

I tempi di approvazione dei nuovi farmaci: FDA versus EMA

Downing NS, Zhang AD, Ross Joseph S
Regulatory review of new therapeutic agents: FDA versus EMA, 2011-2015
 N Engl J Med 2017; 376: 1386-1387

In una lettera all'editore del *New England Journal of Medicine*, Nicholas S Downing, Audrey D Zhang e Joseph S Ross, ricercatori presso le School of Medicine di Yale e la New York University, affrontano il tema delle pressanti richieste da tempo rivolte alla Food and Drug Administration (FDA) affinché acceleri i tempi di valutazione e approvazione dei nuovi farmaci.

Gli estensori prevedono che questo argomento sarà oggetto di un rinnovato dibattito pubblico, dato che a settembre 2017 verrà approvato dal Congresso degli Stati Uniti il V Prescription Drug User Fee Act (PDUFA) che riguarda anche, ma non solo, le procedure di approvazione dei nuovi farmaci. Secondo gli autori il dibattito e la decisione finale, relativamente all'eventuale revisione delle procedure, dovrebbero basarsi sulle evidenze e a questo scopo forniscono una breve sintesi dei risultati di un loro recente lavoro di confronto tra i tempi di approvazione dei nuovi farmaci dell'FDA e dell'European Medicines Agency (EMA) tra il 2011 e il 2015.

METODO

Lo studio, i cui principali risultati vengono esposti nella lettera, ha avuto come obiettivo il confronto tra tempi di valutazione e approvazione di nuovi agenti terapeutici da parte di diverse Agenzie regolatorie dal 2011 al 2015. Si tratta della prosecuzione di un'analisi già svolta dagli autori tra il 2001 e il 2010, che si basa su una metodologia di raccolta e studio dei dati simile (Downing NS, Aminawung JA, Shah ND et al, *Regulatory review of novel therapeutics: comparison of three regulatory agencies*, N Engl J Med 2012; 366: 2284-93).

Tutti i nuovi agenti terapeutici approvati dall'FDA e dall'EMA tra il 2011 e il 2015 sono stati raggruppati in base all'area terapeutica e all'eventuale status di farmaci orfani. Gli autori hanno

quindi estratto le varie date di approvazione e hanno confrontato la mediana, calcolata sul numero totale dei giorni di revisione prima della approvazione del farmaco.

RISULTATI

Nel periodo considerato l'FDA ha approvato 170 nuovi agenti terapeutici mentre l'EMA ne ha approvati 144. Le aree terapeutiche dei farmaci approvati sono state simili, ma l'FDA approva più farmaci orfani rispetto all'EMA (43,5% vs 25,0%; $p < 0,001$). La mediana dei tempi totali di revisione è di 306 giorni per l'FDA e di 383 giorni per EMA. I tempi di revisione sono stati più brevi da parte dell'FDA per i farmaci oncologici e per quelli dedicati alle malattie ematologiche, ma non per altre aree terapeutiche, e per i farmaci orfani.

Su un totale di 142 agenti terapeutici approvati da FDA e/o EMA, la mediana dei tempi di revisione è stata di 303 giorni all'FDA e di 369 all'EMA. Per i nuovi farmaci approvati tra il 2011 e il 2015 i processi di revisione da parte dell'FDA sono durati, in media, 60 giorni di meno rispetto a quelli dell'EMA. La differenza nei tempi totali di revisione tra i due enti regolatori è simile, se non addirittura più ampia, di quella che gli autori avevano rilevato nella precedente ricerca, che comparava i dati del periodo 2001-2010.

DISCUSSIONE

Gli autori della lettera concludono affermando che l'FDA, in molte aree, presenta procedure di revisione e approvazione più rapide rispetto all'EMA e che questo dovrebbe essere tenuto in considerazione nell'imminente dibattito per l'approvazione del nuovo PDUFA sulla necessità o meno di velocizzare ulteriormente i tempi di approvazione dell'agenzia americana. Alla prova dei fatti, le continue richieste di accelerazione di tali tempi non sembrerebbero giustificate da un'effettiva lentezza dell'ente regolatore americano nell'approvazione di nuovi agenti terapeutici.

Alessandra Lo Scalzo

Area Innovazione, Sperimentazione e Sviluppo
 Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali,
 Agenas