

Oltre l'Orizzonte: Innovazione Farmaceutica tra Tempeste Geopolitiche e Nuove Cure

Resoconto dell'intervento del Dr. Renato Dellamano al 19° Corso Didattico SIARV

Roma, 27 maggio 2026

Introduzione

In occasione del 19° Corso Didattico SIARV (Società Italiana Attività Regolatorie, Accesso e Farmacovigilanza), il Dr. Renato Dellamano (Presidente di ValueVector S.r.l.) ha tenuto una relazione dal titolo *"Oltre l'orizzonte: innovazione farmaceutica tra tempeste geopolitiche e nuove cure"*. L'intervento ha offerto un'analisi strategica dei profondi mutamenti che stanno ridefinendo il panorama globale del *Market Access*, della ricerca clinica e delle politiche regolatorie, delineando le sfide cruciali per i professionisti del settore e per il Sistema Sanitario Nazionale (SSN).

L'analisi si è articolata su tre direttrici fondamentali:

1. **L'aggravarsi delle disegualianze nell'accesso ai farmaci innovativi in Europa.**
2. **L'evoluzione globale della R&S e della ricerca clinica, trainata dall'ascesa della Cina e dalle tecnologie emergenti.**
3. **Le pressioni geopolitiche ed economiche internazionali sui sistemi di *pricing* e rimborso.**

1. Disegualianze nell'Accesso alle Terapie Innovative e le Insidie del JCA

I dati del W.A.I.T. Indicator 2025/2026

Facendo riferimento ai dati più recenti dell'analisi EFPIA/IQVIA (*W.A.I.T. Indicator*), il Dr. Dellamano ha evidenziato un peggioramento progressivo e drammatico dei tempi e della pienezza d'accesso nell'Unione Europea:

- **Mancata disponibilità:** Il 49% dei farmaci approvati con procedura centralizzata a livello europeo nel 2025 non è ancora disponibile a livello locale (contro il 46% del 2019).
- **Accesso ristretto:** Per i farmaci disponibili, la quota con limitazioni di rimborsabilità (limitata a sottopopolazioni) è raddoppiata, passando dall'11% del 2019 al 22% nel 2025.

- **Crollo della piena disponibilità:** I farmaci pienamente disponibili nell'ambito dei sistemi di rimborso pubblico sono crollati dal 42% (2019) al 28% (2025).
- **Tempi di attesa estesi:** Il tempo medio europeo per l'accesso ha raggiunto i **597 giorni** (rispetto ai 504 giorni del 2019), con estremi che vanno dai **56 giorni della Germania** ai **1.201 giorni della Romania**.
- **Posizionamento dell'Italia:** L'Italia si colloca al terzo posto in Europa per tasso di disponibilità complessiva (79%), dietro a Germania (93%) e Austria (85%), distanziando Paesi virtuosi o "frugali" come Danimarca (55%), Paesi Bassi (54%) e Svezia (49%).

Le incognite del Joint Clinical Assessment (JCA)

Sebbene il Regolamento europeo sull'*Health Technology Assessment* (HTA) e le relative procedure di *Joint Clinical Assessment* (JCA) nascano con l'intento di accelerare l'accesso, emergono criticità operative importanti:

1. **Tempistiche di rilascio:** Il report JCA viene completato fino a 30 giorni *dopo* l'approvazione della Commissione Europea (EC Approval).
2. **Effetto "collo di bottiglia":** Alcuni Paesi (es. Paesi Bassi) avviano le valutazioni nazionali solo dopo la pubblicazione formale del JCA Report, rischiando di dilatare ulteriormente i tempi anziché abbreviarli.
3. **Sovrapposizione con le valutazioni dei farmaci orfani:** Dal 2028 i farmaci orfani rientreranno nella procedura JCA. In Italia, storicamente, era possibile sottoporre il dossier di Prezzo e Rimborso (P&R) subito dopo l'opinione positiva del CHMP. Il ritardo nell'allineamento con il report JCA rischia di compromettere questa via accelerata nazionale.

