nell'applicazione delle Buone pratiche di Laboratorio
- Organizzazione di un centro di saggio e definizione delle responsabilità del personale.
- Programma di Assicurazione della Qualità.
- Strutture, impianti, strumentazioni, materiali, reagenti. Archivi.
- Validazione dei sistemi computerizzati.
- Sistemi di saggio e sostanze chimiche.
- Livelli di biosicurezza
- Validazione di un saggio.
- Procedure Operative Standard.
- Svolgimento degli studi.
- Redazione del rapporto sui risultati dello studio.
- Archiviazione di registri, materiali e sostanze in esame.
- Cenni sulle procedure di certificazione di conformità dei centri di saggio alle buone pratiche di laboratorio.

### Aspetti regolatori e trasferimento tecnologico

- Classificazione dei farmaci dal punto di vista giuridico amministrativo.
- Sviluppo preclinico e clinico del farmaco: aspetti tecnico-scientifici e regolatori.
- Brevetto, trasferimento tecnologico, AIC, distribuzione e post marketing.
- Farmaci bioequivalenti e biosimilari.
- Innovazione e sostenibilità del Sistema Sanitario

### Marketing e gestione aziendale

#### - I principi di gestione aziendale e le imprese innovative

- La gestione delle aziende: principi fondamentali
- La natura e la tipologia di aziende
- Le aziende innovative: focus sulle imprese biotecnologiche
- Scenari internazionali: lo sviluppo strategico delle imprese nell'Unione Europea e nei mercati extra UE
- L'ambiente in cui opera l'impresa. I settori ed i mercati di riferimento
- Gli obiettivi dell'impresa: l'equilibrio economico – patrimoniale e finanziario
- L'organizzazione aziendale e le aree funzionali. Il caso delle imprese biotecnologiche

#### - Il Marketing: principi di base, tecniche e strumenti e modalità di adozione nel settore delle biotecnologie e farmaceutico

- Definizione di marketing
- Le variabili controllabili e non controllabili
- Il target market ed il marketing mix

- Le ricerche di mercato
- La politica dei prezzi
- I canali di distribuzione
- La comunicazione e la promozione
- Le tecniche di marketing attraverso i canali digitali
- Il piano di marketing
- Il marketing ed il business *development* nelle imprese biotecnologiche
- Le principali funzioni di sviluppo del mercato nelle imprese farmaceutiche
- L'analisi del mercato italiano delle imprese biotecnologiche

## **Normative europee nelle Biotecnologie**

### Parte introduttiva:

i) fonti del diritto; ii) struttura e funzionamento delle istituzioni europee; iii) diritto sanitario europeo e metodi di governance sanitaria a livello globale (il ruolo dell'OMS); iv) diritti della persona di fronte allo sviluppo delle biotecnologie in ambito europeo (la Carta di Nizza e le fonti di secondo grado).

### Parte speciale:

Biotecnologie mediche

#### *Sperimentazione sull'uomo:*

i) Il Regolamento UE sui trials clinici; ii) i trials clinici nell'epoca delle epidemie e delle pandemie; iii) le modalità di arruolamento di volontari per la sperimentazione di farmaci e vaccini; iv) le criticità nelle sperimentazioni su soggetti vulnerabili (minori, disabili, anziani, malati terminali); v) la condivisione di campioni biologici e virus per sviluppare nuovi farmaci e vaccini nel contesto europeo; vi) la regolamentazione dei trials clinici in Paesi terzi; vii) la sperimentazione sugli animali: la Direttiva 2010/63/EU

#### *Il Gene Editing:*

i) Potenziali applicazioni terapeutiche del sistema CRISPR/Cas9; ii) il dibattito bioetico e i diritti delle generazioni future; iii) la selezione riproduttiva degli embrioni; iv) terapia genica sulla linea somatica e germinale nel contesto europeo; v) cenni alla politica del Consiglio d'Europa e dell'UE sul gene editing.

#### *La protezione dei dati sanitari:*

i) Il nuovo Regolamento europeo sulla protezione dei dati personali; ii) dati genetici; la condivisione dei dati sanitari utilizzati per altre finalità; iii) dati digitali e 'contact tracing' nell'epoca dell'AI; iv) ricerca scientifica

#### *La brevettabilità delle invenzioni biotecnologiche legate al corpo umano:*

i) Il principio di indisponibilità del corpo umano: i trapianti; la gestazione per altri; la vendita e il traffico di organi; ii) La Direttiva 98/44/CE sulla protezione giuridica delle invenzioni biotecnologiche; principi giuridici; attuazione negli ordinamenti nazionali.