



## KÖZVETLEN BRÜSSZELI FORRÁS PÁLYÁZATI TÁJÉKOZTATÓ

Program	Horizon 2020
<b>Pályázat megnevezése (magyar)</b>	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 meglevő 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 meglevőkkel 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.

<b>Kedvezményezett</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Kutatóközpont (kutatóhely, egyetemi kutatóközpont)</li><li>• Nagyvállalat</li><li>• Mikro-, kis- és középvállalkozás</li><li>• Non-profit szervezet (civil szervezet)</li><li>• Non-profit szervezet (állami fenntartású intézmény)</li><li>• Egyházi jogi szervezet</li><li>• Egyéb gazdasági társaság (pl. szociális szövetkezet)</li></ul>
Résztvételi forma	Konzorciumban történő pályázás



## MAGYAR FEJLESZTÉSI KÖZPONT

Konzorcium	A konzorcium tagjai minimum három különböző EU tagországból vagy csatlakozott országból kell, hogy érkezzenek.
<b>Pénzügyi információk</b>	
Teljes keret	8.200.000 EUR
<b>Támogatási intenzitás</b>	<b>100%</b>
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.
<b>Határidők</b>	
<b>Benyújtási határidő</b>	<b>2017.10.24.17:00</b>
Benyújtás	Elektronikusan <a href="https://ec.europa.eu/research/participants/portal/desktop/en/opportunities/h2020/topics/imi2-2017-12-03.html">https://ec.europa.eu/research/participants/portal/desktop/en/opportunities/h2020/topics/imi2-2017-12-03.html</a>