

La Sperimentazione Clinica dei Medicinali in Italia

22° Rapporto Nazionale
Anno 2025



ISBN 979-12-80335-70-8

Citare il presente Rapporto come segue:

La Sperimentazione Clinica dei Medicinali in Italia
22° Rapporto Nazionale Anno 2025
Roma: Agenzia Italiana del Farmaco, 2025

Clinical Trials of Medicines in Italy
22nd National Report Year 2025
Rome: Italian Medicines Agency, 2025.

Il Rapporto è disponibile consultando il sito web
www.aifa.gov.it

AIFA – Agenzia Italiana del Farmaco

Presidente: Robert Giovanni Nisticò
Direttore Tecnico-Scientifico: Pierluigi Russo

Gruppo di lavoro Area Pre-Autorizzazione che ha redatto il Rapporto Nazionale 2025

Coordinamento: S. Petraglia
Elaborazione dati, grafici e tabelle: F. Cruciani
Testi: S. Petraglia, F. Cruciani

Programmi di uso compassionevole: Alice De Corato, Cristiano Niccolini
Dati sui CE gestiti sotto Regolamento (UE) N. 536/2014: Eleonora De Paola
Normativa: Paola Aita

Si ringraziano tutti i colleghi dell'Ufficio Sperimentazione Clinica per il contributo
alla gestione delle sperimentazioni cliniche in Italia

Grafica: Corinna Guercini
Editing testi: Pina Guglielmino, Emanuela Iorio,
Filippo Pomponi, Valeria Tellini – Ufficio Stampa e della Comunicazione

Fonti dei dati:
Area Pre-Autorizzazione, AIFA
Clinical Trial Information System, CTIS
Ufficio Sperimentazione Clinica, AIFA

22° Rapporto Nazionale 2025 Dati 2024

Disponibile sul Portale dell'Agenzia Italiana del Farmaco
<https://www.aifa.gov.it/rapporto-sulla-sperimentazione-clinica-dei-medicinali-in-italia>

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.



PREFAZIONE

6



SPERIMENTAZIONI CLINICHE PARTE 1:

SPERIMENTAZIONI CLINICHE IN ITALIA. ANDAMENTO TEMPORALE

9

Tabella 1 Sperimentazioni autorizzate dall'Autorità competente per anno 10

Figura A Sperimentazioni autorizzate dall'Autorità competente per anno 11

Tabella 2 Sperimentazioni per anno e fase 13

Figura B Sperimentazioni autorizzate per anno e fase (%) 13

Tabella 3 Sperimentazioni autorizzate in CTIS per anno e per Paese 14

Figura C Sperimentazioni autorizzate in CTIS 15



SPERIMENTAZIONI CLINICHE PARTE 2:

SPERIMENTAZIONI CLINICHE IN ITALIA 2024

16

2.1 Esito dell'iter autorizzativo

17

Tabella 4 Sperimentazioni con iter autorizzativo concluso nel 2024 per esito e fase 17

Figura D Sperimentazioni con iter autorizzativo concluso nel 2024 per esito 18

Figura E Sperimentazioni con iter autorizzativo concluso nel triennio 2022-2024 18

Tabella 5 Sperimentazioni presentate nel 2024 per esito dell'iter autorizzativo al 31 dicembre 2024 e fase 19

Figura F Sperimentazioni presentate nel 2024 per esito 19

Figura G Sperimentazioni presentate nel triennio 2022-2024 20

Tabella 6 Procedure IMPD-Q only presentate nel 2024 per esito dell'iter autorizzativo e fase 21

2.2 Sperimentazioni monocentriche e multicentriche, nazionali e internazionali

22

Figura H Sperimentazioni per anno e tipologia: monocentrica / multicentrica in Italia 22

Figura I Sperimentazioni monocentriche e multicentriche in Italia, nazionali e internazionali 23

2.3 Popolazione in studio

24

Tabella 7 Sperimentazioni per tipologia della popolazione in studio e fase 24

Tabella 8 Sperimentazioni per sesso della popolazione in studio e fase 24

Tabella 9 Sperimentazioni per tipologia della popolazione vulnerabile in studio 25

Tabella 10 Sperimentazioni per età dei soggetti previsti 26

2.4 Area terapeutica e tipologia di medicinale

27

Tabella 11 Sperimentazioni per area terapeutica 27

Tabella 12 Studi clinici per classificazione terapeutica e fase 29

Tabella 13 Classificazione delle sostanze attive 31

Tabella 14 Sperimentazioni ATMP per tipo di terapia avanzata 31

Tabella 15 Sperimentazioni ATMP per area terapeutica e fase 32

2.5 Promotore della sperimentazione clinica

33

Tabella 16 Sperimentazioni per anno e promotore profit / no profit 33

Figura L Sperimentazioni per anno e promotore profit / no profit (%) 33

Tabella 17 Sperimentazioni per tipologia promotore e fase 34

Tabella 18 Sperimentazioni per tipologia promotore, tipologia e fase 34

Tabella 19 Sperimentazioni per promotore profit 35

Tabella 20 Sperimentazioni per promotore no profit 36

2.6 Malattie rare

37

Tabella 21 Sperimentazioni in malattie rare per fase 37

Tabella 22 Sperimentazioni in malattie rare per classificazione delle sostanze attive 38

Tabella 23 Sperimentazioni in malattie rare per promotore profit / no profit, 38

nazionali e internazionali 38

Tabella 24 Sperimentazioni nazionali in malattie rare per promotore profit / no profit e fase 39

Tabella 25 Sperimentazioni internazionali in malattie rare per promotore profit / no profit e fase 39

2.7 Scientific advice	40
Tabella 26 Sperimentazioni con <i>scientific advice</i> per esito e fase	40
2.8 I Comitati etici	41
Tabella 27 Sperimentazioni cliniche valutate per Comitato etico	41
Figura M Sperimentazioni cliniche valutate per Regione del Comitato etico	43
2.9 I siti di sperimentazione	44
Tabella 28 Sperimentazioni cliniche valutate per Regione del centro clinico coinvolto	44
Tabella 29 Centri clinici per numero di sperimentazioni autorizzate nel 2024	45
Mappa dei centri di Sperimentazione Clinica	46
 SPERIMENTAZIONI CLINICHE PARTE 3: PROGRAMMI DI USO TERAPEUTICO DI MEDICINALE SOTTOPOSTO A SPERIMENTAZIONE CLINICA	47
3.1 Programmi di uso compassionevole	48
Tabella 30 Programmi di uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica	49
 APPENDICE NORMATIVA - AGGIORNAMENTI	53
 ALLEGATI	55
Allegato 1 Promotori profit delle sperimentazioni autorizzate nel 2024	56
Tabella 31 Sperimentazioni per promotore profit	56
Allegato 2 Promotori no profit delle sperimentazioni autorizzate nel 2024	63
Tabella 32 Sperimentazioni per promotore no profit	63
 GLOSSARIO	66

Prefazione

La Sperimentazione Clinica
dei Medicinali in Italia
22° Rapporto Nazionale
Anno 2025

I dati di questo Rapporto nazionale sono riferiti al 2024, il primo anno nel quale tutte le sperimentazioni presentate in Italia sono state gestite esclusivamente tramite il portale europeo CTIS e per tale motivo possiamo quindi considerare il 2024 quale il primo anno di piena ed esclusiva applicazione del Regolamento europeo. Nonostante i timori degli anni precedenti, anche con passaggio definitivo al Regolamento il numero complessivo delle sperimentazioni autorizzate è rimasto sostanzialmente stabile, pur in un contesto che continua a vedere l'Europa segnare un andamento meno favorevole rispetto ad altre aree geografiche. I dati suggeriscono, tuttavia, anche un quadro diversificato tra le tipologie di sperimentazioni, con alcune categorie che hanno registrato una fase di rallentamento, mentre altre sembrano aver tratto beneficio dall'introduzione del nuovo sistema.

La ricerca profit registra infatti un incremento delle sperimentazioni autorizzate anche in numeri assoluti rispetto all'anno precedente, sebbene di entità limitata, e questo dato pone l'Italia tra i pochi Stati membri nei quali il Regolamento europeo sembra avere avuto ricadute positive fin da subito, almeno per le sperimentazioni a scopo registrativo.

La ricerca mono-nazionale e la ricerca no profit, invece, fanno registrare una diminuzione sensibile rispetto ai dati degli anni precedenti. Anche questo dato è in linea con la tendenza generale negativa che caratterizza l'Europa, e forse con un decremento anche un po' più accentuato rispetto ad altri Stati Membri, forse a causa di una maggiore difficoltà da parte del settore accademico e no profit italiano nell'adattarsi al nuovo assetto regolatorio. Più difficile risulta invece un confronto con la realtà internazionale, risultando particolarmente complesso reperire dati di dettagli comparativi specifici per la ricerca no profit in altre aree geografiche, rispetto ai dati sui volumi cumulativi delle sperimentazioni cliniche.

Tale contrazione impatta anche sulla ricerca accademica relativa alle malattie rare, ambito nel quale la ricerca accademica ha sempre espresso una buona rappresentatività. Probabilmente, la scarsa numerosità dei potenziali partecipanti e le ancor più limitate risorse che caratterizzano tale settore, con protocolli proporzionati alla prevalenza delle condizioni oggetto di studio, hanno condizionato la capacità di riorganizzare rapidamente le attività secondo i nuovi requisiti.

Rimangono però presenti e più stabili in numeri assoluti gli studi no profit multinazionali: ciò può essere interpretato come un segnale della capacità della ricerca no profit italiana inserita in circuiti internazionali, e sviluppata in centri con solide capacità organizzative e maggiori disponibilità di risorse, di affrontare con efficacia le nuove regole. Questo dato potrebbe essere interpretato come un iniziale segnale di crescita e rinnovamento della ricerca accademica, con l'avvio di un numero sempre maggiore di studi ad elevato impatto clinico, che coinvolga progressivamente un numero crescente di centri e come una indicazione all'intero settore sull'importanza di adattare quanto prima modelli e procedure interne, in modo da sopperire anche alla frequente carenza di risorse che caratterizza il setting no profit.

La contrazione della ricerca no profit non è infatti soltanto un indicatore delle difficoltà di adattamento al nuovo assetto introdotto dal Regolamento europeo per i promotori o i ricercatori, ma anche, e soprattutto, un segnale per i centri di sperimentazione, nei quali stanno emergendo nuove complessità organizzative e amministrative che possono rivelarsi ostacoli difficili da superare a fronte delle limitate risorse disponibili per tale tipologia di ricerca. È quindi importante indagare questo fenomeno, per individuare le misure più opportune da mettere in atto al fine di facilitare la partecipazione dei ricercatori italiani ad ampi studi internazionali anche di natura no profit, anche facendo riferimento alle attività messe in atto negli altri centri di sperimentazione e creando reti e interazioni che consentano una crescente integrazione e armonizzazione.

Questo scenario evidenzia anche con chiarezza la necessità di un rafforzamento del supporto alla ricerca accademica da parte di tutte le autorità competenti e delle istituzioni coinvolte. Infatti, la ricerca no profit sta attraversando un periodo di sofferenza su tutto il territorio europeo, in maniera non omogenea, ma evidente e le

difficoltà identificate a livello locale sono in parte condivise con la ricerca profit per tutti quegli aspetti che concorrono a definire l'attrattività complessiva del sistema nazionale in ambito di ricerca. Il network europeo e l'AIFA hanno seguito con attenzione nel tempo la sofferenza manifestata in particolare dal settore della ricerca no profit a seguito dell'implementazione del Regolamento europeo, attivando progressivamente iniziative a supporto del settore anche in base alle esigenze specifiche segnalate dai promotori. Proprio in tale direzione si inserisce l'azione di AIFA, che nel 2025 ha avviato due Bandi separati di finanziamento a studi no profit, uno dei quali dedicato esclusivamente agli studi sulle malattie rare.

I numeri ci mostrano che rimanere stabili all'interno di un contesto che arretra progressivamente rispetto al resto del mondo non può essere considerato un risultato completamente soddisfacente, soprattutto in un contesto di luci e ombre che sembra assicurare in termini di ricerca profit, ma rimane negativo per quanto riguarda la ricerca no profit, per di più senza indicazioni precise su quanto il complesso degli studi avviati pesi in termini di numeri di partecipanti totali. C'è quindi ancora molto margine per azioni di rafforzamento del sistema in Italia e su questo tema l'AIFA è impegnata in prima linea per fornire a tutti gli stakeholder il necessario supporto. A tale fine sono state pubblicate infatti proprio nel 2024 le Linee Guida sugli studi osservazionali e in materia di semplificazione e decentralizzazione delle sperimentazioni cliniche, come già è stato ricordato nel precedente Rapporto Nazionale, in anticipo quindi rispetto all'entrata in vigore delle nuove linee guida GCP, di cui tuttavia riprendono i principi.

L'AIFA è inoltre costantemente attiva e presente anche ai tavoli europei sulla ricerca, collaborando con i colleghi degli altri Stati per individuare le misure che possano incidere sulle criticità strutturali del sistema, partecipando direttamente a tutte le iniziative che possano costituire rafforzamento e semplificazione, quali le Joint Action della Commissione europea e soprattutto, dal 2024, i progetti pilota di advice coordinato per le sperimentazioni cliniche, che soprattutto per il progetto avviato dal Clinical Trials Coordination Group hanno visto una partecipazione di assoluto rilievo per l'Italia.

In questo Rapporto abbiamo presentato anche i numeri delle sperimentazioni cliniche attivate nei singoli centri. Sono numeri importanti, che da soli rappresentano la complessità e la difficoltà gestionale legate alla corretta integrazione di tali ricerche con i normali percorsi assistenziali che i centri di sperimentazione svolgono. È per questo che l'azione regolatoria dovrà concentrarsi in maniera specifica su armonizzazione, semplificazione e supporto ai centri di sperimentazione in cooperazione con tutte le altre istituzioni e organismi coinvolti a vario titolo nelle sperimentazioni cliniche, perché è in questo ambito che si stanno concentrando le vere difficoltà e gli ostacoli ad un'agevole attivazione degli studi. L'Italia presenta un contesto di solida eccellenza, come dimostrato da questi numeri, ed è sull'eccellenza dei centri italiani e sulla loro capacità di fare rete con altre strutture attualmente più periferiche e meno coinvolte, che si può puntare per rendere l'Italia un Paese realmente attrattivo per la ricerca.

In conclusione, pur registrando una performance stabile negli anni, l'Italia dimostra di aver saputo affrontare con sicurezza la nuova organizzazione delineata dal Regolamento europeo, senza essere riuscita ancora a trasformarla in quella leva che dia rapida spinta al settore con incrementi significativi degli studi svolti nel nostro Paese e un maggiore coinvolgimento di centri e partecipanti. Questa non deve essere però considerata una debolezza specifica dell'Italia, ma solo la conferma che il Regolamento sulle sperimentazioni cliniche rappresenta una fondamentale opportunità per ripensare a regole e organizzazioni locali, in ottica di armonizzazione delle procedure e semplificazione burocratica, perché non è sufficiente, da solo e nella sua attuale configurazione, a risolvere le criticità strutturali del sistema europeo nel confronto con le altre aree del mondo. In tale scenario, rimane quindi aperta la grande sfida di un ammodernamento del sistema a livello nazionale e locale che superi le frammentazioni di tipo amministrativo e organizzativo, sfruttando tempestivamente anche le opportunità offerte dalla tecnologia per costruire una integrazione intelligente di ricerca e assistenza clinica che valorizzi e sfrutti al tempo stesso l'eccellenza della sanità italiana.

Sperimentazioni Cliniche

Parte 1:

SPERIMENTAZIONI CLINICHE IN ITALIA
ANDAMENTO TEMPORALE

La Sperimentazione Clinica
dei Medicinali in Italia
22° Rapporto Nazionale
Anno 2025

L'andamento delle sperimentazioni cliniche autorizzate dall'AIFA negli ultimi anni contribuisce a descrivere l'impatto dell'applicazione del Regolamento (UE) n. 536/2014 con il go-live del Clinical Trial Information System (CTIS) del 31 gennaio 2022, diventato poi unica piattaforma dedicata dal 31 gennaio 2023. Il CTIS è il punto di ingresso unico per la presentazione, la valutazione e la supervisione delle sperimentazioni cliniche sui medicinali ad uso umano all'interno dell'Unione Europea (UE) e dello Spazio Economico Europeo (SEE). I dati in questo Rapporto, a differenza del precedente che erano relativi a un solo mese di gestione transitoria del CTIS e a 11 mesi di piena applicazione del Regolamento (UE) n. 536/2014, riguardano studi clinici autorizzati nel corso del 2024 esclusivamente attraverso il CTIS. Nella tabella 1 e nella Figura A è riportata la serie storica delle sperimentazioni cliniche autorizzate in Italia a partire dall'anno 2000.