2. Il Nuovo Mappamondo della R&S e l'Impatto Tecnologico

Lo spostamento dell'asse clinico verso la Cina

L'asse della sperimentazione clinica si sta spostando radicalmente verso la Cina:

- **Volume dei trial:** Dati pubblicati sul *Journal of Clinical Epidemiology* evidenziano come nel 2023 la Cina abbia registrato **16.612 trial totali** (di cui 7.798 RCT), superando nettamente gli Stati Uniti (9.100 trial totali, 4.619 RCT).
- **Quota europea in contrazione:** L'Europa (EEA) rappresenta ormai solo il **9%** dei nuovi trial avviati globalmente, a fronte del 17% del Nord America e del 29% della Cina.

- **Driver del successo cinese:** Un report McKinsey del 2026 individua i fattori di forza della Cina nei minori costi e nella straordinaria velocità di reclutamento dei pazienti e nell'esecuzione. Tali risultati sono il frutto di investimenti sistematici e pluriennali nella formazione di capitale umano e nelle competenze STEM.
- **Conformità agli standard internazionali:** La Cina ha pienamente integrato le linee guida ICH (tra cui la Good Clinical Practice ICH E6(R3)) e partecipa attivamente al Management Committee dell'ICH dal 2018, garantendo uno standard qualitativo elevato e sovrapponibile a quello occidentale.

I tre trend che trasformano la Ricerca Clinica

1. **Intelligenza Artificiale (IA):** L'uso dell'IA offre grandi opportunità, ma comporta il rischio di "cantonate" se usata in modo acritico. L'interazione tra intelligenza umana qualificata e algoritmi rimane determinante nell'analisi e interpretazione dei dati. Inoltre, la Cina vanta un vantaggio competitivo tecnologico ed energetico cruciale per alimentare i data center richiesti dall'IA.
2. **Real World Evidence (RWE):** La sfida principale della RWE risiede nella *tempestività*. Generare evidenze di qualità richiede tempo; occorre sviluppare metodologie che consentano di integrare i dati RWE già nelle fasi primarie di Market Access e non anni dopo le decisioni di P&R.
3. **Patient-Reported Outcomes (PROs):** L'integrazione della prospettiva del paziente sta cambiando gli *endpoint* dei trial, ponendo alle agenzie di HTA la sfida di valorizzare in modo oggettivo questi parametri nelle decisioni di rimborso.

3. Pressioni Geopolitiche e Sostenibilità Economica

L'Accordo UK-USA sul Pricing Farmaceutico (Aprile 2026)

Un evento di rottura nello scenario internazionale è rappresentato dall'accordo siglato il 2 aprile 2026 tra Regno Unito e Stati Uniti, spinto da minacce di dazi sulle esportazioni farmaceutiche britanniche verso gli USA. L'accordo prevede:

- L'impegno del Regno Unito a **raddoppiare la spesa per i nuovi farmaci**, portandola dallo 0,3% del PIL nel 2026 allo 0,6% entro il 2036.
- Un **incremento immediato del 25% del prezzo netto** pagato dall'NHS per i nuovi medicinali.

- L'innalzamento delle soglie di costo-efficacia del NICE da £20.000-£30.000 a **£25.000-£35.000/QALY**.
- Il divieto di neutralizzare tali aumenti attraverso meccanismi di clawback o schemi statutari.

Questo precedente evidenzia come le dinamiche di commercio estero e le pressioni statunitensi (incluse le politiche di *Most Favored Nation*) stiano condizionando direttamente i sistemi sanitari locali.

La situazione italiana: tetti di spesa e risorse strutturali

In Italia, le criticità sono aggravate da tetti di spesa farmaceutica storicamente sottostimati e calibrati su dati storici incongrui. Il Dr. Dellamano ha sottolineato la sterilità del "gioco delle tre tavole" (lo spostamento continuativo di risorse tra spesa convenzionata, acquisti diretti e fondi per farmaci innovativi) in un sistema con un deficit strutturale di budget e di personale sanitario (medici e infermieri).

Intervista al Dr. Renato Dellamano: Approfondimenti e Scenari per il Settore

A margine della sua relazione, abbiamo rivolto al Dr. Dellamano alcune domande per approfondire l'impatto pratico di queste trasformazioni globali sulle attività regolatorie, di market access e di programmazione sanitaria in Italia e in Europa.

