

## C'è bisogno di un nuovo modello regolatorio?

I giornali, specialistici e non, hanno recentemente messo in dubbio l'efficienza degli attuali enti regolatori<sup>1-3</sup>. In realtà si tratta di un dibattito presente soprattutto oltre Atlantico che accompagna la prossima riforma legislativa riguardante l'organizzazione ed il finanziamento della Food and Drug Administration (FDA).

Secondo diversi autori le agenzie che oggi regolamentano l'introduzione dei nuovi medicinali e vigilano su quelli già in commercio, non sono in grado di governare in modo efficiente il settore, garantendo da una parte l'ingresso di farmaci più efficaci e sicuri e dall'altra aiutando a decidere come favorirne l'accesso e gestire una spesa che ogni anno cresce esponenzialmente.

Le critiche non vengono dai soliti censori della sanità pubblica ma anche dal mondo industriale che lamenta una crescita delle richieste di tipo "regolatorio" per la valutazione della qualità, dell'efficacia e della sicurezza tale da limitare l'accesso ai prodotti innovativi che pur richiedono investimenti esponenziali. D'altra parte c'è chi fa notare quanto i tempi di approvazione siano di fatto diminuiti segnati però da casi clamorosi di "flop" terapeutici e di farmaci presentati come *breakthrough innovation* repentinamente ritirati dal commercio per reazioni avverse o rivalutazioni importanti riguardanti l'efficacia<sup>4</sup>. Ancora, da una parte le associazioni dei pazienti vogliono essere sicure di non perdere nessuna speranza di cura, purtroppo spesso ingannate da media propensi a presentare con grande risonanza ogni nuova terapia; dall'altra, una certa accademia si dimostra critica

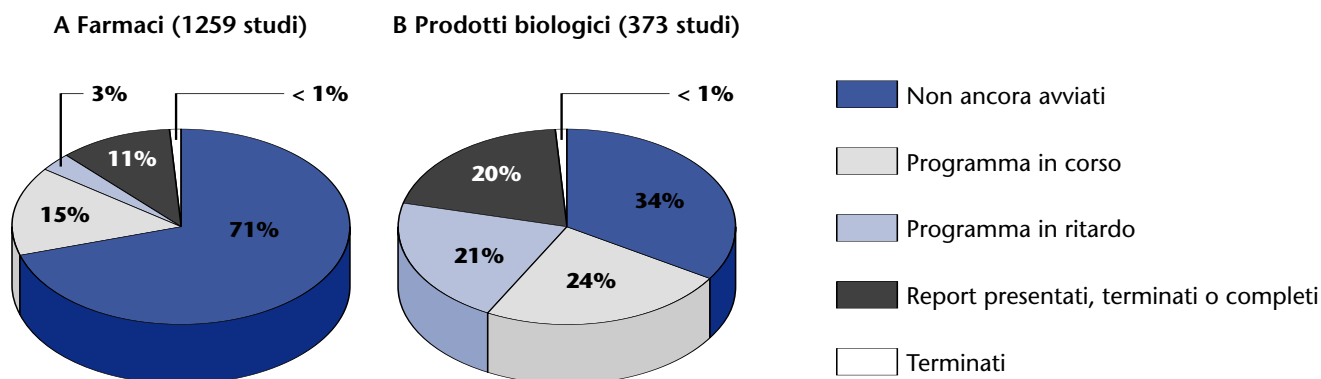
nei confronti degli standard fino ad oggi utilizzati per la verifica pre-marketing.

L'analisi delle contrapposizioni non si esaurisce qui ma potrebbe continuare attraverso l'analisi di molti degli aspetti che ruotano intorno al mondo del farmaco e che ne limitano da diversi punti di vista lo sviluppo ed il controllo.

Appare chiaro a molti, però, che il modello regolatorio sviluppato soprattutto dopo il disastro talidomide, con il suo spirito prettamente difensivo, non riesce a reggere le grandi attese di tutte le parti. In particolare le agenzie regolatorie non sembrano avere a disposizione tutti i dati necessari per poter prendere le decisioni più corrette. In questo senso si tratta di partire dal tema della ricerca clinica; dalla necessità di ripensare anche agli standard utilizzati per decidere se un farmaco è utile o meno e per decidere, ovviamente, se sia opportuno assumerlo a carico della collettività.