Tabella 1**Sperimentazioni autorizzate dall'Autorità competente per anno**

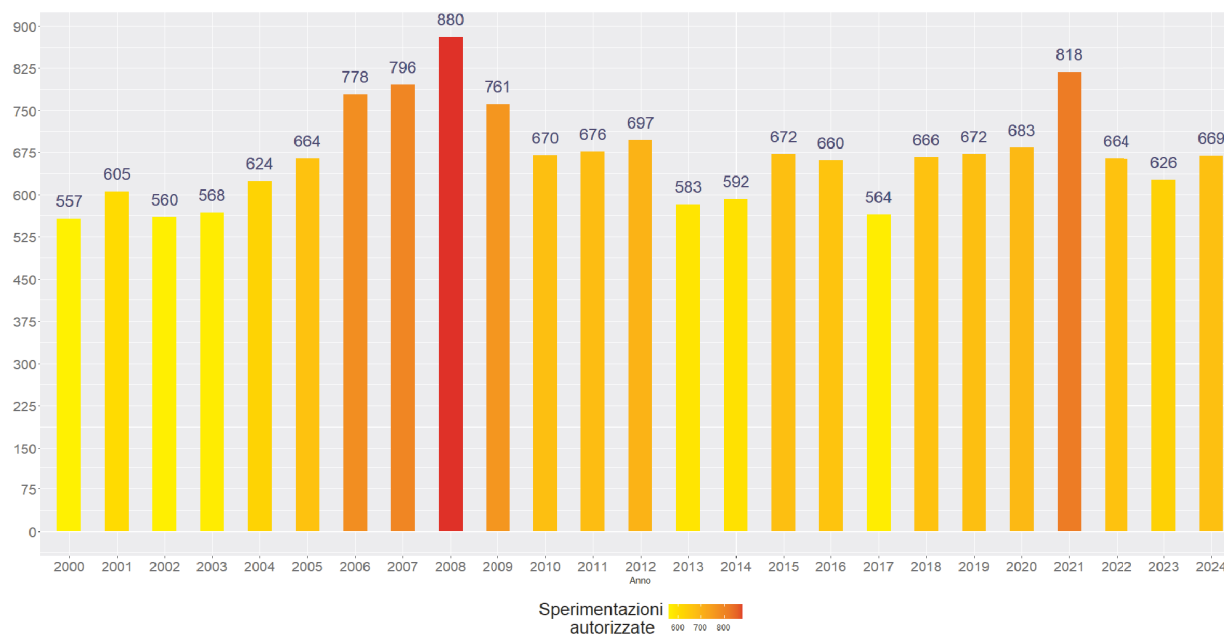
(dal 1° gennaio 2000 al 31 dicembre 2012: parere unico favorevole rilasciato dal Comitato etico del centro coordinatore; dal 1° gennaio 2013: autorizzazione rilasciata dall'AIFA)

Anno	Sperimentazioni autorizzate
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
2015	672
2016	660
2017	564
2018	666
2019	672
2020	683
2021	818
2022	664
2023	626
2024	669
Totale	16.705

Figura A

Sperimentazioni autorizzate dall'Autorità competente per anno

(dal 1° gennaio 2000 al 31 dicembre 2012: parere unico favorevole rilasciato dal Comitato etico del centro coordinatore; a partire dal 2013: autorizzazione rilasciata dall'AIFA)



Dopo il quadriennio 2006-2009, nel quale il numero di autorizzazioni si è attestato costantemente sopra le 750, con il picco delle 880 del 2008 che rimane a oggi il livello più alto mai raggiunto, nel decennio seguente il volume di autorizzazioni si attesta stabilmente nella fascia 600-700, con tre arretramenti al di sotto dei 600 studi autorizzati nel biennio 2013-2014 e poi nel 2017. La flessione nel primo biennio è quasi sicuramente legata ai cambiamenti normativi intervenuti, come ad esempio l'entrata in vigore della Legge n. 189/2012, che ha definito l'AIFA come Autorità Competente e ha portato alla riorganizzazione dei Comitati etici (CE) in base al DM 8/2/2013, con un potenziale impatto negativo sulla messa a punto della nuova operatività quotidiana da parte dei vari attori della sperimentazione clinica.

La flessione nel 2017, con un calo di circa 100 studi autorizzati rispetto all'anno precedente, è stata parallela a una diminuzione generale delle sperimentazioni in Europa, sul quale potrebbero aver inciso la diffusione dei nuovi approcci nelle strategie di sviluppo dei farmaci e altri fattori di non facile identificazione. L'uso sempre più diffuso di *trial* "complessi", che racchiudono in una singola sperimentazione due o più *trial* che in passato sarebbero stati presentati come individuali, anche di fasi differenti, probabilmente ha fatto sì che si verificasse una diminuzione del numero totale di studi presentati. In ambito europeo la tendenza negativa è proseguita, mentre per quanto riguarda l'Italia nel triennio 2018-20 si è osservato un ritorno ai valori precedenti, con il livello del 2020 che ha rappresentato il valore più alto dal 2013. Il dato, che comprendeva circa il 10% di studi su Sars-Cov-2, risulta particolarmente significativo proprio considerando l'impatto negativo della pandemia sulla gestione generale delle sperimentazioni cliniche in altri ambiti, fatto che in teoria avrebbe dovuto condurre a una contrazione generale delle domande di sperimentazione. Ciò però è stato anche controbilanciato dal numero significativo di sperimentazioni cliniche su SARS-Cov-2, che contribuirebbe a spiegare l'incremento rispetto all'anno precedente. Il dato del 2021, con 818 studi autorizzati, risulta ancora più significativo rappresentando il secondo valore più alto dell'intera serie storica, a indicare probabilmente anche la volontà del mondo della ricerca clinica di recuperare il tempo perduto a causa della pandemia. Il biennio successivo ha segnato una marcata contrazione rispetto al 2021, con 154 studi autorizzati in meno nel 2022 e ulteriori 38 in meno nel 2023, diminuzione questa comune a quasi tutti gli Stati Membri dell'UE causata con tutta probabilità dal riflesso del nuovo modello gestionale secondo Regolamento (UE) n. 536/2014, che ha richiesto un necessario periodo di

adattamento e che ha operato una sorta di “selezione naturale” tra gli attori responsabili del processo di ricerca, principalmente tra quelli no profit. Nel 2024 si osserva invece una ripresa consistente degli studi autorizzati da AIFA: il valore raggiunto è il più alto dell’ultimo triennio e rappresenta esattamente la media dei valori dell’intera serie.

Nella tabella 2 e nella figura B sono riportate le sperimentazioni cliniche autorizzate nel decennio 2015-2024, suddivise per fase dello sviluppo clinico, ovvero:

- **Fase I:** sono gli studi in cui ha inizio la sperimentazione del principio attivo sull’uomo, con lo scopo di fornire una prima valutazione della sicurezza e tollerabilità del medicinale. Questi studi sono condotti, in pochi centri clinici selezionati, su un numero limitato di volontari sani, per i quali è documentata l’assenza e la non predisposizione a malattie, oppure su piccoli numeri di pazienti che non hanno ulteriori alternative terapeutiche, per patologie particolarmente gravi quali quelle oncologiche. Nelle analisi di questo Rapporto, anche disegni di studio complessi, con approccio adattativo, classificati come fase I-II, rientrano comunque nella fase I, per quanto corrispondano ad essa solo per la parte iniziale del disegno, caratterizzandosi poi per maggiore ampiezza di scopo e complessità, fino a diventare talvolta veri e propri studi registrativi. Sperimentazioni di questa tipologia vengono classificate come di fase I perché attualmente, nei sistemi informatici, non è possibile differenziare in base ai criteri di selezione, tali studi da quelli più tradizionali di fase I.
- **Fase I:** sono gli studi in cui ha inizio la sperimentazione del principio attivo sull’uomo, con lo scopo di fornire una prima valutazione della sicurezza e tollerabilità del medicinale. Questi studi sono condotti, in pochi centri clinici selezionati, su un numero limitato di volontari sani, per i quali è documentata l’assenza e la non predisposizione a malattie, oppure su piccoli numeri di pazienti che non hanno ulteriori alternative terapeutiche, per patologie particolarmente gravi quali quelle oncologiche. Nelle analisi di questo Rapporto, anche disegni di studio complessi, con approccio adattativo, classificati come fase I-II, rientrano comunque nella fase I, per quanto corrispondano ad essa solo per la parte iniziale del disegno, caratterizzandosi poi per maggiore ampiezza di scopo e complessità, fino a diventare talvolta veri e propri studi registrativi. Sperimentazioni di questa tipologia vengono classificate come di fase I perché attualmente, nei sistemi informatici, non è possibile differenziare in base ai criteri di selezione, tali studi da quelli più tradizionali di fase I.
- **Fase II:** sono gli studi in cui viene indagata l’attività terapeutica del potenziale farmaco, ovvero la sua capacità di produrre sull’organismo umano gli effetti curativi desiderati e se ne studia anche la farmacocinetica, oltre a perfezionare le conoscenze sul profilo di sicurezza e sul dosaggio ottimale.
- **Fase III:** sono gli studi volti a determinare quanto è efficace il farmaco, se ha benefici in più rispetto a medicinali simili già in commercio e qual è il rapporto tra rischio e beneficio nell’indicazione e popolazione di pazienti definitivi. Sono questi gli studi *pivotal* per la registrazione dei medicinali. In questo caso i pazienti coinvolti sono centinaia o migliaia. L’efficacia del farmaco sui sintomi, sulla qualità della vita o sulla sopravvivenza è confrontata con un placebo, con altri farmaci già in uso o con nessun trattamento.
- **Fase IV:** include gli studi condotti dopo l’approvazione del farmaco nell’ambito delle indicazioni approvate e in piena osservanza di quanto contenuto nel Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto (RCP); è detta della “sorveglianza post marketing”, perché attuata dopo l’immissione in commercio.
- **Bioequivalenza:** sono studi di farmacocinetica effettuati per confrontare la biodisponibilità di due medicinali, ovvero la quantità di medicinale che passa nella circolazione sanguigna dopo somministrazione, in relazione alla velocità con cui questo avviene, con la finalità di dimostrare che un medicinale è equivalente al medicinale di riferimento. Spesso corrispondono ai c.d. studi di fase I su volontari sani

Per quanto riguarda la distribuzione degli studi autorizzati tra le varie fasi, nel 2024 si assiste a variazioni contenute rispetto al 2023 per la fase 1, +0,7% e la fase 4, +1%. Le fasi II e III hanno invece variazioni più marcate e contrapposte, rispettivamente -4,6% per la fase II, che arretra da 222 studi a 207 e +3 % per la fase III, che aumenta da 265 a 303 studi.

Tabella 2

Sperimentazioni per anno e fase

SC autorizzate 2015-2024: 6.694

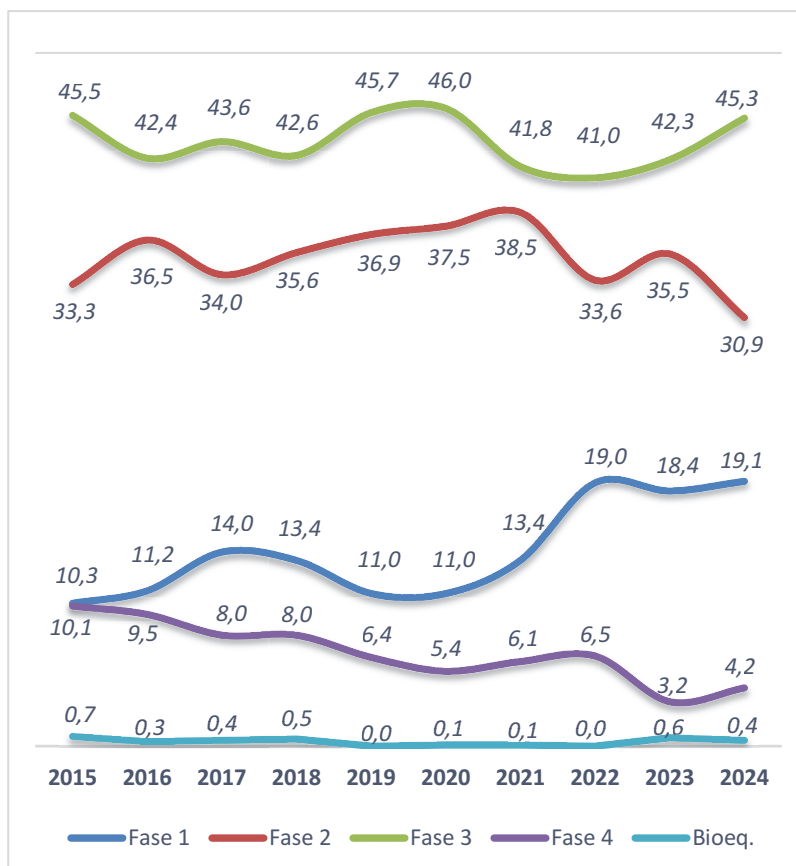
Anno	Fase I*		Fase II*		Fase III		Fase IV		Bioequivalenza		Totale
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	
2015	69	10,3	224	33,3	306	45,5	68	10,1	5	0,7	672
2016	74	11,2	241	36,5	280	42,4	63	9,5	2	0,3	660
2017	79	14,0	192	34,0	246	43,6	45	8,0	2	0,4	564
2018	89	13,4	237	35,6	284	42,6	53	8,0	3	0,5	666
2019	74	11,0	248	36,9	307	45,7	43	6,4	0	0,0	672
2020	75	11,0	256	37,5	314	46,0	37	5,4	1	0,1	683
2021	110	13,4	315	38,5	342	41,8	50	6,1	1	0,1	818
2022	126	19,0	223	33,6	272	41,0	43	6,5	0	0,0	664
2023	115	18,4	222	35,5	265	42,3	20	3,2	4	0,6	626
2024	128	19,1	207	30,9	303	45,3	28	4,2	3	0,4	669
Totale	939	14,0	2.365	35,3	2.919	43,6	450	6,7	21	0,3	6.694

* In questa e in tutte le tabelle successive, l'intestazione Fase I comprende anche le fasi I-II, mentre l'intestazione Fase II comprende anche le fasi II-III.

Figura B

Sperimentazioni autorizzate per anno e fase (%)

SC autorizzate 2015-2024: 6.694

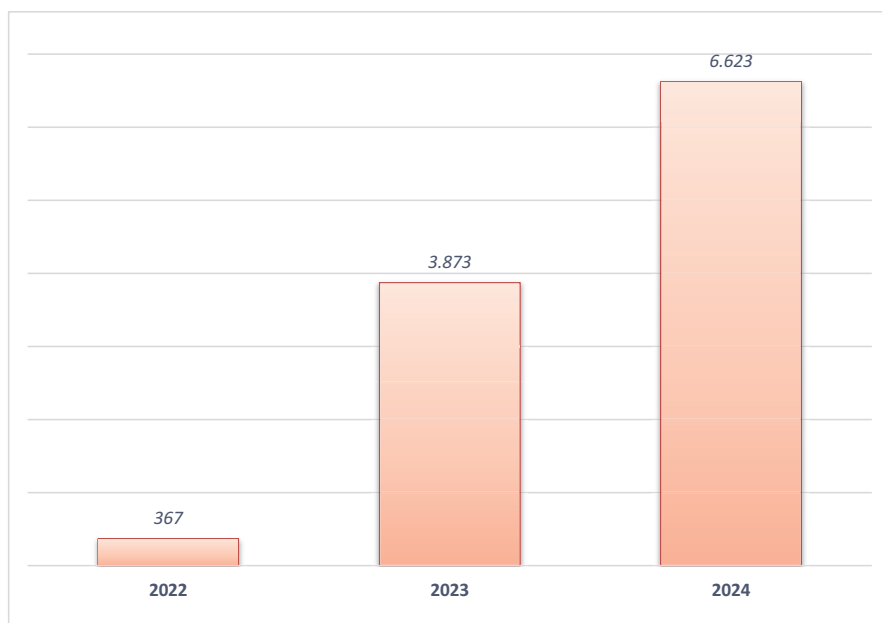


Nella tabella 3 e nella figura C è riportato il numero delle sperimentazioni cliniche autorizzate nei paesi UE ed EAA nel triennio 2022-2024, sottomesse obbligatoriamente tramite il CTIS a partire dal 30 gennaio 2023. I dati riportati non includono le autorizzazioni emesse da quei Paesi che sono stati aggiunti alla procedura di valutazione in un secondo momento rispetto alla sottomissione in CTIS iniziale (cosiddette procedure di *Subsequent Addition of Member State Concerned*).

Tabella 3
Sperimentazioni autorizzate in CTIS per anno e per Paese
 SC totali autorizzate nel triennio 2022-2024 tramite CTIS: 10.863

Paesi	Anno			
	2022	2023	2024	Totale
Spagna	58	531	864	1.453
Francia	51	433	769	1.253
Germania	38	449	738	1.225
Italia	33	348	603	984
Polonia	14	282	487	783
Paesi Bassi	26	251	454	731
Belgio	22	276	424	722
Danimarca	34	153	272	459
Repubblica Ceca	7	164	260	431
Ungheria	10	157	211	378
Svezia	12	109	184	305
Austria	4	104	183	291
Bulgaria	3	92	193	288
Portogallo	11	84	160	255
Grecia	8	82	163	253
Romania	5	83	150	238
Norvegia	12	41	101	154
Slovacchia	4	50	91	145
Finlandia	5	45	83	133
Irlanda	3	27	69	99
Croazia	2	31	49	82
Lituania	1	25	39	65
Lettonia	1	24	28	53
Estonia	1	22	26	49
Slovenia	0	8	17	25
Islanda	1	1	2	4
Cipro	0	1	2	3
Lussemburgo	1	531	1	2
Totale	367	3.873	6.623	10.863

Figura C
Sperimentazioni autorizzate in CTIS
SC autorizzate 2022-2024: 10.863



Sperimentazioni Cliniche Parte 2:

SPERIMENTAZIONI CLINICHE IN ITALIA

2024

La Sperimentazione Clinica
dei Medicinali in Italia
22° Rapporto Nazionale
Anno 2025

2.1 Esito dell’iter autorizzativo

In Italia, la procedura di autorizzazione di una sperimentazione clinica sui medicinali per uso umano è interamente armonizzata a livello europeo dal Regolamento (UE) n. 536/2014. Per essere avviata, una sperimentazione clinica deve aver ottenuto sia l’autorizzazione da parte dell’AIFA, che è l’Autorità competente nazionale, sia il parere favorevole del Comitato etico, che è un organismo indipendente che valuta gli aspetti etici, la sicurezza e il consenso informato dei pazienti. La domanda di autorizzazione si basa su un dossier completo che comprende tutte le informazioni disponibili sul medicinale relative agli aspetti di qualità, ai dati derivanti da studi preclinici, da precedenti studi clinici e dalla letteratura scientifica, alle informazioni di sicurezza disponibili al momento della sperimentazione, oltre al protocollo di studio e alla documentazione per il paziente (consenso informato e informazioni generali sulla sperimentazione in questione). La struttura del dossier di sperimentazione è standard e risponde a requisiti individuati dalla normativa europea e recepiti nella normativa nazionale, che fanno riferimento a parametri scientifici e linee guida internazionali. Le sperimentazioni, dunque, possono essere autorizzate solo se i dati presentati offrono adeguate garanzie in materia di qualità del farmaco oggetto della sperimentazione, sicurezza dello stesso nell’indicazione proposta, validità scientifica e accettabilità etica del disegno di studio proposto.

