Il **giornale** della

N°4/2026

SIMeF

Società Italiana di Medicina Farmaceutica

Italian Society of Pharmaceutical Medicine



Terapie Digitali:
L'Italia accelera

33° Congresso GIQAR:
la **Qualità** tra **Tecnologie e Regole**

La **Giornata Mondiale degli Studi Clinici**:
cresce la condivisione sociale

Farmaco e *Companion Diagnostic*:
una sola Medicina di Precisione?

SOMMARIO

3
Editoriale
Marisa Le Donne

4
La riconferma di Marcello Cattani e il ruolo strategico dell'industria farmaceutica italiana
Mariangela Amoroso

6
Terapie digitali - L'Italia accelera: nuove regole per competere con Germania, Francia e Belgio
Alberta Spreafico, Gualberto Gussoni, Federico Chinni, Olga Bussinello

11
33° Congresso Nazionale GIQAR 2026 La qualità tra innovazione tecnologica e nuove sfide regolatorie
Anna Piccolboni e Comitati

14
Poster

19
La qualità tra innovazione tecnologica e nuove sfide regolatorie
Maurizio Cuocolo

20
Le GLP nell'ambito dell'approvazione dei trial clinici in Europa
Maurizio Cuocolo

21
La Giornata Mondiale degli Studi Clinici: una presenza sempre più radicata nella città e nella società
Sergio Scaccabarozzi

23
Farmaco e *Companion Diagnostic*: due modelli regolatori, una sola medicina di precisione?
Monica Capozzi

25
Nuovo comitato di redazione
Stefano Bonato, Olga Bussinello

26
Letture sotto l'ombrellone
Olga Bussinello, Alessandra Aloe

27
Programmazione annuale

29
Nuovi soci





Marisa Le Donne
SIMeF Delegate to IFAPP

Building Bridges: Quality, Innovation and International Collaboration

Dear Colleagues,

This issue of our Journal marks a special milestone for me, as it is the first editorial I am writing in English and it coincides with my recent appointment as SIMeF Delegate to the International Federation of Associations of Pharmaceutical Physicians and Pharmaceutical Medicine (IFAPP).

As I reflected on the articles collected in this issue, I was struck by a recurring theme that resonates strongly with this new role: the importance of building bridges. Bridges between innovation and quality, between different areas of expertise, and between our national experience and the broader international Pharmaceutical Medicine community.

Italy has a long tradition of scientific achievement and professional competence. As I begin that new journey, I am proud to take on such a role and I look forward to contributing to the dialogue between our national community and the broader international Pharmaceutical Medicine network, convinced that sharing experiences and learning from different perspectives are essential to addressing the challenges ahead.

The articles reflect that perspective well, highlighting a challenge that runs through many of the topics discussed: the need to balance innovation with quality.

The discussions from the 33rd National GIQAR Congress highlight the impact of technological innovation, Artificial Intelligence and evolving regulatory requirements on quality systems and research processes.

The article on Good Laboratory Practice reminds us that innovation must always be supported by robust, reliable and scientifically sound data. Quality remains the foundation of every stage of medicine development, from preclinical research to regulatory evaluation.

The evolving regulatory framework for Digital Therapeutics further demonstrates how healthcare systems are adapting to innovations that were almost unimaginable only a few years ago, creating new opportunities while calling for new competencies and evaluation approaches.

Equally inspiring is the continued success of Clinical Trial Day, which highlights the importance of engaging patients and citizens in an open and transparent conversation about the value of clinical research.

Taken together, these contributions convey a clear message: progress is built on cooperation. The recent *Farmindustria* Assembly also reinforced the strategic importance of research and innovation for the future competitiveness of our sector. Such a spirit of collaboration and reciprocity remains one of the greatest strengths of our professional community and will be essential as healthcare continues to evolve within an increasingly interconnected global environment.

As SIMeF continues its journey, I am convinced that **our strength lies in our ability to combine scientific rigor, quality, innovation, and openness to collaboration. Building bridges — between people, disciplines, organizations, and countries — will be increasingly important as we navigate the opportunities and challenges ahead**.

I hope you enjoy reading this issue and find inspiration in the many perspectives it offers on the future of Pharmaceutical Medicine.

La riconferma di Marcello Cattani e il ruolo strategico dell'industria farmaceutica italiana

La riconferma all'unanimità di Marcello Cattani alla Presidenza di Farmindustria per il biennio 2026-2028 rappresenta un forte segnale di continuità, coesione e fiducia da parte dell'industria farmaceutica italiana. Per Cattani, Presidente e Amministratore Delegato di Sanofi Italia e Malta, si tratta del terzo mandato consecutivo, testimonianza del consenso maturato attorno alla sua leadership in una fase storica caratterizzata da profonde trasformazioni geopolitiche, tecnologiche e regolatorie.

L'Assemblea ha inoltre eletto il nuovo Comitato di Presidenza, composto da cinque Vicepresidenti: Fulvio Berardo (Astellas), Massimo Di Martino (Abiogen), Massimiliano Florio (SO.SE.PHARM), Raffaello Innocenti (Chiesi) ed Elias Khalil (Eli Lilly).



Mariangela Amoroso

Del Comitato fanno parte anche Lucia Aleotti (Menarini), Valentino Confalone (Novartis), Francesco De Santis (Italfarmaco), Claudio Longo (AstraZeneca), Pierluigi Petrone (Euromed) e Regina Vasiliou (Bristol Myers Squibb). Partecipano inoltre Giuseppe Banfi (Biogen), Antonino Biroccio (GSK), Federico Chinni (UCB), Alessandro Del Bono (Neopharmed Gentili), Luciano Grottola (Ecupharma), Nicoletta Luppi (MSD Italia), Paolo Marcucci (Kedrion), Sergio Marullo di Condojanni (Angelini Pharma), Jacopo Murzi (Johnson & Johnson Innovative Medicine), Ramon Palou de Comasema (Merck Serono), Nedim Pipic (Boehringer Ingelheim) e Stefanos Tsamousis (Roche).

L'Assemblea Pubblica di Farmindustria del 23 giugno 2026, dal titolo "*Geopolitica e innovazione: l'industria farmaceutica asset strategico per la salute e la crescita della Nazione*", ha posto al centro del dibattito il tema del valore generato dall'industria farmaceutica. Un valore che va ben oltre l'innovazione terapeutica e il miglioramento degli esiti di salute, comprendendo anche crescita economica, occupazione qualificata, investimenti in ricerca e sviluppo e competitività internazionale.

Nel suo intervento, Cattani ha evidenziato come la farmaceutica rappresenti oggi





uno dei settori industriali più dinamici del Paese. Con una produzione che nel 2025 ha raggiunto i 74 miliardi di euro e un export superiore ai 69 miliardi, l'Italia conferma, infatti, una posizione di leadership nel panorama europeo, rafforzando il proprio ruolo nella filiera globale delle scienze della vita.

Particolarmente significativo è stato il tentativo di collocare il settore in una prospettiva strategica più ampia. Il Presidente ha sottolineato come farmaci innovativi, ricerca clinica, biotecnologie e tecnologie avanzate non costituiscano esclusivamente strumenti di salute pubblica, ma rappresentino veri e propri asset strategici nazionali, al pari dell'energia, delle infrastrutture e delle grandi tecnologie abilitanti.

I traguardi della ricerca e sviluppo hanno contribuito a migliorare significativamente la salute della popolazione: in Italia l'aspettativa di vita ha raggiunto quasi 84 anni, crescendo mediamente di 3 mesi all'anno negli ultimi 50 anni. Nello stesso periodo, la mortalità complessiva si è ridotta del 31%, con cali del 41% per le patologie croniche e del 27% per i tumori. Inoltre, nell'arco di dieci anni, oltre 1 milione di persone in più è sopravvissuto a una diagnosi oncologica. Questi risultati confermano come l'innovazione farmaceutica rappresenti un investimento strategico, capace di generare benefici clinici, sociali ed economici di lungo periodo.

In questo contesto, è stato posto però anche l'accento sulle crescenti sfide derivanti dalle tensioni geopolitiche internazionali e dalla competizione globale per gli investimenti in ricerca e innovazione. In particolare, la crescente attrattività di Stati Uniti e Cina rischia di ridurre la capacità dell'Europa di attrarre capitali e progetti di ricerca. Parallelamente, iniziative come il programma statunitense *Most Favored Nation (MFN)* stanno contribuendo a ridefinire gli equilibri del settore, con il rischio di sottrarre al continente europeo rilevanti investimenti nei prossimi anni e di rallentare l'accesso dei pazienti alle nuove terapie.

L'intervento di Cattani non si è limitato alla valorizzazione dei risultati raggiunti, ma ha avanzato richieste concrete alle istituzioni per rafforzare la competitività del sistema Paese. Tra le priorità individuate figurano:

- il superamento del sistema di payback farmaceutico, ritenuto un elemento di forte incertezza per gli investimenti;
- l'accelerazione dei processi di accesso ai farmaci innovativi;
- la semplificazione normativa attraverso l'adozione di un Testo Unico della legislazione farmaceutica;
- una maggiore valorizzazione dei dati sanitari e dell'intelligenza artificiale a supporto della ricerca e dell'innovazione.

Si tratta di proposte che riflettono una visione ambiziosa: consolidare il ruolo dell'Italia non solo come hub produttivo di eccellenza, ma anche come polo internazionale per la ricerca, lo sviluppo e l'innovazione nelle scienze della vita.

Nel corso dell'Assemblea, anche i rappresentanti delle istituzioni e del mondo politico hanno affrontato tali temi con un approccio pragmatico e orientato al futuro, ribadendo la necessità di conciliare competitività industriale, sostenibilità dei sistemi sanitari e tutela della salute pubblica.

La riconferma di Marcello Cattani appare dunque coerente con i risultati conseguiti dal comparto negli ultimi anni e con la volontà di proseguire un percorso di crescita fondato su innovazione, investimenti e dialogo istituzionale. Se da un lato il suo intervento ha evidenziato con efficacia i successi raggiunti dall'industria farmaceutica italiana, dall'altro ha lanciato un messaggio chiaro: senza riforme strutturali e senza una strategia europea più competitiva, il rischio è quello di perdere terreno nella corsa globale all'innovazione.

In conclusione, l'Assemblea Farmindustria 2026 e la riconferma di Marcello Cattani alla Presidenza hanno consolidato il ruolo di una delle figure più autorevoli delle life sciences italiane. La sua leadership continua a rappresentare un punto di riferimento per un settore che non è soltanto un motore di crescita economica, ma anche una leva strategica per la salute, la ricerca e il futuro dell'Italia.

Fonte: https://storagehub.homnya.net/cmsimage/2026/06/slide-presidente.pdf; [farmindustria.it]

TERAPIE DIGITALI

L'ITALIA ACCELERA: NUOVE REGOLE PER COMPETERE CON GERMANIA, FRANCIA E BELGIO.

La nuova regolamentazione punta a colmare il ritardo rispetto ai principali Paesi europei e ad aprire la strada a investimenti strategici nella sanità digitale.

Il testo unificato delle proposte di Legge n. 1208, 2095 e 2220, approvato dalla Camera dei Deputati il 27 Maggio 2026 e passato ora al Senato per la conclusione dell'iter parlamentare, rappresenta un passaggio significativo del percorso iniziato nella presente Legislatura per disciplinare in Italia l'accesso alle terapie digitali (DTx). L'obiettivo della legge è colmare un vuoto normativo che finora ha reso di fatto non attuabile nel nostro Paese la disponibilità per i pazienti di queste tecnologie nonostante la loro crescente rilevanza scientifica. Il provvedimento si compone di quattro articoli volti a regolamentare l'uso di tecnologie che offrono degli interventi terapeutici guidati da programmi *software*. *(Vedasi tabella)*

LO SCENARIO INTERNAZIONALE

Il mercato globale delle terapie digitali è in rapida espansione, con previsioni di fatturato che dovrebbero raggiungere i 9,65 miliardi di Dollari entro il 2028, raddoppiando quanto rilevato nel 2024 (fonte: Statista Market Insights). Buona parte delle terapie digitali è dedicata a patologie in ambito neuropsichiatrico, ma i settori nei quali sono disponibili dispositivi medici *software* con finalità terapeutiche è molto ampio (cardiovascolare – gastroenterologico – ortopedico – oncologico, etc.)

