



***AIFA pubblica il 21° Rapporto nazionale sulle sperimentazioni cliniche dei medicinali
Scongiurato il temuto crollo dopo la piena applicazione delle nuove regole europee.
In Italia approvati 611 trial, l'oncologia ancora in testa***

Nonostante il banco di prova delle nuove regole europee, non c'è stato nel 2023 il temuto crollo delle sperimentazioni cliniche. Ma è un quadro in chiaroscuro quello che emerge dal 21° Rapporto nazionale sulle sperimentazioni cliniche dei medicinali, pubblicato dall'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA). Il settore ha subito il contraccolpo della piena applicazione del Regolamento europeo 536/2014, con l'adozione di modalità organizzative più complesse: si è registrato un arretramento nel numero di sperimentazioni in quasi tutti gli Stati Membri dell'UE, ma anche segnali di resilienza. In particolare, l'analisi progressiva dei trend mostra che l'Italia non ha perso terreno, con 611 trial clinici autorizzati nel 2023.

Robert Nisticò: “L'Italia ha garantito buona tenuta del sistema. Favorire dialogo con tutti gli stakeholder”

“I dati emersi nel Rapporto ci offrono nell'insieme un quadro di luci e ombre, dal quale emerge chiara una prevedibile difficoltà iniziale nell'applicazione di modalità organizzative diverse e più complesse. Tuttavia, l'Italia è riuscita a garantire una buona tenuta del sistema, anche se non in maniera omogenea per le varie tipologie di sperimentazioni”, commenta il **Presidente dell'AIFA, Robert Nisticò**. “Nel dettaglio, il settore delle sperimentazioni profit ha maggiormente beneficiato delle semplificazioni amministrative. La ricerca no profit ha dimostrato una tenuta meno solida, non solo in Italia, ma in tutta l'Unione Europea; del resto, già nel corso del 2022 era emerso come i promotori no profit avrebbero subito i maggiori contraccolpi. Proprio per gestire al meglio queste potenziali criticità - prosegue **Nisticò** - nel corso del 2023, sono state attivate dal network delle Agenzie europee, insieme alla Commissione Europea e all'EMA, una serie di iniziative pensate per il settore no profit, ascoltando anche la voce degli stakeholder, pazienti per primi, in modo da contribuire a rendere lo scenario europeo più attrattivo”.

Pierluigi Russo: “Sperimentazioni cliniche come volano di sviluppo del Paese”

“Non possiamo accontentarci della sostanziale stabilità delle sperimentazioni cliniche in Italia. Spostando l'attenzione dai numeri alla prospettiva più ampia della competizione europea e internazionale, il quadro che emerge dal Rapporto evidenzia ampi spazi di miglioramento - afferma il **Direttore Tecnico Scientifico di AIFA, Pierluigi Russo** - L'andamento degli studi clinici di fase I è

stabile all'11-18%, con un numero di sperimentazioni negli ultimi 10 anni di gran lunga inferiore a Germania, Francia, UK e Spagna. Vanno create le condizioni affinché le potenzialità dei nostri centri di ricerca entrino in contatto con il contesto industriale, scalando i paradigmi della ricerca biomedica fino al livello di sviluppo economico e sociale. Possiamo e dobbiamo fare di più, per recuperare attrattività e performance. A questo può contribuire il contesto regolatorio: nel 2024 AIFA ha infatti emanato due linee guida dedicate alla ricerca e alle sperimentazioni cliniche”.

2023, un anno di cambiamenti

In Italia il 2023 è stato l'anno dell'attesa riforma dei Comitati etici, passati a 40 territoriali e 3 nazionali. Per essere avviato, uno studio clinico deve aver ottenuto l'autorizzazione da parte dell'AIFA, che include le conclusioni favorevoli del Comitato etico.