Nella tabella 4 e nella figura D sono riportati gli studi con iter autorizzativo concluso nel 2024 suddivisi per fase di sviluppo clinico. L’iter autorizzativo termina con l’“autorizzazione” o il “diniego” della richiesta di avvio dello studio o, in alcuni casi, con il ritiro volontario dello studio da parte del promotore. Vi sono inoltre altri due tipi di conclusione: quando il richiedente non fornisce tutti gli elementi necessari alla corretta sottomissione della domanda di autorizzazione le richieste saranno considerate “non validate”; quando il richiedente invece non fornisce gli ulteriori elementi richiesti durante la fase di valutazione le richieste verranno considerate “decadute”. Nel 2024 il numero di richieste di autorizzazione inserite in CTIS varia di poco rispetto a quello del 2023, 751 verso 764; quelle con l’iter di valutazione completo (autorizzazioni o dinieghi all’autorizzazione) sono state complessivamente 690 contro le 646 dell’anno precedente, mentre le decadute e le non validate sono risultate quasi identiche, 22 e 20; le procedure non autorizzate, infine, calano da 35 a 21. La differenza più evidente tra i due anni è costituita essenzialmente da un minor numero di procedure ritirate (59), il che testimonia il progressivo adattamento dei richiedenti al contesto del Regolamento (UE) n. 536/2014. Nella figura E si ha infine un riepilogo dei dati dell’ultimo triennio relativo agli studi autorizzati, non autorizzati e ritirati.

Tabella 4
Sperimentazioni con iter autorizzativo concluso nel 2024 per esito e fase
SC valutate nel 2024: 751

Esito	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bio-equivalenza		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Autorizzate	128	19,1	207	30,9	303	45,3	28	4,2	3	0,4	669	89,1
Ritirate	9	23,1	20	51,3	10	25,6	0	0,0	0	0,0	39	5,2
Non autorizzate	0	0,0	6	28,6	13	61,9	2	9,5	0	0,0	21	2,8
Decadute	1	5,3	7	36,8	6	31,6	5	26,3	0	0,0	19	2,5
Non validate	0	0,0	2	66,7	1	33,3	0	0,0	0	0,0	3	0,4
Totale	138	20,1	242	35,3	333	48,6	35	5,1	3	0,4	751	100,0

Figura D
Sperimentazioni con iter autorizzativo concluso nel 2024 per esito
SC valutate nel 2024: 751

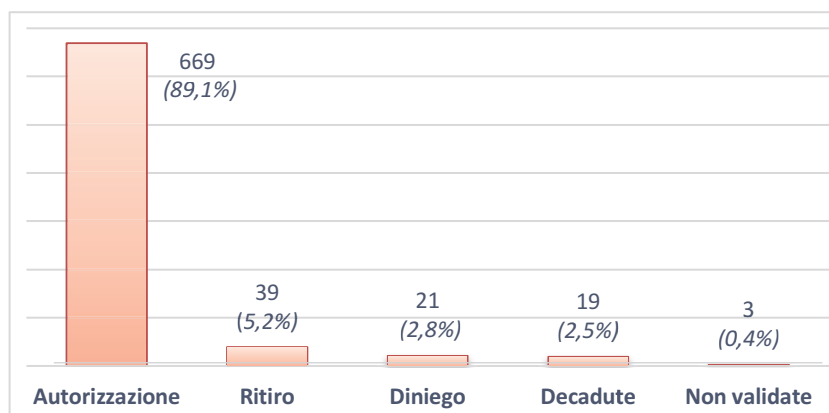
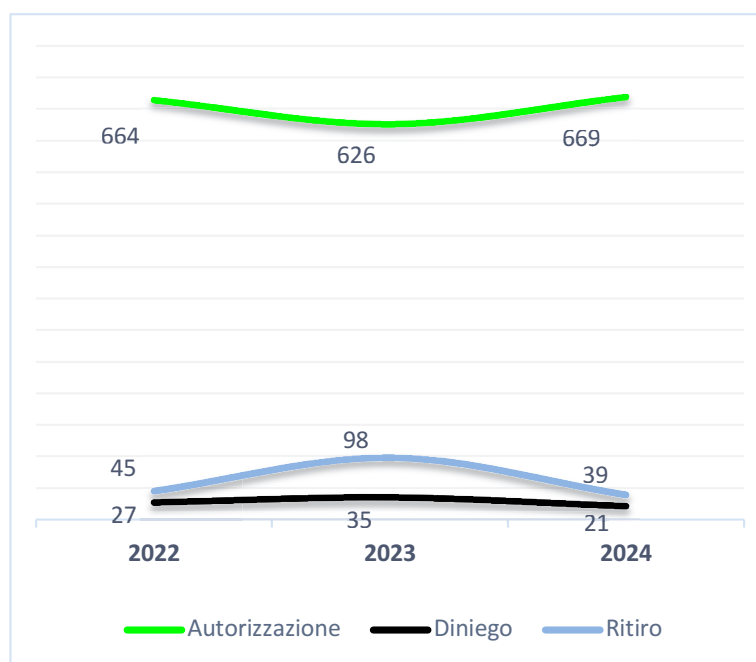


Figura E
Sperimentazioni con iter autorizzativo concluso nel triennio 2022-2024
SC valutate nel triennio: 2.224

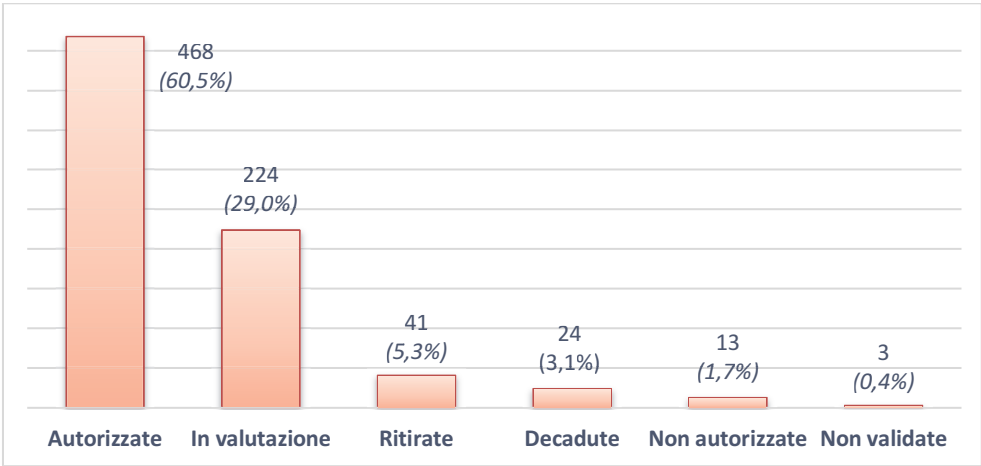


Nella tabella 5 e nella figura F sono riportate le sperimentazioni, suddivise per fase, la cui richiesta di autorizzazione è stata presentata in corso d’anno; questa grandezza misura il “volume” di ricerca clinica che è stato sottoposto all’AIFA nel 2024. Il numero di autorizzazioni rilasciate risulta inferiore rispetto a quello riportato nella tabella 4 in quanto vengono indicate solo le procedure sottoposte dal primo gennaio al 31 dicembre 2024. Oltre gli esiti già descritti in precedenza, in questo caso si considerano anche le procedure che al 31 dicembre risultavano in fase di valutazione; si tratta, nella maggior parte dei casi, di sperimentazioni la cui domanda, essendo stata presentata negli ultimi mesi dell’anno, vedrà la conclusione della procedura di valutazione nel 2025.

Tabella 5
Sperimentazioni presentate nel 2024 per esito dell’iter autorizzativo al 31 dicembre 2024 e fase
SC presentate nel 2024: 773

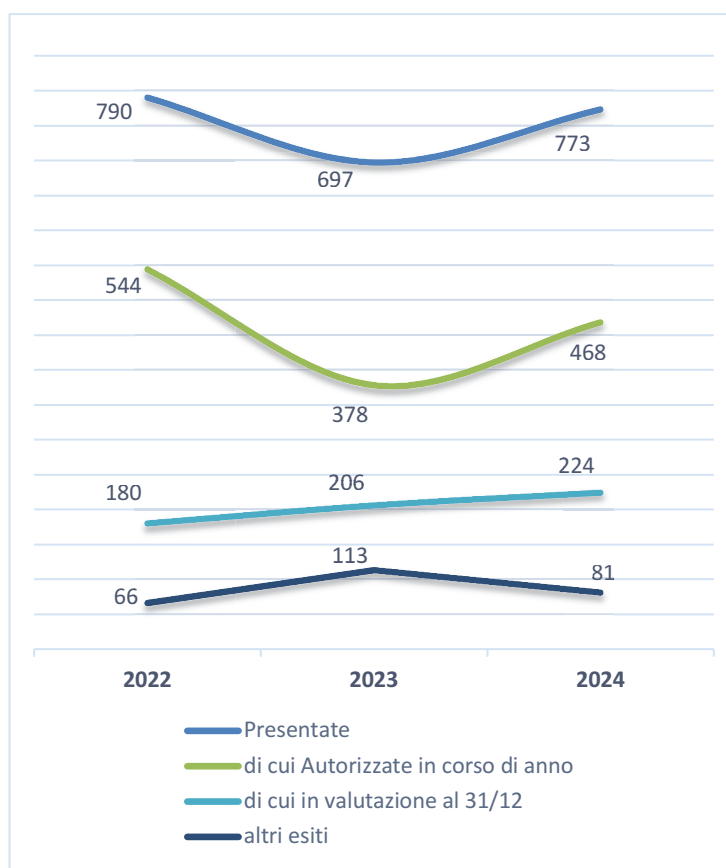
Esito	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Autorizzate	94	20,1	147	31,4	202	43,2	25	5,3	468	60,5
In valutazione	35	14,6	81	36,2	100	44,6	8	3,6	224	29,0
Ritirate	10	24,4	21	51,2	10	24,4	0	0,0	41	5,3
Decadute	1	4,2	9	37,5	7	29,2	7	29,2	24	3,1
Non autorizzate	0	0,0	5	38,5	6	46,2	2	15,4	13	1,7
Non validate	0	0,0	2	66,7	1	33,3	0	0,0	3	0,4
Totale	140	140	265	34,3	326	42,2	42	5,4	773	100,0

Figura F
Sperimentazioni presentate nel 2024 per esito
SC presentate nel 2024: 773



La figura G mostra l'andamento nell'ultimo triennio del volume di richieste di autorizzazione presentate e del loro esito alla fine dell'anno solare.

Figura G
Sperimentazioni presentate nel triennio 2022-2024
SC presentate nel triennio: 2.260



Esiste infine una categoria aggiuntiva di sperimentazioni cliniche caricate nel CTIS, le c.d. procedure “IMPD-Q only”. Si tratta di una categoria introdotta specificamente per i casi nei quali lo sponsor di una sperimentazione clinica non sia il proprietario del medicinale in fase di sperimentazione e non possa pertanto avere accesso al dossier di qualità del medicinale. Questo è il caso tipico delle sperimentazioni no profit, nelle quali lo sponsor non è infatti il titolare dei medicinali impiegati. Al fine di proteggere le informazioni commercialmente confidenziali presenti nel dossier di qualità, è stata introdotta questa opzione di sottomissione della domanda di autorizzazione, che permette di tutelare sia il titolare del medicinale in sperimentazione, sia lo sponsor. Gli Stati membri interessati (MSC) coincidono fra la domanda di sperimentazione e quella “IMPD-Q only”, che viene approvata in combinazione con la sperimentazione clinica associata. Nella tabella 6 sono riportate le procedure che hanno riguardato tale modalità.

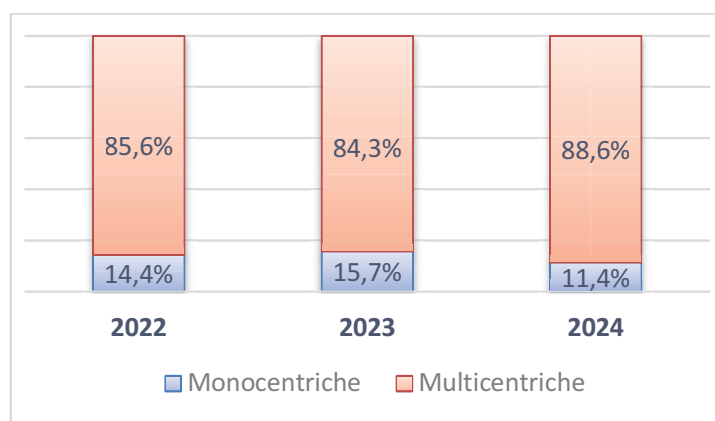
Tabella 6
Procedure IMPD-Q only presentate nel 2024 per esito dell’iter autorizzativo e fase
SC presentate nel 2024: 79

Esito	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Draft	9	22,0	14	34,1	17	41,5	1	2,4	41	51,9
Ritiro	11	34,4	12	37,5	8	25,0	1	3,1	32	40,5
Decadute	1	20,0	4	80,0	0	0,0	0	0,0	5	6,3
Non validate	0	0,0	1	100,0	0	0,0	0	0,0	1	1,3
Totale	21	26,6	31	39,2	25	31,6	2	2,5	79	100

2.2 Sperimentazioni monocentriche e multicentriche, nazionali e internazionali

La figura H fotografa la natura monocentrica o multicentrica delle sperimentazioni autorizzate nell'ultimo triennio; nel 2024 la distanza tra le due tipologie si è accentuata, in quanto sono state autorizzate 76 sperimentazioni monocentriche, pari all'11,4% del totale, a fronte di 593 multicentriche, pari all'88,6% del totale, con una divaricazione del 4,3% rispetto ai valori del 2023.

Figura H
Sperimentazioni per anno e tipologia: monocentrica / multicentrica in Italia
SC autorizzate nel triennio: 1.959

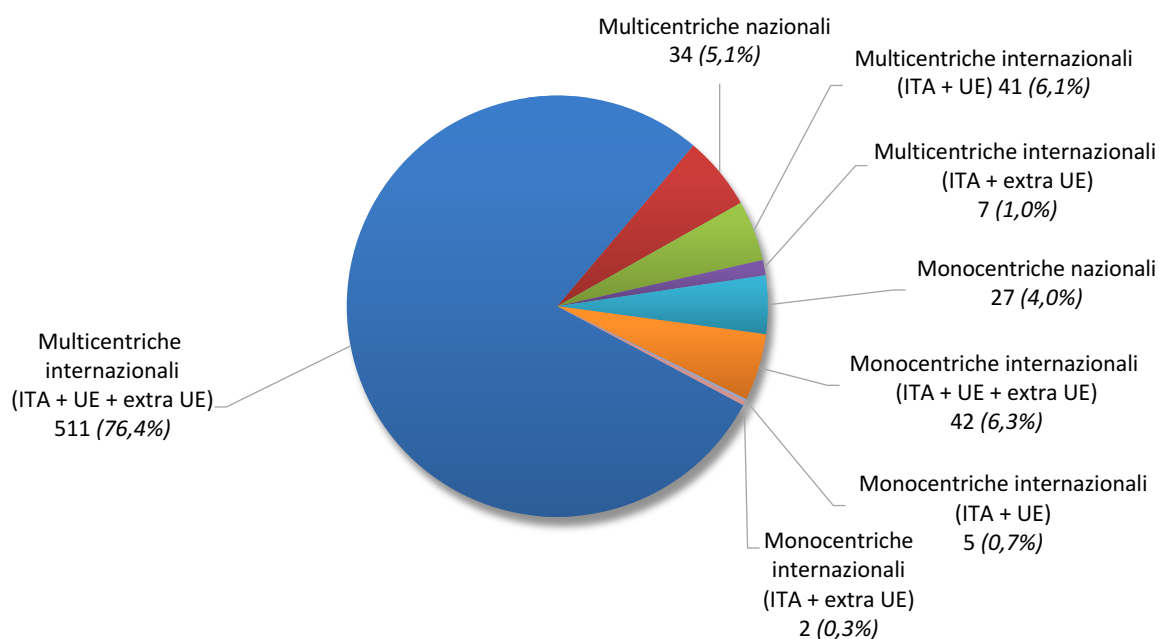


La figura I distingue le sperimentazioni *monocentriche* e *multicentriche* in base alla tipologia nazionale o internazionale; quest'ultima caratteristica può essere determinata dalla presenza di centri sperimentali in altri Stati europei, oppure al di fuori dell'Unione Europea oppure sia in UE che in extra UE. Si osserva che delle 669 sperimentazioni autorizzate in Italia nel 2024, 608 (90,9%) appartengono alla tipologia delle *internazionali* e 61 (9,1%) a quella delle *nazionali* (rispetto a una media nella Unione Europea pari al 44,3% e 55,7%); in Italia si assiste a uno spostamento a favore delle internazionali del 5,1% rispetto al 2023 (quando si aveva l'85,8% e il 14,2%).

Figura I

Sperimentazioni monocentriche e multicentriche in Italia, nazionali e internazionali

SC autorizzate nel 2024: 669, di cui 608 internazionali (90,9%) e 61 nazionali (9,1%)



2.3 Popolazione in studio

In questo paragrafo è presa in esame la popolazione di soggetti coinvolti nelle sperimentazioni cliniche. Nella tabella 7 è riportata la distribuzione per tipologia dei soggetti, distinti fra volontari sani e pazienti. Le 669 sperimentazioni autorizzate coinvolgono per la quasi totalità pazienti (99,0%), mentre le tipologie volontari sani e miste hanno quote contenutissime (0,7% e 0,3%).

