



**LA SPERIMENTAZIONE CLINICA  
DEI MEDICINALI IN ITALIA**

**14° Rapporto nazionale  
2015**



*Agenzia Italiana del Farmaco*

**AIFA**





*Agenzia Italiana del Farmaco*

**AIFA**

# **LA SPERIMENTAZIONE CLINICA DEI MEDICINALI IN ITALIA**

**14° Rapporto nazionale  
Anno 2015**

Roma, dicembre 2015



# **Agenzia Italiana del Farmaco**

Direttore Generale *Luca Pani*

## **Gruppo di lavoro Rapporto Nazionale 2015**

*F. Cruciani, S. de Gregori, S. Petraglia, C. Ponti*

## **Elaborazione ed analisi dei dati, impaginazione e grafica**

*F. Cruciani, S. de Gregori*

## **Progettazione database interno AIFA ed elaborazione dati**

*C. Ponti*

## **Coordinamento**

*D. Gramaglia - S. Petraglia*

## **Ufficio Ricerca e Sperimentazione Clinica**

*G. Abbenda, P. Aita, F. Cruciani, C. Cupani, S. de Gregori, A. Galluccio, S. Giacomelli, F. Guglielmi, J. Ivanovic, M. Lastella, R. Maione, M. Marchetti, I. Pagano, C. Palermi, G. Pantè, G. Papello, S. Petraglia, C. Ponti, M. G. Privitera, S. Raimondo, A. Ranuncoli, C. Santini, R. Serafini, A. Venezia*

## **Assessor AIFA per la gestione e la valutazione degli studi clinici**

*M. P. Caleno, C. Ciceroni, A. Colatrella, F. Cuppone, M. Di Marzo, S. Di Segni, M.G. Evandri, P. Foggi, P. Folino Gallo, F. Galeotti, S. Galluzzo, D. Gramaglia, V. Mantua, O. Olimpieri, G. Pistritto, F. Rocchi, A. Tamburella, M.P. Trotta*

## **Fonti dei dati**

Ufficio Ricerca e Sperimentazione Clinica

EudraCT

Farmindustria

OsMed

---

## **14° Rapporto nazionale**

dati dal 1 gennaio al 31 dicembre 2014

disponibile sul Portale dell'Agenzia Italiana del Farmaco

<http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/pubblicazioni>

---

La riproduzione e la divulgazione dei contenuti del presente volume sono consentite fatti salvi la citazione della fonte e il rispetto dell'integrità dei dati utilizzati.





# Indice

## *Presentazione*

### **Quadro generale**

<i>Tabella</i>	1	Mercati farmaceutici mondiali – 2014		13
<i>Tabella</i>	2	Spesa farmaceutica pubblica per ATC 1° livello – 2014		14

### **Sperimentazioni cliniche**

<i>Tabella</i>	3	Sperimentazioni presentate nel 2014 per esito e fase	<i>NEW</i>	17
<i>Tabella</i>	4	Sperimentazioni concluse nel 2014 per esito		17
<i>Figura</i>	A	Sperimentazioni concluse nel 2014 per esito		18
<i>Tabella</i>	5	Sperimentazioni concluse nel 2014 per esito e fase		18
<i>Tabella</i>	6	Sperimentazioni autorizzate dall'Autorità competente		19
<i>Tabella</i>	7	Sperimentazioni per anno: confronto Unione Europea - Italia		19
<i>Tabella</i>	8	Sperimentazioni per anno e fase		20
<i>Figura</i>	B	Sperimentazioni per anno e fase		20
<i>Figura</i>	C	Sperimentazioni per anno e tipologia: monocentrica / multicentrica		20
<i>Figura</i>	D	Sperimentazioni monocentriche e multicentriche, nazionali e internazionali	<i>NEW</i>	21
<i>Figura</i>	D bis	Sperimentazioni monocentriche e multicentriche, nazionali e internazionali	<i>NEW</i>	21
<i>Figura</i>	E	Sperimentazioni nazionali monocentriche e multicentriche	<i>NEW</i>	22
<i>Figura</i>	E bis	Sperimentazioni nazionali monocentriche e multicentriche	<i>NEW</i>	22
<i>Tabella</i>	9	Sperimentazioni per tipologia della popolazione in studio		23
<i>Tabella</i>	10	Sperimentazioni per tipologia della popolazione in studio e fase	<i>NEW</i>	23
<i>Tabella</i>	11	Sperimentazioni per sesso della popolazione in studio		24
<i>Tabella</i>	12	Sperimentazioni per sesso della popolazione in studio e fase	<i>NEW</i>	24
<i>Tabella</i>	13	Sperimentazioni per età dei soggetti previsti		24
<i>Tabella</i>	14	Sperimentazioni per area terapeutica		25
<i>Tabella</i>	15	Sperimentazioni per tipologia di medicinale		26
<i>Tabella</i>	15 bis	Sperimentazioni per tipologia di medicinale	<i>NEW</i>	26
<i>Tabella</i>	16	Sperimentazioni in malattie rare per fase		27
<i>Tabella</i>	17	Sperimentazioni in malattie rare per Promotore profit / no profit, nazionali e internazionali	<i>NEW</i>	27
<i>Tabella</i>	18	Sperimentazioni per classificazione terapeutica e fase		28
<i>Tabella</i>	19	Sperimentazioni per anno e Promotore profit / no profit		29
<i>Figura</i>	F	Sperimentazioni per anno e Promotore profit / no profit		29
<i>Tabella</i>	20	Sperimentazioni per disegno dello studio		30
<i>Tabella</i>	21	Sperimentazioni per disegno dello studio - dettaglio		30
<i>Tabella</i>	22	Sperimentazioni per finalità		31
<i>Tabella</i>	23	Sperimentazioni con Scientific Advice per esito e fase	<i>NEW</i>	31

<b>APPENDICE</b>		Normativa & Formazione - Aggiornamenti		35
------------------	--	--	--	----



# Presentazione

Come negli anni precedenti la sezione finale del Rapporto nazionale sulle sperimentazioni cliniche è quella sull'aggiornamento normativo. Per il 2014, anno di riferimento per questo rapporto, in questa sezione c'è una sola voce. Il peso di questa voce a livello nazionale ed internazionale, non solo europeo, è però tale da riflettersi sull'intero rapporto e sull'intero sistema della ricerca italiana con un impatto che sarà di portata forse anche superiore a quello della normativa di Farmacovigilanza introdotta nel 2012 e che all'epoca fu definita uno *tsunami*.

