

Food and drug administration: approvati 45 farmaci innovativi nel 2015

di Aifa



La Food and Drug Administration ha ricapitolato, come da tradizione, l'attività regolatoria dell'Agenzia dedicando un focus particolare alle approvazioni di nuovi farmaci compiute nel corso dell'anno appena concluso. Nel 2015, il Centro della FDA per la valutazione dei farmaci e della ricerca (CDER) ha approvato 45 farmaci innovativi, ovvero nuove entità molecolari (NME) registrate in qualità di New Drug Applications (NDAs) o come nuove terapie biologiche (Biologics License Applications - BLAs).

Ogni anno il CDER dell'FDA approva centinaia di nuovi farmaci, molti dei quali sono varianti di prodotti già esistenti, basti pensare alle nuove forme di dosaggio di prodotti già approvati o all'immissione in commercio di farmaci equivalenti in seguito alla scadenza della copertura brevettuale. I 45 nuovi farmaci cui fa riferimento l'FDA rientrano in un sottoinsieme più ristretto di quello delle nuove autorizzazioni, in quanto si tratta di medicinali che offrono una risposta a esigenze mediche non precedentemente soddisfatte o che contribuiscono a far progredire in maniera significativa l'offerta terapeutica per i pazienti e la salute pubblica in generale.

Tra il 2006 e il 2014 il CDER dell'FDA ha fatto registrare una media di 28 approvazioni di farmaci innovativi all'anno e, secondo quanto comunicato dall'FDA, le domande di nuove registrazioni si mantengono costanti nel tempo. Molti dei 45 farmaci approvati nel 2015 sono caratterizzati da un alto potenziale in termini di impatto sulla qualità delle terapie. 16 dei 45 innovativi autorizzati nel 2015 (ovvero il 36%) sono stati approvati come “first-in-class”, un ulteriore indicatore del carattere di innovatività di un farmaco. Questi medicinali presentano spesso meccanismi di azione diversi da quelli delle terapie esistenti

sul mercato. L'alto tasso di approvazione di “first-in-class” indica che il gruppo di innovativi autorizzati nel 2015 è composto da molti farmaci di questo tipo.

Secondo l'FDA tra i farmaci degni di nota in questo gruppo rientrano: Bridion, per l'inversione del blocco neuromuscolare indotto da alcuni tipi di anestesia; Ibrance, per il trattamento del cancro al seno metastatico e Praxbind, per invertire gli effetti anticoagulanti negativi causati da dabigatran.

Inoltre circa il 47% dei farmaci innovativi approvati nel 2015 (21 su 45) è stato autorizzato per il trattamento di malattie rare. Si tratta di un dato significativo perché i pazienti affetti da malattie rare hanno spesso poche opzioni di trattamento disponibili (in alcuni casi nessuna). Tra gli esempi di terapie per le malattie rare approvate nel 2015 l'FDA cita: Kanuma, finalizzato al trattamento del deficit di lipasi acida lisosomiale, una rara malattia genetica ereditaria che non permette all'organismo di produrre un enzima responsabile della metabolizzazione dei grassi e può portare a malattie epatiche, cardiovascolari e a danni agli organi potenzialmente letali; Orkambi, medicinale per la fibrosi cistica; Strensiq, una terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine nei pazienti con ipofosfatasia a insorgenza infantile e giovanile; Unituxin, indicato per il trattamento di pazienti pediatrici con alto rischio di neuroblastoma e Xuriden, per il trattamento di pazienti con oroticoaciduria ereditaria, una patologia che può causare anomalie del sangue (anemia, diminuzione della conta dei globuli bianchi, diminuzione della conta dei neutrofili), ostruzione delle vie urinarie, ritardo di crescita e ritardo nello sviluppo.

Tra gli ulteriori farmaci segnalati dall'FDA ci sono anche l'antibatterico Avycaz, per trattare le infezioni intra-addominali complicate e le infezioni del tratto urinario complicate, e il prodotto antifungino Cresemba, indicato nell'aspergillosi invasiva e nella mucormicosi invasiva. Inoltre, il CDER evidenzia anche i farmaci cardiovascolari Entresto, per trattare l'insufficienza cardiaca, e Corlanor, per ridurre l'ospedalizzazione causata dal peggioramento dell'insufficienza cardiaca. Tra i farmaci per l'ipercolesterolemia l'ufficio dell'FDA mette l'accento su Praluent, per il trattamento di pazienti affetti ipercolesterolemia familiare eterozigote difficile da trattare e Repatha, per il trattamento di questa stessa condizione così come dell'ipercolesterolemia familiare omozigote (una malattia rara).

Nel campo dell'oncologia il 2015 ha visto la registrazione di: Darzalex, Empliciti, Farydak, e Ninlaro, per il trattamento di pazienti affetti da mieloma multiplo; Alecensa e Tagrisso, per il trattamento di pazienti affetti da cancro del polmone non a piccole cellule; Cotellic, per il trattamento di alcuni pazienti con melanoma metastatico; Lonsurf, per il trattamento di pazienti affetti da carcinoma coloretale metastatico, e Yondelis, per il trattamento del carcinoma del tessuto molle. Approvazioni importanti dell'anno includono anche Viberzi, per il trattamento di pazienti affetti da sindrome dell'intestino irritabile con diarrea

(IBS-D), Veltassa, per il trattamento dell'iperkaliemia, e Daklinza, per il trattamento dell'epatite C cronica da virus genotipo 3.

27 su 45 farmaci innovativi (60%) sono stati inseriti in uno dei programmi concepiti dall'FDA per accelerare il processo registrativo: Fast Track, Breakthrough, revisione prioritaria, e/o approvazione accelerata. Ognuna di queste designazioni aiuta ad aumentare la velocità di sviluppo e autorizzazione dei medicinali ed è stata progettata per contribuire a portare dei farmaci di particolare importanza il più rapidamente possibile sul mercato.

© RIPRODUZIONE RISERVATA