Tabella 7
Sperimentazioni per tipologia della popolazione in studio e fase
SC autorizzate nel 2024: 669

Tipologia	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioequivalenza		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Pazienti	127	19,2	205	31,0	301	45,5	27	4,1	2	0,3	662	99,0
Volontari sani	1	20,0	1	20,0	1	20,0	1	20,0	1	20,0	5	0,7
Pazienti e volontari sani	0	0,0	1	50,0	1	50,0	0	0,0	0	0,0	2	0,3
Totale	128	19,1	207	30,9	303	45,3	28	4,2	3	0,4	669	100,0

Nella tabella 8 si descrive la distribuzione delle sperimentazioni autorizzate per tipologia di popolazione c.d. vulnerabile. Se i soggetti coinvolti nello studio clinico appartengono a una delle categorie riportate, la domanda di autorizzazione è valutata sulla base di considerazioni specifiche, alla luce delle conoscenze su quella determinata condizione o previa consulenza in merito alle questioni cliniche, etiche e psicosociali dell’ambito interessato, sempre nel rispetto di tutte le prerogative di natura etica proprie di tali condizioni.

Tabella 8
Sperimentazioni per tipologia della popolazione vulnerabile in studio
SC autorizzate nel 2024: 669, di cui 452 (67,6%) con popolazioni vulnerabili

Tipologia	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bio-equivalenza		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Donne in età fertile che utilizzano la contraccezione	74	19,0	120	30,8	187	47,9	8	2,1	1	0,3	390	61,5
Soggetti incapaci di dare personalmente il proprio consenso	14	13,6	29	28,2	56	54,4	4	3,9	0	0,0	103	16,2
Minori	14	16,3	20	23,3	50	58,1	2	2,3	0	0,0	86	13,6
Popolazione incapace	1	5,3	9	47,4	7	36,8	2	10,5	0	0,0	19	3,0
Altro	1	8,3	3	25,0	8	66,7	0	0,0	0	0,0	12	1,9
Donne in età fertile che non utilizzano la contraccezione	3	27,3	3	27,3	2	18,2	3	27,3	0	0,0	11	1,7
Soggetti in situazione di emergenza	0	0,0	3	60,0	2	40,0	0	0,0	0	0,0	5	0,8
Donne in gravidanza	1	20,0	0	0,0	4	80,0	0	0,0	0	0,0	5	0,8
Donne che allattano	1	33,3	0	0,0	2	66,7	0	0,0	0	0,0	3	0,5
Totale*	109	17,2	187	29,5	318	50,2	19	3,0	1	0,2	634	100,0

* Il totale complessivo è maggiore del numero di sperimentazioni autorizzate con popolazione vulnerabile in quanto per alcune di esse sono state indicate due o più tipologie.

Nella tabella 9 la ripartizione delle sperimentazioni autorizzate è invece per genere. Anche in questo caso lo scostamento dall’anno precedente è minimo, su quote che rimangono sostanzialmente stabili. Nel 2024 il numero di studi aventi come soggetti interessati persone sia di sesso maschile che femminile aumenta di un 1,6%, mentre rispetto all’anno precedente si osserva una leggera diminuzione degli studi aventi come soggetti interessati sole donne o soli uomini.

Tabella 9
Sperimentazioni per sesso della popolazione in studio e fase
SC autorizzate nel 2024: 669

Sesso	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioequivalenza		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Femmine e maschi	119	19,1	192	30,8	284	45,6	26	4,2	2	0,3	623	93,7
Femmine	2	8,3	9	37,5	12	50,0	1	4,2	0	0,0	24	3,5
Maschi	7	31,8	6	27,2	7	31,8	1	4,5	1	4,5	22	2,8
Totale	128	19,1	207	30,9	303	45,3	28	4,2	3	0,4	669	100,0

Nella tabella 10 è descritta la distribuzione delle sperimentazioni autorizzate per fasce di età.

Tabella 10
Sperimentazioni per età dei soggetti previsti
SC autorizzate nel 2024: 669

Fasce di età	2024	
	SC	%
Adulti (18-64 anni) e Anziani (≥ 65 anni)	511	76,4
Minori (< 18 anni), Adulti (18-64 anni) e Anziani (≥ 65 anni)	46	6,9
Minori (< 18 anni)	44	6,6
Adulti (18-64 anni)	36	5,4
Minori (< 18 anni) e Adulti (18-64 anni)	29	4,3
Anziani (≥ 65 anni)	2	0,3
Totale	669	100,0

Le sperimentazioni cliniche che vedono coinvolte la popolazione pediatrica (< 18 anni) e quella degli anziani (≥ 65 anni) devono essere svolte in condizioni che garantiscano la massima protezione possibile dei soggetti coinvolti. Ad esempio, prima che i bambini vengano inclusi negli studi clinici è necessario che siano disponibili e valutati i dati di sicurezza provenienti dagli adulti ed è opportuno iniziare lo studio con i bambini più grandi prima di estendere la sperimentazione a quelli più piccoli e poi ai neonati. L'azienda che sviluppa il farmaco deve presentare, obbligatoriamente e in anticipo, il piano di sperimentazione pediatrica (PIP, *Paediatric Investigation Plan*), al fine di assicurare che lo studio del farmaco nella popolazione pediatrica sia adeguato e rispetti le esigenze e il profilo di rischio specifici. Anche il coinvolgimento degli anziani negli studi clinici richiede particolare attenzione a causa del frequente manifestarsi di malattie concomitanti e dell'impiego contemporaneo di altri farmaci, con conseguente rischio d'interazione. Rispetto all'età dei soggetti coinvolti nello studio si osserva un aumento consistente degli studi condotti sulle fasce dai 18 anni in su, già tipicamente prevalente, che passa dal 68,2% al 76,4%; tutte le altre fasce d'età con valori rilevanti perdono qualcosa, rimanendo comprese tra il 4,3% e il 6,9%.

2.4 Area terapeutica e tipologia di medicinale

Nella tabella 11 è riportata la distribuzione delle sperimentazioni autorizzate nel 2024 per area terapeutica¹. L'area delle *neoplasie*, oncologiche ed emato-oncologiche, si conferma l'area con il maggior numero di sperimentazioni autorizzate con circa un terzo del totale (248) ed anche l'area con l'incremento maggiore sul 2023, +36. La seconda area ad aver registrato l'incremento più significativo è l'area delle *malattie della pelle e del tessuto connettivo* con 35 studi in più rispetto al 2023. Seguono l'area delle *malattie dell'apparato respiratorio* e delle *malattie dell'apparato digerente*, rispettivamente con 22 e 19 studi in più. Al contrario diminuiscono in misura notevole le sperimentazioni nell'area delle *malattie del sistema nervoso*, con -25 studi. Le restanti aree terapeutiche presentano variazioni del peso percentuale sul totale contenute, inferiori all'1% rispetto al 2023.

Tabella 11
Sperimentazioni per area terapeutica
SC autorizzate nel 2024: 669

Area terapeutica		2024				
		SC	%	% cum.	Δ ass. su 2023	Δ % su 2023
1	Neoplasie	248	32,4	32,4	36	-2,3%
2	Malattie del sistema immunitario	67	8,7	41,1	15	0,2%
3	Malattie cardiovascolari	48	6,3	47,4	10	0,0%
4	Malattie dell'apparato respiratorio	47	6,1	53,5	22	2,0%
5	Malattie dell'apparato digerente	44	5,7	59,3	19	1,7%
6	Malattie del sistema nervoso	43	5,6	64,9	-25	-5,5%
7	Malattie della pelle e del tessuto connettivo	43	5,6	70,5	32	3,8%
8	Malattie ematiche e linfatiche	36	4,7	75,2	-1	-1,4%
9	Malattie nutrizionali e metaboliche	25	3,3	78,5	5	0,0%
10	Malattie e anomalie congenite, ereditarie e neonatali	24	3,1	81,6	0	-0,8%
11	Malattie muscoloscheletriche	21	2,7	84,3	4	0,0%
12	Malattie dell'occhio	20	2,6	86,9	6	0,3%
13	Malattie virali	14	1,8	88,8	2	-0,1%
14	Malattie urogenitali femminili e complicazioni della gravidanza	8	1,0	89,8	2	0,1%
15	Non specificata	8	1,0	90,9	6	0,7%
16	Metabolismo	7	0,9	91,8	4	0,4%
17	Processi del sistema immunitario	6	0,8	92,6	2	0,1%
18	Disturbi mentali	6	0,8	93,3	1	0,0%
19	Infezioni batteriche e micosi	6	0,8	94,1	-2	-0,5%
20	Fenomeni del sistema immunitario	5	0,7	94,8	5	-0,7%
21	Condizioni patologiche, segni e sintomi	5	0,7	95,4	-1	-0,3%
22	Malattie ormonali	4	0,5	96,0	4	0,5%
23	Fenomeni fisiologici dell'apparato muscolo-scheletrico e neurale	3	0,4	96,3	3	0,4%
24	Terapie	3	0,4	96,7	2	0,2%

segue

¹ La classificazione non consente di distinguere tra le sperimentazioni in ambito oncologico e quelle in ambito onco-ematologico, con una distribuzione di entrambi queste tipologie nelle categorie "neoplasie", "sistema immunitario" e "malattie ematiche e linfatiche"

Area terapeutica		2024				
		SC	%	% cum.	Δ ass. su 2023	Δ % su 2023
25	Diagnosi	3	0,4	97,1	-1	-0,3%
26	Malattie urogenitali maschili	2	0,3	97,4	-1	-0,2%
27	Fenomeni fisiologici riproduttivi e urinari	2	0,3	97,7	2	0,3%
28	Fenomeni fisiologici oculari	2	0,3	97,9	2	0,3%
29	Fenomeni genetici	2	0,3	98,2	2	0,3%
30	Qualità, accesso e valutazione dell'assistenza sanitaria	2	0,3	98,4	2	0,3%
31	Malattie otorinolaringoiatriche	2	0,3	98,7	1	0,1%
32	Anestesia e analgesia	2	0,3	99,0	2	0,3%
33	Comportamento e meccanismi comportamentali	1	0,1	99,1	0	0,0%
34	Disturbi di origine ambientale	1	0,1	99,2	1	0,1%
35	Discipline comportamentali e attività	1	0,1	99,3	1	0,1%
36	Processi fisiologici	1	0,1	99,5	0	0,0%
37	Ambiente e salute pubblica	1	0,1	99,6	1	0,1%
38	Fenomeni fisiologici orali e del sistema digestivo	1	0,1	99,7	0	0,0%
39	Economia e organizzazioni sanitarie	1	0,1	99,9	1	0,1%
40	Malattie stomatognatiche	1	0,1	100,0	1	0,1%
Totale*		766			165	0,0%

* Il totale complessivo è maggiore del numero di sperimentazioni autorizzate in quanto per alcune di esse sono state indicate due o più aree terapeutiche.

Nella tabella 12 le sperimentazioni autorizzate nel 2024 sono suddivise per classificazione terapeutica ATC² (categoria Anatomica-Terapeutica-Chimica) primo livello del farmaco test specificato e fase di sviluppo clinico. Si osserva un notevole aumento della categoria degli *Antineoplastici e immunomodulatori (L)*, che passa dal 55,5% al 66,3%. Tutte le altre categorie hanno quote contenute e fra di esse solo le categorie *Apparato gastrointestinale e metabolismo (A)* e *Vari (V)* raggiungono una quota superiore al 5%; similmente a quanto osservato per le aree terapeutiche, la classificazione *Sistema nervoso (N)* vede più che dimezzarsi il numero di sperimentazioni con farmaco test appartenente a questa categoria, passando dalle 76 del 2023 alle 32 del 2024.

Tabella 12
Sperimentazioni per classificazione terapeutica e fase
SC autorizzate nel 2024: 669

Classificazione terapeutica ATC 1° livello	SC	%	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bio- equivalenza	
			SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
L Antineoplastici e immunomodulatori	490	66,3	121	24,7	136	27,8	212	43,3	21	4,3	0	0,0
A Apparato gastrointestinale e metabolismo	38	5,1	20	52,6	7	18,4	10	26,3	1	2,6	0	0,0
V Vari	38	5,1	5	13,2	13	34,2	17	44,7	3	7,9	0	0,0
N Sistema nervoso	32	4,3	1	3,1	5	15,6	16	50,0	10	31,3	0	0,0
B Sangue e organi emopoietici	28	3,8	1	3,6	5	17,9	17	60,7	4	14,3	1	3,6
J Antimicrobici generali per uso sistemico	27	3,7	1	3,7	7	25,9	10	37,0	8	29,6	1	3,7
C Sistema cardiovascolare	25	3,4	2	8,0	8	32,0	14	56,0	1	4,0	0	0,0
H Preparati ormonali sistemici, esclusi ormoni sessuali	19	2,6	0	0,0	5	26,3	11	57,9	1	5,3	2	10,5
R Sistema respiratorio	17	2,3	0	0,0	2	11,8	14	82,4	1	5,9	0	0,0
M Sistema muscolo-scheletrico	9	1,2	2	22,2	2	22,2	4	44,4	1	11,1	0	0,0
S Organi di senso	7	0,9	0	0,0	2	28,6	3	42,9	0	0,0	2	28,6
D Dermatologici	5	0,7	0	0,0	2	40,0	3	60,0	0	0,0	0	0,0
G Sistema genito-urinario e ormoni sessuali	4	0,5	0	0,0	0	0,0	4	100,0	0	0,0	0	0,0
Totale*	739	100	153	20,7	194	26,3	335	45,3	51	6,9	6	0,8

* Il totale complessivo è maggiore del numero di sperimentazioni autorizzate con popolazione vulnerabile in quanto per alcune di esse sono state indicate due o più classificazioni.

² In base al sistema di classificazione dei farmaci, sviluppato dal *Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology* dell'Organizzazione Mondiale della Sanità (WHO), l'ATC rappresenta un sistema di classificazione dei principi attivi dei farmaci, raggruppandoli in differenti categorie sulla base dell'apparato/organo su cui essi esercitano l'azione terapeutica e in funzione delle loro proprietà farmacologiche. Ogni principio attivo è generalmente associato a un codice univoco a cinque livelli; frequentemente il secondo, terzo e quarto livello sono utilizzati per identificare le classi farmacologiche.

Nella tabella 13 le sperimentazioni autorizzate sono suddivise per classificazione delle sostanze attive, secondo la nomenclatura utilizzata in CTIS, le cui definizioni sono di seguito riportate. Per “sostanza” si intende qualsiasi materia di composizione definita che abbia un’esistenza distinta, la cui origine possa essere biologica, minerale o chimica. Le sostanze sono definite utilizzando uno o più dei seguenti gruppi di elementi (classi).

1. Sostanze singole

- chimiche: tipo di sostanze caratterizzate da una struttura molecolare unica che non è né una proteina né un acido nucleico;
- proteine: tipo di sostanza costituita da una sequenza definita di aminoacidi alfa collegati tra loro tramite legami peptidici;
- acidi nucleici: tipo di sostanza che può essere definita come una sequenza lineare di nucleosidi, tipicamente collegati tramite esteri fosfatici.
- polimeri: tipo di sostanza polidispersa costituita da unità strutturali ripetitive collegate tra loro da legami covalenti;
- sostanze strutturalmente diverse: tipo di sostanza polidispersa isolata da un’unica fonte, costituita da una miscela complessa che non può essere descritta come una miscela di un numero limitato di singole sostanze. La maggior parte delle sostanze con struttura diversificata deriva da organismi biologici. Nell’ambito dell’*Extended EudraVigilance Medicinal Product Dictionary (XEVMPD)* il termine «sostanza strutturalmente diversa» può riferirsi a uno dei seguenti tipi:
 - a) vaccino – non proteico;
 - b) immunoglobulina;
 - c) di origine ematica;
 - d) allergene vegetale;
 - e) terapia cellulare;
 - f) altro.

2. Miscele

Tipo di sostanze polidisperse costituite da una combinazione di singole sostanze isolate insieme o ottenute mediante lo stesso processo di sintesi.

3. Sostanze specificate

Insieme di elementi che descrivono i materiali composti da più sostanze e forniscono ulteriori informazioni sulle sostanze e sui materiali composti da più sostanze rilevanti ai fini della descrizione dei medicinali. Esistono tre diversi gruppi di elementi che possono essere utilizzati per definire una determinata sostanza, nonché relazioni specifiche tra ciascun gruppo di elementi:

- Gruppo 1: costituenti (compresi gli elementi costitutivi dei materiali contenenti più sostanze, le sostanze marcatori e i solventi di estrazione per i preparati a base di erbe e gli estratti allergenici), la forma fisica e qualsiasi proprietà fisica essenziale per la definizione della sostanza specificata;
- Gruppo 2: informazioni limitate sulla produzione, sostanza madre o sostanza specificata del Gruppo 1, produttore, metodo di produzione di alto livello, tipo generale di metodo di produzione (ad es. sintetico, estrattivo, ricombinante), tipo di sistema di produzione (cioè linea cellulare, tessuto vegetale o animale), sistema di produzione (linea cellulare specifica);
- Gruppo 3: sostanza madre o sostanza specificata del Gruppo 1, grado e origine del grado (farmacopea, tecnica).

Tabella 13
Sperimentazioni per classificazione delle sostanze attive
SC autorizzate nel 2024: 669; 1.083 sostanze con ruolo TEST

Classificazione	2024	
	SC	%
Chimica	566	52,3
Proteine - Altro	407	37,6
Sostanza strutturalmente diversa - Altro	34	3,1
Acido Nucleico	28	2,6
Sostanza strutturalmente diversa - Terapia cellulare	22	2,0
Polimero	8	0,7
Sostanza specificata Gruppo 1	7	0,6
Miscela	6	0,6
Sostanza strutturalmente diversa - Immunoglobulina	3	0,3
Sostanza specificata Gruppo 3	1	0,1
Sostanza strutturalmente diversa - Derivato del sangue	1	0,1
Totale*	1.083	100,0

* Il totale è maggiore del numero di sperimentazioni autorizzate in quanto per alcune di esse sono state indicate due o più sostanze.

Le tabelle successive si focalizzano invece sulle sperimentazioni con medicinali di terapia avanzata (ATIMP). La tabella 14 mostra la ripartizione tra le varie tipologie di terapie avanzate.

