

## Farmaci oncologici e armi di distrazione di massa

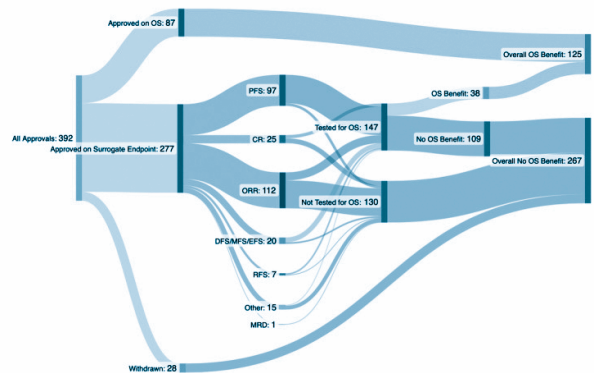
La velocità di accesso alle nuove terapie oncologiche è un tema talmente ricorrente nelle aule congressuali e nei documenti programmatici pubblici che spero perdoniate a questo breve spazio di tornarci sopra<sup>1</sup>.

In effetti si tratta di un vero e proprio tormentone che per altro ha impegnato nel tempo le Agenzie regolatorie di tutto il mondo a intraprendere percorsi di approvazione dei medicinali sempre più celeri. Ad esempio la *Food and Drug Administration* (FDA) statunitense ha esteso l'uso di marcatori surrogati per l'approvazione di farmaci con indicazioni oncologiche/ematologiche. Ciò ha portato un maggior numero di approvazioni e una più rapida immissione sul mercato di questi farmaci. Tuttavia è lecito chiedersi se tale strategia abbia comportato un miglioramento anche della sopravvivenza globale (OS) dei pazienti che li assumono.

Per verificare questo un'analisi trasversale delle approvazioni di farmaci oncologici della FDA (2006-2023) ha analizzato la percentuale di farmaci oncologici che hanno dimostrato di migliorare la OS sia negli studi registrativi, sia nella letteratura scientifica successiva alla loro commercializzazione<sup>2</sup>. Delle 392 approvazioni identificate, 86 (22%) erano basate sulla OS, 147 approvazioni sono state successivamente testate per lo stesso esito (38% di tutte le approvazioni e 48% dei farmaci approvati su un esito surrogato) mentre 130 (33%) non riportano ancora un dato di OS. Delle 147 approvazioni di farmaci successivamente testati per OS, 109 (il 28% di tutte le approvazioni e il 74% dei farmaci successivamente testati per OS) non hanno ancora mostrato un beneficio per la OS, mentre 38 (il 10% di tutte le approvazioni e il 26% dei farmaci successivamente testati per OS) hanno dimostrato di avere un beneficio

per la OS. In totale, 125 dei 392 (32%) farmaci approvati per qualsiasi indicazione hanno dimostrato di migliorare la OS.

Ancora una volta appare evidente che il tema della velocità di accesso è un elemento di poca rilevanza rispetto alla scelta degli standard utilizzati durante la valutazione e rischia di distrarci da ciò che è più importante: il beneficio terapeutico aggiunto; in questo caso la OS. Con questo non si vuole sostenere che l'utilizzo di standard surrogati per l'approvazione di medicinali sia necessariamente un errore. Tuttavia, gli sforzi e le risorse andrebbero concentrati nel governare gli aspetti collegati ai tempi necessari per la produzione di una conoscenza utile alla cura dei pazienti, alla definizione dei controlli adeguati e all'utilizzo delle nuove metodiche per la ricerca piuttosto che sulla riduzione dei tempi procedurali.



Approvazioni FDA dei farmaci oncologici e della dimostrazione della sopravvivenza globale. In totale, 125 su 392 (32%) dei farmaci approvati per qualsiasi indicazione hanno dimostrato di migliorare il beneficio in termini di OS, mentre 267 (68%) non hanno ancora mostrato un beneficio in termini di sopravvivenza.<sup>2</sup>

1. Addis A. L'approvazione dei farmaci e il mito della velocità. *Ricerca & Pratica* 2022; 225: 126.
2. Elbaz J, Haslam A, Prasad V. An empirical analysis of overall survival in drug approvals by the US FDA (2006-2023). *Cancer Med* 2024; 13: e7190.

*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