Il modello regolatorio si è concentrato sul tema della qualità del dato proveniente dalla sperimentazione come prevalente indicatore della qualità degli studi. Vale la pena pensare anche all'efficienza? Se sì, occorre avere una struttura capace di seguire l'uso del farmaco anche dopo l'introduzione nel mercato con analisi che coinvolgono direttamente (nella ricerca) il medico prescrittore ed il farmacista. Difficile lasciare tale compito esclusivamente all'iniziativa privata, specie con i dati qui riportati che mostrano quanto poco valgano gli impegni presi al momento della registrazione di nuovi studi post-marketing (figura 1). Per quanto riguarda la FDA, la di-

**Figura 1** – Stato dell'arte degli studi post-marketing che le aziende si sono impegnate a condurre all'atto della registrazione. Dati FDA al 30 settembre 2006.



Da: Avorn J. Paying for drug approvals. Who's using whom? *N Engl J Med* 2007; 356: 1697-700.

scussione verte anche sul piano del finanziamento privato che rappresenta già oggi più del 50% dell'intero budget dell'agenzia americana e che, per alcune agenzie europee, raggiunge e supera l'80%. In che modo è possibile rimanere indipendenti quando i soggetti controllati sono i maggiori finanziatori dei controllori? Ciò che più in generale serve capire è in che modo si possano migliorare le procedure per rendere realmente efficiente il sistema.

Specificamente, il tema di "quale ricerca per quale regolatorio" è stato trattato durante la conferenza internazionale organizzata dall'AIFA il 30 marzo scorso, di cui diamo i dettagli all'interno di questo numero. È stato interessante misurare e confrontare modelli che affrontano problematiche identiche con differenti approcci e mandati. Il nostro Paese si caratterizza tra tutti per sommare all'interno delle proprie funzioni ruoli che in altre nazioni vengono suddivisi tra enti diversi: autorizzazione al commercio, verifica della qualità, definizione di prezzo e rimborsabilità, farmacovigilanza, promozione della ricerca e informazione nell'esempio italiano compongono tutti insieme la formula di governo dell'area.

Di certo la strada scelta dalla nostra agenzia ha portato allo sviluppo di alcuni strumenti che da tempo vengono richiesti proprio dalla rivisitazione del modello regolatorio: un database per la registrazione di tutti i trial in fase pre-registrativa; un programma di farmacovigi-

**“Ciò che più in generale serve capire è in che modo si possano migliorare le procedure per rendere realmente efficiente il sistema”**

lanza attiva che promuova studi post-marketing indipendenti; un progetto di informazione indipendente che controbilanci la spinta promozionale privata ed arrivi direttamente ai prescrittori. Queste sono le novità che caratterizzano il nostro sistema e che potrebbero diventare utili alla ridefinizione del modello generale di sviluppo dell'ente regolatorio. Naturalmente sono molte le cose da imparare dagli altri: lo sviluppo di una capacità di valutazione pre-registrativa delle nuove molecole, la partecipazione attiva a livello europeo, lo sviluppo di procedure più trasparenti, e molto altro ancora.

Il confronto non può che portare un arricchimento ed un rinnovamento dei diversi modelli per rispondere alle attuali esigenze di salvaguardia della salute e dello sfruttamento ottimale delle potenzialità del mercato. **bif**

#### Bibliografia

1. Editorial. Reforming the F.D.A. The New York Times, May 3, 2007.
2. Avorn J. Paying for drug approvals. Who's using Whom? N Engl J Med 2007; 357: 1607-1700.
3. McClellan M. Drug safety reform at the FDA. Pendulum swing or systematic improvement? N Engl J Med 2007; 357: 1700-02.
4. Avorn J. FDA standards. Good enough for government work? N Engl J Med 2005; 353: 969-72.

## a proposito di...

## Nimesulide

*Il 17 maggio scorso, l'Agenzia del Farmaco Irlandese ha comunicato l'immediata sospensione della commercializzazione dei farmaci contenenti nimesulide. La decisione è stata presa in seguito alla segnalazione di sei casi di insufficienza epatica grave da parte della National Liver Transplant Unit.*

*L'AIFA, che in questi anni ha costantemente monitorato il profilo di sicurezza della nimesulide, ricorda che il farmaco deve essere dispensato solo dietro presentazione di ricetta medica e nel rispetto delle indicazioni, controindicazioni e posologia, indicati nel foglio illustrativo del medicinale.*

*Il profilo di sicurezza del farmaco sarà oggetto di rivalutazione da parte dell'Agenzia Europea dei Medicinali (EMA) e dell'AIFA che metterà a disposizione i dati nazionali.*

*Ulteriori aggiornamenti saranno resi disponibili sul sito dell'AIFA nella sezione di farmacovigilanza ([www.agenziafarmaco.it](http://www.agenziafarmaco.it)).*