D: Dr. Dellamano, durante la sua presentazione ha tracciato un quadro di profondo e rapido cambiamento geopolitico e normativo. Al di là dell'annoso tema dell'aumento delle risorse per la sanità, qual è oggi la priorità numero uno per l'Italia e per l'AIFA nell'impostare un assetto regolatorio davvero innovativo?

R: Fermo restando il nodo fondamentale delle risorse finanziarie e umane necessarie per rafforzare la struttura del nostro Servizio Sanitario Nazionale, dobbiamo innanzitutto chiederci come riacquistare competitività. Dobbiamo focalizzarci sullo sviluppo di nuovi farmaci che rispondano ai bisogni effettivi della società. Non possiamo più ragionare in termini puramente nazionali, ma dobbiamo guardare all'Europa. L'Europa era all'avanguardia nelle terapie avanzate; oggi la Cina ci ha già superato per numero di terapie avanzate in sviluppo. Questo è un punto cruciale: l'Europa rischia di diventare una colonia. Già oggi dipendiamo criticamente da Cina e India per i principi attivi. Servono cambiamenti epocali nelle priorità politiche europee per evitare di accumulare ulteriori ritardi tecnologici, produttivi e nelle forniture dei farmaci.

D: In questo scenario globale in evoluzione, come si proiettano tali dinamiche sul nostro contesto nazionale e sull'industria farmaceutica italiana? Quali sono le principali aree di crisi da monitorare?

R: Il rischio principale per l'Italia è subire passivamente decisioni prese altrove, con pochissime possibilità di reagire. Penso, ad esempio, alle pressioni statunitensi legate all'iniziativa *Most Favored Nation*. Questo meccanismo sta già spingendo alcune multinazionali a rivalutare i lanci in Europa, temendo che prezzi europei contenuti possano impattare negativamente sul mercato americano. Potremmo assistere a ritardi crescenti nel lancio dei prodotti o persino alla scelta di non sottomettere del tutto alcuni dossier in Europa. Inoltre, vedo un progressivo svuotamento della ricerca clinica in Europa e in Italia: molte aziende scelgono di condurre i trial prima in Cina e poi, forse, in Occidente. Sebbene la Spagna stia tenendo il passo meglio di noi, l'intera Unione Europea sta arretrando rispetto a treni che viaggiano a velocità nettamente superiori.

D: A proposito del nuovo impianto europeo di Health Technology Assessment, è uscito il primo report JCA per un farmaco orfano. Dal confronto con il relativo EPAR si nota una forte enfasi sui rischi rispetto ai benefici. Il JCA rischia di sottovalutare i benefici clinici o di adottare un atteggiamento eccessivamente penalizzante per le malattie rare?

R: Non credo che i report JCA svaluteranno benefici clinici ben documentati. La differenza risiede negli obiettivi: l'attenzione del CHMP è concentrata primariamente sul rapporto beneficio/rischio del singolo farmaco, mentre il report JCA punta a metterne a confronto l'evidenza clinica con i dati degli *standard of care* già esistenti. Per i farmaci orfani la vera criticità risiede proprio nella difficoltà di condurre confronti diretti o indiretti solidi rispetto alle terapie disponibili. Se questi confronti mancano o sono deboli, il rischio non è tanto la sottostima del beneficio in sé, ma l'incapacità di dimostrare il "beneficio significativo" rispetto alle terapie pre-esistenti, dimostrazione richiesta sia per mantenere la designazione di farmaco orfano che per ottenere il rimborso.

D: Nonostante queste complessità burocratiche, diverse aziende europee e italiane — come Chiesi o Angelini — continuano a investire massicciamente nelle malattie rare, puntando forte sul mercato nordamericano. È una scommessa sostenibile nel lungo termine?

R: Avere una presenza diretta sul mercato statunitense è oggi fondamentale per qualsiasi azienda farmaceutica. Nonostante le incertezze legate alle politiche di *pricing* e alla *Most Favored Nation*, l'importanza degli USA è enorme, a maggior ragione nell'ambito delle malattie rare. Ciò è dovuto alla vastità del bacino d'utenza potenziale a fronte di un mercato europeo frammentato in singoli contesti nazionali. Pertanto, puntare sugli Stati Uniti non è solo una scommessa, ma una necessità strategica.