In Europa le DTx sono regolate come dispositivi medici ai sensi del Regolamento (UE) 2017/745 (MDR) che impone requisiti di qualità, sicurezza, prestazione e beneficio clinico. La Germania può essere considerata il principale *benchmark* europeo. Il sistema DiGA, attivo da fine 2020, permette attualmente il rimborso di circa 60 applicazioni digitali, prevedendo un percorso di "*fast-track*" (accesso anticipato) che garantisce la rimborsabilità temporanea per 12 mesi in attesa di evidenze cliniche confirmatorie. In Francia, nel 2023 è stato introdotto un percorso specifico di accesso e rimborso accelerato (PECAN), condizionato alla generazione di evidenze, per i dispositivi medici digitali sia a finalità terapeutica (fra cui le terapie digitali), sia per dispositivi destinati al telemonitoraggio. Anche in Belgio è consolidato un sistema di rimborso per i dispositivi medici *software*, secondo i criteri di valutazione della mHealth Pyramid, che definisce i requisiti di qualità ed evidenze necessari per l'integrazione delle soluzioni digitali nel sistema sanitario. Nel Regno Unito la valutazione è affidata a procedure come il DTAC e ai criteri e processi di valutazione del NICE, anche con meccanismi di *Early Value Assesment*. Una raccomandazione positiva, tuttavia, non garantisce automaticamente il rimborso, che rimane definito dalle singole articolazioni locali del *National Health Service*. In generale, in Europa esiste una significativa spinta verso la cooperazione e l'armonizzazione, specialmente nel contesto del nuovo Regolamento Europeo sulla Valutazione delle Tecnologie Sanitarie (HTA). Negli Stati Uniti numerosi dispositivi medici digitali e le terapie digitali sono stati autorizzati da FDA, ma il quadro di rimborso rimane frammentato, con modelli di copertura eterogenei in base alle scelte delle compagnie assicurative. In

PROPOSTA DI LEGGE TXD	
Articolo 1	Fornisce la definizione delle DTx quali dispositivi medici *software* marcati CE ai sensi del Regolamento (UE) 2017/745, progettati per trattare od attenuare malattie, disturbi o disabilità, generando un impatto positivo sulla salute. Tali terapie possono operare in modo autonomo od in combinazione con farmaci ed altri interventi clinici.
Articolo 2	Stabilisce che le DTx rientrano nel Programma Nazionale di *Health Technology Assessment* (HTA) dei dispositivi medici.
Articolo 3	Per la *governance* del settore, istituisce presso il Ministero della Salute il Comitato Nazionale per le Terapie Digitali, presieduto da esperti del Dipartimento della Programmazione e composto da 16 membri, inclusi rappresentanti di AGENAS, ISS, AIFA ed associazioni di pazienti.
Articolo 4	Disciplina l'inserimento delle DTx nei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA), subordinandolo ad una valutazione d'impatto economico e ad una validazione clinica basata su prove di evidenza, con preferenza, ma non obbligo, per gli studi randomizzati controllati. L'attuazione di queste disposizioni deve avvenire entro i limiti delle risorse già destinate all'aggiornamento dei LEA.



Alberta Spreafico



Gualberto Gussoni



Federico Chinni



Olga Bussinello

Giappone e Corea del Sud sono stati introdotti dei percorsi specifici di valutazione e rimborso per i dispositivi medici *software*, mentre diversi altri Paesi europei ed extraeuropei stanno definendo ed aggiornando i propri percorsi di valutazione, accesso e rimborso, spesso secondo criteri "*fit for purpose*" adatti alla natura digitale del dispositivo medico, per garantire un accesso equo e tempestivo. La classificazione del rischio per i *software* (Regola 11 dell'Allegato VIII del MDR) rimane un punto critico, portando spesso le DTx in Classe seconda o superiore, richiedendo l'intervento di un Organismo Notificato.

QUALI PROSPETTIVE PER LE DTX IN ITALIA ALLA LUCE DEL TESTO DI LEGGE

Ferma restando l'importanza indiscutibile del passaggio legislativo che si sta finalmente realizzando anche nel nostro Paese, come qualsiasi proposta di Legge, anche quella in materia di terapie digitali può presentare alcune necessità di chiarimento sui contenuti, così come richiedere un dibattito e delle azioni specifiche per un'attuazione efficiente dei principi e degli obiettivi della normativa. Ne abbiamo parlato con: **Alberta Spreafico,** *Senior Vice President, Health Innovation,* EVERSANA ed esperta di Sanità Digitale, HTA e Policy, **Gualberto Gussoni**, presidente di Fondazione RIDE-2Med e di DigiNeos Health s.r.l., e **Federico Chinni**, AD di UCB Pharma Italia.

Come valuta la definizione di "terapia digitale" presente nel testo di Legge?

AS: Il dibattito europeo sta evolvendo verso una visione sempre più ampia dei Dispositivi Medici Digitali, intesi come il sottoinsieme di *software* certificati come *Medical Device Software* (MDSW) ai sensi del Regolamento (UE) 2017/745 (MDR) e supportati da evidenze di beneficio clinico, tali da rientrare nel perimetro di politiche dedicate di valutazione, accesso e rimborso. In questo contesto, le terapie digitali rappresentano una specifica sottocategoria. Diversi Paesi europei, tra cui Germania, Francia e Belgio, hanno progressivamente sviluppato modelli di valutazione ed accesso dedicati ai dispositivi medici digitali, all'interno dei quali rientrano anche le terapie digitali, ma non solo: sempre più anche *software* medicali dedicati al telemonitoraggio, ad esempio. Parallelamente, negli Stati Uniti stanno emergendo modelli regolatori dedicati a *software* utilizzati in relazione a trattamenti farmacologici, aprendo la strada anche a terapie digitali che affiancano interventi farmacologici. Da questo punto di vista, la proposta di Legge italiana rappresenta un passo avanti importante, soprattutto rispetto alle proposte precedenti: adotta una definizione più coerente con la definizione ISO di DTx (ISO/TR 11147:2023), con gli standard internazionali e con l'evoluzione del settore, riconoscendo inoltre che le terapie digitali possano essere utilizzate sia come intervento autonomo sia in associazione ad altri trattamenti. Apprezzo, inoltre, che la legge demandi agli organismi tecnici competenti, come AGENAS nell'ambito dei processi nazionali di *Health Technology Assessment* per i dispostivi medici, la definizione di criteri e metodologie valutative specifiche per le terapie digitali. Ciò consentirà di aggiornarli nel tempo, in funzione dell'evoluzione delle migliori pratiche di HTA, dell'innovazione tecnologica, del contesto regolatorio e dell'auspicata progressiva convergenza europea dei criteri di valutazione per le DTx, senza richiedere continui interventi legislativi.

FC: Si tratta di una buona Legge. Si poteva fare di più, ma la definizione in particolare ci soddisfa. L'articolo 1 detta la definizione: si tratta di interventi terapeutici mediati da *software*, che possono funzionare autonomamente od in combinazione con i farmaci, ad esempio per prevenire, gestire o trattare un disturbo medico od una malattia, modificando il comportamento del paziente al fine di migliorare gli esiti clinici delle terapie digitali. Era importante che venisse accolto il principio che si tratta di dispositivi "particolari" che hanno un impatto terapeutico positivo sui pazienti. Non stiamo parlando di una tecnologia fine a sé stessa ma di un intervento terapeutico a tutti gli effetti, validato clinicamente. La distinzione tra una semplice applicazione per il benessere e una vera e propria terapia digitale risiede nella capacità del *software* di produrre un effetto clinico dimostrabile attraverso prove ed evidenze scientifiche ottenute sulla basedi studi clinici, al pari di quelli effettuati per i medicinali.

GG: La definizione di "terapia digitale" prevista dal testo di Legge è un passaggio critico, non per quanto riguarda la marcatura CE del dispositivo ma nella logica d'inserimento nei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA). Complessivamente, valuto in maniera positiva l'aver ancorato le DTx al Regolamento MDR, garantendo coerenza con il quadro europeo ed evitando di rendere la situazione italiana anomala. Il tema sarà a questo punto l'interpretazione che verrà data da chi, nella Commissione prevista dalla Legge, sarà chiamato a valutare i prodotti, che potrebbero anche significativamente differire fra di loro per quanto riguarda le caratteristiche funzionali. Confido che i criteri di scelta siano attenti a garantire una priorità della visione medica nella valutazione del dispositivo medico digitale, poiché a mio avviso l'aspetto fondamentale non è il meccanismo d'azione ma sono la rilevanza clinica, l'entità degli effetti ed il livello di evidenza sperimentale del beneficio prodotto dal *software*.

Il testo di Legge non fornisce indicazioni stringenti in merito alla classe di rischio di una terapia digitale e al conseguente percorso regolatorio, cosa ne pensa?

AS: Il percorso regolatorio delle terapie digitali in Europa, così come quello di tutti i dispositivi medici, è già disciplinato dal Regolamento (UE) 2017/745 (MDR). Ritengo quindi opportuno che la proposta di Legge rinvii a tale quadro regolatorio, evitando d'introdurre dei requisiti nazionali aggiuntivi che potrebbero generare frammentazione, duplicazioni o disallineamenti rispetto al contesto europeo. Dal mio punto di vista, la proposta di Legge è chiara su questo aspetto e difficilmente potrebbe essere diversa. La principale lacuna a livello nazionale oggi non riguarda, infatti, il percorso regolatorio delle DTx, né i processi nazionali di valutazione, per i quali il Programma Nazionale HTA dei Dispositivi Medici individua già in AGENAS il riferimento istituzionale e, nel PNHTA-DM 2026–2028, dedica particolare attenzione alle piattaforme di intelligenza artificiale e alle terapie digitali. La sfida è piuttosto completare questo percorso definendo un modello specifico (*fit-for-purpose*) che, partendo dalla valutazione, individui delle modalità chiare e dedicate di accesso delle terapie digitali al Servizio Sanitario Nazionale, incluse le modalità di acquisto o rimborso. Anche i principali modelli europei di riferimento, come quelli di Germania, Francia e Belgio, non escludono a priori le classi di rischio più basse dei dispositivi medici. Anzi, alcuni di essi, come il percorso DiGA tedesco, sono stati inizialmente sviluppati proprio per dispositivi medici *software* a basso rischio, dimostrando che il livello di rischio regolatorio non coincide necessariamente con il valore clinico o con la necessità di un percorso dedicato di valutazione ed accesso. Credo quindi che la priorità per l'Italia non sia introdurre degli ulteriori requisiti regolatori ma valorizzare il quadro regolatorio e valutativo già esistente, completandolo con un percorso di accesso realmente proporzionato alle peculiarità delle terapie digitali ed allineato alle migliori pratiche europee.

FC: Credo sia una scelta corretta. Anche nell'esperienza tedesca non c'è una classificazione rigidamente inquadrata. Con le tecnologie digitali attuali è molto importante stabilire dei principi generali modulari, senza ingessare le definizioni. I modelli regolatori tradizionali sono costruiti su dispositivi a sviluppo lineare e caratteristiche stabili ma oggi, di fronte all'evoluzione dei *software*, mostrano dei limiti evidenti nel governare tecnologie digitali adattive, *data-driven* e soggette ad evoluzione continua. Per questo abbiamo proposto anche in un recente articolo su Nature un *framework* valutativo "*Good Digital Medicine Practices* (GDMP)" con un'impostazione operativa articolata su cinque dimensioni: integrazione dei sistemi di qualità, validazione clinica continua, supervisione degli algoritmi adattivi, monitoraggio delle *performance* nel mondo reale e convergenza regolatoria internazionale. L'importante è tracciare l'evoluzione del *software* validandone clinicamente gli output a beneficio del paziente.

GG: È un altro passaggio delicato, frutto di mediazione fra gli *stakeholder*, ma dove la scelta di fare riferimento al Regolamento MDR per quanto riguarda la classificazione di rischio per un *software as medical device* presenta non poche opacità interpretative. In questo senso, secondo il testo di Legge potranno essere prese in considerazione anche soluzioni di classe I marcate CE con autocertificazione del Fabbricante. Confido molto sull'attenta e competente valutazione di AGENAS circa le condizioni di priorità nella scelta di quali terapie digitali vadano inserite in un sistema di rimborso, fra cui metterei la stratificazione per classe e la revisione da parte di un Organismo Notificato.

La logica manichea della Legge (dentro o fuori LEA) è un'utile semplificazione o sarebbe stato più vantaggioso per i produttori di queste soluzioni prevedere un meccanismo di accesso condizio-



nato ma abbreviato e progressivo in linea con il modello tedesco?

AS: Credo che le due cose non si escludano a vicenda. La proposta di Legge, all'articolo 4, prevede l'inserimento delle terapie digitali nei LEA a seguito di una valutazione positiva: una scelta coerente con l'organizzazione del nostro Servizio Sanitario Nazionale e con l'obiettivo di garantire un accesso equo alle tecnologie che dimostrino un adeguato valore clinico. Detto questo, sappiamo anche che i LEA, pur dovendo essere aggiornati periodicamente, nella pratica hanno spesso seguito delle tempistiche non pienamente allineate con la velocità dell'innovazione. Questo rappresenta una sfida particolare per le terapie digitali e, più in generale, per i *Medical Device Software* (MDSW), il cui ciclo di sviluppo ed aggiornamento è significativamente più rapido rispetto a quello di molte altre tecnologie sanitarie. Per questo motivo, ritengo opportuno affiancare al percorso ordinario un meccanismo di accesso precoce, condizionato e progressivo, analogo a quelli adottati in Germania ("*fast-track*" per le DiGA) e Francia (PECAN), che consenta un accesso iniziale al Servizio Sanitario Nazionale sulla base di prerequisiti definiti, accompagnato dalla generazione di ulteriori evidenze cliniche, valorizzando anche le *Real World Evidence*. Un approccio di questo tipo favorirebbe la sostenibilità delle imprese innovative, in particolare delle Piccole Medie Imprese (PMI) che caratterizzano questo settore, consentendo al contempo al Servizio Sanitario Nazionale di assumere decisioni progressivamente più solide sulla base delle evidenze generate nella pratica clinica e nell'utilizzo quotidiano da parte dei pazienti.