Il 2014 è stato infatti l'anno di pubblicazione ed entrata in vigore del Regolamento 536/2014, che nella sua versione definitiva ha dato chiare indicazioni su come dovrà riorganizzarsi nei prossimi anni il sistema della ricerca clinica in Europa e, di conseguenza, in Italia. La gestione puramente nazionale della valutazione delle sperimentazioni cliniche sarà sostituita da un gestione coordinata a livello europeo, che richiederà l'applicazione di criteri e procedure condivise, con la necessità di ripensare di conseguenza criteri e meccanismi oggi in vigore nelle fasi di programmazione e valutazione delle sperimentazioni cliniche farmacologiche. Gli stakeholder stanno già valutando come adattare le proprie strategie ed organizzazioni per rispondere ai requisiti del nuovo Regolamento, ed anche gli Stati membri stanno lavorando attivamente per programmare le necessarie riorganizzazioni a livello nazionale. I dati dell'anno passato sono quindi uno spunto di riflessione fondamentale nell'ottica della pianificazione del cambiamento da affrontare e mettere in atto nei prossimi due anni.

Nel 2014 è stato inoltre attivato in Italia l'Osservatorio sulla Sperimentazione Clinica, che in qualità di strumento unico di gestione delle sperimentazioni cliniche sui farmaci pone l'Italia con qualche anno di anticipo in una situazione simile a quella disegnata dal Regolamento, con una gestione puramente telematica delle sperimentazioni. Il rodaggio della piattaforma telematica da ottobre 2014 e per i prossimi anni, ora che la data di implementazione del regolamento è stata comunicata con certezza più o meno precisa al dicembre 2017, è stato e sarà quindi utile per rendere l'OsSC pienamente efficiente e adeguato a sostenere a livello di interazione nazionale l'interfaccia con il portale europeo. Nel 2014 l'uso dell'OsSC è stato però marginale, in considerazione del numero limitato di studi inseriti, legato anche alla mancata conclusione del processo di riordino dei comitati etici. Il rapporto 2014 riflette quindi una gestione mista delle sperimentazioni, in gran parte ancora cartacea, ed in una situazione di transizione con un progressivo incremento del numero di comitati etici validati nell'OsSC stesso.

Guardando ai numeri, se i dati relativi al 2013 avevano dimostrato una generale tenuta dell'Italia nel settore delle sperimentazioni cliniche rispetto al resto d'Europa, i dati del 2014 mostrano addirittura una lieve tendenza all'aumento, con una ripresa generale anche sul totale delle sperimentazioni cliniche rispetto al resto d'Europa, sebbene le oscillazioni siano ridotte e necessitino di conferma negli anni successivi per trarre conclusioni più definitive. Un dato significativo per interpretare questi numeri, e non suscitare eccessivo entusiasmo, è rappresentato dalla ripresa delle sperimentazioni *no profit*, che nel 2013 avevano fatto registrare un crollo rispetto al 2012. Il dato isolato del 2013 sembra quindi effettivamente

riflettere la necessità di tempi più lunghi, per il settore *no profit*, per un adattamento pieno ai nuovi requisiti normativi e per recepire le modifiche normative entrate in vigore dal 2012, con la conseguente riorganizzazione del sistema dei comitati etici. L'aumento del numero totale delle sperimentazioni potrebbe pertanto riflettere, almeno in parte, questa ripresa delle sperimentazioni *no profit*, con le sperimentazioni *profit* sostanzialmente invariate. Oltre all'analisi di tipo numerico, questo dato è anche un segnale importante sul quale meditare in previsione dell'implementazione del Regolamento 536/2014, che non prevede norme speciali per le sperimentazioni *no profit*. In questo importante settore quindi sponsor e PI dovranno essere pronti ad applicare i necessari adattamenti con maggiore flessibilità e tempismo. Infatti, le difficoltà incontrate per l'implementazione della nuova normativa nazionale, che hanno portato a tempi lunghissimi e ben oltre le scadenze previste dalla norma per il riordino dei comitati etici, fanno temere analoghi tempi di reazione per l'adattamento del sistema alle nuove regole introdotte dal Regolamento 536/2014, regole ancora più stringenti e che impatteranno in misura ancora più significativa sull'attuale organizzazione nazionale.

La riorganizzazione non potrà prescindere inoltre da miglioramenti nell'efficienza della gestione delle sperimentazioni cliniche, in quanto ad una tempestiva autorizzazione dovrà far seguito un'altrettanta tempestiva attivazione delle sperimentazioni cliniche, ma questo è un dato che potrà essere valutato solo misurando nei prossimi anni l'incidenza delle sperimentazioni multicentriche internazionali, molto sensibili all'efficienza del sistema col quale devono necessariamente interagire.

La progressiva attivazione dell'OsSC ci ha portati quest'anno ad introdurre modifiche progressive nel report, che negli anni futuri si prevede di integrare e completare, per dare informazioni concrete e significative sul panorama delle sperimentazioni cliniche.

Va innanzitutto chiarito che il dato sulle sperimentazioni entrate non corrisponde a quello delle sperimentazioni valutate, essendo il processo di valutazione ed autorizzazione un processo continuo che si trasporta da un anno all'altro. Le 723 sperimentazioni cliniche presentate nel 2014 non si sono quindi tutte concluse entro l'anno ed una quota è passata in valutazione all'anno successivo.

L'elaborazione statistica dei dati si è però concentrata sul totale delle sperimentazioni concluse nel 2014, parte delle quali presentate probabilmente a fine 2013, essendo le sperimentazioni con valutazione conclusa quelle che effettivamente hanno potuto avere inizio nell'anno in esame.

Il numero totale ha presentato un lievissimo aumento rispetto al 2013, dato statisticamente non significativo, che se non ci può portare a parlare di aumento, almeno ci consente di confermare la tenuta dell'intero sistema. Siamo ancora lontani dai valori medi degli anni dal 2010 al 2012, anche se è interessante però l'aumento della percentuale sul totale europeo, che è il più alto degli ultimi cinque anni.

