# Progetto Pharma-HUB

## *Hub per il riposizionamento di farmaci nelle malattie rare del sistema nervoso in età pediatrica*

### Obiettivo Specifico 9 (OS9). *Costituzione di una piattaforma di modelli in silico di patologie rare del sistema nervoso centrale in età infantile*

Una sperimentazione in silico (comunemente conosciuta con il termine in inglese di in silico trial) è una simulazione al computer personalizzata utilizzata nello sviluppo o nella valutazione normativa di un medicinale, dispositivo o intervento terapeutico. Gli in silico trials rappresentano un sempre più crescente e utile supporto alla decisione medica nonché uno strumento vantaggioso per la valutazione della sicurezza ed efficacia di nuovi farmaci.
Queste sofisticate e innovative tecnologie, infatti, possono prevedere ed anticipare il comportamento di nuovi trattamenti farmacologici nel breve, medio e lungo termine e per evitare insuccessi, possono persino valutare l’applicazione in diversi scenari clinici, e validare in maniera sicura rispetto ad effetti collaterali pericolosi. Il modello tradizionale per lo sviluppo di nuovi farmaci inizia con lo sviluppo preclinico. Nei laboratori, esperimenti in provetta e altri in vitro stabiliscono la plausibilità dell'efficacia del trattamento. Quindi modelli animali in vivo, con specie diverse, forniscono indicazioni sull'efficacia e la sicurezza del prodotto per l'uomo. Con successo negli studi in vitro e in vivo, lo scienziato può proporre che gli studi clinici testino se il prodotto è disponibile per gli esseri umani. La modellazione e la simulazione accuratamente sviluppate su un determinato farmaco candidato e su specifiche caratteristiche del paziente, stanno sempre più prendendo piede nella pipeline di sviluppo del farmaco. In un tale scenario, i pazienti "digitali" ricevono un trattamento "virtuale", consentendo l'osservazione tramite una simulazione al computer di come si comporta il prodotto biomedicale candidato e se produce l'effetto desiderato, non inducendo effetti avversi. Tali studi in silico aiutano a ridurre, perfezionare e supportare gli studi clinici reali sotto diversi aspetti: 1) ridurre le dimensioni e la durata degli studi clinici attraverso una migliore progettazione, ad esempio, identificando le caratteristiche per determinare quali pazienti potrebbero essere a maggior rischio di complicanze o fornendo una conferma anticipata che il prodotto o il processo funzioni come previsto; 2) affinare le sperimentazioni cliniche attraverso informazioni più chiare e dettagliate sui potenziali risultati e un maggiore potere esplicativo nell'interpretazione di eventuali effetti avversi che potrebbero emergere, nonché una migliore comprensione di come il prodotto testato interagisce con l'anatomia del singolo paziente e prevedere effetti a lungo termine o rari è improbabile che gli studi clinici si rivelino; 3) coadiuvare le sperimentazioni cliniche e, in alcuni casi, valutare popolazioni speciali (pediatriche, anziani, immuno compromessi) altrimenti di difficile realizzazione. L’analisi attraverso studi in silico fornisce una migliore comprensione del meccanismo che ha causato il fallimento del test del prodotto e potrebbe essere in grado di fornire informazioni che potrebbero essere utilizzate per perfezionare il prodotto a tale livello che potrebbe completare con successo le prove cliniche. Tale analisi verrà applicata al caso studio A-T dopo la fase di sperimentazione pre-clinica per predire il successo della sperimentazione clinica del farmaco da riposizionare.

Tale OS verrà coordinata da UNICT (leader).