



“AIFA INCONTRA”

Resoconto

Sessione del 15 settembre 2026

Il giorno **15 settembre 2026**, alle ore **09:45**, sono presenti:

- *il Presidente, Prof. Robert Giovanni Nisticò;*
- *il Dott. Nicola Magrelli, dirigente dell’Ufficio relazioni internazionali;*
- *le Dott.sse Silvia Miriam Cammarata e Maria Giovanna Privitera, dirigenti sanitarie dell’Ufficio di Presidenza, affari generali e relazioni istituzionali;*
- *le Dott.sse Lorenza Pocchiari e Raffaella Elia, in servizio presso l’Ufficio di Presidenza, affari generali e relazioni istituzionali.*

Sono convocati alla sessione odierna:

1. “Società Sandoz S.p.A.”

Sono Presenti: Dott.ssa Francesca Romana Ramundo (Amministratore Delegato) e Dott. Riccardo Scarfato (*Public Affairs Lead*).

2. “Società Denali Therapeutics Inc.”

Sono presenti: Dott. Alessandro Cirrincione (*Vice President International Business*), Dott.ssa Marika Russo (*Executive Director Global Market Access*) e Dott. Marius Manu (*Director International Medical Affairs*).

Partecipano da remoto: Prof. Maurizio Scarpa (Direttore Programma Malattie Rare Fondazione IRCSS San Gerardo dei Tintori, Monza) e Dott. Flavio Bertoglio (Presidente Associazione Pazienti AIMPS ETS).

3. “Società Viatris S.r.l.”

Partecipano da remoto: Prof. Carlo Tascini (Direttore Clinica Malattie Infettive - Università di Udine), Dott.ssa Valeria Pascarelli (*Head of Regulatory Affairs - Viatris Italia*), Dott. Giuseppe Pompilio (*Health Economics Manager*) e Dott.ssa Elisa Fugazza (*Senior Medical Manager*).

4. “Società MSD Italia S.r.l.”

Sono presenti: Dott.ssa Nicoletta Luppi (Presidente e Amministratrice delegata), Dott.ssa Paola Fattore (Direttore Ricerca Clinica), Dott.ssa Simona Paratore (*Country Executive Medical Affairs Director*), Dott.ssa Maura Camozzi (*Medical Director Oncology, Medical Affairs*) e Dott. Maurizio Tropea (Direttore *market access*).

5. “AIFI, Associazione Farmaceutici dell’Industria - società scientifica”

Sono presenti: Dott. Antonio Conto (*Chemsafe* - Coordinatore del Gruppo di studio BIOCIDI & PMC), Dott.ssa Francesca Fasano (*Chemsafe* - Membro del Gruppo di studio BIOCIDI & PMC), Dott.ssa Cristina Del Corno (Del Corno e Ass. - Membro del Gruppo di studio Affari Regolatori), Dott.ssa Simona Casagrande (Del Corno e Ass. - Membro del Gruppo di studio Affari Regolatori) e Dott.ssa Beatrice Cipollini (Del Corno e Ass. - Membro del Gruppo di studio Affari Regolatori).

Per conto dell’Agenzia partecipa, altresì, alla presente sessione il Dott. Paolo Lido, dirigente professioni sanitarie (medico) in servizio presso l’Ufficio Procedure Europee e Nazionali.

6. “Società Argenx Italy S.r.l.”

Sono presenti: Dott. Fabrizio Celia (*General Manager*), Dott.ssa Francesca Caprari (*Head of Market Access and Governmental Affairs*) e Dott.ssa Silvia Rossi (*Head of Medical Affairs*).

1. Società Sandoz S.p.A.

➤ **Oggetto e sintesi dell’incontro:** *confronto istituzionale sulla sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale e sul valore dei medicinali off-patent per la resilienza del sistema salute.*

La “Società Sandoz S.p.A.” ha rappresentato la tematica dei farmaci equivalenti e biosimilari e delle rispettive modalità di prescrizione, ai fini della condivisione – in un’ottica esclusivamente conoscitiva – dei dati tratti dall’esperienza concreta di impiego sui pazienti, con particolare riferimento al relativo contributo alla sostenibilità del Servizio sanitario nazionale e ai modelli di *governance* funzionali a garantire un accesso sostenibile alle terapie.