Le sperimentazioni cliniche valutate nel 2023 nel nostro Paese sono state 764: di queste l'80% è stato autorizzato (611), mentre solo il 4,6% ha ricevuto un diniego. Dei 611 trial autorizzati, 524 (85,8%, era l'88,7% nel 2022) sono internazionali e 87 (14,2%, era l'11,3% nel 2022) nazionali. Si assiste, dunque, a un leggero recupero delle sperimentazioni nazionali (+2,9%) pur rimanendo al di sotto del livello pre-pandemico, quando si attestavano intorno al 20%.

Sperimentazioni per area terapeutica

L'oncologia fa ancora la parte del leone. Nell'area delle neoplasie (oncologiche ed emato-oncologiche) si concentra il maggior numero di sperimentazioni autorizzate nel 2023, che raggiungono il 34,7% del totale, in calo rispetto al 39,9% del 2022 (-5,2%). Seguono gli studi clinici sulle malattie del sistema nervoso (11,1%), in aumento di 2,8 punti percentuali rispetto all'anno precedente; del sistema immunitario (8,5%), cardiovascolare (6,2%), ematico e linfatico (6,1%), anch'essi in lieve aumento. Prosegue nel 2023 la diminuzione degli studi sulle malattie virali, in costante calo dal 2021. Fra le prime dieci aree terapeutiche troviamo poi le malattie dell'apparato digerente (4,1%) e le patologie e anomalie neonatali (3,9%), entrambe in leggero aumento. Chiudono la classifica le malattie del metabolismo e della nutrizione (3,3%) e quelle del sistema muscoloscheletrico (2,8%).

Malattie rare

Gli studi clinici nel campo delle malattie rare hanno rappresentato il 30,6% del totale (187 su 611), con un arretramento del 7% rispetto al 2022. Sono però cresciute le sperimentazioni no profit internazionali, passate dall'unico studio del 2022 ai 14 del 2023 (dallo 0,4% al 7,5%), mentre le profit internazionali rimangono sopra l'80%.

Promotori profit e no profit

In generale, nel quadriennio 2020-2023, in Italia sono state autorizzate 2.764 sperimentazioni, con una netta prevalenza di promotori profit. Nel 2023, l'82,7% degli studi clinici approvati (505) è stato promosso da aziende farmaceutiche, contro il 17,3% (106) da ospedali, università, Irccs, associazioni

scientifiche, Fondazioni, Asl. Si riduce la forbice rispetto al 2022, quando gli studi profit hanno raggiunto il picco dell'85%, con il crollo di quelli no profit al minimo storico (15%). La quota di sperimentazioni profit resta predominante, ma i dati del 2023 suggeriscono un possibile riequilibrio tra i due settori, con una lieve ripresa del contributo del no profit, cruciale - sottolinea il report - per garantire una maggiore diversificazione negli obiettivi di ricerca clinica. Infine, nel 2023 sono stati avviati anche 19 programmi di uso compassionevole, di cui 4 hanno riguardato indicazioni oncologiche.

Il trend degli ultimi 20 anni

Il Rapporto ricostruisce anche l'andamento delle sperimentazioni cliniche autorizzate dal 2000 al 2023. Dopo il quadriennio 2006-2009, nel quale il numero di autorizzazioni si è attestato costantemente sopra le 750, con il picco delle 880 nel 2008, nel decennio seguente si è rimasti intorno a 600-700. L'adozione crescente di trial "complessi", che accorpano in una sola sperimentazione due o più studi che in passato sarebbero stati presentati individualmente, sembra aver contribuito - spiega il Rapporto - alla riduzione del numero complessivo di studi presentati. Il 2021 ha rappresentato un anno eccezionale, con 818 trial, tornando a livelli che non si registravano da oltre un decennio. Il dato riflette la voglia del settore di recuperare il tempo perso a causa della pandemia. Negli ultimi due anni, i numeri sono tornati nella media e, in particolare, il 2023 ha segnato un calo del 7,8% rispetto al 2022, una tendenza comune a molti Stati dell'UE. Questa riduzione sembra riflettere proprio l'impatto del nuovo modello gestionale introdotto dal Regolamento 536/2014, che ha richiesto un inevitabile periodo di adattamento.