FC: Non parlerei di logica manichea, piuttosto di approccio classico all'innovazione *versus* modelli sperimentali. Noi avevamo proposto di far partire un fondo di finanziamento triennale per garantire un accesso temporaneo che garantisse equità sul territorio nazionale. L'idea era quelle di "testare" le terapie digitali con un fondo al di fuori del Sistema Sanitario Nazionale per un periodo di 3 anni nelle more dell'inserimento di questi dispositivi nei LEA, perché questo avrebbe garantito più rapidità nella messa a terra. Ha prevalso una logica più classica, ma il modello tedesco è diverso in radice anche per i farmaci e non poteva essere replicato *tout court*.

GG: Come italiani siamo geneticamente refrattari ad accettare ciò che è stato già fatto da altri, e dobbiamo sempre scegliere una via diversa e che riteniamo più adatta al nostro contesto, originale e migliore. La scelta "dentro o fuori" può avere ragion d'essere, ma di fatto crea una situazione asimmetrica e potenzialmente penalizzante in termini di sostenibilità soprattutto per gli sviluppatori di nuove soluzioni (e in particolare per quelle *Made in Italy*), che vengono privati di un sistema di accesso accelerato e della possibilità di usufruire di una finestra temporale per la generazione di dati integrativi su prestazioni e sicurezza, in condizioni di utilizzo *real-life*.

Le risorse in gioco (quelle già destinate all'aggiornamento dei LEA) ritiene siano adeguate? Quale scenario di accesso alle DTx potrebbero prefigurare?

AS: Credo che questo sia uno dei temi centrali. Sebbene lo stanziamento nazionale destinato all'aggiornamento dei LEA sia stato incrementato, resta aperta la questione della sostenibilità economica dell'accesso alle terapie digitali, anche alla luce dell'attuale pressione sulla spesa per i dispositivi medici e dei meccanismi di *governance* già in essere. La vera domanda è come finanziare, in modo strutturale e sostenibile, le terapie digitali che abbiano dimostrato un adeguato valore clinico attraverso il processo di *Health Technology Assessment* e siano raccomandate per l'accesso al Servizio Sanitario Nazionale. A mio avviso, una possibile soluzione potrebbe essere l'istituzione di un fondo dedicato ai dispositivi medici *software* innovativi, comprendendo anche le terapie digitali, ispirandosi ai principi che hanno guidato l'istituzione del Fondo per i Farmaci Innovativi, ma adattandone il modello alle peculiarità dei dispositivi medici digitali e delle DTx. Naturalmente, ciò richiederebbe un ampio confronto ed una forte intesa tra livello nazionale e regionale, con il coinvolgimento di tutti gli *stakeholder* dell'ecosistema ed una chiara definizione delle priorità strategiche per il futuro del Servizio Sanitario Nazionale. Un approccio di questo tipo consentirebbe di sostenere l'adozione delle innovazioni a maggiore valore aggiunto senza gravare esclusivamente sui *budget* ordinari.

FC: Ovviamente le risorse non sono adeguate. In base alle simulazioni avevamo stimato un fondo da almeno 150 milioni di Euro per 3 anni. Non c'è niente di paragonabile allo stato attuale visto che si è andati sostanzialmente in invarianza di bilancio dei LEA. Vedo però una possibilità in una sinergia con le Regioni, che potrebbero attivare dei fondi temporanei specifici, magari fuori dal Sistema Sanitario, per finanziare i DTx che verranno approvati dal Comitato di cui alla Legge e garantire un'operatività più veloce ed ampia possibile, in attesa dell'inserimento nei LEA.

GG: La V Commissione (Bilancio, Tesoro e Programmazione) della Camera ha quantificato in 131,3 milioni di Euro annui le risorse destinate all'aggiornamento dei LEA a legislazione vigente. È una dotazione che storicamente non è mai riuscita a smaltire l'arretrato di tecnologie già in attesa d'inserimento nel nomenclatore, e se prendiamo la situazione tedesca come *benchmark* in termini di costo e di livelli prescrittivi delle terapie digitali, il rischio concreto è che queste risorse possano consentire l'accesso ad un numero limitato di DTx. Voglio sperare che, a fronte della dimostrazione di benefici clinici ed anche economico-sanitari (non per nulla la Legge sottolinea l'importanza delle analisi di HTA), il sistema Paese possa prevedere un ampliamento del fondo di dotazione, proprio anche alla luce della possibilità che le DTx possano generare risparmi per il SSN.

Quanto pesa, sul piano concreto, il meccanismo regionale di utilizzo dei fondi rispetto alla possibilità per i pazienti di accedere effettivamente a queste tecnologie?

AS: Il tema è sicuramente rilevante, perché il rischio è quello di creare disuguaglianze regionali nell'accesso alle terapie digitali. Penso, invece, sia importante che l'accesso alle innovazioni di valore non dipenda dal territorio di residenza del paziente. Oggi osserviamo già una frammentazione a livello europeo, con Paesi come Germania, Francia e Belgio che hanno sviluppato percorsi strutturati di accesso alle terapie digitali, mentre l'Italia ed altri Paesi sono ancora in una fase di sviluppo. Sarebbe auspicabile evitare che questa frammentazio-

ne si riproduca anche all'interno del nostro Paese. In questo contesto, ritengo fondamentale il ruolo di AGENAS, anche nella sua funzione di Agenzia Nazionale per la Sanità Digitale, nel supportare le Regioni e favorire un'applicazione quanto più possibile uniforme ed armonizzata dei criteri di valutazione, nonché dei modelli di accesso e di acquisto delle terapie digitali.

FC: Come dicevo, le Regioni potrebbero rivelarsi un'opportunità di sostegno economico per superare i tempi necessari all'inserimento dei DTx nei LEA.

GG: Il meccanismo di finanziamento regionale della sanità introduce anche per le DTx il rischio di diseguaglianze territoriali, già documentato per molte tecnologie sanitarie innovative. Inoltre, se il decisore di spesa diventa la Regione, potrebbe essere complesso, per le PMI quali spesso sono le produttrici di DTx, trattare con tanti Assessorati diversi che spesso ragionano con logiche ed operano con procedure eterogenee. Dall'altro lato, invece, un sistema di incentivi all'adozione regionale potrebbe favorire un accesso più consistente per le DTx, rappresentando una risorsa per l'ecosistema delle DTx stesse. Senza dimenticare il fatto che le terapie digitali, in quanto dispositivi medici, potrebbero già fin d'ora usufruire di fondi regionali per l'accesso, fondi che potrebbero andare ad integrare le risorse previste dal testo di Legge.

In assenza, almeno per ora, di un adeguato sostegno economico alle imprese italiane che vogliono investire nelle terapie digitali, quanto rilevante è il rischio che il nostro Paese diventi soprattutto un mercato di destinazione per soluzioni sviluppate altrove?

AS: Non credo che il principale rischio sia quello di diventare semplicemente un mercato di destinazione per soluzioni sviluppate altrove. Il rischio maggiore è che l'Italia non riesca a diventare un contesto sufficientemente attrattivo e sostenibile per lo sviluppo, la sperimentazione e l'adozione delle terapie digitali, sia che siano sviluppate in Italia od all'estero. Oggi esistono già delle realtà italiane che sviluppano terapie digitali, così come aziende internazionali interessate a renderle disponibili nel nostro Paese. La proposta di Legge rappresenta un passo importante ed il ruolo di AGENAS nella valutazione HTA è fondamentale. Il passaggio cruciale sarà definire tempi, processi e modalità di accesso sufficientemente chiari, prevedibili e sostenibili, capaci di bilanciare la sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale con quella dell'ecosistema dell'innovazione. Allo stesso tempo, qualora una terapia digitale abbia già generato delle solide evidenze cliniche in altri Paesi, queste potrebbero rappresentare un importante punto di partenza, da integrare con la generazione di *Real World Evidence* nel contesto italiano. Questo consentirebbe non solo di accelerare l'accesso dei pazienti alle innovazioni, ma anche di valorizzare il ruolo dell'Italia come Paese capace di generare nuove evidenze e contribuire allo sviluppo delle terapie digitali.

FC: Non vedo questo pericolo. Sia perché senza finanziamenti o rimborsi è difficile che produttori di DTx entrino commercialmente in Italia. Sia perché abbiamo già dei meccanismi di sostegno alle start-up innovative ed in questo senso chi intende investire nello sviluppo di *Digital Therapeutics* in Italia può già accedere, ad esempio, ai meccanismi previsti dal Fondo Enea *Tech & Biomedical*. Lo stesso Ministero delle Imprese e del *Made in Italy* (MIMIT) si è impegnato ad investire in un fondo specifico per sviluppare sul nostro territorio i DTx.

GG: Il rischio è reale e la Legge non lo affronta. Il testo disciplina l'accesso al SSN ma non prevede gli strumenti di sostegno allo sviluppo di soluzioni *Made in Italy*: nessun credito d'imposta dedicato, nessun fondo per la validazione clinica dei nuovi prodotti, nessun percorso preferenziale per le aziende con sede in Italia, nessuna richiesta che almeno parte dello sviluppo clinico di una DTx venga effettuato in Italia (così come viene richiesto in altri Paesi). I *player* internazionali già strutturati potrebbero così essere sensibilmente avvantaggiati nell'accedere al nuovo quadro normativo, rispetto alle realtà italiane.



E questo è un peccato perché proprio un settore come quello delle terapie digitali, che può essere alimentato da realtà imprenditoriali di piccole-medie dimensioni, che richiede elevato *know-how* scientifico e tecnologico, flessibilità ed investimenti significativamente contenuti rispetto ad altre soluzioni terapeutiche, potrebbe rappresentare un profilo particolarmente adatto al contesto del nostro Paese.

Si parla spesso d'innovazione e di sostegno a nuovi modelli d'investimento, ma nel concreto il sistema finanziario italiano sembra ancora muoversi con cautela, specie rispetto alle terapie digitali. Considerato che l'assenza di una disciplina normativa è stata finora una delle spiegazioni più ricorrenti, una volta colmato questo vuoto quali altri aspetti potrebbero ancora rappresentare un ostacolo per gli investitori?

AS: Prima di tutto, penso stiamo facendo passi avanti importanti e che ci sia interesse ad investire in Italia. Detto questo, credo che l'ostacolo principale rimanga la prevedibilità del percorso di accesso. Per gli investitori, così come per le imprese che sviluppano od intendono portare terapie digitali sul mercato, non è sufficiente sapere che esiste una disciplina normativa: è fondamentale comprendere cosa accade dopo una valutazione HTA positiva, con quali tempi, attraverso quali modalità di acquisto e con quali prospettive di sostenibilità economica. Da questo punto di vista, resta centrale il tema delle risorse. Un fondo dedicato ai dispositivi medici innovativi, comprendendo anche le DTx ed alla luce della rapida evoluzione tecnologica in sanità, potrebbe rappresentare uno strumento importante per dare maggiore certezza al sistema e sostenere l'adozione delle tecnologie a più alto valore, affiancando il percorso ordinario di accesso. Infine, c'è un tema altrettanto importante di *system readiness*. Anche con una Legge, una valutazione positiva ed un meccanismo di finanziamento, l'adozione reale delle DTx richiede un ecosistema preparato: cittadini informati, professionisti formati, pazienti coinvolti, percorsi di cura aggiornati, integrazione nei Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali (PDTA) e capacità organizzativa da parte dei servizi sanitari. È su questa combinazione, regole chiare e *fit-for-purpose*, sostenibilità economica, valorizzazione della generazione di *Real World Data* ed *Evidence* e preparazione del sistema all'adozione, che si giocherà la capacità dell'Italia di attrarre investimenti, trasformare le terapie digitali in valore concreto per i pazienti e per il Servizio Sanitario Nazionale ed affermarsi come un possibile modello di riferimento europeo per l'integrazione delle terapie digitali.

FC: Ci sono aspetti culturali, di fiducia dei pazienti e della classe medica nei risultati e nelle evidenze dei DTx Ci sono aspetti organizzativi legati alla distribuzione di *software* nati per essere usati direttamente dal paziente limitando la fase di intermediazione, ci sono aspetti commerciali di distribuzione che le *start-up* non sono attrezzate ad affrontare e che tipicamente risolvono con accordi con le aziende farmaceutiche. Sono tutti aspetti che sono già stati affrontati in Germania ed hanno rallentato la diffusione delle terapie digitali nei primi anni di avvio della sperimentazione. Li conosciamo già e credo che sapremo attrezzarci insieme alle autorità pubbliche per risolverli velocemente.