Nel corso dell’incontro è stato evidenziato il crescente rilievo dei farmaci *off-patent* nel contesto dell’evoluzione della spesa farmaceutica. In particolare, il Rapporto OsMed 2024 sull’uso dei farmaci in Italia - pubblicato dall’Agenzia nel mese di

novembre 2025 - ha collocato l'Italia al terzultimo posto in Europa per il consumo di farmaci equivalenti e, sebbene questi rappresentino ancora una quota relativamente contenuta dei consumi e della spesa farmaceutica rispetto agli altri principali Paesi europei, il relativo impiego ha prodotto risparmi documentati e in costante crescita.

Con riferimento ai farmaci biosimilari, il predetto Rapporto ha collocato l'Italia al primo posto in Europa per incidenza dei biosimilari sulla spesa e sui consumi rispetto ai relativi farmaci biologici di riferimento e tale dato ha avvalorato i risultati conseguiti dal nostro Paese in questo settore farmaceutico, anche alla luce del tempo trascorso dall'entrata in vigore della legge 11 dicembre 2016, n. 232, recante *“Bilancio di previsione dello Stato per l'anno finanziario 2017 e bilancio pluriennale per il triennio 2017-2019”*, che ha introdotto il sistema di multi-aggiudicazione dei medicinali.

In tale prospettiva, l'immissione sul mercato di farmaci equivalenti e biosimilari ha assunto un ruolo determinante per favorire la concorrenza e destinare l'impiego delle risorse disponibili all'accesso a nuove opzioni terapeutiche, in considerazione, altresì, del vincolo negoziale per cui il prezzo dei biosimilari deve essere inferiore di almeno il 20% rispetto al costo del farmaco originatore.

Per quanto concerne i farmaci biosimilari, la *“Società Sandoz S.p.A.”* ha richiamato quanto indicato nel *“Terzo Position Paper AIFA”*, pubblicato in data 29 aprile 2026, in merito alla raccomandazione dello *“switch informato”*. Tale metodologia ha consentito al farmacista - previo assenso del medico prescrittore - di sostituire il farmaco richiesto con un biosimilare o altro biotecnologico a brevetto scaduto rientrando nel novero dei medicinali aggiudicatari dell'accordo quadro regionale, garantendo dunque la tracciabilità della dispensazione e una informazione adeguata a favore del paziente, fermo restando la circostanza che non risulta consentita la sostituibilità automatica tra il farmaco biologico di riferimento e il farmaco biosimilare sul territorio nazionale. Nell'ambito della trattazione è stata rilevata, tuttavia, la eterogeneità regionale nell'utilizzo dei farmaci equivalenti e nella compartecipazione alla spesa da parte dei cittadini, evidenziando dunque la necessità di favorire una maggiore uniformità nell'applicazione delle politiche di accesso e utilizzo dei medicinali sul territorio nazionale.

Nel corso dell'incontro sono state esposte, altresì, diverse criticità emerse nel confronto con alcune associazioni di pazienti nonché società scientifiche riguardo alla necessità di un'applicazione omogenea della disciplina di accesso ai farmaci da parte delle Regioni con riferimento alle modalità di svolgimento delle gare pubbliche, all'esecuzione degli accordi quadro di fornitura e alla gestione della continuità terapeutica e della farmacovigilanza.

La *“Società Sandoz S.p.A.”* ha, dunque, plaudito all'iniziativa *“AIFA INCONTRA”* quale strumento positivo nell'ambito della instaurazione di un confronto sinergico con l'Agenzia volto a condividere elementi conoscitivi utili alla riflessione sui modelli di *governance*, con l'obiettivo di favorire un'applicazione coordinata e omogenea delle politiche relative ai farmaci *off-patent*.