Andando a guardare nel dettaglio i dati, si può osservare la coerente progressività dello spostamento percentuale per quanto concerne la tipologia di farmaci coinvolti, che prelude ai cambiamenti significativi previsti per i prossimi anni nel panorama dello sviluppo farmacologico: c'è stato infatti un mantenimento sostanziale della percentuale di farmaci biologici biotecnologici e combinati biologico/chimico ed un raddoppio delle sperimentazioni con ATIMP. Il sistema sta portando all'arrivo di nuovi farmaci innovativi e *breakthrough therapies*, con grandi aspettative anche da parte dei pazienti, sempre più aggiornati sugli sviluppi in campo farmacologico. E' pertanto importante continuare a sostenere il sistema della ricerca in Italia, che consente il più ampio e precoce accesso a terapie innovative,

soprattutto nell'attuale contesto di diffuso accesso all'informazione che, in mancanza di alternative con un sufficiente grado di efficacia e sicurezza, rischierebbe di portare solo ad un aumento di richieste di accesso a speranze di cura mediante percorsi accelerati per patologie attualmente senza risposta. Queste scorciatoie, pericolose in quanto rivolte in maniera indiscriminata ad un accesso a farmaci di non ancora provata efficacia e sicurezza, dimenticando il ruolo essenziale della ricerca per dimostrare appunto efficacia e sicurezza e minando lo svolgimento di un corretto percorso di verifica, se amplificate e causate da carenze nel sistema della ricerca farmacologica in Italia, porterebbero ad una progressiva esclusione del nostro paese da sperimentazioni cliniche e ad un restringimento delle possibilità di accesso controllato a nuovi farmaci nell'ambito delle sperimentazioni cliniche. Anche nel 2014 la maggior parte delle sperimentazioni è stata infatti su pazienti, dato che supporta fortemente il ruolo delle sperimentazioni cliniche quali importante speranza di cura per i pazienti italiani.

Continua infatti la tendenza all'aumento delle sperimentazioni di fase I e II viste complessivamente, e il dato relativo alle sperimentazioni di fase III è costante, mentre sono in lieve calo le sperimentazioni di fase IV. La somma delle sperimentazioni di fase I e II supera però il dato totale delle sperimentazioni di fase III (46.8% e 43.6 rispettivamente per le sperimentazioni autorizzate): questo dato potrebbe confermare ulteriormente la tendenza di uno spostamento verso sperimentazioni cliniche per farmaci in via di sviluppo e potenzialmente innovativi. Questo dato è anche riflesso dall'alto numero di sperimentazioni non controllate (35.8%), approccio tipico degli studi esploratori di fase I e II.

Come già anticipato, si è registrato un aumento delle sperimentazioni *no profit* (più 5% rispetto al 2013). Sono aumentate anche le sperimentazioni monocentriche; va però considerato come di queste il 4% sia internazionale.

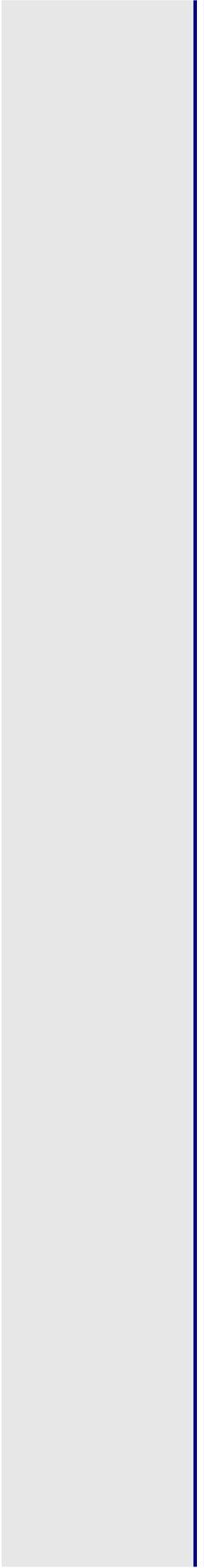
Un terzo circa delle sperimentazioni è su farmaci biologici/biotecnologici ed il dato delle sperimentazioni con ATIMP passa dall'1% al 2%.

Nel settore delle malattie rare le sperimentazioni relative alle fasi di sviluppo dei farmaci sono significativamente più numerose rispetto a quelle di fase IV, come prevedibile, mentre è interessante vedere come le sperimentazioni *profit* siano in totale il 75% delle sperimentazioni nella categoria della malattie rare, dato che fa sperare nel possibile aumento di domande di registrazione per farmaci mirati a trattare queste patologie.

Esaminando le sperimentazioni per categoria terapeutica è molto interessante vedere come le percentuali per classe terapeutica sono significativamente diverse rispetto ai dati di spesa per le medesime classi terapeutiche. La spesa per antineoplastici e immunomodulatori è oggi al 28.9%, mentre in questa classe si registra quasi la metà delle sperimentazioni presentate (47%); in particolare per sangue ed organi ematopoietici i dati percentuali relativi alle sperimentazioni sono doppi rispetto ai dati di incidenza percentuale sulla spesa farmaceutica. L'apparato cardiovascolare ha una spesa in percentuale 6 volte superiore rispetto alla percentuale delle sperimentazioni cliniche; i farmaci per l'apparato gastrointestinale e gli antiinfettivi presentano un dato di spesa in percentuale doppio rispetto al dato percentuale delle relative sperimentazioni cliniche. E dopo il grosso blocco delle sperimentazioni nell'area oncologica ed emato-oncologica, la prima classe terapeutica per incidenza di sperimentazioni è quella del sistema nervoso e non dell'apparato cardiovascolare, a differenza delle classifiche per la spesa.

Questi dati confermano quindi come la ricerca farmacologica si orienti costantemente verso i settori dove ancora c'è bisogno di individuare terapie efficaci. In conclusione, tutti i dati confermano la necessità di continuare a lavorare per rinforzare i segnali positivi, evitando il

rischio di far incancrenire i fattori che impattano negativamente sulle sperimentazioni cliniche e che comportano sempre il rischio di innescare un circolo negativo, con una contrazione finale degli investimenti e degli sviluppi nel settore che si è dimostrato il più attivo nel panorama dell'economia italiana. Per questo è importante partire dai dati incoraggianti di questo rapporto per programmare un rinnovamento ed una riorganizzazione dei comitati etici e dei centri sperimentali che sia adeguato alle nuove esigenze e complessità previsti. L'Italia è infatti il terzo paese europeo per spesa farmaceutica, sarebbe quindi logico sperare per i prossimi anni che anche gli investimenti in ricerca raggiungano proporzioni analoghe e che facciano onore alle eccellenze scientifiche e sanitarie espresse dal nostro paese. AIFA è impegnata in prima linea su questo fronte e continuerà a mettere in atto tutte le misure di propria competenza per garantire il massimo supporto alla ricerca clinica, coerentemente con la mission che persegue fin dalla propria istituzione.