Tabella 14
Sperimentazioni ATMP per tipo di terapia avanzata
SC autorizzate nel 2024: 669, di cui 39 con Advanced Therapy Medicinal Product

Esito	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Terapia genica	12	36,4	12	36,4	8	24,2	1	3,0	33	84,6
Terapia cellulare somatica	0	0,0	4	100,0	0	0,0	0	0,0	4	10,3
Terapia di ingegneria tissutale	0	0,0	0	0,0	2	100,0	0	0,0	2	5,1
Totale	12	30,8	16	41,0	10	25,6	1	2,6	39	100,0

Tabella 15
Sperimentazioni ATMP per area terapeutica e fase
SC autorizzate nel 2024: 669, di cui 39 con Advanced Therapy Medicinal Product

Area terapeutica	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
1 Neoplasie	3	25,0	7	58,3	2	16,7	0	0,0	12	29,3
2 Malattie del sistema immunitario	2	25,0	6	75,0	0	0,0	0	0,0	8	19,5
3 Malattie muscoloscheletriche	2	50,0	1	25,0	1	25,0	0	0,0	4	9,8
4 Malattie della pelle e del tessuto connettivo	2	66,7	0	0,0	1	33,3	0	0,0	3	7,3
5 Malattie nutrizionali e metaboliche	1	33,3	0	0,0	2	66,7	0	0,0	3	7,3
6 Malattie dell'occhio	0	0,0	0	0,0	2	100,0	0	0,0	2	4,9
7 Malattie del sistema nervoso	0	0,0	2	100,0	0	0,0	0	0,0	2	4,9
8 Malattie ematiche e linfatiche	0	0,0	0	0,0	1	50,0	1	50,0	2	4,9
9 Malattie e anomalie congenite, ereditarie e neonatali	0	0,0	1	50,0	1	50,0	0	0,0	2	4,9
10 Malattie Otorinolaringoiatriche	1	100,0	0	0,0	0	0,0	0	0,0	1	2,4
11 Malattie cardiovascolari	0	0,0	0	0,0	1	100,0	0	0,0	1	2,4
12 Malattie dell'apparato respiratorio	1	100,0	0	0,0	0	0,0	0	0,0	1	2,4
	12	29,3	17	41,5	11	26,8	1	2,4	41	100,0

* Il totale è maggiore del numero di sperimentazioni con ATMP autorizzate in quanto per alcune di esse sono state indicate due o più aree terapeutiche.

2.5 Promotore della sperimentazione clinica

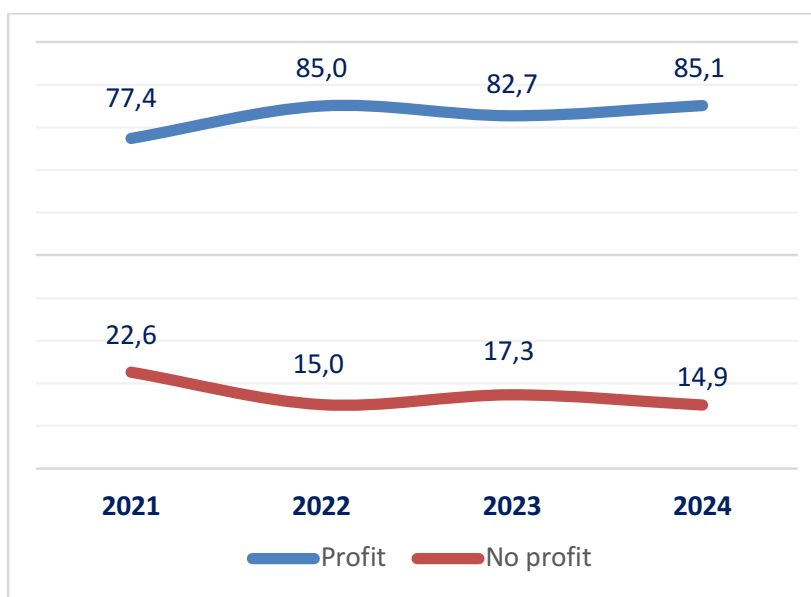
Il promotore della sperimentazione, come definito nel Regolamento (UE) n. 536/2014, è “una persona, società, istituzione oppure un organismo che si assume la responsabilità di avviare e gestire la sperimentazione clinica, curandone altresì il relativo finanziamento”. Nella tabella 16 e nella Figura L sono riportati i dati delle sperimentazioni cliniche autorizzate nel quadriennio 2021-2024 in funzione del promotore profit (azienda farmaceutica) o no profit (azienda ospedaliera, università, IRCCS, associazione scientifica, fondazione, ASL, casa di cura privata). Nel 2024 si osserva un calo del numero di studi di natura non commerciale, i quali passando dai 106 del 2023 (17,3%) ai 100 (14,9%), fanno registrare il dato più basso dell’intera serie storica a partire dal 2004.

Tabella 16
Sperimentazioni per anno e promotore profit / no profit
SC autorizzate nel quadriennio: 2.750

Anno	Profit		No profit		Totale
	SC	%	SC	%	SC
2021	633	77,4	185	22,6	818
2022*	554	85,0	98	15,0	652
2023	505	82,7	106	17,3	611
2024	569	85,1	100	14,9	669

* Il dato del 2022 è riferito a 652 sperimentazioni autorizzate anziché 663, in quanto per 11 di esse la procedura di valutazione non telematica non ha consentito l'estrazione di tutti i dati.

Figura L
Sperimentazioni per anno e promotore profit / no profit (%)
SC autorizzate nel quadriennio: 2.777



La tabella 17 mostra la suddivisione delle sperimentazioni autorizzate oltre che in base alla tipologia del promotore, profit o no profit, anche per fase di studio. Si osserva come nelle fasi I e III la quota dei promotori commerciali sia oltre il 90%; nella fase II cresce la presenza di sponsor no profit (19,3%), mentre solo nella fase IV i dati mostrano un relativo equilibrio.

Tabella 17
Sperimentazioni per tipologia promotore e fase
SC autorizzate nel 2024: 669, di cui 569 profit (85,1%) e 100 no profit (14,9%)

Esito	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioequivalenza		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Profit	117	92,0	165	80,7	273	92,4	11	43,5	3	100,0	569	85,1
No profit	11	8,0	42	19,3	30	7,6	17	56,5	0	0,0	100	14,9
Totale	128	19,1	207	30,9	303	45,3	28	4,2	3	0,4	669	100,0

La tabella 18 disaggrega ulteriormente l’analisi precedente, mostrando anche la suddivisione delle sperimentazioni autorizzate tra nazionali e internazionali; le percentuali di queste ultime, per ogni fase, sono riferite non al totale generale ma alla specifica tipologia di promotore. È interessante notare come, mentre per le sperimentazioni profit la quota delle internazionali sfiori la totalità (96,3%), per quelle no profit, che ricordiamo leggermente diminuite in valore assoluto rispetto al 2023 (100 verso 106), le due quote siano sostanzialmente paritarie (49% verso 51%).

Tabella 18
Sperimentazioni per tipologia promotore, tipologia e fase
SC autorizzate nel 2024: 669, di cui 569 profit (85,1%) e 100 no profit (14,9%)

Esito	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bio-equivalenza		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Profit	117	91,4	165	79,7	273	90,1	11	39,3	3	100	569	85,1
Nazionali	8	6,8	4	2,4	5	1,8	2	18,2	2	66,7	21	3,7
Internazionali	109	93,2	161	97,6	268	98,2	9	81,8	1	33,3	548	96,3
No profit	11	8,6	42	20,3	30	9,9	17	60,7	0	0,0	100	14,9
Nazionali	6	54,5	28	66,7	5	16,7	10	58,8	0	0,0	49	49,0
Internazionali	3	45,5	14	33,3	25	83,3	7	41,2	0	0,0	51	51,0
Totale	128	19,1	207	30,9	303	45,3	28	4,2	3	0,4	669	100,0

Nelle tabelle 19 e 20 vengono elencati i promotori profit e no profit che cumulativamente rappresentano il 50% delle sperimentazioni totali. Per quanto riguarda i promotori profit, si osserva che nel 2024 i primi 5 hanno presentato circa il 25% del volume totale delle sperimentazioni profit autorizzate, 137 su 569 (erano 9 nel 2023); il 50% degli studi profit vengono presentati da soli 22 promotori (erano 32 nel 2023). Le liste complete sono riportate nell'Allegato 1 in fondo al documento. I promotori profit sono in tutto 239, di cui ben 171 hanno presentato una sola sperimentazione.

Tabella 19
Sperimentazioni per promotore profit
SC autorizzate nel 2024: 569 di 669 (85,1%)

Promotore profit		2024		
		SC	%	% cum.
1	Merck Sharp & Dohme LLC	39	6,9	6,9
2	Astrazeneca AB	37	6,5	13,4
3	Novartis Pharma AG	22	3,9	17,2
4	Abbvie Deutschland GmbH & Co. KG	21	3,7	20,9
5	Glaxosmithkline Research & Development Limited	18	3,2	24,1
6	Sanofi-Aventis Research & Development	18	3,2	27,2
7	Janssen - Cilag International	15	2,6	29,9
8	Boehringer Ingelheim International GmbH	14	2,5	32,3
9	F. Hoffmann-La Roche AG	12	2,1	34,4
10	Bristol-Myers Squibb Services Unlimited Company	10	1,8	36,2
11	Incyte Corp.	10	1,8	38,0
12	Amgen Inc.	9	1,6	39,5
13	Pfizer Inc.	9	1,6	41,1
14	Eli Lilly & Co.	8	1,4	43,9
15	Takeda Development Center Americas Inc.	8	1,4	43,9
16	Gilead Sciences Inc.	6	1,1	45,0
17	Novo Nordisk A/S	6	1,1	46,0
18	Seagen Inc.	6	1,1	47,1
19	Argenx	5	0,9	48,0
20	Celgene Corp.	5	0,9	48,9
21	Bayer AG	4	0,7	49,6
22	Daiichi Sankyo Inc.	4	0,7	50,3
Totale		286	50,3	

Analogamente, nell'allegato n. 2 è riportata la lista intera dei promotori no profit e delle relative promosse. I primi 5 rappresentano il 23% del volume totale delle sperimentazioni no profit autorizzate (23 su 100), mentre i primi 19 totalizzano esattamente il 50% degli studi no profit autorizzati in Italia (50 su 100), con una distribuzione simile rispetto al 2023, quando le due quote furono raggiunte rispettivamente con il contributo di 6 e 17 promotori. In totale nel 2024 sono attivi 69 promotori dei quali 52 con un solo studio.

Tabella 20
Sperimentazioni per promotore no profit
SC autorizzate nel 2024: 100 di 669 (14,9%)

Promotore no profit		2024		
		SC	%	% cum.
1	Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS	5	5,0	5,0
2	Princess Maxima Center for Pediatric Oncology	5	5,0	10,0
3	University Medical Center Utrecht	5	5,0	15,0
4	European Organisation for Research and Treatment of Cancer	4	4,0	19,0
5	Gruppo Oncologico del Nord Ovest	4	4,0	23,0
6	IRCCS Istituto Nazionale Tumori Fondazione Pascale	3	3,0	26,0
7	Azienda Ospedaliero-Universitaria di Bologna IRCCS	2	2,0	28,0
8	Azienda Ospedaliero-Universitaria Maggiore della Carità	2	2,0	30,0
9	Centro di Riferimento Oncologico di Aviano	2	2,0	32,0
10	ETOP IBCSG Partners Foundation	2	2,0	34,0
11	Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori	2	2,0	36,0
12	Hamilton Health Sciences Corporation	2	2,0	38,0
13	IRCCS Istituto Giannina Gaslini	2	2,0	40,0
14	Istituto Oncologico Veneto	2	2,0	42,0
15	Istituto Romagnolo per lo Studio dei Tumori Dino Amadori IRST S.r.l.	2	2,0	44,0
16	Ospedale Pediatrico Bambino Gesù	2	2,0	46,0
17	Ospedale San Raffaele S.r.l.	2	2,0	48,0
18	Antwerp University Hospital	1	1,0	49,0
19	Arcagy Gineco	1	1,0	50,0
Totale		50	50,0	

2.6 Malattie rare

In questa sezione sono analizzate le sperimentazioni cliniche nell’ambito delle malattie rare. Una malattia si definisce “rara” quando la sua prevalenza, intesa come il numero di casi presenti su una data popolazione, non supera una soglia stabilita, che nell’Unione Europea è fissata allo 0,05% della popolazione, ovvero 5 casi su 10.000 persone. Il numero di malattie rare conosciute e diagnosticate non è definito in maniera univoca, ma si può stimare siano oltre 6.000, con una tendenza ad aumentare grazie all’avanzare della scienza, in particolare della ricerca genetica. Nella tabella 21 è riportato il numero delle sperimentazioni autorizzate nell’ambito delle malattie rare nel 2024, pari a 188 (28,1% del totale), suddivise per fase di sviluppo clinico. Essendo rimasto stabile il numero di studi rispetto al 2023 si assiste ad un leggero arretramento percentuale (-2,5%); rispetto al 2022 il calo è di 42 studi. Per quanto riguarda la suddivisione per fasi, si osserva una sostanziale coincidenza con quella generale, con variazioni inferiori ai due punti percentuali. Anche rispetto al peso sulle corrispettive fasi, in generale si osserva un’omogeneità sostanziale nelle fasi I, II e III.

Tabella 21
Sperimentazioni in malattie rare per fase
SC autorizzate nel 2024: 669, di cui 188 (28,1%) in malattie rare

Fase	2024		
	SC	% su SC in malattie rare	% su fase analoga SC autorizzate
Fase I	41	21,8	32,0
Fase II	60	31,9	29,0
Fase III	82	43,6	27,1
Fase IV	4	2,1	14,3
Bioequivalenza	1	0,5	33,3
Totale	188	100,0	

Per quanto attiene alla distribuzione delle sperimentazioni in malattie rare per classificazione delle sostanze attive, riportata nella tabella 22, si osserva una diminuzione sia della quota relativa alle sostanze chimiche (-2,6%) sia della quota relativa alla sostanza classificata come “proteine” (-8,8%) rispetto al totale degli studi e il complementare aumento delle altre voci.

Tabella 22
Sperimentazioni in malattie rare per classificazione delle sostanze attive
SC autorizzate nel 2024: 669, di cui 188 (28,1%) in malattie rare

Tipologia	2024	
	SC	%
Chimica	152	49,7
Proteine - Altro	88	28,8
N/A	17	5,6
Acido Nucleico	14	4,6
Sostanza strutturalmente diversa – Terapia cellulare	13	4,2
Sostanza strutturalmente diversa - Altro	12	3,9
Miscela	4	1,3
Polimero	3	1,0
Sostanza specificata Gruppo 1	1	0,3
Sostanza specificata Gruppo 3	1	0,3
Sostanza strutturalmente diversa – Derivato del sangue	1	0,3
Totale	306	100,0

* Il totale è maggiore del numero di sperimentazioni autorizzate in quanto per alcune di esse sono state indicate due o più sostanze.

Nella tabella 23 le sperimentazioni in malattie rare autorizzate nel 2024 in esame sono suddivise in base alla tipologia di promotore, profit o no profit, e al carattere nazionale o internazionale (le percentuali sono riferite al totale generale). Gli studi profit aumentano in termini assoluti di 23 unità, passando dall’81,8% al 93,6%, mentre dall’altro lato gli studi no profit calano da 34 a 12.

Tabella 23
Sperimentazioni in malattie rare per promotore profit / no profit, nazionali e internazionali
SC autorizzate nel 2024: 669, di cui 188 (28,1%) in malattie rare

Promotore	Nazionali		Internazionali		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%
Profit	5	2,7	171	91,0	176	93,6
No profit	5	2,7	7	3,7	12	6,4
Totale	10	5,3	178	94,7	188	100,0

Nelle tabelle 24 e 25 sono riportate rispettivamente le sperimentazioni nazionali e internazionali nell'ambito delle malattie rare, suddivise in base al promotore e alla fase di sviluppo clinico. Il numero ridottissimo di sperimentazioni nazionali non offre chiavi di lettura particolari.

Tabella 24

Sperimentazioni nazionali in malattie rare per promotore profit / no profit e fase

SC nazionali autorizzate nel 2024: 61, di cui 10 (16,4%) in malattie rare

Promotore	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioequivalenza		Totale nazionali	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Profit	2	40,0	2	40,0	1	20,0	0	0,0	0	0,0	5	50,0
No profit	1	20,0	4	80,0	0	0,0	0	0,0	0	0,0	5	50,0
Totale	3	30,0	6	60,0	1	10,0	0	0,0	0	0,0	10	100,0

Per quanto attiene infine alle sperimentazioni internazionali sulle malattie rare aumentano quelle profit passando da 152 a 171; mentre si dimezzano rispetto al 2023 gli studi no profit internazionali, da 14 a 7.

Tabella 25

Sperimentazioni internazionali in malattie rare per promotore profit / no profit e fase

SC internazionali autorizzate nel 2024: 569, di cui 178 (31,3%) in malattie rare

Promotore	Fase I		Fase II		Fase III		Fase IV		Bioequivalenza		Totale internazionali	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Profit	36	21,1	53	31,0	77	45,0	4	2,3	1	0,6	171	96,1
No profit	2	28,6	1	14,3	4	57,1	0	0,0	0	0,0	7	3,9
Totale	38	21,3	54	30,3	81	45,4	4	2,2	1	0,6	178	100,0

2.7 Scientific advice

Il continuo avanzare del progresso scientifico e tecnologico nello sviluppo dei medicinali pone sfide sempre nuove al mondo regolatorio, richiedendo approcci dinamici e innovativi, in grado di rispondere con efficacia alle esigenze in continua evoluzione. In questo contesto, il network europeo delle Agenzie Regolatorie promuove nuove modalità di interazione per favorire un confronto precoce con soggetti pubblici e privati impegnati nella ricerca e nello sviluppo di nuove metodologie e tecnologie, offrendo un supporto scientifico e regolatorio utile a definire in modo ottimale le sperimentazioni cliniche nel rispetto dei requisiti necessari alla registrazione dei medicinali.