GG: Innanzitutto, ritengo sia necessario sottolineare che l'approvazione del testo di Legge da parte della Camera dei Deputati, e oltretutto all'unanimità, va salutata con grande favore, esprimendo la chiara volontà politica a far sì che il nostro Paese non perda altro tempo nella sfida per le DTx. Purtroppo, come persona di scienza in ambito medico, ricercatore ed imprenditore in una *start-up* innovativa nata per sviluppare nuove terapie digitali, devo lamentare una scarsa propensione del sistema Paese ad investire in soluzioni digitali di questo tipo. Fino al 27 maggio 2026 una delle principali motivazioni ostative addotte da potenziali investitori era l'assenza di un riferimento normativo. Ora che abbiamo la Legge i dubbi sono diventati quelli relativi alla dotazione finanziaria, all'assenza di un rimborso transitorio, ed alla regionalizzazione dell'accesso. Tutti aspetti veritieri, tanto da averli affrontati in questa intervista, ma che sono sostanzialmente comuni a tutte le soluzioni innovative in ambito sanitario. Ci sono forse altri elementi di diffidenza, che chiamano in causa il timore che queste soluzioni possano avere coperture brevettuali incomplete, così come il fatto che la classe medica possa solo in piccola parte considerare positivamente queste soluzioni, ed i pazienti possano avere resistenze all'adozione di una terapia che comunque prevede un certo grado di aderenza e d'impegno. Su questi ultimi punti il tempo gioca probabilmente a favore, la consapevolezza rispetto alla potenziale utilità e l'utilizzo di soluzioni digitali per la salute ed il benessere sono in crescita costante, e gli analisti ritengono che tra 3-4 anni il mercato delle DTx sarà pienamente maturo. Un altro elemento penalizzante, soprattutto per gli sviluppatori italiani, è quello di poter contare poco sugli investimenti da parte delle Aziende Farmaceutiche, che sarebbero un attore ideale per l'effettiva adozione delle DTx, perché come ben sappiamo molte realtà *Pharma* operanti in Italia sono filiali di gruppi internazionali, ed hanno scarsa se non nulla autonomia d'investimento locale, e capacità d'incidere sulle scelte *corporate*. Probabilmente, il vero problema è rappresentato soprattutto dai tempi necessari per il rientro degli investimenti sostenuti, che tendenzialmente possono essere di 3-4 anni dall'inizio del progetto di sviluppo di una nuova DTx. Nessuno però considera che gli investimenti richiesti per portare al rimborso una nuova DTx di elevata qualità possono essere stimati fra 2 e 4 milioni di Euro, quindi molto contenuti rispetto ad altre tecnologie sanitarie (con ampia possibilità di economia di scala per lo sviluppo di più DTx che utilizzino una stessa piattaforma tecnologica), mentre le revenue possono avere ordini di grandezza decisamente superiori.

Alberta Spreafico
Gualberto Gussoni
Federico Chinni
Olga Bussinello

La qualità tra innovazione tecnologica e nuove sfide regolatorie

Dal 20 al 22 maggio 2026 si è svolto a Cagliari il 33° Congresso Nazionale GIQAR, l'appuntamento annuale dedicato alla Quality Assurance nella Ricerca organizzato dal Gruppo Italiano Quality Assurance nella Ricerca (GIQAR), gruppo di lavoro della Società Italiana di Medicina Farmaceutica (SIMeF). Tre giornate intense di aggiornamento, confronto interdisciplinare e networking hanno riunito circa 180 professionisti e oltre 20 relatori provenienti da istituzioni, industria e mondo accademico, confermando il Congresso come uno dei principali momenti di incontro per la comunità della qualità applicata alla ricerca.

Ad aprire ufficialmente il Congresso è stata la neoeletta Presidente SIMeF, Dott.ssa Mariangela Amoroso, che ha rivolto il proprio saluto istituzionale e un caloroso augurio di buon lavoro ai partecipanti.

Il filo conduttore dell'edizione 2026, "**Il mondo della qualità e l'impatto delle novità tecnologiche e legislative**", ha rappresentato una scelta quanto mai attuale. L'evoluzione delle tecnologie digitali, l'ingresso dell'Intelligenza Artificiale nei processi della ricerca e il continuo aggiornamento del quadro regolatorio stanno infatti ridefinendo il ruolo della Quality Assurance, chiamata a coniugare innovazione, conformità normativa e cultura della qualità.

Il programma, sviluppato attraverso sessioni plenarie e un workshop interattivo, ha affrontato i principali temi che caratterizzano l'attuale scenario del settore life science. Ampio spazio è stato dedicato all'Intelligenza Artificiale, analizzata sia dal punto di vista delle opportunità applicative sia dei nuovi requisiti regolatori introdotti dall'AI Act e dalla normativa sui dispositivi medici. Grande interesse hanno suscitato anche gli interventi dedicati alla conformità dei sistemi computerizzati nei centri sperimentali e all'evoluzione dei processi in ambito GLP.

La seconda giornata ha approfondito il passaggio da una visione della qualità basata esclusivamente sulla compliance a un approccio sempre più orientato allo Smart Quality, affrontando temi quali la gestione del rischio nella gestione dei fornitori, la collaborazione tra QPPV e QAPV e l'impatto delle innovazioni tecnologiche e legislative sulle ispezioni di farmacovigilanza. Le sessioni dedicate alla GCP R3 e al ruolo delle GLP nell'approvazione dei trial clinici europei hanno offerto ulteriori spunti di riflessione sull'evoluzione degli standard internazionali.

Particolarmente apprezzato è stato il workshop dedicato all'Audit Trail Review in ambito GxP, organizzato in sessioni paral-



lele dedicate a GLP, GCP e GVP. L'impostazione pratica e il coinvolgimento diretto dei partecipanti hanno favorito un confronto concreto sulle metodologie di revisione degli audit trail, sempre più centrali per garantire Data Integrity, qualità dei processi e miglioramento continuo.

La giornata conclusiva è stata dedicata agli aggiornamenti regolatori sulla sperimentazione clinica e alla presentazione di applicazioni pratiche dei Critical to Quality Factors (CtQFs) previsti dalla nuova ICH GCP R3. Il Congresso si è poi concluso con approfondimenti sulle più recenti evoluzioni della farmacovigilanza, dalla Signal Detection a EudraVigilance, con un interessante tema GLP con risvolto etico, fino all'impatto del Reflection Paper EMA e della linea guida ICH M14 sugli studi di Real World Evidence.

Uno dei punti di forza del Congresso è stato, ancora una volta, il costante dialogo tra istituzioni, industria e professionisti del settore. La partecipazione dei rappresentanti degli ispettorati AIFA e dell'Istituto Superiore di Sanità, insieme all'intervento del Direttore dell'Ufficio Sperimentazione Clinica di AIFA, ha rappresentato un'importante occasione di confronto diretto con i partecipanti sulle più recenti evoluzioni normative, contribuendo ad appro-



Vincitrici contest poster: a sinistra Alessandra Schiavo e a destra Martina Cesani.

fondire criticità operative, aspetti interpretativi delle nuove normative e possibili strategie di miglioramento.

L'elevata partecipazione e il vivace dibattito che ha accompagnato tutte le sessioni hanno confermato il valore di un evento che continua a rappresentare un punto di riferimento per i professionisti della Quality Assurance, della ricerca clinica e preclinica, della farmacovigilanza, delle Direzioni Mediche, delle CRO, degli Sponsor e delle istituzioni.

Un particolare riconoscimento merita Daniela Marcozzi per aver costruito insieme al Comitato Scientifico un programma ricco di contenuti, apprezzato dai partecipanti sia per l'attualità degli argomenti sia per l'elevato profilo dei relatori.

Un sentito ringraziamento va anche al Comitato Organizzatore, che con professionalità e dedizione ha contribuito al successo dell'evento, nonché alla società Line Congress, che da anni affianca il GIQAR con efficienza e affidabilità nell'organizzazione del Congresso.

La realizzazione dell'evento è stata possibile anche grazie al contributo degli sponsor che hanno sostenuto l'iniziativa. Tra loro si possono annoverare sponsor ormai affezionati, presenze fisse a questo evento e società che più di recente o per la prima volta si sono affacciate all'evento. Ringraziamo pertanto: Hippocrates Research, Arithmos, Eureka InfoMed, IBSA, Italfarmaco, QStep, JSB, Cross Alliance, Ma.CRO, Option One, PQE, Prineos, Veeva e ClinOpsHub.

Con questa edizione il Congresso Nazionale GIQAR conferma la propria vocazione a essere non soltanto un momento di aggiornamento professionale, ma anche un luogo di incontro, dialogo e condivisione di esperienze, dove la qualità continua a rappresentare il valore guida per affrontare le sfide presenti e future della ricerca.

L'appuntamento è ora al **34° Congresso Nazionale GIQAR**, che si terrà nei giorni **26-27-28 maggio 2027** perseguendo sempre un unico obiettivo: promuovere una cultura della qualità sempre più innovativa, condivisa e orientata al futuro.

Anna Piccolboni (Coordinatrice Giqar)
e Comitati



EUREKA InfoMed
TEAM TO GROWTH

UN UNICO PARTNER LIFESCIENCES
PER LA TUA SICUREZZA OPERATIVA IN AMBITO HEALTHCARE

PHARMACOVIGILANCE
QUALITY ASSURANCE
MEDICAL INFORMATION

E MOLTO ALTRO PER RISPONDERE A OGNI TUA ESIGENZA

Visita il nostro sito web
eurekainfomed.it

Tel. +39 010 869 2824 / +39 010 899 1729
info@eurekainfomed.it

Coordinating BLA and MA Submissions in Parallel: how QA can support the entire Authorization Pathway.

Authors: A.Schiavo, M.Cesani

The **role of Quality Assurance proved to be essential and crucial** in managing parallel **BLA and MA submissions** for an **ATMP**, addressing the high complexity of advanced therapies and differing **EMA and FDA regulatory frameworks**. QA can support regulatory alignment by mitigating compliance risks, ensuring data integrity and traceability, harmonizing clinical governance, and strengthening global inspection readiness, while also leveraging joint inspections as opportunities for regulatory convergence.

Pre-submission

While the RA team engaged with Competent Authorities and aligned on the submission strategy, **QA** began assessing readiness by identifying required activities and evaluating the level of overall compliance, considering both the quality checks already performed on the data to be submitted and the overarching status of the QMS.

Initial Submission

During the preparation of the dossier: **QA** supported Clinical Operations and CMC teams in reviewing the appropriateness of the documents collected to create the different modules of the eCTD.

Question and answers

The rapporteur's and co-rapporteur's teams assessed the evidence provided on the medicine and independently prepared their assessment reports, where issues and concerns were highlighted. **QA** addressed the specific quality questions and/or reviewed the compliance of the items sorted out by the other units.

The pivotal role of QA in the EMA/FDA GCP Joint Inspection

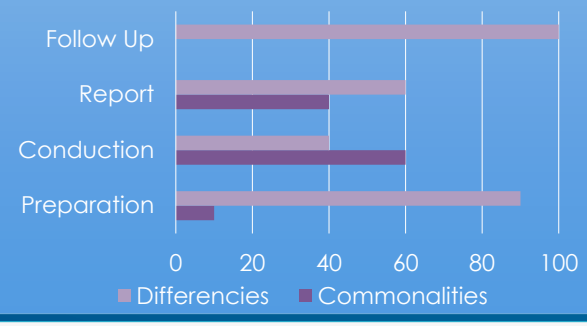
Readiness Activities: key QA-led activities.

- **Creation of core and sub teams:** personnel from QA, ClinOps, PV and key external vendors were engaged at varying levels of detail, while supervision ensured the completion of activities and CAPAs within agreed timelines. Inspection updates and preparedness initiatives were also extended to supporting functions such as IT and Procurement. Periodic cross-functional meetings, involving stakeholders with different levels of engagement, were implemented to maintain alignment and track progress.
- **Inspection Risks log:** given that study-specific risks were already managed through individual risk logs, a dedicated risk register was established to monitor Foundation-wide risks associated with translational project management, as well as systemic risks that could potentially impact the successful outcome of the inspection.
- **Audits:** an audit program was developed for studies included in the CTD. The audit plan included both *On site audits* and *Documental audits*, and was guided by different factors such as any identified problem(s) throughout the study, site already audited, outcome of recent QCs executed on TMF, KPI on TMF health status.
- **Training:** both site and sponsor staff were prepared to deal with inspectors from a theoretical perspective (e.g. tips, do/don't);
- **Complete Mock inspection:** In a context where official information on the EMA/FDA joint inspection was not clear or detailed, organizing a mock inspection proved to be essential to test all types of requests that might be raised by both inspectorates. The careful selection of the mock inspector was crucial, as it had to take into account not only expertise in ATMPs and inspection techniques, but also the need to balance and integrate the differing approaches of the two inspectorates.
- **Logistics preparation and docs management:** back/front room, IT tools, access to electronic study system for inspectors, were arranged. Slides deck to show during the inspection were reviewed to check their consistency. A high number of documents were assembled and uploaded in IRIS (EMA) some weeks ahead of the inspection.
- **Team building:** a recreational team-building activity was organized to reduce stress and tension, help people feel part of a shared goal, recharge the team's motivation and energy, and implicitly acknowledge the team's efforts, thereby demonstrating attention to people's well-being, not only to results.