L'Agenzia ha preso atto delle criticità evidenziate, manifestando la propria disponibilità a sottoporre le tematiche emerse nel corso dell'incontro nell'ambito del Tavolo Tecnico di Coordinamento AIFA-Regioni, al fine di favorire un confronto congiunto sulle modalità di attuazione delle politiche relative ai farmaci *off-patent* e agevolare l'omogeneità applicativa a livello regionale. A tal fine, il Presidente ha proposto alla Società la predisposizione di un *report* strutturato sulle criticità riscontrate, da condividere con le Regioni per le finalità sopra esposte.

Il Presidente ha concluso confermando l'impegno costante dell'Agenzia nello sviluppo dei farmaci biosimilari e nella realizzazione futura di una campagna di comunicazione chiara e trasparente per i cittadini a sostegno del predetto sviluppo, volta a superare eventuali dubbi al riguardo.

➤ **Documentazione agli atti:**

relazione a supporto della richiesta di partecipazione all'iniziativa "AIFA INCONTRA", avente ad oggetto: *"Confronto istituzionale sulla sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale e sul valore dei medicinali off-patent per la resilienza del sistema salute"*.

2. Società Denali Therapeutics Inc.

➤ **Oggetto e sintesi dell'incontro: sindrome di Hunter/MPS II: unmet need clinico-assistenziale e prospettive di sviluppo.**

La "Società Denali Therapeutics Inc." ha presentato nel corso dell'incontro la propria *mission* e i progetti promossi per il trattamento della mucopolisaccaridosi di tipo II (MPS II) o sindrome di Hunter.

La Società ha chiarito che la MPS II è una malattia genetica rara dovuta alla carenza dell'enzima iduronato-2-solfatasi (IDS), con accumulo di glicosaminoglicani e progressivo coinvolgimento di numerosi organi e apparati.

La patologia presenta un'ampia variabilità clinica, con forme neuropatiche caratterizzate da un coinvolgimento neurologico più precoce e forme attenuate con progressione più lenta.

Nelle forme neuropatiche, il rallentamento dello sviluppo dell'individuo può iniziare già nei primi anni di vita, con successivo deterioramento cognitivo e comportamentale con la peculiarità costituita dalla diagnosi che può risultare tardiva, poiché i primi sintomi possono essere agevolmente confusi con comuni problematiche dell'infanzia quali otiti ricorrenti, infezioni respiratorie ed ernie.

La Società ha evidenziato, dunque, la necessità di favorire una diagnosi più precoce e di migliorare la disponibilità dei dati epidemiologici e clinici relativi alla popolazione italiana, al fine di condividere le esperienze e accrescere le conoscenze sulla patologia, considerato, altresì, che l'attuale terapia enzimatica sostitutiva con

il farmaco *idursulfasi* non attraversa la barriera emato-encefalica in modo efficace e presenta, pertanto, limiti nel trattamento delle manifestazioni neurologiche.

Nel corso dell'incontro è stato rilevato, inoltre, l'impatto della malattia sulla qualità di vita dei pazienti e sull'organizzazione familiare, in quanto visite, terapie e spostamenti verso i centri specialistici possono incidere sul percorso scolastico, sul lavoro e sulla vita quotidiana dei *caregiver*, generando anche costi indiretti e un importante *burden* psicologico e sociale.

All'esito della trattazione delle peculiarità della patologia, la Società ha esposto alcuni dati presentati all'esito dello svolgimento di studi clinici aventi ad oggetto il medicinale *Tividenofusp alfa (DNL310)*, evidenziando la riduzione dei biomarcatori della malattia e i risultati positivi relativi ai parametri neurocognitivi e somatici.

A livello regolatorio internazionale, il medicinale *Tividenofusp alfa (DNL310)* è stato approvato dalla *Food and Drug Administration (FDA)* nel mese di marzo 2026 tramite procedura accelerata per specifiche manifestazioni neurologiche della MPS II in pazienti pediatriche mentre sul territorio europeo il farmaco è in attesa di approvazione da parte dell'Agenzia Europea dei Medicinali (EMA), subordinata alla conferma del beneficio clinico attraverso studi successivi.

In considerazione di quanto esposto, la “*Società Denali Therapeutics Inc.*” ha evidenziato l'importanza di un confronto continuativo tra l'Agenzia, la comunità scientifica e le associazioni dei pazienti per approfondire le evidenze disponibili e i possibili modelli di accesso ai farmaci e presa in carico dei pazienti nel contesto italiano, tenuto conto della complessità clinica, assistenziale e sociale della patologia, la quale richiede un approccio multidisciplinare e una diagnosi sempre più precoce.