La tabella 26 riporta l’esito delle sperimentazioni, distinte per fase, che avevano precedentemente ricevuto uno *scientific advice* (SA) nazionale da parte di un qualsiasi Stato Membro o dall’EMA. In questa definizione non è possibile distinguere tra *scientific advice* nazionali volti a supportare il titolare per gli aspetti di sviluppo e registrazione da quelli volti a fornire supporto per gli aspetti specifici delle sperimentazioni cliniche, mentre ovviamente lo *scientific advice* EMA è rivolto esclusivamente ad aspetti attinenti all’autorizzazione dei medicinali. La quota di studi con SA aumenta sensibilmente, passando dal 23,9% del 2023 al 38,5% del 2024. Migliora ulteriormente la percentuale di esito positivo della procedura di valutazione, dall’85,2% al 92,7% di autorizzazioni rilasciate, persistendo tuttavia un leggero calo rispetto al dato del 2022, quando tale valore era pari al 97,6%. La quota di sperimentazioni non autorizzate, invece, è solo del 2,1%. Il dato non comprende, inoltre, le sperimentazioni cliniche che hanno beneficiato di varie opzioni attualmente ancora allo stato di progetto pilota nell’ambito di iniziative di *consolidated advice* che prevedono una prospettiva di integrazione fra i vari organismi deputati, quali il consolidated advice del Clinical Trials Coordination Group (CTCG) o il SAWP-CTCG integrated advice, nel quale allo *scientific advice* a scopo registrativo di competenza del SAWP si aggiunge un advice mirato sulla sperimentazione clinica, fornito dal CTCG e dagli esperti degli uffici deputati alla valutazione delle sperimentazioni cliniche.

Tabella 26
Sperimentazioni con *scientific advice* per esito e fase
SC valutate nel 2024: 751, di cui 289 (38,5%) con *scientific advice*

Esito	Fase I		Fase II		Fase III		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%	SC	%
Autorizzate	33	12,3	61	22,8	174	64,9	268	92,7
Ritirate	1	7,7	5	38,5	7	53,8	13	4,5
Non autorizzate	0	0,0	0	0,0	6	100,0	6	2,1
Decadute	0	0,0	0	0,0	1	100,0	1	0,3
Non validate	0	0,0	1	100,0	0	0,0	1	0,3
Totale	34	11,8	67	23,2	188	65,1	289	100,0

2.8 I Comitati etici

Oltre agli aspetti scientifici e regolatori, le sperimentazioni cliniche richiedono anche il parere favorevole di un Comitato etico, come previsto nel paragrafo 2.1. Il comitato etico, in base a quanto previsto dalla normativa nazionale, è competente in via esclusiva per la valutazione dei documenti contenuti nella parte II del dossier di sperimentazione, tutti relativi ad aspetti puramente nazionali o diretti ai pazienti in lingua nazionale, fra i quali il più importante è il consenso informato.

Nella tabella 27 e nella figura L sono riportati i pareri dei comitati etici, suddivisi fra pareri emessi su sperimentazioni con promotore profit o no profit. Risultano operanti 41 Comitati etici, 39 territoriali più due Comitati etici a valenza nazionale quali il CEN per le sperimentazioni cliniche in ambito pediatrico e il CEN per le sperimentazioni cliniche relative alle terapie avanzate. La distribuzione dei pareri emessi è molto concentrata, con i primi 12 comitati etici che emettono almeno 20 pareri ciascuno e che cumulativamente esprimono il 68,2 % dei pareri unici totali.

Tabella 27
Sperimentazioni cliniche valutate per Comitato etico
SC valutate nel 2024: 669

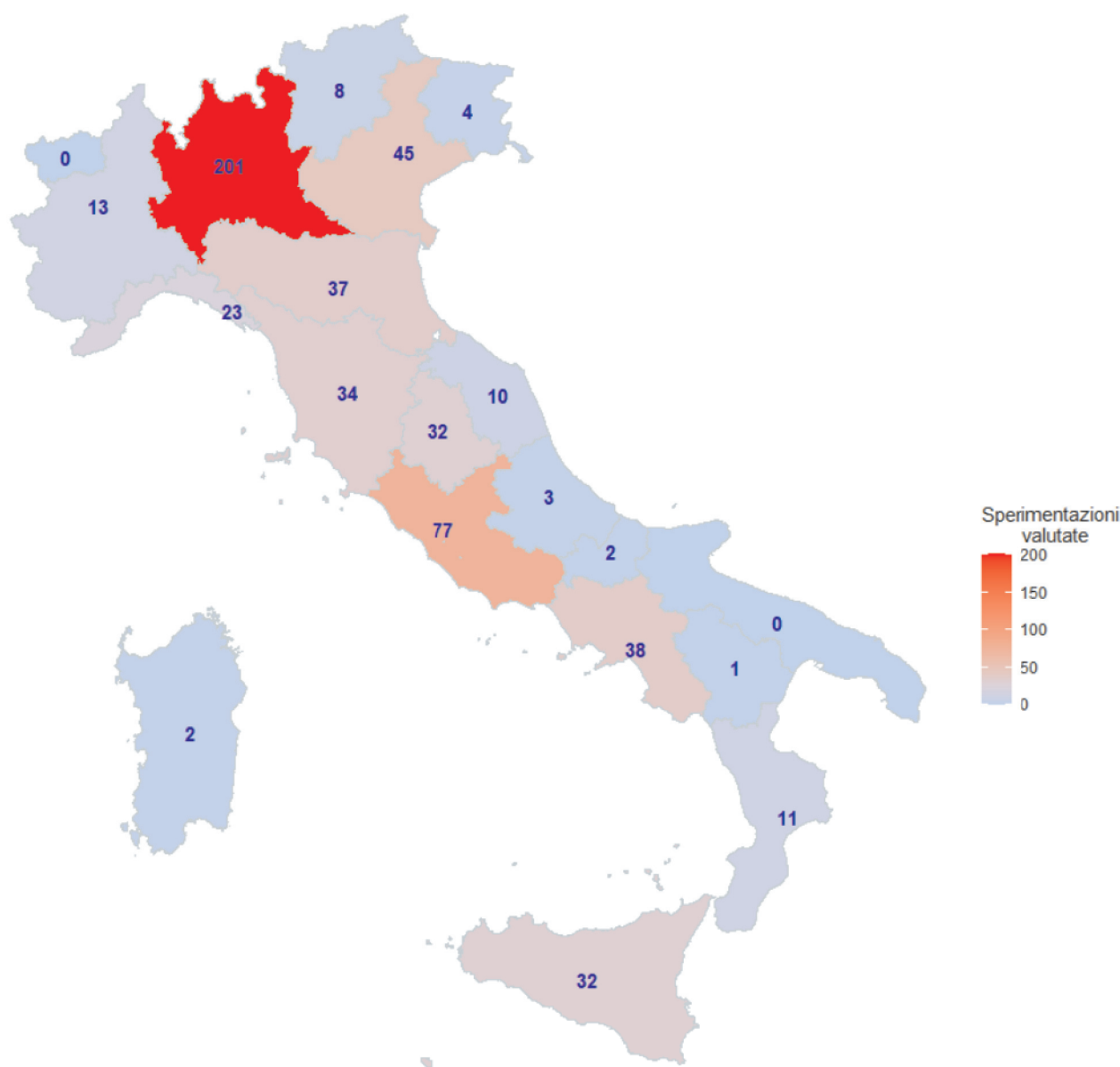
Comitato etico		2024				
		SC	%	% cum.	Profit	No profit
1	CET - Lombardia 4	71	10,6	10,6	62	9
2	CET - Lombardia 2	65	9,7	20,3	55	10
3	CEN - CE nazionale per le sperimentazioni cliniche in ambito pediatrico	56	8,4	28,7	53	3
4	CEN - CE nazionale per le sperimentazioni cliniche relative a terapie avanzate	40	6,0	34,7	32	8
5	CET - CE Lazio Area 3	34	5,1	39,8	31	3
6	CET - CE Campania 1	32	4,8	44,5	30	2
7	CET - CE Regionale dell'Umbria	32	4,8	49,3	29	3
8	CET - CE territoriale della regione siciliana	32	4,8	54,1	27	5
9	CET - CE territoriale Area sud-ovest Veneto	27	4,0	58,1	21	6
10	CET - Lombardia 6	24	3,6	61,7	22	2
11	CET - CE territoriale – Liguria	23	3,4	65,2	17	6
12	CET - CE Lazio Area 5	20	3,0	68,2	16	4
13	CET - CE area vasta Romagna (CEROM)	18	2,7	70,9	16	2
14	CET - Lombardia 3	16	2,4	73,2	13	3
15	CET - Lombardia 1	15	2,2	75,5	12	3
16	CET - CE regione Toscana - Area vasta sud est	15	2,2	77,7	15	0
17	CET - CE Area vasta Emilia centro (AVEC)	14	2,2	79,8	10	4
18	CET - CE Lazio area 1	13	1,9	81,8	8	5
19	CET - CE regione Toscana - Area vasta nord ovest	11	1,6	83,4	11	0
20	CET - CE territoriale Regione Calabria	11	1,6	85,1	10	1
21	CET - Lombardia 5	10	1,5	86,5	9	1
22	CET - CE della Regione Marche	10	1,5	88,0	6	4
23	CET - CE Area nord Veneto	9	1,3	89,4	7	2
24	CET - CE territoriale Area Centro-Est Veneto	9	1,3	90,7	5	4

segue

Comitato etico coordinatore		2024				
		SC	%	% cum.	Profit	No profit
25	CET - CE interaziendale AOU Maggiore della carità di Novara	8	1,2	91,9	8	0
26	CET - CE Regione Toscana - Area Vasta Centro	6	0,9	92,8	5	1
27	CET - CE Area vasta Emilia nord (AVEN)	5	0,7	93,6	5	0
28	CET - CE Lazio Area 2	5	0,7	94,3	3	2
29	CET - CE Lazio Area 4	5	0,7	95,1	5	0
30	CET - CE interaziendale AOU Città della salute e della scienza di Torino	5	0,7	95,8	4	1
31	CET - CE territoriale della PA di Trento per le sperimentazioni cliniche	5	0,7	96,6	2	3
32	CET - CE Campania 2	4	0,6	97,2	4	0
33	CET - Friuli-Venezia Giulia – CE unico regionale	4	0,6	97,8	3	1
34	CET - CE territoriale della regione Abruzzo C.Et.R.A	3	0,4	98,2	0	3
35	CET - CE per la sperimentazione clinica della PA di Bolzano	3	0,4	98,7	3	0
36	CET - Molise CE ASREM	2	0,3	99,0	1	1
37	CET - CE Sardegna	2	0,3	99,3	2	0
38	CET - CE Campania 3	2	0,3	99,6	2	0
39	CET - CE regione Toscana – Pediatrico	2	0,3	99,9	2	0
40	CET - CE unico regionale di Basilicata	1	0,1	100,0	1	0
	Totale	669	100,0		567	102

Nel cartogramma in figura M è rappresentata la distribuzione su base regionale delle sperimentazioni autorizzate dall'AIFA nel 2024 fra i 38 Comitati etici operanti a livello territoriale, così suddivisi: 6 in Lombardia, 5 nel Lazio, 4 in Toscana, 3 in Emilia-Romagna, Campania e Veneto, 2 in Piemonte e infine 1 per regione in Abruzzo, Basilicata, Calabria, Friuli-Venezia Giulia, Liguria, Marche, Molise, Provincia Autonoma di Bolzano, Provincia Autonoma di Trento, Sardegna, Sicilia, Umbria. Inoltre, il CEN pediatrico e il CEN ATMP hanno valutato rispettivamente 56 e 40 studi; non sono tuttavia riportati nel cartogramma con la distribuzione geografica, in ragione della loro valenza nazionale.

Figura M
Sperimentazioni cliniche valutate per Regione del Comitato etico
SC valutate nel 2024: 669



2.9 I siti di sperimentazione

Le sperimentazioni cliniche si svolgono in strutture cliniche nelle quali l’attività sperimentale si affianca e si integra anche con quella assistenziale. Alcune strutture rappresentano una vera e propria eccellenza sul territorio nazionale, ma il numero delle sperimentazioni svolte in contemporanea riflette anche le dimensioni dei siti di sperimentazione e la quantità di risorse disponibili. I centri di sperimentazione attivi nel 2024 in Italia sono stati 236; nella tabella 28 le strutture sanitarie sono raggruppate per ogni regione a cui sono associate le sperimentazioni condotte nei vari dipartimenti e unità in cui sono organizzate.

Tabella 28
Sperimentazioni cliniche autorizzate per Regione del centro clinico coinvolto
SC autorizzate nel 2024: 669

Regione	2024	
	N. Centri	SC autorizzate
Lombardia	56	551
Lazio	25	386
Emilia-Romagna	17	320
Toscana	11	243
Campania	18	233
Veneto	15	225
Piemonte	20	196
Sicilia	15	141
Puglia	12	128
Liguria	8	119
Friuli-Venezia Giulia	8	82
Marche	6	73
Umbria	5	54
Abruzzo	5	40
Sardegna	4	32
Calabria	5	31
Molise	1	12
Trentino-Alto Adige	2	7
Basilicata	3	5
Totale	236	

Tabella 29
Centri clinici per numero di sperimentazioni autorizzate nel 2024
SC autorizzate nel 2024: 669; primi 30 centri

Centro clinico		SC
1	Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS	203
2	IRCCS Azienda Ospedaliero Universitaria - Policlinico di Sant'Orsola	138
3	Ospedale San Raffaele S.r.l.	136
4	Fondazione IRCCS Ca Granda Ospedale Maggiore Policlinico	106
5	Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori	103
6	Careggi University Hospital	101
7	Azienda Ospedaliero Universitaria Pisana	97
8	Humanitas Research Hospital	90
9	IRCCS Ospedale Policlinico San Martino	83
10	Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo	80
11	Azienda Ospedaliera Universitaria Città della Salute e della Scienza di Torino	75
12	Azienda socio sanitaria territoriale degli Spedali Civili di Brescia	75
13	Humanitas Mirasole S.p.A.	74
14	IRCCS Istituto Nazionale Tumori Fondazione Pascale	72
15	Azienda Ospedaliera Ospedale Niguarda Ca Granda	71
16	Azienda Ospedaliero Universitaria di Modena	67
17	Fondazione IRCCS San Gerardo dei Tintori	65
18	Istituto Oncologico Veneto	65
19	Istituto Romagnolo per lo Studio dei Tumori Dino Amadori IRST S.r.l.	65
20	Azienda Ospedaliera Universitaria Federico II di Napoli	59
21	Azienda Ospedaliera Universitaria Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli	58
22	Azienda Ospedaliero Universitaria Delle Marche	57
23	Azienda Ospedaliero Universitaria Policlinico G. Rodolico-San Marco Di Catania	55
24	Azienda Ospedaliero-Universitaria Policlinico Umberto I	54
25	Fondazione Policlinico Universitario Campus Bio-Medico	54
26	Ospedale Pediatrico Bambino Gesù IRCCS	54
27	Azienda Ospedaliera Papa Giovanni XXIII	52
28	I.F.O. Istituti Fisioterapici Ospitalieri	50
29	Azienda Ospedaliero Universitaria Maggiore della Carità	49
30	Centro Ricerche Cliniche Di Verona S.r.l.	45

Mapa dei centri di Sperimentazione Clinica

Nel corso del 2025 l'AIFA ha reso disponibile sul portale istituzionale la mappa dei centri di sperimentazione collegata al CTIS, gestita dall'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA), mediante la quale gli utenti possono cercare le sperimentazioni in corso per area geografica e condizione clinica. La funzione di ricerca supporta domande formulate in linguaggio semplice e integra un sistema di correzione automatica che fornisce suggerimenti in caso di errori ortografici. I risultati restituiti includono i recapiti del ricercatore principale, consentendo al pubblico di informarsi direttamente sulla possibilità di partecipazione a una determinata Sperimentazione clinica. Questa prima versione della mappa è disponibile sia in inglese che in italiano, sebbene in lingua nazionale il numero delle informazioni sia più limitato. La mappa interattiva per la ricerca dei centri di Sperimentazione Clinica è consultabile direttamente sul portale istituzionale dell'AIFA al seguente link: <https://www.aifa.gov.it/mappa-dei-centri-di-sperimentazione-clinica>

Sperimentazioni Cliniche

Parte 3:

PROGRAMMI DI USO TERAPEUTICO DI
MEDICINALE SOTTOPOSTO
A SPERIMENTAZIONE CLINICA

La Sperimentazione Clinica
dei Medicinali in Italia
22° Rapporto Nazionale
Anno 2025

3.1 Programmi di uso compassionevole

Nel 2024 sono stati avviati 18 programmi di uso compassionevole, 10 dei quali hanno riguardato indicazioni oncologiche/ematologiche. Per la numerosità dei pazienti inclusi si segnalano quattro programmi:

- Dostarlimab, per il trattamento di prima linea nelle pazienti adulte affette da cancro endometriale primario avanzato o ricorrente dMMR/MSI-H, con 230 pazienti;
- Elacestrant, per il trattamento di pazienti affetti da carcinoma mammario localmente avanzato o metastatico positivo per i recettori degli estrogeni (ER) e negativo per HER2, con una mutazione attivante di ESR1, che mostrano progressione della malattia in seguito ad almeno una linea di terapia endocrina, ma non a più di 2 linee, comprendente un inibitore di CDK 4/6, con 312 pazienti;
- Fruquintinib, nel carcinoma coloretale metastatico in progressione dopo la terapia standard di terza o quarta linea con 235 pazienti;
- Durvalumab, in combinazione con chemioterapia a base di platino prima dell'intervento chirurgico (neoadiuvante), seguito da Durvalumab dopo l'intervento chirurgico (adiuvante) per il trattamento di pazienti con carcinoma polmonare non a piccole cellule in stadio II – IIIB resecabile (N2), con 232 pazienti.

