

## POLITICHE DEL FARMACO

# Accesso ai dati degli studi clinici: la ventilata trasparenza dell'EMA si rivela opaca

Lo scorso ottobre l'Agenzia europea per il controllo dei medicinali (*European Medicines Agency*, EMA) ha reso note le proprie decisioni in merito all'accesso ai dati degli studi clinici presentati in appoggio alle richieste di autorizzazione al commercio di un nuovo farmaco<sup>1</sup>. Il documento, che riporta la descrizione di quali dati e documenti verranno resi pubblici e con quali modalità, è il frutto di un'accesa discussione intercorsa nell'anno precedente, dopo che l'EMA stessa aveva aperto una consultazione pubblica sulla prima bozza di provvedimento<sup>2</sup>. Durante questa consultazione, l'Agenzia ha raccolto più di mille suggerimenti da parte di numerosi enti di ricerca, università, associazioni e società scientifiche, industrie farmaceutiche, giornalisti, associazioni di pazienti e cittadini, ecc. I punti di vista in campo, per non dire gli interessi, sono risultati spesso contrastanti e il tentativo dell'EMA è stato quello di raggiungere un compromesso che non scontentasse nessuno tra gli attori coinvolti. Ciò ha generato una policy che, sebbene motivata dalla reale necessità di migliorare l'utilizzo dei dati della ricerca e accrescere la fiducia nella ricerca clinica stessa, risulta alla fine troppo cauta per soddisfare quelle attese. È una *policy* opaca, buona nelle intenzioni, ma deludente nei risultati<sup>3</sup>.

Il principale motivo di insoddisfazione riguarda ciò che sarà accessibile. La policy è prospettica, cioè riguarda solo dati e documenti relativi alle procedure autorizzative che inizieranno dopo il primo gennaio 2015 e si applicherà solo alle procedure centralizzate, cioè quelle indirizzate e gestite direttamente dall'EMA. Data la durata dei processi autorizzativi, ciò significa che i primi dossier saranno disponibili nel 2016. I report dettagliati degli studi clinici presentati per ottenere

l'autorizzazione ai nuovi farmaci saranno disponibili sul sito dell'Agenzia e consultabili previa registrazione. Sarà anche possibile scaricare e salvare questi dati, ma questo solo attraverso una registrazione più dettagliata che permetta il riconoscimento del richiedente e la sottoscrizione di un accordo sui termini di utilizzo di queste informazioni. Prima della pubblicazione dei dati sul portale dell'EMA, l'azienda farmaceutica che li ha presentati potrà rivedere i documenti ed eliminare tutte le informazioni ritenute commercialmente confidenziali, cioè quelle la cui disseminazione potrebbe danneggiare il suo "legittimo interesse economico". Il documento dell'EMA ribadisce che i dati degli studi clinici non possono essere considerati informazioni commercialmente confidenziali e, a questo proposito, presenta un elenco delle sezioni del dossier che possono potenzialmente contenerne. Si potrebbe pensare che ciò si applichi solo alle parti dello sviluppo di un farmaco coperte da brevetto (processi di produzione, metodi analitici, formulazioni, ecc.). Invece, potrà includere aspetti come gli *advice* delle agenzie regolatorie extra-europee, dati di farmacocinetica e farmacodinamica, e addirittura le basi per il calcolo della dimensione campionaria, come la variabilità della misura di esito. La definizione di ciò che può essere considerato confidenziale dal punto di vista commerciale è critica: un'interpretazione stringente e distorta potrebbe portare a situazioni paradossali per le quali anche la diffusione di risultati negativi di uno studio clinico sarebbe considerata contraria agli interessi economici dell'azienda. Ciò porterebbe inevitabilmente a nascondere dati estremamente importanti per stabilire il reale profilo rischio-beneficio di un nuovo farmaco.

Deludente è anche il rinvio a una "seconda fase" dell'accesso ai dati individuali, i cosiddetti dati grezzi raccolti su ogni singolo soggetto che partecipa a uno studio clinico. Si tratta di dati essenziali per ottimizzare la conduzione di meta-analisi o generare ipotesi di nuovi studi attraverso analisi secondarie dei dataset. Apparentemente i dossier registrativi non contengono questi dati in maniera sistematica ed

## **POLITICHE DEL FARMACO** Accesso ai dati degli studi clinici: la ventilata trasparenza dell'EMA si rivela opaca

è necessario stabilire quali siano i requisiti tecnici per renderli disponibili e consultabili. Inoltre, i dati individuali devono essere resi anonimi o de-personalizzati al fine di limitare al minimo il rischio di re-identificazione dei soggetti inclusi. Tra i principali ostacoli (reali o presunti) alla condivisione dei dati individuali, viene spesso citato il rispetto dei limiti del consenso informato, documento che ha come obiettivo, spesso teorico, quello di garantire una partecipazione volontaria e informata a una sperimentazione. Il consenso informato dovrebbe però essere interpretato come uno strumento per favorire la condivisione dei dati e, pertanto, un migliore e più esteso utilizzo dei dati raccolti dalla ricerca. Una formulazione del consenso informato appositamente congegnata per impedire l'utilizzo dei dati raccolti per altri scopi di ricerca renderebbe di fatto impossibile la condivisione dei dati individuali.

Lo scopo della politica di trasparenza e accesso ai dati adottata dall'EMA è quello di tutelare l'interesse dei cittadini e dei sistemi sanitari europei, proteggendo allo stesso tempo gli interessi commerciali e la privacy dei pazienti. Tra questi interessi apparentemente divergenti

deve emergere e diffondersi la convinzione che i dati raccolti durante gli studi clinici sono un bene pubblico e appartengono innanzitutto a chi ha partecipato attivamente allo studio – dai pazienti, allo staff medico, ai ricercatori – e anche ai cittadini che attraverso le tasse sostengono il personale e le strutture sanitarie che consentono la realizzazione degli studi clinici.

**Rita Banzi, Vittorio Bertele', Silvio Garattini**

IRCCS – Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri, Milano  
rita.banzi@marionegri.it

### **BIBLIOGRAFIA**

1. European Medicines Agency. European Medicines Agency policy on publication of clinical data for medicinal products for human use. Ottobre 2014. [www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2014/10/WC500174796.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2014/10/WC500174796.pdf) (ultimo accesso 30 ottobre 2014).
2. European Medicines Agency. Draft policy 70: publication and access to clinical trial data. Giugno 2013 [www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2013/06/WC500144730.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2013/06/WC500144730.pdf) (ultimo accesso 30 ottobre 2014).
3. Banzi R, Bertele' V, Demotes-Mainard J, et al. Fostering EMA's transparency policy. *Eur J Intern Med* 2014; 25: 681-4.