Facing the Joint Inspection: what were common elements and differencies?

The GCP inspection process of the two agencies had various differences that introduced additional complexity to the joint assessment:

- The **scope** (clinical trials in object of the inspection) differed between Agencies . Consecutively, records requested by the two inspectorates during the inspection diverged in nature and also in the way they required to be shared, thus complicating the logistics and affecting the workload of the team;
- Only EMA inspector shared an **agenda** in advance with auditees, which allowed a better organization of the inspection team both at the clinical center and sponsor site;
- While FDA inspectors conducted mainly an independent evaluation of trial data, with the support of clinical center/sponsor staff, EMA inspectors requested auditees to prepare presentations for each inspection topic, to be presented by SMEs, followed by a Q&A section where further evidences were requested;
- At the clinical center, two inspection **streams** were largely in parallel, according to the agencies different modalities. At the sponsor site, where two streams could not be held due to limited sponsor team size, a collaborative approach was applied by both inspection teams;
- The inspection **concluded** with a joint wrap up meeting of the outcome on the last day, with slightly different findings reported;
- Both agencies provided an inspection **report**, delivering them with different timelines. Then while EMA requested a response to each finding they issued, FDA did not expect a response if no Form 483s were issued.



Marketing approval: the journey never really ends. Once approval has been obtained, the authorities submitted further requests for clarification and commitments before final endorsement. The role of QA has been to track, plan, and oversee these activities. In addition, in this case of ATMPs, QA was involved in the preliminary activities requested to be ready at the product's launch(e.g. implementation of long-term follow-up strategies and decentralized elements, PASS, risk minimization materials, qualified treatment center).

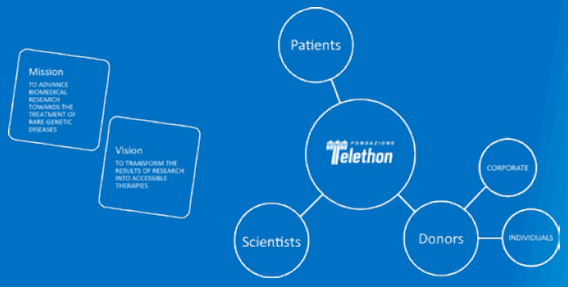
CONCLUSIONS: While FDA and EMA share common GCP principles, differences in legal bases, inspection scope, procedural expectations, and interaction with sponsors/investigational sites can create complexity during joint authorizations' submission. At the same time, this offers opportunities to enhance regulatory convergence and strengthen global compliance strategies, as well as compress timelines. In this context, QA oversight enables proactive identification and mitigation of compliance risks, ensures ALCOA++ of critical data, facilitate harmonized governance of the clinical development and supports global inspection

The Role of a Non-Profit Organization in Advancing and Supporting Rare Disease Drug Development and Commercialization

Martina Cesani and Alessandra Schiavo, Quality Assurance Unit, Fondazione Telethon ETS

Summary: In the context of advanced therapies drug development and commercialization for rare diseases, limited commercial incentives, fragmented research efforts, high costs of drug development and lifecycle management jeopardize the efforts towards the fulfillment of significant unmet medical needs. Fondazione Telethon increasingly assumes a central role across the development continuum by coordinating early research, development programs, fostering multi-stakeholder collaborations, and supporting regulatory, clinical, and access-oriented activities. By taking responsibility for strategic oversight and long-term commitment, Fondazione Telethon as non-profit organization helps bridge critical gaps between discovery, clinical development, market access and patient access. This model is presented as a sustainable and patient-centric approach to progressing advanced therapies for rare diseases and addressing areas where traditional development pathways may be insufficient.

FONDAZIONE TELETHON: VALUES AND NUMBERS



Our research since 1990:

- **741** million € invested in research since 1990
- **3,118** projects funded across Italy
- **661** diseases studied
- **1,916** scientists funded
- **255** institutes funded in Italy

Our Institutes:

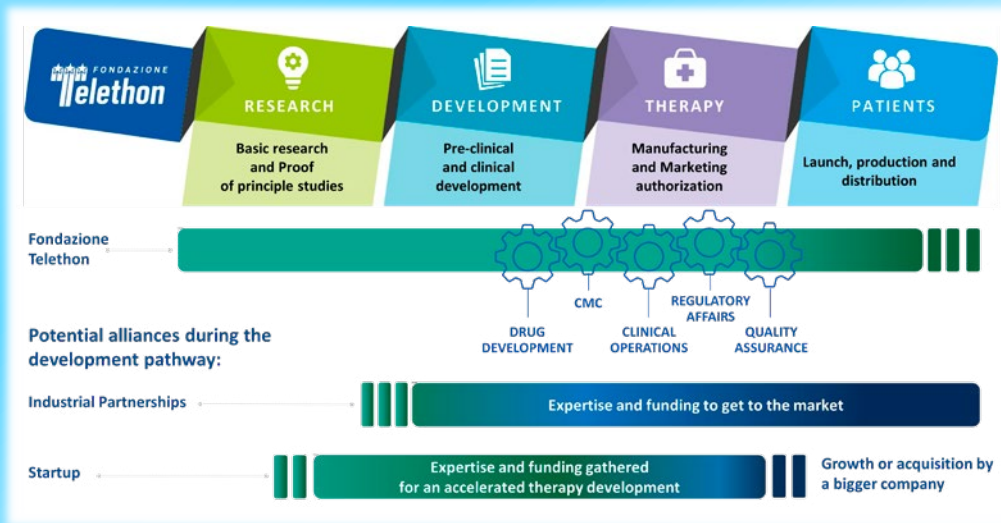
SR-Tiget, Tigem

- More than **2.700** Papers
- More than **540** People working there
- More than **90%** People directly involved in clinical or research activities



FONDAZIONE TELETHON PIPELINE DEVELOPMENT APPROACH

- A peer-review system to select excellent research
- The competences and infrastructures to develop therapies compliant with regulatory standards
- An ecosystem that accelerate the development of therapies
- A path to make therapies accessible to patients



OUR PRICING STRATEGY

Ensures patients can access therapies at the lowest price possible while still enabling growth and scale, and preserving and sustaining viable business operations, production and supply globally

FT is not-for-profit, patient-focused organizations, *and our pricing is based on what's required to sustain access.*

FT is committed to transparency, *both in our 'cost-plus' approach to pricing and in how funds are invested.*

Unrelated costs aren't factored into pricing *– we don't recover investments in other programs via higher prices and margins on approved treatments.*

THE JOURNEY OF WISKOTT-ALDRICH SYNDROME GENE THERAPY

SR-Tiget, GlaxoSmithKline, Orchard therapeutics, Telethon



Electronic Informed Consent in Observational Studies: a Quality by Design and Patient Centric Approach

Sara Antonia Sconziano[1], Alessandra Ori[1], Andrea Bo[1], Barbara Roncari[1]
[1]IQVIA Solutions Italy s.r.l.

BACKGROUND

- Electronic Informed Consent (eConsent) represents a key quality system supporting informed consenting process in observational studies, particularly in contexts characterized by limited on-site visits, retrospective data collection or remote patients engagement.
- The IQVIA Complete Consent system for e-consenting allows the protection of patients rights, data integrity and effective oversight, in line with Quality by Design and risk-based principles of ICH GCP E6 (R3) (Figure 1).

METHODS

- This contribution describes the implementation of a validated, GDPR compliant eConsent system, supported by practical case studies in observational research.
- Out of 47 observational studies assessed between 2022 to early 2026, 6 have adopted the IQVIA Complete Consent of which 2 out of 6 studies, showcasing effective use of eConsent at clinical sites, were examined (Figure 2).

RESULTS

- While the Study Sponsor supplies the eConsent solution, its implementation is closely connected to the clinical site's procedures and practices.
- Feedback from sites that have used the eConsent system suggested that it supports patient management beyond outpatient care. Sites utilizing the system enrolled patients more rapidly than those relying on paper consent up to 5-6 patients per day for study A (Figure 3).
- The following eConsent benefits have been highlighted:
  - Improves document management, reducing protocol deviations related to the informed consenting process (ALCOA++, inclusion criteria).
  - Reduces administrative burden at site for healthcare professionals and supports faster enrollment compared to traditional paper-based consent processes.
  - Enhances the patient experience by easing participation in retrospective studies without requiring physical presence at the site.
  - Ensures continuous access to study documentation, allowing patients to review information at their own pace.
  - Increases environmental sustainability by reducing paper consumption and it minimizes the need for patient travel to the site for consenting procedures where not necessarily needed for clinical practice.

CONCLUSIONS

Enhancing the implementation of the eConsent platform at the clinical site level contributes to improved quality and compliance of essential records.

It also fosters patient centricity by simplifying study participation for patients with physical limitations, restricted mobility, or geographical barriers.

Ultimately, it expands the reach of the target population in retrospective observational studies while reducing the administrative burden for healthcare professionals at site level (Figure 4).

GCP R3 Requirement	Practical Application in eConsent
Prior ethics approval	All eConsent materials and processes must be approved by IRB/IEC before implementation
Informed consent as an ongoing process	The system must support continuous consent management, including updates and confirmation of the patient's willingness to continue participation
Participant understanding	Information must be clear, concise, and understandable
Participant identity verification	The system must ensure verification of the identity of the patient or legally authorized representative
Remote consenting capability	The system must allow obtaining consent remotely
Availability of paper alternative	A non-electronic consent option must be available at site
Communication of new information and re-consent	The system must enable timely communication of new information and re-consent when required
Documentation of consent	The informed consent must be fully documented and verifiable
Traceability and audit trail	The system must ensure complete traceability (audit trail, timestamps, action logs)
Data integrity (ALCOA+)	Data must be attributable, legible, contemporaneous, original, and accurate
Data privacy and confidentiality	Measures must be in place to protect personal data and confidentiality
Validated and fit-for-purpose system	The eConsent system must be validated and suitable for its intended use (GxP compliant)
Version control	The system must ensure version management of consent documents and link each version to the patient
Archiving and availability	Consent must be stored as an essential document and be accessible for inspections/audits
Participant-centric approach	The system must support accessibility, understanding, and engagement of the participant

Figure 1. Expected GCP requirements for eConsent

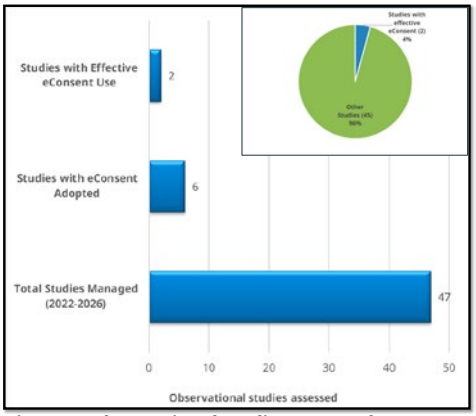


Figure 2. Observational studies assessed

Metric	Study A	Study B
Study design	Retrospective	Retrospective
Patients enrolled number with eConsent	135	23
Patient target number	212	47
% Enrollment with eConsent	63.7%	48.9%
Sites using eConsent	10	2
Total sites	13	4
% Site adoption	76.9%	50.0%

Figure 3. Observational case studies analyzed

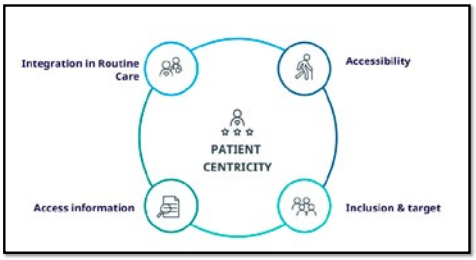


Figure 4. eConsent enhancing patient centricity

References:
1. ICH-GCP E6 (R3) Good Clinical Practices, 2025
2. EU Reg. 679/2016 EU General Data Protection Regulation, 2016
3. EMA/INS/GCP/112288/2023 Guideline on computerised systems and electronic data in clinical trials, 2023

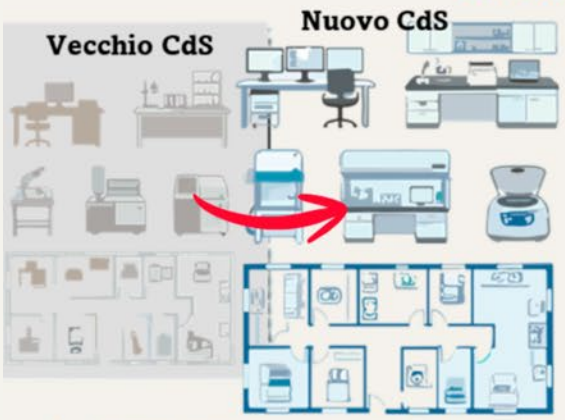
XXXIII Congresso Nazionale GIQAR, SIMef, 2026, May 20-22. For additional information refer to saraantonia.sconziano@iqvia.com and scan the QR code

© 2026. All rights reserved. IQVIA® is a registered trademark of IQVIA Inc. in the United States, the European Union, and various other countries.