## ***Quadro generale***



**Tabella 1**  
**Mercati farmaceutici mondiali – 2014**

<b>Paesi</b>	<b>Valori a ricavo industria (mln di euro)</b>	<b>%</b>
USA	284.933	42,0
Giappone	59.356	8,7
<b>Paesi Big UE</b>	<b>119.468</b>	<b>17,6</b>
Germania	33.873	5,0
Francia	29.504	4,3
<b>Italia</b>	<b>21.459</b>	<b>3,2</b>
Regno Unito	18.835	2,8
Spagna	15.798	2,3
<b>Paesi BRIC</b>	<b>88.407</b>	<b>13,0</b>
Cina	53.441	7,9
Brasile	17.980	2,6
India	9.255	1,4
Russia	7.732	1,1
Canada	15.702	2,3
Australia	9.125	1,3
Venezuela	6.903	1,0
Corea del Sud	6.082	0,9
Messico	5.624	0,8
Turchia	5.597	0,8
Polonia	5.239	0,8
Belgio	4.501	0,7
Svizzera	4.196	0,6
Argentina	3.950	0,6
Svezia	3.434	0,5
Austria	3.365	0,5
Portogallo	2.851	0,4
Taiwan	2.649	0,4
Romania	2.613	0,4
<i>Altri paesi</i>	45.170	6,7
<b>Totale Mondo</b>	<b>679.165</b>	<b>100,0</b>

Fonte: elaborazione su dati Farindustria ("Indicatori Farmaceutici", luglio 2015)

**Tabella 2**  
**Spesa farmaceutica pubblica per ATC 1° livello – 2014**

Classificazione terapeutica – ATC 1° livello	Fascia A SSN (mln di euro)	Acquisti strutture sanitarie pubbliche (mln di euro)	Totale spesa farmaceutica pubblica (mln di euro)	%
L Antineoplastici e immunomodulatori	252	3.647	3.899	19,5
C Sistema cardiovascolare	3.423	208	3.631	18,2
A Apparato gastrointestinale e metabolismo	1.988	602	2.590	13,0
J Antimicrobici generali per uso sistemico	887	1.573	2.460	12,3
B Sangue e organi emopoietici	548	1.322	1.870	9,4
N Sistema nervoso	1.396	473	1.869	9,4
R Sistema respiratorio	1.044	60	1.104	5,5
V Vari	66	514	580	2,9
G Sistema genito-urinario e ormoni sessuali	421	112	533	2,7
M Sistema muscolo-scheletrico	452	54	506	2,5
H Preparati ormonali sistemici, esclusi ormoni sessuali	191	297	488	2,4
S Organi di senso	223	110	333	1,7
D Dermatologici	60	22	82	0,4
P Antiparassitari, insetticidi e repellenti	13	1	14	0,1
<b>Totale</b>	<b>10.964</b>	<b>8.995</b>	<b>19.959</b>	<b>100,0</b>

Fonte: elaborazione su dati OsMed - Osservatorio Nazionale sull'Impiego dei Medicinali ("L'uso dei farmaci in Italia", Rapporto Nazionale Anno 2014)



## ***Sperimentazioni cliniche***



**Tabella 3**

**Sperimentazioni presentate nel 2014 per esito e fase**  
SC presentate: 723

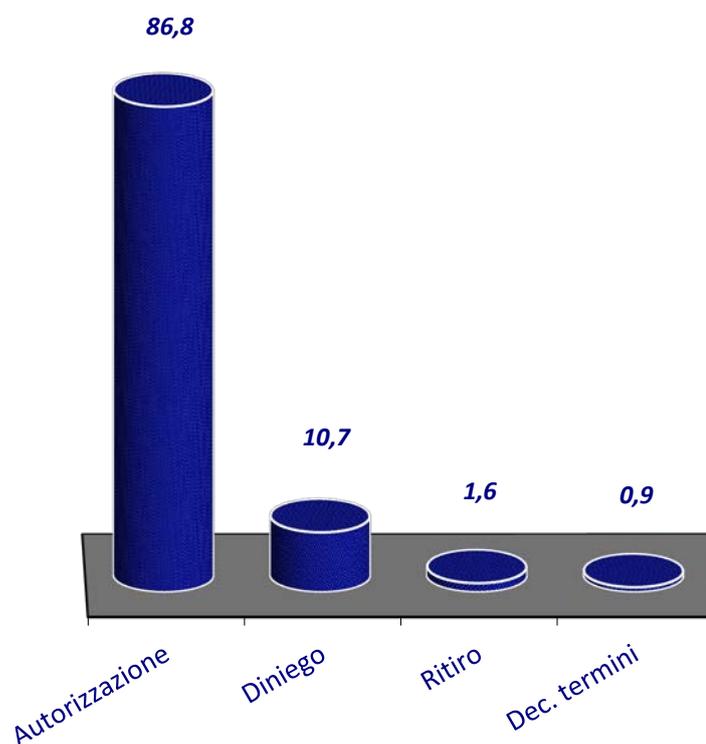
Esito	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioeq / Biod		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Autorizzazione	48	9,7	187	37,9	215	43,5	43	8,7	1	0,2	494	100,0
Diniego	1	1,8	24	42,9	23	41,1	8	14,3	0	0,0	56	100,0
Ritiro	2	22,2	5	55,6	1	11,1	1	11,1	0	0,0	9	100,0
Decadimento termini	0	0,0	0	0,0	0	0,0	4	100,0	0	0,0	4	100,0
Sospensione	0	0,0	3	100,0	0	0,0	0	0,0	0	0,0	3	100,0
In itinere	12	7,6	51	32,5	70	44,6	23	14,6	1	0,6	157	100,0
<b>Totale</b>	<b>63</b>	<b>8,7</b>	<b>270</b>	<b>37,3</b>	<b>309</b>	<b>42,7</b>	<b>79</b>	<b>10,9</b>	<b>2</b>	<b>0,3</b>	<b>723</b>	<b>100,0</b>

**Tabella 4**

**Sperimentazioni concluse nel 2014 per esito**  
SC valutate: 682

Esito	2014	
	SC	%
Autorizzazione	592	86,8
Diniego	73	10,7
Ritiro	11	1,6
Decadimento termini	6	0,9
<b>Totale</b>	<b>682</b>	<b>100,0</b>

**Figura A**  
**Sperimentazioni concluse nel 2014 per esito**  
 SC valutate: 682



**Tabella 5**  
**Sperimentazioni concluse nel 2014 per esito e fase**  
 SC valutate: 682

Esito	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioeq / Biod		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Autorizzazione	60	10,1	217	36,7	258	43,6	56	9,5	1	0,2	592	100,0
Diniego	2	2,7	30	41,1	31	42,5	9	12,3	1	1,4	73	100,0
Ritiro	2	18,2	7	63,6	1	9,1	1	9,1	0	0,0	11	100,0
Decadimento termini	1	16,7	0	0,0	0	0,0	5	83,3	0	0,0	6	100,0
<b>Totale</b>	<b>65</b>	<b>9,5</b>	<b>254</b>	<b>37,2</b>	<b>290</b>	<b>42,5</b>	<b>71</b>	<b>10,4</b>	<b>2</b>	<b>0,3</b>	<b>682</b>	<b>100,0</b>