D: Passando al tema della sperimentazione clinica e della qualità, molti trial vengono ormai condotti in Cina. Possiamo ritenere questi studi qualitativamente sovrapponibili a quelli condotti in Europa o negli USA in termini di compliance e audit?

R: Assolutamente sì. La Cina ha aderito pienamente alle linee guida dell'ICH e le sta implementando in modo rigoroso. La *National Medical Products Administration* (NMPA) cinese ha aggiornato la propria normativa sulla Buona Pratica Clinica incorporando standard internazionali come l'ICH E6(R3). Ricordo che dal 2018 la NMPA fa parte del Management Committee dell'ICH, per cui gli studi condotti in Cina seguono linee guida internazionali riconosciute.

D: Vista la pervasività dell'Intelligenza Artificiale nella ricerca, non ritiene che sarebbe necessaria un'armonizzazione globale del suo utilizzo nella R&S, coinvolgendo anche la Cina negli standard ICH?

R: Sono pienamente d'accordo. Come evidenziato, l'interazione tra intelligenza umana ed intelligenza artificiale è cruciale per evitare errori e interpretazioni errate dei dati. Poiché la Cina è già ampiamente inserita nei processi ICH, mi aspetto e auspico che in futuro sia sempre più coinvolta anche nella definizione delle regole e dei protocolli di governance per l'impiego dell'IA nella R&S.

D.: Da quanto presentato, emerge che, nonostante tutto, l'Italia mette a reale disposizione dei pazienti i farmaci in tempi migliori e, soprattutto, che una percentuale decisamente più alta di nuovi farmaci conseguono l'accesso rispetto a quanto visto per la maggior parte degli altri Paesi Europei. Non si può, sulla base di questo dato, mitigare le critiche verso le Autorità Italiane?

R.: Sono assolutamente d'accordo: almeno finora, l'Italia emerge come un paese in cui si tende a rimborsare di più rispetto a quasi tutti gli altri paesi Europei; la probabilità di ottenere l'accesso è, storicamente, più alta rispetto a paesi quali la Francia, la Spagna, quasi tutti gli altri paesi UE ed il Regno Unito ed i tempi delle procedure di prezzo e rimborso sono più contenuti rispetto a quanto emerge per la maggioranza degli altri paesi. Per quanto riguarda il futuro, vi sono sicuramente margini di miglioramento per quanto riguarda i tempi di valutazione, mentre resta da vedere se la tendenza storica positiva riguardo l'accesso alle nuove terapie sarà confermata.

Conclusioni e Prospettive per i Professionisti di Regolatorio e Market Access

L'analisi svolta dal Dr. Dellamano traccia un quadro chiaro: per i professionisti di **Regulatory Affairs e Market Access**, la dimensione puramente locale o nazionale non è più sufficiente per comprendere ed orientare le dinamiche di accesso alle cure.

Guardando al futuro, emergono tre direttrici d'azione per il settore:

1. **Evoluzione delle competenze interne:** Le funzioni aziendali devono sviluppare un'elevata capacità d'interpretazione anticipatoria delle procedure di HTA europea (JCA), dell'integrazione di dati di *Real World Evidence* tempestivi e di un uso consapevole dell'Intelligenza Artificiale applicata ai dati clinici.
2. **Visione d'insieme e flessibilità strategica:** Le strategie locali di Prezzo e Rimborso devono inserirsi in una visione globale. È indispensabile valutare in anticipo le ricadute d'accesso legate agli accordi internazionali (come quelli tra USA e UK o le dinamiche di *Most Favored Nation*) che influenzano le scelte delle case madri sui tempi di lancio e la prioritizzazione dei mercati.
3. **Superamento della logica dei tetti di spesa:** Per le istituzioni nazionali e per l'AIFA, la sfida consiste nel superare la mera gestione contabile del budget basata su storici sottostimati. Occorre allocare risorse adeguate al valore reale dell'innovazione, rispondendo ai bisogni di salute insoddisfatti e restituendo attrattività al sistema paese nell'attrazione di investimenti e sperimentazioni cliniche ad alto valore aggiunto.