- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 216.73.216.36 Tue, 01 Jul 2025, 01:47:18

 di Antonio Addis*

L'approvazione dei farmaci e il mito della velocità

Ogni volta che si cita il bisogno di riformare il sistema regolatorio – non mi ricordo un tempo in cui non ci sia stato in cantiere un tale obiettivo – questo si associa alla necessità di abbreviare i tempi di accesso ai nuovi medicinali innovativi. In effetti, sfido a trovare qualcuno che, di fronte ad una terapia che si mostra più efficace e sicura rispetto alle alternative terapeutiche già a disposizione, vorrebbe perdere tempo in inutili lungaggini. Questa perenne voglia di modificare le regole è quindi legata al fatto di non aver raggiunto ancora questo obiettivo?

In realtà, da un'analisi recentemente condotta nell'ambito dei farmaci oncologici sembrerebbe che se c'è una cosa che è cambiata negli ultimi anni è proprio il numero e la velocità di approvazione dei nuovi medicinali. Nel periodo 2017-2021 il numero di farmaci oncologici approvati dalla FDA è addirittura quintuplicato rispetto al passato, con una media di 32,2 nuove terapie farmacologiche per anno. Nonostante ciò, solo il 27% di queste ultime è supportato, secondo le scale ESMO, da robuste prove di efficacia. La maggioranza delle nuove terapie è entrata sul mercato sulla base di dati riferiti ad esiti surrogati e circa il 20% delle 161 approvazioni analizzate presenta un beneficio di livello basso mentre il 40% di livello intermedio[1]. L'investimento negli ultimi anni ha portato a un aumento del numero di farmaci a disposizione ma, non della qualità delle prove. Questo stato di cose non ha pesato come fattore limitante per la presa in carico di tali terapie da parte del Servizio Sanitario Nazionale italiano. Un recente report della EFPIA (l'organizzazione che rappresenta le industrie farmaceutiche in Europa) ha monitorato in 38 sistemi sanitari europei differenti (2017-2010) l'accesso dei farmaci (oncologici e non) approvati in termini di tempi, effettiva disponibilità o rimborso[2]. I risultati pongono il nostro Paese tra quelli con i numeri più alti. In particolare, rispetto alle diverse scale esaminate – numero di farmaci approvati, rimborsati, tassi di disponibilità, ecc. – risultiamo secondi solo alla Germania e Danimarca.

Tutto ciò porterebbe a pensare che il tema della velocità di accesso non dovrebbe essere presentato come un fattore primario per motivare una riforma della governance farmaceutica. Rimane invece ancora molto da fare in termini di efficienza del sistema rispetto a come perfezionare la conoscenza del profilo beneficio-rischio di un farmaco al momento della sua autorizzazione, ma anche dopo. Per non parlare del bisogno di migliorare i processi in termini di trasparenza e disponibilità di informazioni per tutti gli attori che ruotano intorno alle regole che governano l'uso dei medicinali.

In conclusione, se vi sono uno o forse più colli di bottiglia che frenano la macchina regolatoria e richiamano un ridisegno dell'intera governance, questi non sembrano influire sulla velocità di accesso e la disponibilità dei nuovi medicinali nel nostro Paese.

1. Cherny NI. An appraisal of FDA approvals for adult solid tumours in 2017-2021: has the eagle landed? Nat Rev Clin Oncol 2022 Apr 28. doi: 10.1038/s41571-022-00636-y.
2. Newton M, Scott, K, Troein P. EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2021 Survey April 2022; https://www.efpia.eu/media/636821/efpia-patients-wait-indicator-final.pdf

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

***Antonio Addis,** Dipartimento di Epidemiologia, Regione Lazio – a.addis@deplazio.it