Tabella 6

## Sperimentazioni autorizzate dall'Autorità competente

(parere unico favorevole rilasciato dal Comitato etico del centro coordinatore tra il 1° gennaio 2000 e il 31 dicembre 2012, contenute in OsSC, e autorizzazione rilasciata da AIFA a partire dal 2013)

Anno	SC
2000	557
2001	605
2002	560
2003	568
2004	624
2005	664
2006	778
2007	796
2008	880
2009	761
2010	670
2011	676
2012	697
2013	583
2014	592
<b>Totale</b>	<b>10.011</b>

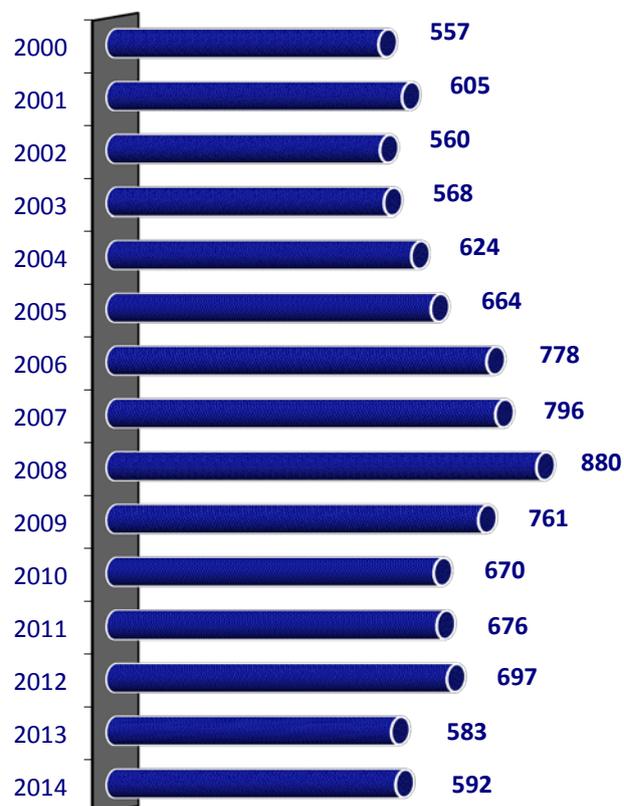


Tabella 7

## Sperimentazioni per anno: confronto Unione Europea - Italia (quinquennio)

Anno	SC in UE *	SC in Italia **	% Italia / UE
2010	4.153	670	16,1
2011	4.127	676	16,4
2012	3.943	697	17,7
2013	3.383	583	17,2
2014	3.249	592	18,2

Il numero di sperimentazioni cliniche nell'Unione Europea è stato ricavato dalle statistiche pubblicate sul sito EudraCT ("EudraCT supporting documentation" – "EudraCT statistics", <https://eudract.ema.europa.eu/document.html>).

Il numero di sperimentazioni cliniche in Italia è tratto dalla Tabella 6.

\* numero di studi caricati nel sistema europeo

\*\* numero di studi autorizzati dall'Autorità competente

Tabella 8

## Sperimentazioni per anno e fase

SC quinquennio: 3.218

Anno	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioeq / Biod		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
2010	53	7,9	250	37,3	283	42,2	79	11,8	5	0,7	670	100,0
2011	46	6,8	261	38,6	284	42,0	82	12,1	3	0,4	676	100,0
2012	41	5,9	258	37,0	308	44,2	87	12,5	3	0,4	697	100,0
2013	68	11,7	192	32,9	267	45,8	55	9,4	1	0,2	583	100,0
2014	60	10,1	217	36,7	258	43,6	56	9,5	1	0,2	592	100,0
<b>Totale</b>	<b>268</b>	<b>8,3</b>	<b>1.178</b>	<b>36,6</b>	<b>1.400</b>	<b>43,5</b>	<b>359</b>	<b>11,2</b>	<b>13</b>	<b>0,4</b>	<b>3.218</b>	<b>100,0</b>

Figura B

## Sperimentazioni per anno e fase

SC quinquennio: 3.218

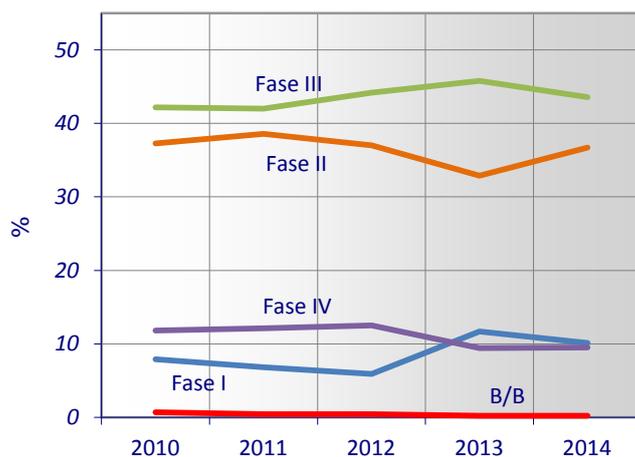
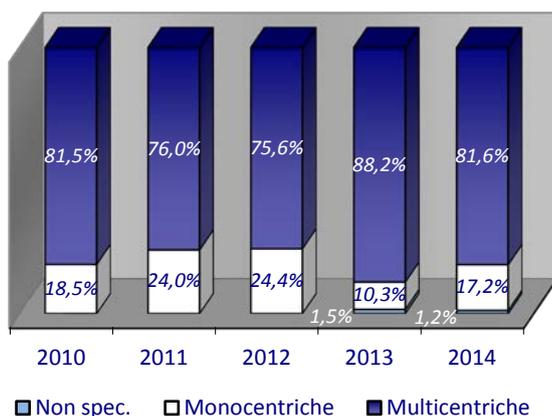


Figura C

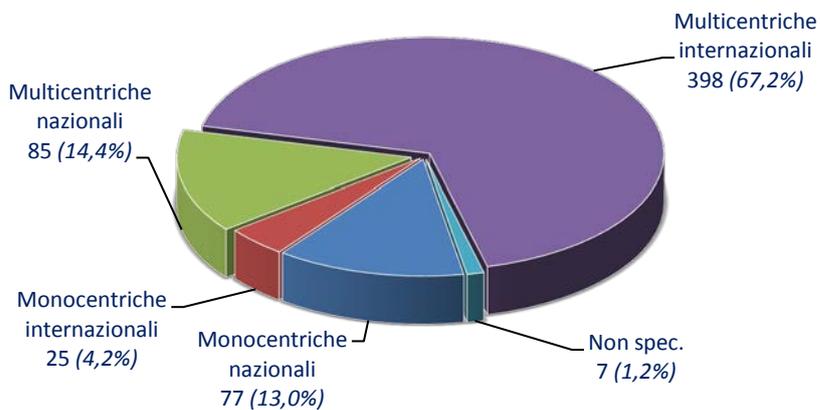
## Sperimentazioni per anno e tipologia: monocentrica / multicentrica