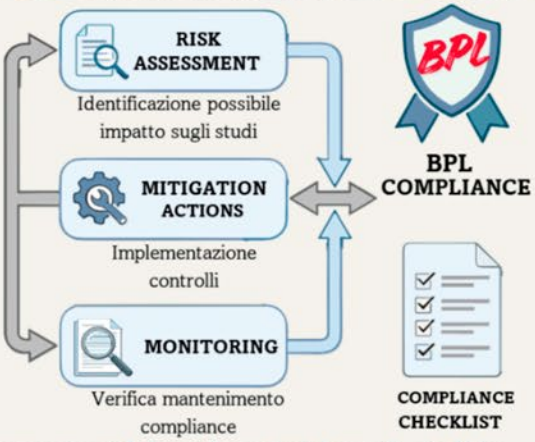
GESTIONE DEL PROCESSO DI TRASFERIMENTO DELLA GLP SR-TIGET TEST FACILITY

M. DE SIMONE, S. RINALDI, V. MAURO, F. CECERE, M. VEZZOLI, I. VISIGALLI, P. ALBERTINI
GLP SR-TIGET TEST FACILITY, OSPEDALE SAN RAFFAELE MILANO

INTRODUZIONE E OBIETTIVO

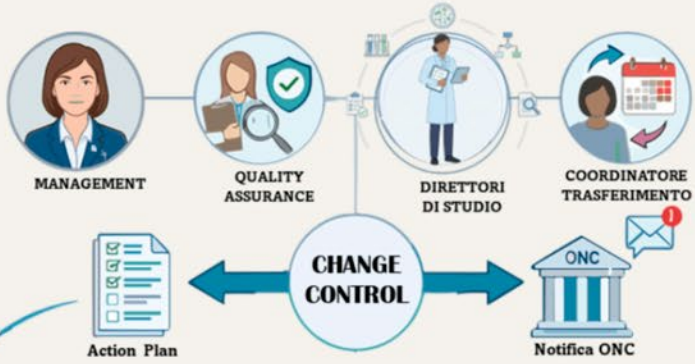




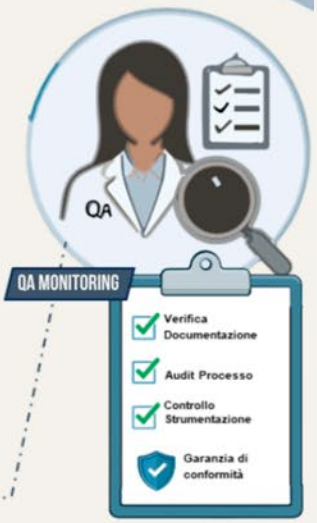


La riorganizzazione strutturale del Centro di Saggio è stata gestita con un approccio risk-based per tutelare gli studi in corso. Questo piano ha permesso di integrare nuovi locali e strumentazioni garantendo la piena continuità operativa e la compliance alle BPL.

GESTIONE DEL CAMBIAMENTO CON APPROCCIO RISK-BASED







CONCLUSIONI E PROSPETTIVE



Raccolta documentazione per completa ricostruzione delle attività per compliance BPL e condivisione con l'ONC della chiusura del processo





I nuovi locali saranno oggetto della prossima Ispezione Ministeriale





33° Congresso Nazionale GIQAR

Dott.ssa Giulia Valsecchi



33° Congresso Nazionale GIQAR

Dott. Edoardo Vitali



33° Congresso Nazionale GIQAR

Dott.ssa Stefania Morandi

La qualità tra innovazione tecnologica e nuove sfide regolatorie



Maurizio Cuocolo

Dal 33° Congresso Nazionale GIQAR 2026 è emersa con chiarezza la centralità di un approccio strutturato e basato sul rischio nella gestione dei fornitori, un ambito che sta assumendo un ruolo sempre più strategico nel contesto delle scienze della vita e della farmacovigilanza. Nel corso dell'evento, l'intervento della Dottoressa Giulia M. Valsecchi, Group Head of Pharmacovigilance and Quality Assurance di Helsinn, ha evidenziato come la vendor governance non rappresenti più una semplice attività di supporto, bensì un pilastro essenziale per garantire qualità, conformità regolatoria e, soprattutto, la sicurezza del paziente.

In uno scenario caratterizzato da crescente complessità operativa e da un ricorso sempre più diffuso all'outsourcing, le organizzazioni sono chiamate a dotarsi di modelli solidi e coerenti per la gestione dei partner esterni. Affidarsi a un approccio strutturato consente infatti di superare logiche reattive, spesso contraddistinte da controlli sporadici, criticità ricorrenti e assenza di meccanismi di escalation ben definiti. Al contrario, la definizione di processi chiari per la selezione, la qualificazione, il monitoraggio e la supervisione dei vendor permette di costruire relazioni più trasparenti ed efficaci, riducendo al contempo i rischi operativi e regolatori.

Elemento centrale del modello presentato è l'adozione di un approccio "risk-based", in cui il livello di controllo viene modulato in funzione della criticità delle attività delegate e della complessità del contesto operativo. Questo consente una allocazione più efficiente delle risorse, focalizzando gli sforzi sulle aree a maggior impatto e garantendo al contempo un'adeguata copertura dei rischi. In tale prospettiva, la gestione del fornitore si configura come un vero e proprio ciclo di vita che parte dalle fasi iniziali di raccolta delle informazioni e di richiesta di proposta, per proseguire con la qualificazione, la definizione contrattuale e il monitoraggio continuo delle performance.

Un aspetto particolarmente rilevante riguarda il coinvolgimento tempestivo della funzione Quality Assurance sin dalle prime fasi del processo. Questo approccio consente di integrare fin dall'inizio le esigenze di business con quelle di qualità e compliance, evitando disallineamenti che potrebbero emergere in fasi più avanzate. Parallelamente, risulta fondamentale stabilire in modo chiaro ruoli e responsabilità, nonché definire accordi contrattuali che includano requisiti specifici in materia di qualità, obblighi di conformità normativa e meccanismi di supervisione già prima dell'avvio delle attività operative.

Il tema della classificazione dei fornitori rappresenta un ulteriore elemento chiave del framework discusso durante il congresso. Diversi modelli di valutazione del rischio possono essere applicati per ottenere una segmentazione efficace dei vendor. Tra questi, il modello che mette in relazione criticità e complessità consente di valutare l'impatto delle attività sulla sicurezza del paziente e sull'integrità dei dati, mentre l'approccio basato sulle linee guida PIC/S risulta particolarmente allineato alle aspettative delle autorità regolatorie. Accanto a questi, i modelli parametrici offrono la possibilità di attribuire punteggi ponderati ai diversi fattori di rischio, restituendo una valutazione più granulare e oggettiva. L'esito di tali analisi consente di classificare i fornitori in differenti livelli di rischio e di definire conseguentemente il livello di qualifica richiesto e la frequenza delle attività di riqualificazione. Ad esempio, per i vendor più critici possono rendersi necessari audit annuali, mentre per quelli a minor rischio possono essere sufficienti verifiche documentali con cadenza più diluita.

Un altro punto di grande rilevanza riguarda l'integrazione della qualità nei contratti con i fornitori, che non devono limitarsi a disciplinare gli aspetti commerciali ma devono includere in modo esplicito elementi quali indicatori di performance, obblighi di compliance, procedure di escalation e diritto di audit. In questo modo, la qualità diventa parte integrante della relazione e non un elemento accessorio. L'attività di oversight continua si fonda poi su strumenti concreti come incontri periodici, analisi sistematica dei KPI, revisioni documentali e gestione strutturata delle deviazioni. I dati raccolti attraverso questi processi permettono di monitorare costantemente parametri chiave quali la qualità dei dati, le performance operative e il livello di conformità, offrendo una visione chiara e aggiornata delle prestazioni del fornitore.

In conclusione, il messaggio emerso dal Congresso GIQAR è inequivocabile: una governance efficace dei fornitori rappresenta un fattore determinante non solo per il rispetto dei requisiti normativi, ma anche per la tutela della sicurezza del paziente e dell'integrità dei dati. Il coinvolgimento precoce della Quality Assurance, l'adozione sistematica di modelli di risk assessment e la definizione di strategie di oversight solide e continue costituiscono gli elementi chiave per raggiungere questo obiettivo. In un settore in cui le attività esternalizzate sono in costante aumento, la capacità di gestire in modo strutturato e consapevole l'ecosistema dei fornitori si configura sempre più come un elemento distintivo per le organizzazioni, in grado di fare la differenza tra una semplice conformità e una reale eccellenza operativa.

LE GLP NELL'AMBITO DELL'APPROVAZIONE DEI TRIAL CLINICI IN EUROPA

Nel lungo e complesso percorso che porta un farmaco dalla ricerca di laboratorio fino al suo utilizzo clinico, la qualità dei dati scientifici gioca un ruolo fondamentale per garantire la sicurezza dei pazienti. È su questo principio che si fondano le Good Laboratory Practices (GLP), un insieme di standard che hanno lo scopo di garantire l'affidabilità degli studi non clinici e che rappresentano oggi una colonna portante del sistema regolatorio europeo.

Il tema è stato al centro dell'intervento della Dottoressa Maria Francesca Cometa dell'Istituto Superiore di Sanità durante il 33° Congresso Nazionale GIQAR, dove è stato evidenziato come le GLP siano determinanti nel passaggio più delicato dello sviluppo di un farmaco, ovvero quello che conduce dalla fase preclinica alla sperimentazione sull'uomo.

Lo sviluppo di un medicinale non è un processo lineare, ma un sistema articolato in cui convergono ricerca di base, ricerca traslazionale e valutazione regolatoria. In questo contesto, le autorità competenti, come EMA e AIFA, hanno la responsabilità di assicurare che ogni prodotto sia non solo efficace, ma anche sicuro e di qualità.

È proprio qui che entra in gioco il sistema integrato delle GxP, che include le buone pratiche di laboratorio, di produzione e cliniche. Le GLP, in particolare, riguardano la fase non clinica e garantiscono che gli studi siano condotti secondo criteri rigorosi, riproducibili e trasparenti.

Prima che un farmaco possa essere somministrato per la prima volta all'uomo, è infatti indispensabile disporre di solidi dati non clinici. Questi studi, che spaziano dalla farmacologia alla tossicologia, non solo devono dimostrare l'attività del farmaco, ma soprattutto valutarne il profilo di sicurezza. Senza queste evidenze, nessun trial clinico può essere autorizzato.

Il Regolamento europeo 536/2014 ha rafforzato ulteriormente questo principio, ribadendo che tali dati debbano essere ottenuti in conformità alle GLP. Questo rappresenta una garanzia essenziale per le autorità regolatorie chiamate a valutare le richieste di sperimentazione clinica (CTA), spesso in tempi rapidi e senza la possibilità di verificare nel dettaglio ogni singolo studio.

Negli ultimi anni, il sistema si è evoluto verso una sempre maggiore armonizzazione a livello internazionale. Un ruolo chiave è svolto dal sistema MAD (Mutual Acceptance of Data) dell'OCSE, che consente il riconoscimento reciproco degli studi condotti in diversi Paesi, evitando duplicazioni e accelerando lo sviluppo dei farmaci.

Parallelamente, le modalità di sviluppo dei medicinali stanno cambiando profondamente. Accanto alle tradizionali piccole molecole chimiche, stanno emergendo con forza i farmaci biologici e le terapie avanzate, come quelle geniche e cellulari. Questa evoluzione, da un lato, apre prospettive terapeutiche straordinarie, soprattutto per malattie rare e gravi; dall'altro, introduce nuove complessità nella valutazione della sicurezza e richiede approcci sempre più flessibili e basati sul rischio.

Anche la tecnologia sta ridefinendo il panorama. L'intelligenza artificiale, i modelli in silico e le piattaforme di screening ad alto rendimento consentono oggi di analizzare grandi quantità di dati e di migliorare la predittività degli studi preclinici. Tuttavia, queste innovazioni pongono nuove sfide: non basta generare dati rapidamente, è necessario garantirne la qualità, la tracciabilità e la validità regolatoria.

Un altro tema centrale è rappresentato dall'etica della ricerca. Le normative europee promuovono da tempo il principio della sostituzione, riduzione e affinamento dell'uso degli animali, spingendo verso lo sviluppo di metodi alternativi. Tra questi, gli organ-on-chip e altri modelli avanzati stanno dimostrando un potenziale significativo nel riprodurre meccanismi umani in modo più accurato rispetto ai modelli animali tradizionali.

Tuttavia, l'adozione di questi nuovi approcci richiede un passaggio fondamentale: la validazione scientifica. Solo metodi adeguatamente validati e accettati dalle autorità regolatorie possono sostituire o integrare gli studi tradizionali, garantendo al tempo stesso la sicurezza dei pazienti.