Questi programmi hanno incluso un totale di 918 pazienti, che rappresentano più della metà di tutti i pazienti inclusi nei programmi di uso compassionevole avviati nel 2024 (1.642). Alcuni programmi che hanno incluso un numero considerevole di pazienti sono stati chiusi nel corso dell'anno: a febbraio 2024 si è concluso il programma di Durvalumab in associazione a gemcitabina e cisplatino per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma delle vie biliari metastatico o localmente avanzato, che da aprile 2022 ha incluso 1.511 pazienti; a settembre 2024 si è concluso il programma di Mavacamten per il trattamento della cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva (CMIO) sintomatica in pazienti adulti, che ha incluso 438 pazienti da ottobre 2023. Nel 2024 non sono stati presentati programmi riguardanti farmaci di terapia avanzata. Alla data del 31 dicembre 2024 risultavano attivi 27 programmi, inclusi quelli avviati negli anni precedenti.

La tabella 30 riporta l'elenco completo dei programmi attivi, che comprende quelli avviati nel 2024 o precedentemente, risultati ancora attivi al 31 dicembre 2024 o chiusi nel corso dell'anno.

Tabella 30
Programmi di uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica
(DM 7 settembre 2017)

Principio attivo	Indicazione	Pazienti trattati nel programma	Data apertura	Data chiusura
Alectinib	Trattamento adiuvante di pazienti con carcinoma polmonare non a piccole cellule ALK + resecato per i quali, a giudizio del medico, non sussista alcuna ulteriore alternativa terapeutica autorizzata	45	mar-24	Programma in corso
Amivantamab	Trattamento di pazienti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) avanzato, non precedentemente trattati, che presentano mutazioni Exon20ins, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	19	giu-24	Programma in corso
Avacopan	In associazione a un regime a base di rituximab o ciclofosfamide, per il trattamento di pazienti adulti con granulomatosi con poliangioite (GPA) o poliangioite microscopica (MPA) in fase attiva e severa	70	gen-22	giu-24
Berotrastat	Prevenzione degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario (AEE) in pazienti adulti e adolescenti a partire dai 12 anni di età.	21	giu-23	feb-24
Bimekizumab	Trattamento della Idrosiadenite suppurativa	3	giu-24	Programma in corso
Dostarlimab	Trattamento di prima linea nelle pazienti adulte affette da cancro endometriale primario avanzato o ricorrente dMMR/MSI-H non eleggibili alle alternative terapeutiche autorizzate	230	feb-24	Programma in corso
Dupilumab	Trattamento dell'esofagite eosinofila in adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni, con un peso di almeno 40 kg, non adeguatamente controllati da, intolleranti a, o che non sono candidati per la terapia farmacologica convenzionale (TCS da ingerire o PPI).	151	giu-23	lug-24
Dupilumab	Trattamento della dermatite atopica severa in bambini di età compresa tra 6 mesi e 5 anni con malattia non adeguatamente controllata dal trattamento con le terapie approvate ed eleggibili alla terapia con farmaci sistemici	64	giu-23	Programma in corso
Dupilumab	Trattamento di mantenimento aggiuntivo per la broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) non controllata, caratterizzata da un aumento degli eosinofili ematici, in combinazione con un corticosteroide per via inalatoria (ICS), un beta2-agonista a lunga durata d'azione (LABA) e un antagonista muscarinico a lunga durata d'azione (LAMA) o da un'associazione di un LABA e di un LAMA se l'ICS non è appropriato	53	ott-24	Programma in corso
Durvalumab	In associazione a gemcitabina e cisplatino per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma delle vie biliari metastatico o localmente avanzato	1.511	apr-22	feb-24

Principio attivo	Indicazione	Pazienti trattati nel programma	Data apertura	Data chiusura
Durvalumab	Trattamento con Durvalumab in combinazione con chemioterapia a base di platino prima dell'intervento chirurgico (neoadiuvante), seguito da durvalumab dopo l'intervento chirurgico (adiuvante) per il trattamento di pazienti con carcinoma polmonare non a piccole cellule in stadio II – IIIB resecabile (N2), per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	232	mag-24	Programma in corso
Durvalumab o Durvalumab + Olaparib	Trattamento di prima linea con chemioterapia a base di platino in combinazione con Durvalumab, seguito da Durvalumab o Durvalumab + Olaparib, in pazienti con cancro endometriale di nuova diagnosi o ricorrente in base allo MMR status	58	set-24	Programma in corso
Elacestrant	Trattamento di donne in postmenopausa, e di uomini, con carcinoma mammario localmente avanzato o metastatico positivo per i recettori degli estrogeni (ER) e negativo per HER2, con una mutazione attivante di ESR1, che mostrano progressione della malattia in seguito ad almeno una linea di terapia endocrina, ma non a più di 2 linee, comprendente un inibitore di CDK 4/6.	312	feb-24	ott-24
Elafibranor	Trattamento di pazienti affetti da colangite biliare primitiva, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	37	lug-24	Programma in corso
Entresto	Trattamento di pazienti pediatrici con insufficienza cardiaca sintomatica cronica con disfunzione sistolica ventricolare sinistra, per i quali, a giudizio del medico, non sussiste nessuna ulteriore alternativa terapeutica autorizzata	8	mar-24	Programma in corso
Epcoritamab	Trattamento di pazienti affetti da linfoma a cellule B di alto grado recidivato/refrattario (R/R), linfoma primitivo a cellule B del mediastino R/R e linfoma follicolare R/R, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	5	mag-24	Programma in corso
Olorofim	Trattamento delle infezioni fungine invasive per le quali non siano possibili alternative terapeutiche	8	feb-24	Programma in corso
Fruquintinib	Trattamento di pazienti con carcinoma coloretale metastatico in progressione dopo la terapia standard di terza o quarta linea e per i quali, a giudizio del medico, non sussista alcuna ulteriore alternativa terapeutica autorizzata	235	feb-24	Programma in corso
Givinostat	Trattamento di pazienti deambulanti di età dai 6 anni in su affetti da distrofia muscolare di Duchenne (DMD)	21	lug-24	Programma in corso
Glofitamab	Trattamento di pazienti con diagnosi di linfoma diffuso a grandi cellule B recidivato/refrattario (R/R DLBCL), linfoma ad alto grado recidivato/refrattario (R/R HGL), linfoma follicolare trasformato recidivato/refrattario (R/R trFL), linfoma primitivo del mediastino recidivato/refrattario (R/R PMBCL).	179	mar-22	mar-24
Iptacopan	Trattamento di pazienti adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (PNH) per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	18	lug-23	Programma in corso
Iptacopan	Trattamento di pazienti adulti affetti da glomerulopatia da C3 (C3G), trapiantati e non trapiantati, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	26	set-23	Programma in corso

Principio attivo	Indicazione	Pazienti trattati nel programma	Data apertura	Data chiusura
Ivacaftor/ Tezacaftor/ Elexacaftor	Trattamento di pazienti dai 2 ai 5 anni di età affetti da fibrosi cistica che hanno almeno una mutazione F508del nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR)	36	feb-24	nov-23
Mavacamten	Trattamento della cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva (CMIO) sintomatica (classe II-III secondo la classificazione della New York Heart Association, NYHA) in pazienti adulti che hanno esaurito le alternative terapeutiche autorizzate	438	ott-23	set-24
Momelotinib	Trattamento della splenomegalia o dei sintomi correlati alla malattia in pazienti adulti con anemia da moderata a severa che sono affetti da mielofibrosi primaria, mielofibrosi post policitemia vera o mielofibrosi post trombocitemia essenziale, che sono già stati trattati con ruxolitinib e per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	232	feb-24	dic-24
Niraparib / Abiraterone	Trattamento in prima linea in pazienti con carcinoma prostatico metastatico resistente alla castrazione e con alterazione dei geni HRR (Homologous Recombination Repair)	18	lug-22	Programma in corso
Odevixibat	Trattamento della Sindrome di Alagille	11	apr-22	Programma in corso
Pegunigalsidase alfa	Trattamento della malattia di Fabry	8	feb-23	gen-25
Plozasiran	Trattamento di pazienti adulti affetti da sindrome da chilomicronemia familiare (FCS) per i quali non sia possibile il trattamento con le alternative autorizzate	0	nov-24	Programma in corso
Polihexanide	Trattamento della cheratite da acanthamoeba	125	lug-22	ott-24
Ravulizumab	Terapia aggiuntiva alla terapia standard per il trattamento di pazienti adulti affetti da miastenia gravis generalizzata (MGg), positivi per gli anticorpi contro il recettore dell'acetilcolina (AChR+) e per i quali non sussistano alternative terapeutiche approvate	99	mar-23	lug-24
Repotrectinib	Trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) localmente avanzato o metastatico con riarrangiamenti ROS1:- in pazienti pretrattati con TKI che non hanno riscontrato benefici o hanno mostrato evidenze di progressione della patologia- in pazienti non eleggibili ai trattamenti autorizzati.	86	nov-23	gen-25
Rezafungin	Trattamento della candidemia e/o della candidosi invasiva	5	dic-22	feb-25
Ribociclib	Trattamento di pazienti con carcinoma mammario HR+, HER2- in stadio iniziale (stadi II e III) che richiedono un trattamento adiuvante, in combinazione con terapia endocrina, per i quali, a giudizio del medico, non sussista alcuna ulteriore alternativa terapeutica autorizzata	0	feb-24	Programma in corso
Ritlecitinib	Trattamento dell'alopecia areata grave in pazienti adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni che hanno esaurito le alternative terapeutiche autorizzate.	20	giu-23	mar-24
Rozanolixizumab	Trattamento di pazienti adulti affetti da miastenia gravis generalizzata, positivi agli autoanticorpi contro il recettore dell'acetilcolina (AChR-ab+) o positivi agli autoanticorpi tirosina chinasi muscolo-specifici (MuSK-ab+), che non rispondono o sono intolleranti o non idonei alle terapie attualmente disponibili, come terapia aggiuntiva alla terapia standard	17	dic-23	Programma in corso

Principio attivo	Indicazione	Pazienti trattati nel programma	Data apertura	Data chiusura
Secukinumab	Pazienti adulti con idrosiadenite suppurativa, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	84	ott-23	Programma in corso
Sotatercept	Trattamento dell'ipertensione arteriosa polmonare (PAH) in pazienti per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	41	nov-23	Programma in corso
Sparsentan	Trattamento di pazienti adulti affetti da nefropatia da Immunoglobulina A	7	giu-23	Programma in corso
Sutimlimab	Trattamento di pazienti adulti (> 18 anni) affetti da anemia da agglutinine fredde primaria (Cold Agglutinin Disease - CAD), limitatamente al trattamento dell'anemia emolitica di grado da moderato a grave, unfit, non-responder o ricaduti dopo un precedente trattamento con rituximab.	23	gen-23	Programma in corso
TAK-755 (rADAMTS13)	Trattamento e profilassi della Porpora trombocitopenica trombotica grave, ereditaria o congenita	2	apr-23	Programma in corso
Talquetamab	Trattamento del mieloma multiplo recidivante o refrattario in pazienti per i quali non sussistano alternative terapeutiche approvate	150	apr-23	ott-24
Vorasidenib	Trattamento di pazienti affetti da Glioma IDH1 o IDH2 mutato, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	144	apr-24	Programma in corso

Appendice Normativa

Aggiornamenti

La Sperimentazione Clinica
dei Medicinali in Italia
22° Rapporto Nazionale
Anno 2025

Elenco della normativa e della documentazione di riferimento pubblicata nel 2024 relativa alla sperimentazione clinica dei medicinali

Determina AIFA 8 agosto 2024
G.U. n. 194 del 20 agosto 2024

Linea guida in materia di semplificazione regolatoria ed elementi di decentralizzazione ai fini della conduzione di sperimentazioni cliniche dei medicinali in conformità al Regolamento (UE) n. 536/2014. (Determina n. 424/2024)

Determina AIFA 8 agosto 2024
G.U. n. 194 del 20 agosto 2024

Linea guida per la classificazione e conduzione degli studi osservazionali sui farmaci. (Determina n. 425/2024)

Allegati

La Sperimentazione Clinica
dei Medicinali in Italia
22° Rapporto Nazionale
Anno 2025

Allegato 1 Promotori profit delle sperimentazioni autorizzate nel 2024

Tabella 31
Sperimentazioni per promotore profit
SC autorizzate nel 2024: 569 di 669 (85,1%)

Promotore profit		2024		
		SC	%	% cum.
1	Merck Sharp & Dohme LLC	39	6,9	6,9
2	Astrazeneca AB	37	6,5	13,4
3	Novartis Pharma AG	22	3,9	17,2
4	Abbvie Deutschland GmbH & Co. KG	21	3,7	20,9
5	Glaxosmithkline Research & Development Limited	18	3,2	24,1
6	Sanofi-Aventis Research & Development	18	3,2	27,2
7	Janssen - Cilag International	15	2,6	29,9
8	Boehringer Ingelheim International GmbH	14	2,5	32,3
9	F. Hoffmann-La Roche AG	12	2,1	34,4
10	Bristol-Myers Squibb Services Unlimited Company	10	1,8	36,2
11	Incyte Corp.	10	1,8	38,0
12	Amgen Inc.	9	1,6	39,5
13	Pfizer Inc.	9	1,6	41,1
14	Eli Lilly & Co.	8	1,4	42,5
15	Takeda Development Center Americas Inc.	8	1,4	43,9
16	Gilead Sciences Inc.	6	1,1	45,0
17	Novo Nordisk A/S	6	1,1	46,0
18	Seagen Inc.	6	1,1	47,1
19	Argenx	5	0,9	48,0
20	Celgene Corp.	5	0,9	48,9
21	Bayer AG	4	0,7	49,6
22	Daiichi Sankyo Inc.	4	0,7	50,3
23	Institut De Recherches Internationales Servier IRIS	4	0,7	51,0
24	Revolution Medicines Inc.	4	0,7	51,7
25	UCB Biopharma	4	0,7	52,4
26	Acadia Pharmaceuticals Inc.	3	0,5	52,9
27	Alexion Pharmaceuticals Inc.	3	0,5	53,4
28	Arrowhead Pharmaceuticals Inc.	3	0,5	54,0
29	Ascendis Pharma	3	0,5	54,5
30	Beigene Ltd.	3	0,5	55,0
31	Biohaven Therapeutics Ltd.	3	0,5	55,5
32	Cardurion Pharmaceuticals Inc.	3	0,5	56,1

Promotore profit		2024		
		SC	%	% cum.
33	Horizon Therapeutics Ireland Designated Activity Company	3	0,5	56,6
34	Immunocore Limited	3	0,5	57,1
35	Ipsen	3	0,5	57,6
36	Philogen S.p.A.	3	0,5	58,2
37	PPM Services S.A.	3	0,5	58,7
38	Regeneron Pharmaceuticals Inc.	3	0,5	59,2
39	Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)	3	0,5	59,8
40	89bio Inc.	2	0,4	60,1
41	Alpine Immune Sciences Inc.	2	0,4	60,5
42	Anaptysbio Inc.	2	0,4	60,8
43	Astellas Pharma Global Development Inc.	2	0,4	61,2
44	Biomarin Pharmaceutical Inc.	2	0,4	61,5
45	Celldex Therapeutics Inc.	2	0,4	61,9
46	Collectis	2	0,4	62,2
47	Cytokinetics Inc.	2	0,4	62,6
48	Dianthus Therapeutics Inc.	2	0,4	62,9
49	Dompè Farmaceutici S.p.A.	2	0,4	63,3
50	Hexal AG	2	0,4	63,6
51	Italfarmaco S.p.A.	2	0,4	64,0
52	Jazz Pharmaceuticals Ireland Limited	2	0,4	64,3
53	Karyopharm Therapeutics Inc.	2	0,4	64,7
54	K-Group Beta Inc.	2	0,4	65,0
55	Kite Pharma Inc.	2	0,4	65,4
56	Lupin Atlantis Holdings SA	2	0,4	65,7
57	Medica Scientia Innovation Research S.L.	2	0,4	66,1
58	Merck Healthcare KGaA	2	0,4	66,4
59	Merus N.V.	2	0,4	66,8
60	Mineralys Therapeutics Inc.	2	0,4	67,1
61	Mirum Pharmaceuticals Inc.	2	0,4	67,5
62	Moderna Therapeutics Inc.	2	0,4	67,8
63	Sarepta Therapeutics Inc.	2	0,4	68,2
64	Sutro Biopharma Inc.	2	0,4	68,5
65	Teva Branded Pharmaceutical Products R&D Inc.	2	0,4	68,9
66	Viiv Healthcare UK Limited	2	0,4	69,2
67	Viridian Therapeutics S.à.r.l.	2	0,4	69,6
68	Zenas Biopharma (USA) LLC	2	0,4	69,9

Promotore profit		2024		
		SC	%	% cum.
69	Abliva AB	1	0,2	70,1
70	Abx Advanced Biochemical Compounds	1	0,2	70,3
71	Acrotech Biopharma Inc.	1	0,2	70,5
72	Airway Therapeutics Inc.	1	0,2	70,7
73	Akero Therapeutics Inc.	1	0,2	70,8
74	Alector LLC	1	0,2	71,0
75	Alfasigma S.p.A.	1	0,2	71,2
76	Alimentiv Inc.	1	0,2	71,4
77	Alkermes Inc.	1	0,2	71,5
78	Almirall S.A.	1	0,2	71,7
79	Amber Ophthalmics Inc.	1	0,2	71,9
80	Amylyx Pharmaceuticals Inc.	1	0,2	72,1
81	Arbutus Biopharma Inc.	1	0,2	72,2
82	Arcus Biosciences Inc.	1	0,2	72,4
83	Areteia Therapeutics Inc.	1	0,2	72,6
84	Aribio Co. Ltd.	1	0,2	72,8
85	Arthex Biotech S.L.	1	0,2	72,9
86	Ascentage Pharma Group Inc.	1	0,2	73,1
87	Atamyo Therapeutics	1	0,2	73,3
88	Aura Biosciences Inc.	1	0,2	73,5
89	Avalyn Pharma Inc.	1	0,2	73,6
90	Aveo Pharmaceuticals Inc.	1	0,2	73,8
91	Avidity Biosciences Inc.	1	0,2	74,0
92	Bicycletx Limited	1	0,2	74,2
93	Bioaegis Therapeutics Inc.	1	0,2	74,3
94	Biocodex	1	0,2	74,5
95	Biocompatibles UK Limited	1	0,2	74,7
96	Biomedica Foscama Industria Chimico-Farmaceutica S.p.A.	1	0,2	74,9
97	Bioprojet Pharma	1	0,2	75,0
98	Blueprint Medicines Corp.	1	0,2	75,2
99	Bolt Biotherapeutics Inc.	1	0,2	75,4
100	C4 Therapeutics Inc.	1	0,2	75,6
101	CDR-Life AG	1	0,2	75,7
102	Celltrion Inc.	1	0,2	75,9
103	Chemo Research S.L., Inmunova S.A.	1	0,2	76,1
104	Chiesi Farmaceutici S.p.A.	1	0,2	76,3