SC quinquennio: 3.218

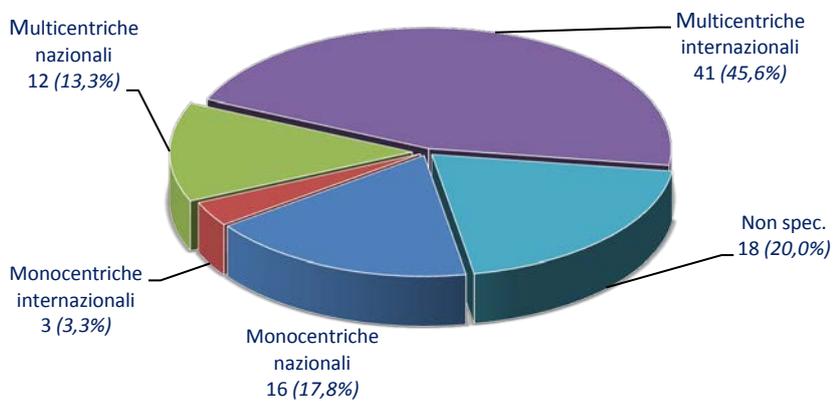


**Figura D**

**Sperimentazioni monocentriche e multicentriche, nazionali e internazionali**  
SC autorizzate nel 2014: 592

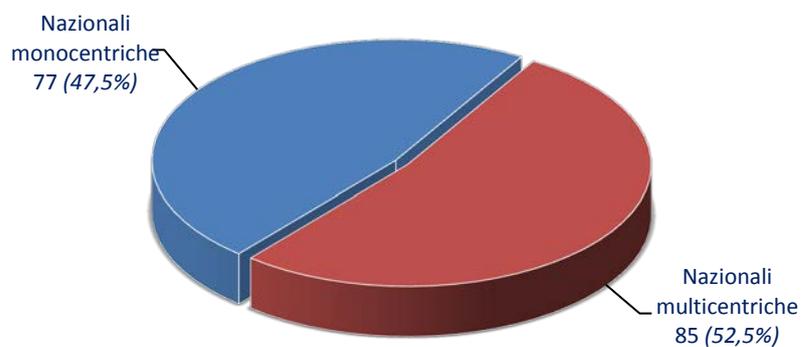
**Figura D bis**

**Sperimentazioni monocentriche e multicentriche, nazionali e internazionali**  
SC NON autorizzate nel 2014: 90  
(diniego, ritiro, decadimento termini)

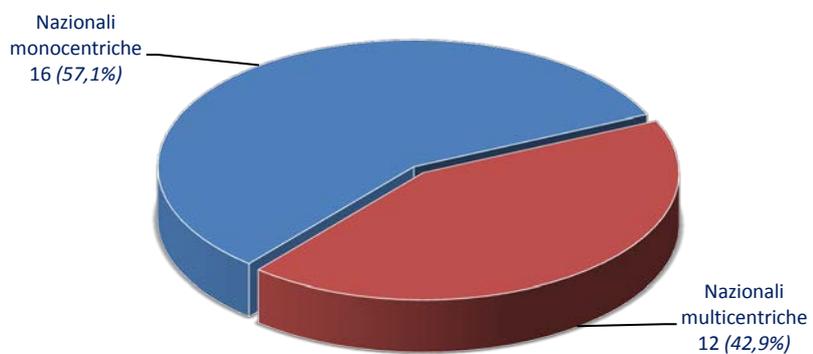


**Figura E****Sperimentazioni nazionali monocentriche e multicentriche**

SC nazionali autorizzate nel 2014: 162

**Figura E bis****Sperimentazioni nazionali monocentriche e multicentriche**SC nazionali **NON** autorizzate nel 2014: 28

(diniego, ritiro, decadimento termini)



**Tabella 9**

**Sperimentazioni per tipologia della popolazione in studio**  
SC autorizzate nel 2014: 592

Tipologia	2014	
	SC	%
Pazienti	570	96,3
Volontari sani	9	1,5
Pazienti e volontari sani	6	1,0
<i>Non specificato</i>	7	1,2
<b>Totale</b>	<b>592</b>	<b>100,0</b>

**Tabella 10**

**Sperimentazioni per tipologia della popolazione in studio e fase**  
SC autorizzate nel 2014: 592

Tipologia	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioeq / Biod		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Pazienti	54	9,5	215	37,7	250	43,9	51	8,9	0	0,0	<b>570</b>	<b>100,0</b>
Volontari sani	2	22,2	2	22,2	4	44,4	0	0,0	1	11,1	<b>9</b>	<b>100,0</b>
Pazienti e volontari sani	0	0,0	0	0,0	2	33,3	4	66,7	0	0,0	<b>6</b>	<b>100,0</b>
<i>Non specificato</i>	4	57,1	0	0,0	2	28,6	1	14,3	0	0,0	<b>7</b>	<b>100,0</b>
<b>Totale</b>	<b>60</b>	<b>10,1</b>	<b>217</b>	<b>36,7</b>	<b>258</b>	<b>43,6</b>	<b>56</b>	<b>9,5</b>	<b>1</b>	<b>0,2</b>	<b>592</b>	<b>100,0</b>

**Tabella 11**

**Sperimentazioni per sesso della popolazione in studio**  
SC autorizzate nel 2014: 592

Sesso	2014	
	SC	%
Femmine e maschi	513	86,7
Femmine	46	7,8
Maschi	28	4,7
<i>Non specificato</i>	5	0,8
<b>Totale</b>	<b>592</b>	<b>100,0</b>

**Tabella 12**

**Sperimentazioni per sesso della popolazione in studio e fase**  
SC autorizzate nel 2014: 592

Sesso	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioeq / Biod		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Femmine e maschi	48	9,4	187	36,5	229	44,6	48	9,4	1	0,2	<b>513</b>	<b>100,0</b>
Femmine	6	13,0	18	39,1	18	39,1	4	8,7	0	0,0	<b>46</b>	<b>100,0</b>
Maschi	2	7,1	12	42,9	10	35,7	4	14,3	0	0,0	<b>28</b>	<b>100,0</b>
<i>Non specificato</i>	4	80,0	0	0,0	1	20,0	0	0,0	0	0,0	<b>5</b>	<b>100,0</b>
<b>Totale</b>	<b>60</b>	<b>10,1</b>	<b>217</b>	<b>36,7</b>	<b>258</b>	<b>43,6</b>	<b>56</b>	<b>9,5</b>	<b>1</b>	<b>0,2</b>	<b>592</b>	<b>100,0</b>

**Tabella 13**

**Sperimentazioni per età dei soggetti previsti**  
SC autorizzate nel 2014: 592

Fasce di età	2014	
	SC	%
Adulti (18-64 anni)	521	88,0
Anziani (>= 65 anni)	457	77,2
Minori (< 18 anni)	82	13,9

I soggetti da arruolare possono ricadere in più fasce di età e quindi lo stesso studio può essere conteggiato più volte.

