



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21 March 2019
EMA/187525/2019
Stakeholders and Communication Division

Abstract: Il farmaco del domani

Lettura alla Scuola Superiore

Il panorama dello sviluppo farmaceutico moderno si è evoluto in modo esponenziale negli ultimi decenni, in gran parte segnato dalle pietre miliari scientifiche tramite le quali si sono compresi i meccanismi molecolari di molte malattie. Le opzioni terapeutiche odierne si sono evolute da entità chimiche e prodotti biotecnologici altamente mirati a prodotti di terapia cellulare e genica, che recentemente hanno cominciato a essere prodotti commercialmente. E' probabile che a questo farà seguito una ancora più profonda trasformazione del panorama sanitario, integrando biotecnologia e genomica con la digitalizzazione, la generazione di nuovi dati, i metodi di produzione innovativi e i nuovi biomateriali. La così detta 'disruptive innovation' è destinata a guidare le terapie trasformative di domani. La trasformazione è in parte iniziata con la recente approvazione delle cellule CAR-T, cellule autologhe geneticamente modificate che hanno il potenziale di modificare le prospettive di terapia. Altri prodotti chiave saranno le nanomedicine e i dispositivi medici borderline, che incorporano terapie cellulari o tissutali con nuovi biomateriali impiantabili. Le potenti tecnologie di gene-editing come CRISPR spingeranno l'innovazione ancora più avanti e, se dimostrate sicure, potranno potenzialmente eliminare alcune malattie genetiche rare. La 'disruptive innovation' vedrà un ritorno a singoli prodotti su misura, personalizzati per il profilo genomico di un paziente specifico. Alcune fasi di produzione si svolgeranno in apparecchiature portatili monouso, in luoghi decentrati o anche al letto di degenza. Requisiti flessibili per il controllo della produzione e per il rilascio dei lotti dovranno essere attentamente bilanciati con la protezione del paziente. Nuovi approcci di produzione avanzata utilizzati oggi per le medicine chimiche potrebbero rendere più efficiente la produzione di prodotti biologici, abbassandone il costo, se i progressi nelle tecnologie bioanalitiche riusciranno a soddisfare gli standard normativi.

Le medicine di domani includeranno farmaci generici, probabilmente "generici complessi", cioè combinazioni dispositivo medico-farmaco generico. I medicinali fuori brevetto attualmente concessi in licenza per determinate indicazioni saranno riutilizzati per nuove indicazioni in aree in cui le esigenze mediche sono insoddisfatte, combinando dati esistenti, come quelli derivanti dall'uso 'off-label', con nuovi dati provenienti da situazioni di vita reale. Sono in corso sforzi per garantire che l'armamentario terapeutico di domani includa nuovi agenti antibatterici per combattere il problema sempre crescente della resistenza antimicrobica e nuovi vaccini contro le minacce emergenti per la salute. Le terapie di domani continueranno a fare affidamento su molti trattamenti esistenti che si sono dimostrati fondamentali per la salute pubblica, incluse le medicine essenziali da usare nei Paesi coperti dall'Organizzazione Mondiale per la Sanità.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Lo sviluppo farmaceutico dovrà trovare modi innovativi per generare dati sulla sicurezza e sull'efficacia, dalla fase preclinica alle sperimentazioni cliniche e alle situazioni di vita reale. Studi clinici con disegno innovativo, nuovi biomarcatori e nuovi endpoints renderanno lo sviluppo più efficiente e mirato per i pazienti. La raccolta di dati dopo l'approvazione sulla sicurezza e sull'efficacia sarà arricchita con dati riportati dai pazienti attraverso la tecnologia indossabile. Modelli validati per l'analisi di grossi quantitativi di dati non strutturati diventeranno la norma, guidati dall'intelligenza artificiale o dall'informatica cognitiva. E questo, molto probabilmente, sarà d'aiuto al processo decisionale normativo.

I farmaci di oggi sollevano considerazioni su come garantirne l'accesso, sulla necessità di nuovi modelli di valutazione della loro efficacia e sicurezza, sui finanziamenti e infrastrutture necessari al loro sviluppo e sulle appropriate competenze e modelli aziendali. Questi aspetti saranno sempre più importanti per le medicine di domani, poiché i sistemi sanitari sono in gran parte impreparati ai cambiamenti trasformativi che ci aspettano.

Le principali forze che determineranno i farmaci di domani, tra cui l'era "omica", la digitalizzazione e i big data, la sostenibilità dei sistemi sanitari e la tendenza alla convergenza normativa internazionale, implicano che i paradigmi normativi saranno ulteriormente messi alla prova. Avanzare in tale direzione non sarà possibile senza incorporare ulteriormente nel tessuto normativo pazienti, operatori sanitari, accademici, organismi di valutazione delle tecnologie sanitarie e politici. I fattori chiave per il successo nello sviluppo di farmaci innovativi continueranno a essere: mantenere la porta ben aperta a un controllo scientifico indipendente e assicurare che la società civile possa comprendere e agire sui messaggi di sanità pubblica.

Le medicine di domani richiederanno che sistemi normativi e competenze evolvano in parallelo, per raggiungere un ragionevole equilibrio tra la promozione dell'innovazione e una rigorosa valutazione scientifica. Per riuscire ad anticipare le sfide normative e favorire i progressi scientifici, i regolatori dovranno essere al centro dell'innovazione, senza dimenticare il loro ruolo essenziale di salvaguardia della salute pubblica.