

## Farmaci innovativi e colli di bottiglia

Da una parte e dall'altra dell'Atlantico si è riavvicinata la discussione su come non ritardare l'accesso a farmaci potenzialmente capaci di modificare la storia naturale di una patologia. Sul banco degli imputati ancora una volta le Authority che regolano le autorizzazioni al commercio dei nuovi medicinali. Negli Stati Uniti è in discussione il *21<sup>st</sup> Century Cures Act*, una legge che oltre a stabilire un rifinanziamento per il *National Institute of Health* prevede l'allargamento degli standard autorizzativi della *Food and Drug Authorization* (FDA), consentendo per nuove indicazioni terapeutiche di farmaci già in uso l'utilizzo di prove di efficacia cliniche derivanti "dall'esperienza clinica"<sup>1</sup>. In pratica, in questi casi non occorrerebbe più uno studio randomizzato per allargare la terapia di medicinali su cui esiste già un'esperienza d'uso ritenuta abbastanza soddisfacente. Un'altra proposta di particolare rilievo è quella di provare a non limitare l'autorizzazione di nuove terapie antibiotiche, con l'ipotesi che la crescente resistenza alle terapie esistenti possa essere in qualche modo superata dalla disponibilità di nuovi principi attivi. A ciò si aggiungono molte altre cose, che vanno comunque nella direzione di semplificare le autorizzazioni e accelerare il processo.

Per quanto riguarda il continente europeo sono gli stessi vertici dell'*European Medicine Agency* (EMA) che, nel porsi il problema di come influenzare positivamente la sostenibilità economica dei nuovi farmaci, propongono di agire sui processi regolativi in modo da consentire un abbassamento dei costi legati allo sviluppo dei medicinali<sup>2</sup>. In questo caso la novità maggiore consiste principalmente nella definizione preliminare, congiuntamente alle agenzie di *Health Technology Assessment*, di ciò che chi sottopone una nuova richiesta di autorizzazione deve necessariamente sviluppare in termini di prove di efficacia e sicurezza. Attraverso la procedura definita *adaptive pathway*, molte delle verifiche sul profilo beneficio/rischio del nuovo farmaco verrebbero di fatto spostate a dopo la

commercializzazione, puntando in modo particolare ai dati derivanti dagli studi osservazionali e dei registri. Indicazioni terapeutiche di nicchia potrebbero essere in questo modo allargate sulla base di dati raccolti nella pratica clinica di farmaci comunque già in commercio.

Ciò che manca in questi nuovi scenari è però il presupposto che mostra la prova che l'accesso ai farmaci innovativi sia in effetti frenato dagli enti regolatori. In realtà sulla base di quanto riportato in alcuni rapporti, lo scorso anno la FDA ha approvato l'89% delle richieste di autorizzazione<sup>3</sup>. D'altro canto nel suo report annuale l'EMA vanta una performance ancora migliore con il 91% di opinioni positive nel 2015<sup>4</sup>.

I dati non sembrerebbero mostrare quindi un collo di bottiglia a livello regolatorio. Anzi, verrebbe da chiedersi come le nuove proposte possano riuscire a migliorare tali performance.

Non vi è dubbio che la macchina per valutare le nuove tecnologie in sanità necessiti di una continua rettifica. Tuttavia, bisognerebbe provare a concentrarsi anche sulle metodiche che possono aiutare a capire il valore aggiunto di un medicinale oltre che lavorare sulla velocità di accesso. Tutto questo senza aspettare un nuovo disastro che faccia rimpiangere di aver sacrificato passaggi essenziali in una storia che tende a dimenticare in fretta le ragioni del difficile equilibrio tra un farmaco necessario ed un medicinale che assicuri un profilo rischio positivo.

**Antonio Addis**

Dipartimento di Epidemiologia,  
Regione Lazio  
a.addis@deplazio.it

### BIBLIOGRAFIA

1. H.R.6 – 21st Century Cures Act – [www.congress.gov/bill/114th-congress/house-bill/6](http://www.congress.gov/bill/114th-congress/house-bill/6)
2. Eichler HG, Hurts H, Broich K, Rasi G. Drug regulation and pricing: can regulators influence affordability? *N Engl J Med* 2016; 374: 1807-9.
3. Hiltzik M. Why is Congress trying to weaken the FDA's oversight of dangerous drugs? *Los Angeles Times* – [www.latimes.com/business/hiltzik/la-fi-hiltzik-fda-20160517-snap-story.html](http://www.latimes.com/business/hiltzik/la-fi-hiltzik-fda-20160517-snap-story.html)
4. European Medicine Agency. Annual Report 2015. [www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Annual\\_report/2016/05/WC500206482.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Annual_report/2016/05/WC500206482.pdf)

*Le opinioni espresse dall'autore sono personali e non riflettono necessariamente quelle dell'istituzione di appartenenza.*