**Tabella 14**  
**Sperimentazioni per area terapeutica**  
 SC autorizzate nel 2014: 592

Area terapeutica	2014	
	SC	%
Neoplasie	230	38,9
Malattie del sistema nervoso	41	6,9
Malattie del sistema cardiovascolare	38	6,4
Malattie del sistema ematico e linfatico	36	6,1
Malattie delle vie respiratorie	23	3,9
Malattie del sistema immunitario	21	3,5
Malattie virali	21	3,5
Malattie del sistema muscoloscheletrico	19	3,2
Malattie del metabolismo e della nutrizione	17	2,9
Malattie e anomalie neonatali	14	2,4
Malattie della pelle e del tessuto connettivo	14	2,4
Infezioni batteriche e micotiche	13	2,2
Malattie dell'apparato digerente	13	2,2
Malattie del sistema endocrino	10	1,7
Anestesia e analgesia	8	1,4
Disturbi mentali	8	1,4
Fenomeni del sistema immunitario	8	1,4
Malattie dell'occhio	6	1,0
Fenomeni metabolici	5	0,8
Malattie dell'apparato urogenitale femminile e complicanze della gravidanza	5	0,8
Segni e sintomi di condizioni patologiche	5	0,8
Fenomeni genetici	3	0,5
Procedure chirurgiche operative	3	0,5
Fenomeni fisiologici neuronali e del muscolo scheletrico	3	0,5
Fenomeni fisiologici dell'apparato digerente e orale	2	0,3
Malattie dell'apparato urogenitale maschile	2	0,3
Fenomeni fisiologici dell'apparato circolatorio e respiratorio	2	0,3
Fenomeni fisiologici oculari	2	0,3
<i>Non specificato</i>	11	1,9
<i>Altro</i>	9	1,5
<b>Totale</b>	<b>592</b>	<b>100,0</b>

**Tabella 15****Sperimentazioni per tipologia di medicinale**

SC autorizzate nel 2014: 592

Tipologia	2014	
	SC	%
Principio attivo di natura chimica	394	66,6
Principio attivo di natura biologica/biotecnologica	167	28,2
ATIMP	12	2,0
Principio attivo di natura chimica e biologica/biotecnologica	10	1,7
<i>Non specificato</i>	9	1,5
<b>Totale</b>	<b>592</b>	<b>100,0</b>

**Tabella 15 bis****Sperimentazioni per tipologia di medicinale**SC NON autorizzate nel 2014: 90  
(diniego, ritiro, decadimento termini)

Tipologia	2014	
	SC	%
Principio attivo di natura chimica	56	62,2
Principio attivo di natura biologica/biotecnologica	15	16,7
ATIMP	0	0,0
Principio attivo di natura chimica e biologica/biotecnologica	1	1,1
<i>Non specificato</i>	18	20,0
<b>Totale</b>	<b>90</b>	<b>100,0</b>

Tabella 16

## Sperimentazioni in malattie rare per fase

SC autorizzate nel 2014: 592 di cui 139 (23,5%) in malattie rare

Fase	2014		
	SC	% su SC in malattie rare	% su SC autorizzate
Fase III	62	44,6	24,0
Fase II	54	38,8	24,9
Fase I	20	14,4	33,3
Fase IV	3	2,2	5,4
Bioeq / Biod	0	0,0	0,0
<b>Totale</b>	<b>139</b>	<b>100,0</b>	

Tabella 17

## Sperimentazioni in malattie rare per Promotore profit / no profit, nazionali e internazionali

SC autorizzate nel 2014: 592 di cui 139 (23,5%) in malattie rare

Tipo Promotore	Nazionali		Internazionali		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%
Profit	5	20,0	99	86,8	104	74,8
No profit	20	80,0	15	13,2	35	25,2
<b>Totale</b>	<b>25</b>	<b>18,0</b>	<b>114</b>	<b>82,0</b>	<b>139</b>	<b>100,0</b>

Tabella 18

## Sperimentazioni per classificazione terapeutica e fase

SC autorizzate nel 2014: 592 di cui 272 (45,9%) con ATC di almeno un farmaco in test specificato

Classificazione terapeutica ATC 1° livello	SC 2014	%	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioeq / Biod	
			SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
L Antineoplastici e immunomodulatori	136	46,9	17	12,5	61	44,9	46	33,8	12	8,8	0	0,0
B Sangue e organi emopoietici	33	11,4	0	0,0	8	24,2	19	57,6	6	18,2	0	0,0
N Sistema nervoso	21	7,2	0	0,0	4	19,0	9	42,9	7	33,3	1	4,8
A Apparato gastrointestinale e metabolismo	18	6,2	0	0,0	4	22,2	10	55,6	4	22,2	0	0,0
J Antimicrobici generali per uso sistemico	18	6,2	0	0,0	5	27,8	11	61,1	2	11,1	0	0,0
H Preparati ormonali sistemici, esclusi ormoni sessuali	14	4,8	2	14,3	9	64,3	3	21,4	0	0,0	0	0,0
V Vari	10	3,4	0	0,0	3	30,0	5	50,0	2	20,0	0	0,0
M Sistema muscolo-scheletrico	9	3,1	0	0,0	2	22,2	5	55,6	2	22,2	0	0,0
R Sistema respiratorio	9	3,1	0	0,0	1	11,1	5	55,6	3	33,3	0	0,0
C Sistema cardiovascolare	8	2,8	0	0,0	4	50,0	2	25,0	2	25,0	0	0,0
D Dermatologici	5	1,7	1	20,0	2	40,0	2	40,0	0	0,0	0	0,0
G Sistema genito-urinario e ormoni sessuali	5	1,7	0	0,0	1	20,0	3	60,0	1	20,0	0	0,0
S Organi di senso	3	1,0	0	0,0	0	0,0	1	33,3	2	66,7	0	0,0
P Antiparassitari, insetticidi e repellenti	1	0,3	0	0,0	1	100,0	0	0,0	0	0,0	0	0,0
<b>Totale</b>	<b>290</b>	<b>100,0</b>	<b>20</b>	<b>6,9</b>	<b>105</b>	<b>36,2</b>	<b>121</b>	<b>41,7</b>	<b>43</b>	<b>14,8</b>	<b>1</b>	<b>0,3</b>

La stessa sperimentazione può coinvolgere più farmaci in test e quindi essere conteggiata in diverse classificazioni ATC.