Al termine dell'incontro, il Presidente ha proposto alla Società di mantenere un dialogo costante con il Direttore tecnico-scientifico dell'Agenzia, al fine di verificare, in particolare, la possibilità di autorizzare eventuali forme di accesso precoce al farmaco sopra menzionato - ai sensi dell'articolo 48, comma 19, lettera a), del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326, recante “*Disposizioni urgenti per favorire lo sviluppo e per la correzione dell'andamento dei conti pubblici*” - nonché al fine di proseguire l'approfondimento delle tematiche emerse nel corso dell'incontro e favorire un costante aggiornamento sugli sviluppi del programma terapeutico.

➤ **Documentazione agli atti:**

presentazione in *slide* a supporto della richiesta di partecipazione all'iniziativa “AIFA INCONTRA”, avente ad oggetto: “*sindrome di Hunter/MPS II: unmet need clinico-assistenziale e prospettive di sviluppo*”.

3. Società Viatris Italia S.r.l.

➤ **Oggetto e sintesi dell'incontro:** *confronto tecnico-scientifico in merito al trattamento delle infezioni fungine invasive e all'attuale contesto di gestione di tali patologie.*

La richiesta di incontro è stata avanzata dalla “Società Viatris Italia S.r.l.” al fine di avviare un confronto sulla gestione dell'anafilassi in Italia e, in particolare, sull'impiego dell'adrenalina autoiniettabile quale trattamento di prima linea.

Nel corso dell'incontro sono state evidenziate alcune criticità che incidono sulla tempestività del trattamento - fattore determinante per l'esito clinico - riconducibili alla conoscenza non uniforme dei segni e dei sintomi dell'anafilassi, alle difficoltà di accesso ai dispositivi nei contesti extraospedalieri nonché alle disomogeneità territoriali per quanto concerne la disponibilità degli autoiniettori nei principali contesti pubblici e di comunità e alla complessità dei percorsi di prescrizione, dispensazione e rinnovo della terapia.

Alla luce delle considerazioni sopra esposte, la “Società Viatris Italia S.r.l.” ha manifestato la volontà di condividere con l'Agenzia le evidenze disponibili e l'esperienza di pazienti e famiglie - attraverso l'Associazione di promozione sociale, *Food Allergy Italia APS* - nonché di avviare un confronto su possibili interventi volti a favorire un accesso più omogeneo all'adrenalina autoiniettabile e una maggiore disponibilità dei dispositivi nei contesti di comunità, anche alla luce delle esperienze maturate in altri Paesi europei.

L'Agenzia ha preso atto delle criticità evidenziate, manifestando la propria disponibilità a instaurare un raccordo costante sulla tematica esposta.

Il Presidente, a tal fine, ha richiesto la messa a disposizione dei *Patient-Reported Outcomes*, necessari per poter valutare le modalità di contrasto alle resistenze riscontrate nel trattamento delle infezioni fungine invasive.

➤ **Documentazione agli atti:**

relazione a supporto della richiesta di partecipazione all'iniziativa “AIFA INCONTRA”, avente ad oggetto: “*Richiesta di incontro sulla gestione dell'anafilassi in Italia*”.

4. Società MSD Italia S.r.l.

➤ **Oggetto e sintesi dell'incontro: idee e percorsi finalizzati a incentivare la ricerca clinica in Italia. Presentazione delle principali attività dell'Azienda, relativa pipeline.**

La “Società MSD Italia S.r.l.” ha illustrato le principali attività di ricerca e sviluppo condotte, evidenziando la promozione di circa 90 studi clinici in corso di svolgimento attualmente nelle fasi II e III e un programma operativo che ha coinvolto circa 25.000 ricercatori.