Promotore profit		2024		
		SC	%	% cum.
105	Chugai Pharmaceutical Co. Ltd.	1	0,2	76,4
106	Clinuvel Inc.	1	0,2	76,6
107	Colorado Prevention Center, George Clinical Netherlands B.V.	1	0,2	76,8
108	Constellation Pharmaceuticals, Inc.	1	0,2	77,0
109	CSL Behring LLC	1	0,2	77,2
110	Cutiss AG	1	0,2	77,3
111	Cynata Therapeutics Limited	1	0,2	77,5
112	D3 Bio (Wuxi) Co. Ltd.	1	0,2	77,7
113	Deciphera Pharmaceuticals Inc.	1	0,2	77,9
114	Dicofarm S.p.A.	1	0,2	78,0
115	Dimerix Bioscience Pty Limited	1	0,2	78,2
116	Dren Bio 01 Inc.	1	0,2	78,4
117	Dualitybio Inc.	1	0,2	78,6
118	Edgewise Therapeutics Inc.	1	0,2	78,7
119	Eikon Therapeutics Inc.	1	0,2	78,9
120	Enliven Therapeutics Inc.	1	0,2	79,1
121	Enterprise Therapeutics Limited	1	0,2	79,3
122	Erasca Inc.	1	0,2	79,4
123	Erydel S.p.A.	1	0,2	79,6
124	European Myeloma Network Stichting	1	0,2	79,8
125	Evergreen Theragnostics Inc.	1	0,2	80,0
126	Exelixis Inc.	1	0,2	80,1
127	Eyebiotech Limited	1	0,2	80,3
128	Ferrer Internacional S.A.	1	0,2	80,5
129	Fidia Farmaceutici S.p.A.	1	0,2	80,7
130	GB002 Inc.	1	0,2	80,8
131	GCP-Service International West GmbH	1	0,2	81,0
132	Genenta Science S.p.A.	1	0,2	81,2
133	Genentech Inc.	1	0,2	81,4
134	Genetic S.p.A.	1	0,2	81,5
135	Genexine Inc.	1	0,2	81,7
136	Greenwich LifeSciences Inc.	1	0,2	81,9
137	Grin Therapeutics Inc.	1	0,2	82,1
138	H. Lundbeck A/S	1	0,2	82,2
139	Hansa Biopharma AB	1	0,2	82,4
140	Hemab ApS	1	0,2	82,6

Promotore profit		2024		
		SC	%	% cum.
141	Ideaya Biosciences Inc.	1	0,2	82,8
142	Iksuda Therapeutics Limited	1	0,2	83,0
143	Immunogen Inc.	1	0,2	83,1
144	Industrial Farmaceutica Cantabria S.A.	1	0,2	83,3
145	Inhibrx Inc.	1	0,2	83,5
146	Inozyme Pharma Inc.	1	0,2	83,7
147	Insmed Inc.	1	0,2	83,8
148	Intellia Therapeutics Inc.	1	0,2	84,0
149	Intensity Therapeutics Inc.	1	0,2	84,2
150	Intercept Pharmaceuticals Inc.	1	0,2	84,4
151	iOnctura SA	1	0,2	84,5
152	Itb-Med AB	1	0,2	84,7
153	Jcr Pharmaceuticals Co. Ltd.	1	0,2	84,9
154	Kalvista Pharmaceuticals Limited	1	0,2	85,1
155	Kartos Therapeutics Inc.	1	0,2	85,2
156	Karuna Therapeutics Inc.	1	0,2	85,4
157	Kumquat Biosciences Inc.	1	0,2	85,6
158	Kura Oncology Inc.	1	0,2	85,8
159	Kyverna Therapeutics Inc.	1	0,2	85,9
160	Laboratorio Farmaceutico S.I.T. - Specialità Igienico Terapeutiche S.r.l.	1	0,2	86,1
161	Laboratorio Italiano Biochimico Farmaceutico Lisapharma S.p.A.	1	0,2	86,3
162	Leo Pharma A/S	1	0,2	86,5
163	Medac Gesellschaft fuer klinische Spezialprapaerate mbH	1	0,2	86,6
164	Menarini Ricerche S.p.A.	1	0,2	86,8
165	Mggm LLC	1	0,2	87,0
166	Microbiotica Limited	1	0,2	87,2
167	Miltenyi Biomedicine GmbH	1	0,2	87,3
168	Mimetech S.r.l.	1	0,2	87,5
169	Mirati Therapeutics Inc.	1	0,2	87,7
170	Mitsubishi Tanabe Pharma America Inc.	1	0,2	87,9
171	ML Bio Solutions Inc.	1	0,2	88,0
172	Modus Therapeutics AB	1	0,2	88,2
173	MoonLake Immunotherapeutics AG	1	0,2	88,4
174	Morphic Therapeutic Inc.	1	0,2	88,6
175	Myokardia Inc.	1	0,2	88,8
176	Napo Pharmaceuticals Inc.	1	0,2	88,9
177	Napo Therapeutics S.p.A.	1	0,2	89,1
178	Nerviano Medical Sciences S.r.l.	1	0,2	89,3
179	NewAmsterdam Pharma B.V.	1	0,2	89,5

Promotore profit		2024		
		SC	%	% cum.
180	NI One Inc.	1	0,2	89,6
181	Nido Biosciences Inc.	1	0,2	89,8
182	NMD Pharma A/S	1	0,2	90,0
183	Ns Pharma Inc.	1	0,2	90,2
184	Ntc S.r.l.	1	0,2	90,3
185	Nurix Therapeutics Inc.	1	0,2	90,5
186	Oculus Operations S.a.r.l.	1	0,2	90,7
187	Olema Pharmaceuticals Inc.	1	0,2	90,9
188	Oncoc4 Inc.	1	0,2	91,0
189	Onkure Inc.	1	0,2	91,2
190	Orchard Therapeutics (Europe) Limited	1	0,2	91,4
191	OSE Immunotherapeutics	1	0,2	91,6
192	Otsuka Pharmaceutical Development & Commercialization Inc.	1	0,2	91,7
193	Pharvaris Netherlands B.V.	1	0,2	91,9
194	Pierre Fabre Medicament	1	0,2	92,1
195	Pliant Therapeutics Inc.	1	0,2	92,3
196	PMV Pharmaceuticals Inc.	1	0,2	92,4
197	PTC Therapeutics Inc.	1	0,2	92,6
198	Pulmovant, Inc.	1	0,2	92,8
199	QED Therapeutics Inc.,	1	0,2	93,0
200	Quince Therapeutics S.p.A.	1	0,2	93,1
201	Recordati AG	1	0,2	93,3
202	Remegen Co. Ltd.	1	0,2	93,5
203	Rheacell GmbH & Co. KG	1	0,2	93,7
204	Rocket Pharmaceuticals Inc.	1	0,2	93,8
205	Ryvu Therapeutics S.A.	1	0,2	94,0
206	Saniona A/S	1	0,2	94,2
207	Santen	1	0,2	94,4
208	Sensorion	1	0,2	94,6
209	Sichuan Kelun-Biotech Biopharmaceutical Co. Ltd.	1	0,2	94,7
210	Silence Therapeutics PLC	1	0,2	94,9
211	Sintetica S.A.	1	0,2	95,1
212	Smarthealth Inc.	1	0,2	95,3
213	Sol-Gel Technologies Ltd.	1	0,2	95,4

Promotore profit		2024		
		SC	%	% cum.
214	Splisense Ltd.	1	0,2	95,6
215	Stealth Biotherapeutics Inc.	1	0,2	95,8
216	Stoke Therapeutics Inc.	1	0,2	96,0
217	Summit Therapeutics Inc.	1	0,2	96,1
218	Syndax Pharmaceuticals Inc.	1	0,2	96,3
219	Synektik S.A.	1	0,2	96,5
220	SynOx Therapeutics Ltd	1	0,2	96,7
221	Systimmune Inc.	1	0,2	96,8
222	Terns Inc.	1	0,2	97,0
223	Thena Biotech S.r.l.	1	0,2	97,2
224	Tisento Therapeutics Inc.	1	0,2	97,4
225	Tiumbio Co. Ltd.	1	0,2	97,5
226	Transthera Sciences (Nanjing) Inc.	1	0,2	97,7
227	Trishula Therapeutics Inc.	1	0,2	97,9
228	Twi Biotechnology Inc.	1	0,2	98,1
229	Ultragenyx Pharmaceutical Inc.	1	0,2	98,2
230	Upstream Bio Inc.	1	0,2	98,4
231	Vedanta Biosciences Inc.	1	0,2	98,6
232	Vera Therapeutics Inc.	1	0,2	98,8
233	Verastem Inc.	1	0,2	98,9
234	Vertex Pharmaceuticals Inc.	1	0,2	99,1
235	Vicore Pharma AB	1	0,2	99,3
236	X4 Pharmaceuticals Inc.	1	0,2	99,5
237	Xenothera	1	0,2	99,6
238	Xentria Inc.	1	0,2	99,8
239	Xinnate AB	1	0,2	100,0
Totale		569	100,0	

Allegato 2 Promotori no profit delle sperimentazioni autorizzate nel 2024

Tabella 32
Sperimentazioni per promotore no profit
SC autorizzate nel 2024: 100 di 669 (14,9%)

Promotore no profit		2024		
		SC	%	% cum.
1	Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS	5	5,0	5,0
2	Princess Maxima Center for Pediatric Oncology	5	5,0	10,0
3	University Medical Center Utrecht	5	5,0	15,0
4	European Organisation for Research and Treatment of Cancer	4	4,0	19,0
5	Gruppo Oncologico del Nord Ovest	4	4,0	23,0
6	IRCCS Istituto Nazionale Tumori Fondazione Pascale	3	3,0	26,0
7	Azienda Ospedaliero-Universitaria di Bologna IRCCS	2	2,0	28,0
8	Azienda Ospedaliero-Universitaria Maggiore della Carità	2	2,0	30,0
9	Centro di Riferimento Oncologico di Aviano	2	2,0	32,0
10	ETOP IBCSG Partners Foundation	2	2,0	34,0
11	Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori	2	2,0	36,0
12	Hamilton Health Sciences Corporation	2	2,0	38,0
13	IRCCS Istituto Giannina Gaslini	2	2,0	40,0
14	Istituto Oncologico Veneto	2	2,0	42,0
15	Istituto Romagnolo per lo Studio dei Tumori Dino Amadori IRST S.r.l.	2	2,0	44,0
16	Ospedale Pediatrico Bambino Gesù	2	2,0	46,0
17	Ospedale San Raffaele S.r.l.	2	2,0	48,0
18	Antwerp University Hospital	1	1,0	49,0
19	Arcagy Gineco	1	1,0	50,0
20	Association International Extranodal Lymphoma Study Group	1	1,0	51,0
21	Azienda Ospedale-Università Padova	1	1,0	52,0
22	Azienda Provinciale Per i Servizi Sanitari	1	1,0	53,0
23	Azienda Socio Sanitaria Territoriale Ovest Milanese	1	1,0	54,0
24	Azienda Unita Sanitaria Locale Di Bologna	1	1,0	55,0
25	Centre Leon Berard	1	1,0	56,0
26	Centro Cardiologico Monzino S.p.A.	1	1,0	57,0
27	Centro Ricerche Cliniche Di Verona S.r.l.	1	1,0	58,0
28	Chelsea And Westminster Hospital NHS Foundation Trust	1	1,0	59,0

Promotore no profit		2024		
		SC	%	% cum.
29	European Foundation for the Study of Chronic Liver Failure	1	1,0	60,0
30	European Institute of Oncology S.r.l.	1	1,0	61,0
31	Fondazione Gimema Franco Mandelli Onlus	1	1,0	62,0
32	Fondazione IRCCS Ca Granda Ospedale Maggiore Policlinico	1	1,0	63,0
33	Fondazione Italiana Linfomi Ets	1	1,0	64,0
34	Fondazione Oncotech Impresa Sociale	1	1,0	65,0
35	Fondazione Policlinico Universitario Campus Bio-medico	1	1,0	66,0
36	Fundacion Biomedica Galicia Sur	1	1,0	67,0
37	Fundacion Instituto De Investigacion Sanitaria De Santiago De Compostela	1	1,0	68,0
38	G.O.I.R.C. Gruppo Oncologico Italiano Di Ricerca Clinica	1	1,0	69,0
39	GBG Forschungs GmbH	1	1,0	70,0
40	Gercor	1	1,0	71,0
41	GPOH gGmbH	1	1,0	72,0
42	Hellenic Institute for the Study of Sepsis	1	1,0	73,0
43	Het Nederlands Kanker Instituut-Antoni van Leeuwenhoek Ziekenhuis Stichting	1	1,0	74,0
44	IFOM Istituto Fondazione di Oncologia Molecolare Ets	1	1,0	75,0
45	Ikena Oncology Inc.	1	1,0	76,0
46	Insel Gruppe AG	1	1,0	77,0
47	Institut fuer Klinische Krebsforschung IKF GmbH	1	1,0	78,0
48	Institut Gustave Roussy	1	1,0	79,0
49	Istituto Europeo Di Oncologia S.r.l.	1	1,0	80,0
50	Leiden University Medical Center	1	1,0	81,0
51	Medical University of Graz	1	1,0	82,0
52	NEAT ID Foundation	1	1,0	83,0
53	Neurotrials LLC	1	1,0	84,0
54	Odense University Hospital	1	1,0	85,0
55	Ospedale Galeazzi S.p.A.	1	1,0	86,0
56	Queen's University	1	1,0	87,0
57	Region Oerebro Laen	1	1,0	88,0
58	St Antonius Hospital	1	1,0	89,0
59	Stichting Radboud University Medical Center	1	1,0	90,0
60	Università degli studi di Genova	1	1,0	91,0
61	Università degli studi di Roma La Sapienza	1	1,0	92,0

Promotore no profit		2024		
		SC	%	% cum.
62	Università degli Studi di Torino - Mario Negri Institute For Pharmacological Research IRCCS	1	1,0	93,0
63	Università degli studi di Verona	1	1,0	94,0
64	Università Vita-salute S. Raffaele	1	1,0	95,0
65	Universitaetsklinikum Erlangen AÖR	1	1,0	96,0
66	Universitair Medisch Centrum Groningen	1	1,0	97,0
67	Universitätsmedizin der Johannes Gutenberg-Universität Mainz KÖR	1	1,0	98,0
68	University Health Network	1	1,0	99,0
69	University Of Oxford	1	1,0	100,0
Totale		100	100,0	

GLOSSARIO

Studio in aperto

È uno studio in cui non si ha nessun tipo di mascheramento dei trattamenti.

ATIMPs

Advanced Therapy Investigational Medicinal Product(s)

Autorità competente

L'Agenzia Italiana del Farmaco è Autorità Competente per il rilascio delle autorizzazioni di tutte le sperimentazioni cliniche dei medicinali che ricadano nell'ambito di applicazione del D.Lvo 211/2003, dalla Fase I alla Fase IV (Legge 8 Novembre 2012 n. 189).

Blinding

La procedura attraverso la quale, mediante il mascheramento dei trattamenti, si minimizza il rischio di distorsione nella valutazione dei risultati.

Cross-over

Nella randomizzazione cross-over i soggetti sono sottoposti a una sequenza di trattamenti diversi. Ogni trattamento inizia ad un punto equivalente e ogni individuo serve come proprio controllo, passando dopo un adeguato intervallo di tempo all'altro trattamento in studio. Deve essere previsto un intervallo di tempo sufficiente tra le diverse fasi del trattamento (periodo di wash-out) al fine di evitare il mantenimento di effettuo residuo del primo trattamento somministrato.

Doppio cieco

È uno studio in cui né lo staff dei ricercatori, né i pazienti sono a conoscenza di quale, tra i trattamenti in studio, viene somministrato al singolo paziente.

Fase I

È la fase della sperimentazione clinica che prevede la prima somministrazione del farmaco all'uomo (volontari sani o pazienti) con lo scopo di ottenere indicazioni circa la sicurezza e tollerabilità del

farmaco in un ampio spettro di dosi e studiare la farmacocinetica e farmacodinamica del farmaco nell'uomo.

Fase II

È la fase della sperimentazione clinica condotta su pazienti interessati dalla patologia in esame con obiettivi riguardanti end-point farmacodinamici rilevanti, selezione delle dosi e frequenza della somministrazione, sicurezza e tollerabilità.

Fase III

È la fase della sperimentazione clinica tesa a dimostrare l'efficacia terapeutica, la sicurezza e tollerabilità del farmaco in un campione di pazienti il più possibile rappresentativo della popolazione che si intende trattare nell'indicazione individuata, avente una durata adeguata rispetto all'uso futuro del farmaco nella pratica clinica.

Fase IV

È la fase della sperimentazione clinica che include gli studi condotti dopo l'approvazione del farmaco nell'ambito delle indicazioni approvate e in piena osservanza di quanto contenuto nel Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto (RCP).

Gruppi paralleli

Nella randomizzazione a gruppi paralleli, dopo la randomizzazione ogni partecipante resterà nel braccio di trattamento a cui è stato assegnato, per tutta la durata dello studio.

Singolo cieco

È uno studio in cui solo i pazienti non sono a conoscenza di quale, tra i trattamenti in studio, viene somministrato al singolo paziente.

Randomizzazione

È il processo attraverso il quale i soggetti partecipanti ad una sperimentazione vengono assegnati ai diversi trattamenti in maniera casuale, e secondo schemi di probabilità predefinita che consentono l'assegnazione casuale di un numero proporzionale di pazienti a ciascun gruppo.