In questo scenario in rapido mutamento, emerge con forza una consapevolezza: la qualità dei dati rappresenta il vero nodo strategico del sistema. In un ecosistema globale sempre più competitivo, mantenere standard elevati non è solo un obbligo regolatorio, ma anche un vantaggio competitivo per l'Europa.

Le GLP, dunque, non sono un mero requisito tecnico, ma uno strumento essenziale per coniugare innovazione e sicurezza. In un'epoca in cui la scienza accelera e le tecnologie aprono nuove frontiere, il loro ruolo appare ancora più centrale: garantire che ogni progresso sia accompagnato da evidenze solide e affidabili.

In definitiva, senza dati di qualità, non può esistere una medicina davvero sicura.

Maurizio Cuocolo

La Giornata Mondiale degli Studi Clinici: una presenza sempre più radicata nella città e nella società

Anche quest'anno, il 20 maggio si è celebrata la Giornata Internazionale degli Studi Clinici, ricorrenza che commemora il giorno in cui, nel 1747, James Lind avviò il primo studio randomizzato della storia, confrontando diversi trattamenti per lo scorbuto tra i marinai della Royal Navy britannica. Sono passati quasi tre secoli, ma lo spirito che anima quella curiosità scientifica è più vivo che mai, e ogni anno trova nuova linfa in chi scende in piazza per raccontarla ai cittadini.

L'edizione 2026 si è svolta in Piazza Castello a Milano, sotto un cielo terso e davanti al profilo inconfondibile del Castello Sforzesco, in una sede che ha saputo fondere il valore simbolico della storia cittadina con la vitalità di un evento di sensibilizzazione sempre più maturo e riconosciuto.





Sergio Scaccabarozzi
Vice-presidente della Fondazione Ride2med – socio SIMeF

Una crescita costante, anno dopo anno

Guardando indietro, la traiettoria di questa iniziativa racconta una storia di crescita progressiva e consapevole. Nata come evento circoscritto alla comunità degli addetti ai lavori, la Giornata degli Studi Clinici ha progressivamente allargato il proprio perimetro, uscendo dalle sedi delle aziende farmaceutiche, per approdare nelle piazze e nei luoghi di vita quotidiana. Lo scopo è quello di un sempre maggior coinvolgimento della popolazione, reale destinataria e beneficiaria di una ricerca clinica innovativa, ben condotta.

L'edizione del 2024, tenutasi in piazza San Babila ha ospitato oltre 120 volontari e generato alcune migliaia di contatti con passanti, turisti e professionisti. Nel 2025, il gazebo ha contato oltre 130 volontari, circa 2.000 contatti diretti in piazza e una reach digitale di 14.729 utenti – rispetto ai 9.000 dell'anno precedente – con i follower Instagram più che raddoppiati, da 184 a 469.

Nel 2026 il coinvolgimento si consolida ulteriormente: circa 100 volontari hanno animato Piazza Castello, coadiuvati da iniziative collaterali simultanee in tre ospedali del territorio, a testimonianza di un radicamento istituzionale che va ben oltre la piazza.



L'edizione 2026: una giornata in piazza e negli ospedali

SIMeF, insieme ad AFI – Associazione Farmaceutici Industria, FADOI – Federazione delle Associazioni dei Dirigenti Ospedalieri Internisti e GIDM – Gruppo Italiano Data Manager, ha organizzato anche quest'anno la celebrazione milanese, con il patrocinio delle principali Istituzioni nazionali e di numerosi centri clinici di ricerca.

Tra le novità di questa edizione, il logo rinnovato della giornata e i totem illustrativi realizzati dal fumettista Kanjano, che hanno reso immediatamente accessibili e visivamente efficaci i messaggi chiave sulla ricerca clinica: le sue fasi, i falsi miti, il valore per i pazienti. Un linguaggio nuovo, capace di raggiungere fasce di pubblico più ampie e diversificate.



L'evento ha ricevuto il sostegno istituzionale di Ivan Colombo, Presidente del Gruppo Sanità di Assolombarda, e di Emanuele Monti, presidente della IX Commissione permanente - Sostenibilità sociale, casa e famiglia di Regione Lombardia, membro del CDA di AIFA ed esperto di temi della sanità e ricerca biomedica, che si sono fermati in piazza a testimoniare la vicinanza del mondo istituzionale e imprenditoriale a questa iniziativa.

La copertura mediatica e la dimensione digitale

Uno degli aspetti più significativi dell'evoluzione di questa iniziativa riguarda la sua capacità di amplificare il messaggio attraverso i canali digitali. Anno dopo anno, la presenza online della Giornata degli Studi Clinici si è strutturata e consolidata: un sito web dedicato (www.clinicaltrialdayitalia.com), un profilo Instagram in costante crescita e un canale YouTube con contenuti di approfondimento costituiscono oggi un ecosistema comunicativo che prolunga nel tempo l'impatto dell'evento in piazza.

Non è un dettaglio secondario: la ricerca clinica deve parlare al futuro, e il futuro si raggiunge attraverso i linguaggi e i canali che sono consoni alle nuove generazioni. I volontari, in prevalenza giovani professionisti, con una significativa presenza femminile, rappresentano in questo senso un segnale incoraggiante: portano con sé non solo competenze tecniche di alto profilo, ma anche un entusiasmo genuino e la consapevolezza profonda di svolgere un lavoro utile per la collettività.

Verso una cultura condivisa della ricerca

L'obiettivo di fondo resta invariato rispetto agli anni scorsi: avvicinare i cittadini alla ricerca clinica, spiegarne la complessità e le garanzie, sfatare i luoghi comuni che ancora ne condizionano la percezione pubblica. Che i pazienti non siano informati prima di partecipare a una sperimentazione è falso. Che chiunque possa sperimentare un farmaco senza criteri di selezione è falso. Che i risultati delle sperimentazioni vengano tenuti segreti è falso.

Il fatto che queste domande continuino a suscitare interesse, tra i passanti di piazza Castello come tra gli utenti che interagiscono sui social, è la prova che l'iniziativa risponde a un bisogno reale di informazione e trasparenza. E il fatto che le istituzioni, le associazioni di pazienti e il mondo imprenditoriale si uniscano ogni anno a questo sforzo testimonia una maturità crescente dell'intero ecosistema.

Resta ancora molto da fare sul piano normativo e strutturale: semplificazione amministrativa negli ospedali, riconoscimento dei ruoli professionali della ricerca clinica, valorizzazione dei dati sanitari per la ricerca, collaborazione pubblico-privato. Sono temi noti, su cui le istituzioni mostrano apertura crescente, ma che richiedono accelerazione e focalizzazione concreta.

L'appuntamento è stato il 20 maggio 2027. La piazza era lì – e con essa una comunità ancora più larga di volontari, istituzioni e cittadini consapevoli.

Farmaco e *Companion Diagnostic*: due modelli regolatori, una sola medicina di precisione?



Monica Capozzi
GCP Quality Assurance Specialist

Introduzione

La medicina di precisione ha profondamente modificato il paradigma terapeutico degli ultimi vent'anni, sostituendo progressivamente l'approccio *one-size-fits-all* con strategie basate sulle caratteristiche molecolari del paziente. In questo contesto, il valore di un farmaco innovativo non dipende più esclusivamente dalle sue proprietà farmacologiche ma anche dalla capacità di identificare con accuratezza i pazienti che possono realmente beneficiarne.

I *Companion Diagnostic* (CDx) rappresentano lo strumento che rende possibile questo cambiamento. Il Regolamento (UE) 2017/746 (IVDR) li definisce come dispositivi medico-diagnostici in vitro, essenziali per identificare i pazienti idonei ad uno specifico trattamento o quelli maggiormente esposti al rischio di reazioni avverse gravi. Analogamente, la *Food and Drug Administration* (FDA) statunitense considera i CDx fondamentali per garantire l'uso sicuro ed efficace di determinati medicinali.

La crescente diffusione delle terapie *target*, dell'immunoterapia e delle piattaforme di sequenziamento di nuova generazione (*Next Generation Sequencing*, NGS) ha trasformato il *Companion Diagnostic* da semplice indagine di laboratorio ad elemento strutturale dell'intero percorso terapeutico.

Tuttavia, la medicina di precisione non dipende soltanto dalla disponibilità di biomarcatori affidabili. Essa è profondamente influenzata dal modo in cui i sistemi regolatori disciplinano il rapporto tra farmaco e diagnostica. È proprio su questo aspetto che emergono le differenze sostanziali tra il modello statunitense e quello europeo, con possibili ripercussioni sull'implementazione clinica, sull'organizzazione dei servizi sanitari e sull'accesso ai trattamenti.

Due modelli regolatori profondamente diversi

Sebbene l'obiettivo finale sia comune – garantire che quel singolo paziente riceva il trattamento più appropriato – Stati Uniti ed Europa hanno sviluppato due modelli regolatori profondamente differenti.

Il modello statunitense: sviluppo clinico integrato

Negli Stati Uniti, la FDA promuove uno sviluppo fortemente integrato del binomio farmaco–*Companion Diagnostic*. Lo sviluppo clinico del farmaco e quello del *test* diagnostico procedono in modo coordinato ed il loro percorso regolatorio è strettamente interconnesso.

Nella maggior parte dei casi la FDA:

- approva il medicinale;
- approva contestualmente il *Companion Diagnostic*;
- definisce l'impiego del *test* nell'etichettatura del farmaco;
- definisce il biomarcatore e la popolazione di pazienti sulla base delle evidenze cliniche derivanti dagli studi registrativi;
- specifica le condizioni d'uso del *test*.

In questo modello, il *Companion Diagnostic* è parte integrante del disegno di sviluppo clinico del farmaco. La popolazione arruolata negli studi registrativi viene identificata mediante un *test* validato e la medesima strategia diagnostica viene trasferita nella pratica clinica, favorendo una maggiore uniformità nell'identificazione dei pazienti candidati al trattamento.

Tuttavia, questa forte integrazione può comportare una minore flessibilità nell'adozione di piattaforme diagnostiche alternative nella pratica clinica con il risultato di una elevata standardizzazione tra sviluppo clinico e pratica assistenziale, a fronte di una minore flessibilità tecnologica.

Il modello europeo: due percorsi regolatori distinti

L'approccio europeo segue una logica differente.

L'EMA valuta il medicinale, mentre il *Companion Diagnostic* viene certificato ai sensi del Regolamento (UE) 2017/746 dagli Organismi Notificati, con il coinvolgimento dell'EMA attraverso la procedura di consultazione prevista dall'Articolo 48.

Medicinali e dispositivi medico-diagnostici appartengono, quindi, a due sistemi regolatori distinti, sebbene strettamente coordinati.

Questa architettura garantisce degli elevati *standard* di qualità, di sicurezza e di prestazioni dei dispositivi, lasciando tuttavia maggiore flessibilità nella scelta delle piattaforme diagnostiche utilizzate nella pratica clinica con il risultato di una elevata qualità regolatoria, con maggiore eterogeneità implementativa rispetto al modello statunitense.

Dalla flessibilità regolatoria alla variabilità implementativa

La principale conseguenza del modello europeo non riguarda la qualità dei *Companion Diagnostic* bensì il grado di standardizzazione della loro implementazione.

Una volta autorizzato il medicinale, possono essere utilizzati differenti *Companion Diagnostic* certificati ai sensi dell'IVDR oppure, nei casi previsti dalla normativa, dei *test* sviluppati internamente dai laboratori (*Laboratory Developed Tests*, LDT), purché siano soddisfatti i requisiti applicabili. La disponibilità di piattaforme tecnologiche differenti, metodiche analitiche diverse e modelli organizzativi non uniformi contribuisce a creare un panorama inevitabilmente eterogeneo.

Le tecnologie di sequenziamento di nuova generazione accentuano ulteriormente questo fenomeno: pannelli genomici differenti possono includere un numero variabile di geni, utilizzare *pipeline* bioinformatiche differenti ed adottare criteri interpretativi non completamente sovrapponibili.

Pur nel rispetto degli *standard* regolatori applicabili, tali differenze possono tradursi nella realtà in una variabilità dell'implementazione diagnostica tra laboratori e sistemi sanitari.

I vantaggi della flessibilità europea: sostenibilità ed adattabilità

Questa maggiore flessibilità presenta tuttavia anche rilevanti vantaggi organizzativi ed economici. La possibilità di utilizzare piattaforme diagnostiche già disponibili e validate all'interno dei laboratori consente di valorizzare infrastrutture, competenze e percorsi diagnostici già esistenti, evitando la necessità di dover adottare un'unica tecnologia specifica su tutto il territorio.

Ciò può favorire una più rapida integrazione delle innovazioni diagnostiche, limitare gli investimenti necessari per l'adeguamento delle strutture sanitarie e consentire l'adozione di piattaforme multiparametriche, come quelle basate su NGS, capaci di supportare simultaneamente più indicazioni terapeutiche.

In questa prospettiva, la flessibilità del modello europeo rappresenta non solo una fonte di variabilità, ma anche un elemento di sostenibilità ed adattabilità del servizio sanitario, purché accompagnata da degli adeguati programmi di standardizzazione, controllo di qualità e armonizzazione dell'interpretazione clinica.