Con riferimento alle attività di ricerca clinica, sono state rilevate alcune criticità correlate principalmente agli adempimenti burocratici e alle tempistiche per la definizione delle procedure di autorizzazione che hanno inciso sull'avvio e sulla progressione degli studi sul territorio nazionale

La “Società MSD Italia S.r.l.” ha, dunque, plaudito all'iniziativa “AIFA INCONTRA” quale sede privilegiata di instaurazione di un confronto costante con l'Autorità competente, al fine di individuare tempestivamente eventuali criticità e favorire una maggiore efficienza dei percorsi autorizzativi.

Il Presidente ha proposto di approfondire il confronto - d'intesa con il Direttore tecnico-scientifico - per valutare la possibilità di introdurre percorsi di *fast track* finalizzati ad accelerare le procedure e a ridurre i tempi di sviluppo dei programmi di ricerca.

La Società, accogliendo con favore la disponibilità, ha prospettato l'istituzione di un tavolo di confronto volto a individuare progettualità condivise e ad approfondire le principali criticità riscontrate.

Il Presidente ha concluso riservandosi di esaminare la proposta e avviare le necessarie interlocuzioni con gli Uffici competenti, al fine di individuare le possibili modalità operative e definire eventuali successive iniziative dedicate.

➤ **Documentazione agli atti:**

presentazione in *slide*, messa a disposizione dell'Agenzia nel corso dell'incontro, a supporto della richiesta di partecipazione all'iniziativa “AIFA INCONTRA”, avente ad oggetto: “*Idee e percorsi finalizzati a incentivare la ricerca clinica in Italia. Presentazione delle principali attività dell'Azienda, relativa pipeline*”.

5. AFI, Associazione Farmaceutici dell'Industria società scientifica

➤ **Oggetto e sintesi dell'incontro: percorso di registrazione di disinfettanti ad uso umano come medicinali.**

L'Associazione ha illustrato la tematica relativa ai Presidi Medico-Chirurgici (PMC) e ai Biocidi a seguito dell'evoluzione del quadro normativo europeo e dell'*iter* regolatorio introdotto al fine di conseguire il riconoscimento quali medicinali ad uso umano, necessario per la commercializzazione.

A partire dal 2021, diverse aziende produttrici di PMC hanno avviato, pertanto, un percorso di strutturazione come aziende farmaceutiche, al fine di garantire la continuità della commercializzazione dei prodotti destinati all'uso umano. Tale processo ha comportato, tra l'altro, la necessità di individuare officine conformi agli *standard* GMP e di predisporre *dossier* di registrazione rispondenti alla normativa vigente.

È stato evidenziato come, sebbene le principali criticità relative agli aspetti GMP siano progressivamente in via di risoluzione, permangano significative difficoltà nella predisposizione della documentazione necessaria, in particolare per quanto riguarda le evidenze di carattere clinico e non clinico a supporto della richiesta di classificazione dei disinfettanti ad uso umano quali medicinali.

L'Associazione ha rappresentato la necessità di superare nel medio-lungo periodo alcune soluzioni di carattere temporaneo attualmente adottate per garantire la disponibilità dei prodotti sul mercato, quali il ricorso all'articolo 5 del Decreto legislativo 24 aprile 2006, n. 219 - recante "*Attuazione della direttiva 2001/83/CE (e successive direttive di modifica) relativa ad un codice comunitario concernente i medicinali per uso umano*" - o alla preparazione di galenici in ambito ospedaliero. Tali modalità, secondo quanto prospettato dall'Associazione, potrebbero infatti determinare criticità sotto il profilo della continuità di approvvigionamento e dell'assetto concorrenziale del mercato.

Con riferimento ai medicinali derivati dalla precedente classificazione come PMC, è stato, altresì, evidenziato che alcuni prodotti, autorizzati sulla base di *dossier* risalenti, presentano tuttora elementi di incertezza in relazione alla documentazione disponibile e alla possibilità di utilizzarli come prodotti di riferimento nell'ambito delle attuali procedure autorizzative.

In considerazione di quanto esposto, l'"Associazione farmaceutici industria società scientifica – AFI" ha richiesto all'Agenzia di avviare un confronto finalizzato a chiarire le evidenze precliniche e cliniche che devono sussistere ai fini dell'ottenimento dell'AIC, così da consentire alle aziende di definire con maggiore certezza gli eventuali investimenti necessari per colmare le carenze documentali e accompagnare il processo di transizione dei prodotti verso il regime dei medicinali.

