



Oncologici, medicinali per le malattie rare, anti-Alzheimer: ecco l'onda dei nuovi medicinali approvati dall'EMA

Fino ad oggi l'80% è poi diventato rimborsabile in Italia. Nisticò, Presidente AIFA: "La strategia è quella di garantire anche il governo della spesa autorizzando la rimborsabilità di quei farmaci che dimostrino di apportare un reale vantaggio terapeutico rispetto a quelli già disponibili gratuitamente per i pazienti"

A comporre l'onda dei nuovi farmaci che con buone probabilità diverranno rimborsabili nel 2026, oltre all'attesissimo Kaftrio (combinazione dei principi attivi ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor), per il quale il Cda dell'AIFA ha appena approvato l'estensione per il trattamento della fibrosi cistica, ci sono altre terapie molto attese. In rampa di lancio c'è, tra gli altri, Mounjaro (tirzepatide), già noto per le sue capacità dimagranti ma indicato per la cura del diabete di tipo 2. A comporre l'armadietto in realtà poco fornito dei medicinali anti Alzheimer c'è poi l'anticorpo monoclonale contro il deterioramento cognitivo lieve nelle fasi iniziali della malattia. Nutrito il plotone dei farmaci antitumorali, che vanno dall'Anktiva (nogapendekin alfa inbakicept) per il trattamento precoce del tumore alla vescica alla Car T di nuova generazione che con meno tossicità e maggiore efficacia tratta la leucemia linfoblastica acuta.

Sono solo alcuni dei 104 farmaci che nel 2025 hanno avuto parere positivo dall'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) e che, dopo l'autorizzazione della Commissione Europea, sono destinati a far parte del bagaglio degli strumenti terapeutici a beneficio di medici e pazienti anche in Italia. Di questi **38** sono prodotti a base di nuovi principi attivi, **16** sono medicinali orfani per le malattie rare, ben **41** (circa il 40% del totale) sono biosimilari, il "generico" dell'originale biologico.

Per rendere rapidamente disponibile un farmaco dopo l'approvazione europea, l'AIFA ha inserito quasi tutti questi medicinali nella classe Cnn (Classe C non negoziata) dei farmaci non ancora valutati ai fini della rimborsabilità, e ne ha definito il regime di fornitura. Per alcuni medicinali è stata anche avviata, con le aziende che ne hanno presentato domanda, la negoziazione per la rimborsabilità da parte del Servizio sanitario Nazionale (SSN). Traguardo fino ad oggi raggiunto dall'80% dei medicinali autorizzati dall'Ema, percentuale tra le più alte d'Europa. "Fermo restando che la strategia di AIFA -specifica il Presidente dell'Agenzia, Robert Nisticò- è quella di garantire anche il governo della spesa autorizzando la rimborsabilità di quei farmaci che dimostrino di apportare un reale vantaggio terapeutico rispetto a quelli già disponibili gratuitamente per i pazienti".

Buona parte di questi farmaci rappresentano nuove soluzioni per malati che avevano esaurito le opzioni di cura o per i quali i trattamenti esistenti erano insufficienti o a elevata tossicità. Altri sono la prima terapia disponibile per patologie che, fino ad oggi, ne erano prive.

Tra i medicinali con nuovi principi attivi, quelli dell'**area oncologica** sono i più rappresentati con **14** farmaci (6 orfani), alcuni dei quali approvati con autorizzazione subordinata a condizioni, una procedura più rapida a cui si può ricorrere per garantire ai pazienti un accesso anticipato alla terapia a fronte di un bisogno di salute insoddisfatto. Anche se con dati clinici meno completi rispetto alle procedure ordinarie, il medicinale autorizzato soddisfa sempre i rigorosi standard in termini di efficacia, sicurezza e qualità e la ditta titolare deve fornire ulteriori dati per confermare che i benefici continuano a superare i potenziali rischi.

Tra questi, **Anktiva** (nogapendekin alfa inbakicept), un farmaco indicato per il trattamento precoce del tumore della vescica non muscolo-invasivo refrattario ai trattamenti ad oggi disponibili, e **Aucatzyl** (obecabtagene autoleucel), una CAR-T di nuova generazione a minore tossicità ed elevata efficacia per la leucemia linfoblastica acuta nei pazienti che non hanno risposto positivamente a molteplici linee di trattamento precedenti. È invece già approvato in Italia lo scorso dicembre (inserimento in Cnn) **Zemcelpro** (cellule CD34-derivate da cordone ombelicale di dorocubicel / allogeneico, non espanse), una terapia cellulare indicata per i pazienti con tumori del sangue che necessitano di un trapianto di cellule staminali ma non hanno un donatore compatibile.

Con autorizzazione subordinata a condizioni hanno avuto il via libera anche **Rezdiffra** (resmetirom), primo trattamento per la steatoepatite associata a disfunzione metabolica (MASH), nota anche come “fegato grasso”, una patologia in fortissima crescita legata a stili di vita e obesità, per la quale finora non esistevano terapie farmacologiche approvate in UE, e **Duvyzat** (givinostat), trattamento per la distrofia muscolare di Duchenne (DMD), una malattia genetica rara, a esito infausto, in cui i muscoli si indeboliscono progressivamente e perdono funzionalità. Entrambi i farmaci sono stati inseriti in classe Cnn a fine anno. Sempre in ambito neurologico si segnala il via libera a **Kisunla** (donanemab), anticorpo monoclonale per il trattamento del deterioramento cognitivo lieve nelle fasi iniziali della malattia di Alzheimer.