Tabella 19

## Sperimentazioni per anno e Promotore profit / no profit

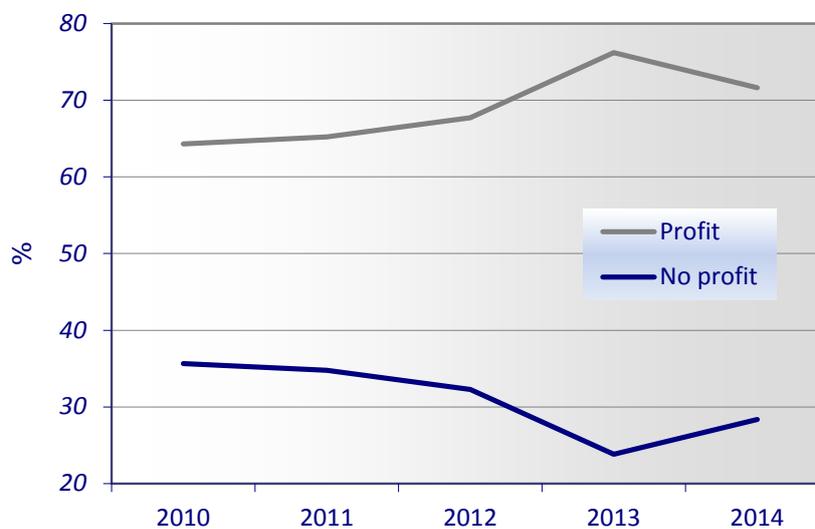
SC quinquennio: 3.218

Anno	Profit		No profit		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%
2010	431	64,3	239	35,7	670	100,0
2011	441	65,2	235	34,8	676	100,0
2012	472	67,7	225	32,3	697	100,0
2013	444	76,2	139	23,8	583	100,0
2014	424	71,6	168	28,4	592	100,0
<b>Totale</b>	<b>2.212</b>	<b>68,7</b>	<b>1.006</b>	<b>31,3</b>	<b>3.218</b>	<b>100,0</b>

Figura F

## Sperimentazioni per anno e Promotore profit / no profit

SC quinquennio: 3.218



**Tabella 20****Sperimentazioni per disegno dello studio**

SC autorizzate nel 2014: 592

Disegno	2014	
	SC	%
Controllato	375	63,3
Non controllato	212	35,8
<i>Non specificato</i>	5	0,8
<b>Totale</b>	<b>592</b>	<b>100,0</b>

**Tabella 21****Sperimentazioni per disegno dello studio - dettaglio**

SC autorizzate nel 2014: 592

Disegno - dettaglio	2014	
	SC	%
Randomizzato	376	63,5
Non randomizzato	202	34,1
<i>Non specificato</i>	14	2,4
In aperto	296	49,8
Doppio cieco	212	35,6
Singolo cieco	14	2,4
<i>Non specificato</i>	70	12,2
Gruppi paralleli	263	44,4
Cross over	23	3,9
<i>Non specificato</i>	306	51,7

L'informazione sul disegno dello studio non è un dato univoco; pertanto, a ciascuno studio possono essere associati diversi disegni.

**Tabella 22****Sperimentazioni per finalità**  
SC autorizzate nel 2014: 592

Finalità	2014	
	SC	%
Sicurezza	531	89,7
Efficacia	528	89,2
Terapia	322	54,4
Farmacocinetica	285	48,1
Farmacodinamica	155	26,2
Farmacogenetica	89	15,0
Farmacogenomica	80	13,5
Studio dose-risposta	74	12,5
Profilassi	41	6,9
Farmacoeconomia	32	5,4
Diagnosi	9	1,5
Bioequivalenza	1	0,2
<i>Non specificato</i>	4	0,7

La stessa sperimentazione può comprendere più finalità e quindi essere conteggiata più volte.

**Tabella 23****Sperimentazioni con Scientific Advice per esito e fase**  
SC autorizzate nel 2014: 592 di cui 168 (28,4%) con Scientific Advice

Esito	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioeq / Biod		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Autorizzazione	9	5,8	30	19,4	116	74,8	0	0,0	0	0,0	155	100,0
Diniego	0	0,0	2	15,4	11	84,6	0	0,0	0	0,0	13	100,0
<b>Totale</b>	<b>9</b>	<b>5,4</b>	<b>32</b>	<b>19,0</b>	<b>127</b>	<b>75,6</b>	<b>0</b>	<b>0,0</b>	<b>0</b>	<b>0,0</b>	<b>168</b>	<b>100,0</b>





# **APPENDICE**

**Normativa & Formazione**

*Aggiornamenti*



## Elenco della normativa pubblicata nel 2014 relativa alla sperimentazione clinica dei medicinali

**Regolamento (UE) n. 536/2014  
del 16 aprile 2014**  
*G.U. dell'Unione Europea n. L 158  
del 27 maggio 2014*

Regolamento (UE) n. 536/2014 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 aprile 2014, sulla sperimentazione clinica di medicinali per uso umano e che abroga la direttiva 2001/20/CE

## Convegni, Workshop e Corsi di formazione sulla sperimentazione clinica dei medicinali organizzati dall'AIFA

**2014**

“Corso di formazione per l'utilizzo del nuovo  
Osservatorio Nazionale sulla Sperimentazione Clinica dei Medicinali – OsSC”  
*AIFA, Roma*

<i>18-19 febbraio</i>	referenti OsSC dei Richiedenti (Promotori e CRO)
<i>25-26 febbraio</i>	referenti OsSC dei Richiedenti (Promotori e CRO)
<i>5 marzo</i>	Autorità Competente (AIFA)
<i>11-12 marzo</i>	referenti OsSC dei Richiedenti (Promotori e CRO)
<i>17-18 marzo</i>	referenti OsSC dei Richiedenti (Promotori e CRO)
<i>25-26 marzo</i>	referenti OsSC dei Richiedenti (Promotori e CRO)
<i>8-9 aprile</i>	referenti OsSC dei Comitati Etici
<i>14-16 aprile</i>	referenti OsSC dei Promotori non commerciali e Comitati Etici
<i>21 ottobre</i>	Autorità Competente (AIFA e ISS)
<i>19-20 novembre</i>	referenti OsSC con profili vari
<i>24-25 novembre</i>	referenti OsSC con profili vari