L'Agenzia ha preso atto delle criticità evidenziate, manifestando la propria disponibilità a instaurare un confronto volto a individuare modalità condivise per la definizione di un *iter* regolatorio sostenibile, ai fini della registrazione di disinfettanti ad uso umano come medicinali.

➤ **Documentazione agli atti:**

relazione e presentazione in *slide* a supporto della richiesta di partecipazione all'iniziativa "AIFA INCONTRA", avente ad oggetto: "*Il percorso normativo dei disinfettanti da presidio medico-chirurgico a medicinale*".

6. Società Argenx Italy S.r.l.

➤ **Oggetto e sintesi dell'incontro:** *confronto sull'evoluzione delle politiche di valutazione e valorizzazione dell'innovazione farmaceutica alla luce delle nuove sfide di sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale.*

La Società "Argenx Italy S.r.l." ha illustrato il tema delle politiche di valutazione e valorizzazione dell'innovazione farmaceutica, alla luce delle nuove sfide di sostenibilità del Servizio sanitario nazionale. La Società ha annoverato il settore dei plasmaderivati tra gli ambiti strategici di intervento, con specifico riferimento alle immunoglobuline, considerate una risorsa essenziale e limitata.

In particolare, è stata rilevata la crescente vulnerabilità del panorama italiano, determinata dall'incremento della domanda e dei relativi consumi di immunoglobuline. La Società ha segnalato, inoltre, la progressiva crescita dei prezzi, influenzata dall'aumento dei costi di produzione e delle materie prime.

In tale contesto, l'innovazione farmaceutica è stata indicata come possibile leva per contribuire alla sostenibilità del Servizio sanitario nazionale e alla tutela delle risorse disponibili.

In particolare, è stato evidenziato il ruolo delle piattaforme tecnologiche in grado di sviluppare più indicazioni terapeutiche a partire dalla medesima base biologica. Tali piattaforme possono ampliare le opportunità di trattamento, in particolare nell'ambito delle malattie autoimmuni, comprese quelle rare.

La Società ha rilevato, tuttavia, che il valore e l'impatto delle diverse indicazioni terapeutiche non possono essere valutati esclusivamente sulla base dei volumi di pazienti trattati. Nelle patologie rare e ad alto bisogno clinico, infatti, le diverse indicazioni possono presentare profili di valore e impatti differenti sul sistema. A tal fine, è stata evidenziata l'importanza del sostegno ai "*platform trial*", rispondenti proprio alla predetta esigenza. Tale approccio dovrebbe consentire di

considerare l'evoluzione del valore dell'innovazione lungo l'intero ciclo di vita del prodotto, conciliando accesso, sostenibilità e sviluppo.

In conclusione, la Società “*Argenx Italy S.r.l.*” ha rinnovato l'importanza di un confronto e di una collaborazione strutturata tra tutti gli *stakeholder*, al fine di favorire l'accesso all'innovazione anche per le popolazioni con bisogni terapeutici ancora non adeguatamente soddisfatti, al fine di creare condizioni che consentano di valorizzare l'innovazione farmaceutica con una visione di lungo periodo, assicurando al contempo la sostenibilità del Servizio sanitario nazionale.

L'Agenzia ha preso atto delle criticità illustrate e ha manifestato la propria condivisione del sostegno allo sviluppo di nuovi approcci terapeutici e della ricerca - quali i *platform trial* - evidenziando l'importanza di un confronto sulla presente tematica in ambito europeo e confermando la propria disponibilità a recepire eventuali proposte in merito da parte della Società, da affrontare d'intesa con gli Uffici competenti.

➤ **Documentazione agli atti:**

presentazione in *slide*, messa a disposizione dell'Agenzia nel corso dell'incontro, a supporto della richiesta di partecipazione all'iniziativa “AIFA INCONTRA”, avente ad oggetto: “*Confronto sull'evoluzione delle politiche di valutazione e valorizzazione dell'innovazione farmaceutica alla luce delle nuove sfide di sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale*”.