Una svolta importante per i pazienti con diabete di tipo 1 al secondo stadio si attende da **Teizeild** (teplizumab), un medicinale first-in-class (capostipite di una nuova classe di farmaci) capace, in adulti e bambini a partire dagli otto anni di età, di ritardare la progressione della malattia ad uno stadio in cui compaiono i sintomi classici (sete eccessiva, aumento della minzione, fame intensa, perdita di peso, affaticamento, visione offuscata) e occorre ricorrere al trattamento con l’insulina.

Inserito a dicembre 2025 in classe Cnn è anche l’antiretrovirale **Yeytuo** (lenacapavir) per la profilassi pre-esposizione (PrEP), che rappresenta una novità nella prevenzione della trasmissione sessuale dell’infezione da HIV, per via delle due somministrazioni sottocutanee l’anno che affrancano i soggetti a rischio dall’assunzione di compresse per via orale su base giornaliera.

Tra i farmaci orfani in arrivo si segnalano altre due terapie avanzate (ATMP). **Waskyra** (etuvetidigene autotemcel), la prima terapia genica ex vivo che utilizza le cellule staminali modificate e reinfuse del paziente (quindi senza rischio di rigetto) per correggere il difetto genetico della sindrome di Wiskott-Aldrich, una patologia immunitaria con opzioni terapeutiche fino ad oggi estremamente limitate. **Vyjuvek** (beremagene geperpavec) è una terapia genica topica innovativa in formulazione gel per il trattamento delle ferite in pazienti con epidermolisi bollosa distrofica, una malattia genetica della pelle, grave e debilitante.

Una importante opzione terapeutica per una rara patologia autoimmune che colpisce la tiroide, la malattia oculare di Graves, è rappresentata dall’anticorpo monoclonale **Tepezza** (teprotumumab), inserito a novembre da AIFA in classe Cnn.

Dei sei farmaci autorizzati mediante il **programma PRIME** - che supporta lo sviluppo di medicinali ritenuti di elevato interesse per la salute pubblica dal punto di vista dell’innovazione terapeutica e destinati a pazienti con esigenze di cura insoddisfatte - si segnalano **Brinsupri** (brensocatib), il primo trattamento per la bronchiectasia non fibrocistica, una malattia polmonare grave, cronica e progressiva che comporta danni alle vie aeree e una severa disfunzione polmonare, e il vaccino **Vimkunya** (vaccino contro la chikungunya) per la prevenzione della malattia causata dal virus Chikungunya. Questo vaccino – già inserito a giugno 2025 in Cnn - è uno strumento di prevenzione fondamentale per chi vive o viaggia in zone endemiche.

Altrettanto rilevanti per i pazienti sono le estensioni di indicazioni terapeutiche di medicinali già approvati. Nel 2025 l'EMA ne ha autorizzate ben 89, quasi la metà riguarda l'uso nella popolazione pediatrica di prodotti già autorizzati negli adulti. Tra questi **Kaftrio** (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) e **Kalydeco** (ivacaftor), due farmaci per il trattamento della fibrosi cistica, **Mounjaro** (tirzepatide), per il trattamento del diabete di tipo 2 e **Ixchiq** (vaccino contro la chikungunya).

Il 2025 ha segnato inoltre il boom delle autorizzazioni di medicinali **biosimilari**, con il numero più alto (41 farmaci) mai approvato in un solo anno dall'EMA. Di questi, 23 sono biosimilari di denosumab, un anticorpo monoclonale per il trattamento di patologie in ambito endocrinologico, come l'osteoporosi, la perdita di massa ossea e altre patologie dell'apparato scheletrico. I biosimilari - come i generici (sono **10** quelli autorizzati da EMA nel 2025) - rappresentano una risorsa preziosa per i sistemi sanitari perché consentono di ampliare l'accesso a trattamenti essenziali, con risparmi che possono essere reinvestiti per garantire l'introduzione di terapie innovative ad alto costo.

«Anche quest'anno l'Agenzia ha una missione impegnativa e stimolante da assolvere: rendere disponibile in tempi brevi l'onda di nuovi farmaci in arrivo, molti dei quali altamente innovativi e dal costo elevato – commenta il Presidente Robert Nisticò – Novità importanti riguardano le terapie antitumorali, su cui la ricerca sta facendo importanti progressi, proponendo terapie geniche e cellulari, sempre più mirate, efficaci e a minor tossicità, destinate a specifiche sottopopolazioni di pazienti che non rispondono alle terapie già in uso. Siamo consapevoli che soprattutto alcuni dei farmaci autorizzati dall'EMA sono molto attesi in Italia, perché potrebbero rappresentare una svolta nel percorso di cura di malattie gravi. Per questo l'AIFA sta lavorando per rendere più celeri ed efficienti le procedure di valutazione e di negoziazione, grazie a una stretta collaborazione tra gli uffici tecnici e la Commissione Scientifica ed Economica. C'è un tema noto, legato alla sostenibilità di queste terapie, che ci richiama a una profonda riflessione sulla gestione della spesa farmaceutica nel suo complesso. Di questo ci stiamo occupando fornendo al legislatore il supporto dell'Agenzia nella definizione di una normativa e di una governance del farmaco più al passo coi tempi. I nuovi farmaci vanno poi attentamente monitorati nel loro uso clinico, sia sotto il profilo dell'efficacia che della sicurezza, perché non sempre le aspettative vengono confermate nella pratica ed è dovere dell'Agenzia assicurarsi che i farmaci siano premiati e garantiti dal Servizio Sanitario Nazionale solo in funzione del loro reale valore terapeutico aggiunto».