Evoluzione delle piattaforme genomiche: nuove informazioni oltre la validazione originaria

Un ulteriore elemento di complessità deriva dalla rapida evoluzione delle tecnologie genomiche. Le piattaforme NGS oggi disponibili sono in grado d'identificare un numero crescente di varianti all'interno dello stesso gene, molte delle quali non erano necessariamente rappresentate durante lo sviluppo clinico registrativo del farmaco o del *Companion Diagnostic*.

Spesso l'indicazione terapeutica è formulata a livello di gene piuttosto che di singola variante, mentre tali piattaforme possono identificare delle varianti aggiuntive rispetto a quelle osservate negli studi registrativi. Tuttavia, ciò non implica automaticamente una corrispondente dimostrazione di beneficio clinico per tutte le varianti identificate.

In questo senso, la capacità analitica delle tecnologie genomiche procede oggi più rapidamente della generazione delle evidenze cliniche necessarie per aggiornare in modo sistematico le indicazioni terapeutiche.

Il *Companion Diagnostic* come infrastruttura della medicina di precisione

L'evoluzione tecnologica sta progressivamente modificando il ruolo stesso dei *Companion Diagnostic*.

Se inizialmente essi rappresentavano degli strumenti destinati ad identificare una specifica alterazione molecolare, oggi costituiscono il punto di accesso all'intero ecosistema della medicina di precisione.

Le piattaforme genomiche di nuova generazione consentono una caratterizzazione molecolare sempre più ampia dei tumori, generando informazioni che vanno oltre il singolo biomarcatore utilizzato per la selezione terapeutica. Il *Companion Diagnostic* diventa così uno strumento capace d'integrare evidenze biologiche, cliniche e regolatorie, contribuendo ad una descrizione sempre più articolata della popolazione molecolare dei pazienti.

In questa prospettiva, il *Companion Diagnostic* non può più essere considerato esclusivamente un *test* di laboratorio ma dev'essere interpretato come una vera infrastruttura regolatoria, organizzativa, tecnologica ed economica, senza la quale il potenziale delle terapie innovative non può essere pienamente espresso.

Conclusioni

L'evoluzione della medicina di precisione non dipende esclusivamente dallo sviluppo di nuovi farmaci o biomarcatori, ma dalla capacità dei sistemi sanitari d'integrare in modo coerente diagnostica molecolare, regole ed organizzazione dell'accesso alle cure.

Il confronto tra il modello statunitense e quello europeo evidenzia come le differenti architetture regolatorie possano influenzare il grado di standardizzazione dell'intero percorso diagnostico-terapeutico. Negli Stati Uniti, l'integrazione tra farmaco e *Companion Diagnostic* garantisce una forte coerenza tra la popolazione studiata e quella trattata nella pratica clinica, mentre in Europa la separazione dei percorsi regolatori consente una maggiore flessibilità tecnologica ed organizzativa, a fronte di una maggiore eterogeneità implementativa.

L'evoluzione delle piattaforme genomiche aggiunge un ulteriore livello di complessità. La crescente capacità d'identificare le varianti molecolari richiede un continuo allineamento tra innovazione tecnologica, evidenze cliniche e processi regolatori, affinché la maggiore ricchezza informativa si traduca in un reale beneficio per i pazienti.

Le future evoluzioni regolatorie, l'armonizzazione dei processi di valutazione ed una crescente integrazione tra sviluppo farmacologico e diagnostica molecolare rappresenteranno gli elementi determinanti per trasformare l'innovazione scientifica in una medicina di precisione sempre più efficace, equa e sostenibile.

NUOVO COMITATO DI REDAZIONE



Stefano Bonato

Nella sua prima riunione del 18 maggio il nuovo Consiglio Direttivo ha riconfermato nella mia persona il ruolo di Responsabile del Comitato di Redazione, e per questo ringrazio davvero ciascuno di loro per avermi rinnovato ancora la loro fiducia.

Questo è per me un motivo di gratitudine e soddisfazione ma allo tesso tempo un ulteriore stimolo a fare di più meglio assieme a tutti i membri del Comitato stesso che sono stati i veri autori del progressivo successo del nostro Giornale, sia in termini di contenuti che di numero di lettori, anche tra i non soci.

A loro va il mio sincero ringraziamento per la costante dedizione, la fervida inventiva e la spontanea collaborazione che ha reso possibile tutto questo.

Il nuovo Comitato registra l'uscita di Gualberto Gussoni, dovuta all'incremento dei suoi impegni lavorativi, al quale va il mio sincero plauso e ringraziamento per il suo grandissimo contributo apportato: ci spiace sinceramente ma sappiamo che possiamo ancora attingere alla sua squisita disponibilità ed alla sua grande professionalità.

Rimane con noi Marie-George Besse e così pure tutti gli altri mentre diamo il benvenuto a Mariangela Amoroso e ad una nuova socia, Olga Bussinello, che curerà anche gli aspetti più squisitamente comunicativi del Giornale.

Concludo, lasciando a lei presentarsi, e ringraziando ancora tutti per il percorso fin qui svolto e per quello che ci attenderà.



Olga Bussinello

Mi occupo di comunicazione e consulenza, con un background giuridico che mi ha portata a sviluppare un approccio rigoroso, orientato ai progetti, agli stakeholder e alla qualità dei contenuti.

Mi sono laureata in Giurisprudenza e ho una formazione classica, che ha rafforzato il mio metodo analitico e la mia attenzione al linguaggio.

Sono giornalista pubblicista iscritta all'Ordine dal 2005 e ho maturato un'esperienza nell'editoria, collaborando con testate e progetti specialistici su temi normativi, economici e divulgativi.

Negli ultimi anni ho approfondito con continuità i temi del life sciences, in particolare l'ambito regolatorio, la ricerca clinica, le GCP, la RWE, l'HTA, l'etica e l'intelligenza artificiale applicata alla ricerca e sviluppo dei farmaci, oltre agli IVD e all'uso secondario dei dati.

Ho recentemente concluso un percorso di alta formazione in Digital Communication, Reputation e Brand Management presso lo IUSVE (Istituto Universitario Salesiano di Venezia aggregato alla Facoltà di scienza dell'educazione dell'Università Pontificia Salesiana).

Nel settore life sciences ho lavorato come consulente della comunicazione corporate e delle relazioni esterne per aziende del settore, contribuendo allo sviluppo e alla valorizzazione di progetti complessi.

Ho fatto parte di un team di progetto dedicato allo sviluppo di una digital therapeutic per l'insonnia cronica e ho partecipato a un gruppo di lavoro sulla sostenibilità del settore farmaceutico.

Sono madrelingua italiana e conosco l'inglese e il francese.

LETTURE SOTTO L'OMBRELLONE

Quest'estate porta con te storie che uniscono scienza, umanità e scoperta!

Abbiamo selezionato cinque libri di divulgazione medico scientifica capaci di offrire nuove prospettive sulla medicina contemporanea, con uno stile coinvolgente, perfetto anche sotto l'ombrellone.

*Dalla straordinaria ricostruzione della storia del cancro in "***L'imperatore del male***" di Siddhartha Mukherjee, che si legge come un romanzo pur restando rigoroso, alla riflessione profonda e attuale di Atul Gawande in "***Essere mortale***", sul significato della cura e del fine vita.*

*Per chi ama le storie cliniche, Oliver Sacks in "***L'uomo che scambiò sua moglie per un cappello***" accompagna il lettore in casi neurologici sorprendenti, mentre "***Il gene. Una storia intima***" di Siddhartha Mukherjee amplia lo sguardo sull'evoluzione della genetica, intrecciando scienza e identità personale.*

*Completa la selezione un viaggio affascinante nel corpo umano con i saggi divulgativi di Bill Bryson, tra cui "***Il corpo. Una guida per i suoi occupanti***" e "***Breve storia di (quasi) tutto***", ricchi di curiosità e aneddoti.*

Cinque titoli che dimostrano come la medicina non sia solo tecnica, ma anche narrazione, etica e comprensione dell'essere umano. Perfetti per un'estate che nutre la mente, oltre al relax.

Olga Bussinello e Alessandra Aloe



PROGRAMMAZIONE ANNUALE

Aggiornato al 15/07/2026

➔ **Cliccando sull'evento si accede al modulo d'iscrizione**



Clinical Trial Center On-boarding

dal 24 marzo al 31 dicembre 2026



FORUM MSLab 1.0

11 settembre 2026 (MILANO)
7, 14, 21 ottobre 2026 (WEBINAR)



WEBINAR -
Pillole IBIG - Junshui Ma (Merck): "AI Agent with Harness: The Universal Framework to Democratize Clinical Statistical Expertise"
14 settembre 2026



EVENTO IN PRESENZA (MILANO)
Ruoli e competenze per la Ricerca Clinica ed il Medical Affairs nell'era dell'IA
22 settembre 2026



Pharmacovigilance Focus - IV edizione

30 settembre 2026



EVENTO IN PRESENZA (MILANO)
L'Evoluzione dei CET: Casi Pratici, Innovazione e Modelli organizzativi AFI - SIMEF
12 ottobre 2026



EVENTO IN PRESENZA (ROMA)
Corso Pre-Forum 2026

21 ottobre 2026



EVENTO IN PRESENZA (ROMA)
Forum IBIG 2026

22-23 ottobre 2026



EVENTO IN PRESENZA (MILANO)

4° GLP DAY

23 ottobre 2026

GIQAR
GRUPPO ITALIANO di
QUALITY ASSURANCE NELLA RICERCA

WEBINAR

Il futuro del QA con l'avvento dell'AI

18 novembre 2026



WEBINAR

Pillole IBIG - Daniele Bertolini (Unlearn. AI): "AI Digital Twins and Synthetic Data: Application to Clinical Trials"

19 novembre 2026



WEBINAR

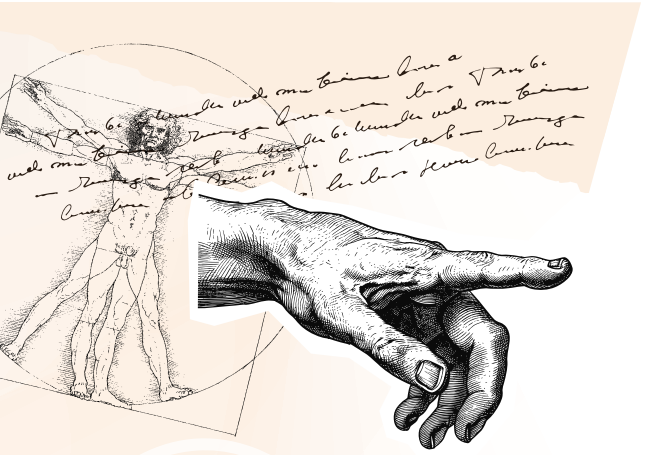
Pillole IBIG - Mia Tackney (MRC): "Digital Health Technologies and Endpoints"

14 dicembre 2026



Nuovi soci

Agrati Benedetta	Evidenze Health Srl
Begini Francesca	Angelini Pharma
Cangiano Alfonsina Mariarosaria	White Lab Srl
Dalle Mulle Giorgia	
D'Angelo Sabrina	
Delvecchio Gabriella	Bayer Spa
Fassone Elisa	Pharming
Gatti Laura	G-Gravity
King Xi	Novo Nordisk
Losquadro Laura	Abbvie S.r.l.
Malvasi Rossella Maria	Pierre Fabre
Mariano Sara	
Milazzo Stella	Farmacoscienza
Millo Rebecca	Boehringer Ingelheim Italia
Perricelli Paolo	Boehringer Ingelheim Italia
Scarabellotto Sara	Roche
Scarci Francesco	Amgen
Shalby Omar	GSK
Taibbi Annamaria	White Lab Srl
Tempre Rosaria	Sanofi
Wilson Ashling Arianna	MSD
Zallocco Michele	Università Di Torino



QSTEP
QUALITY, COMPLIANCE, GOVERNANCE FOR IT.



QStep: il Quality Step nella Digital Compliance per il Life Science

Dalla validazione dei sistemi computerizzati alla loro continua conformità, **QStep** garantisce qualità e innovazione nella **Digital Compliance** in ambito **clinico** e **farmacovigilanza**.

Scopri la nostra impronta. Fai il tuo Quality Step.

CONTATTACI

info@qstep.it | Linkedin | **qstep.it**

Inquadra il QR Code

Il giornale della SIMeF
Società Italiana di Medicina Farmaceutica
Italian Society of Pharmaceutical Medicine

Numero 4/2026

CONSIGLIO DIRETTIVO
Presidente: Mariangela Amoroso
Vicepresidente: Alessandra Aloe
Segretario: Francesco Butti
Tesoriere: Paola Trogu
Consiglieri: Daniela Bernardini, Celeste Cagnazzo, Gian Nicola Castiglione, Marco Costantini, Maurizio Cuocolo, Anna Piccolboni, Elisabetta Riva
Direttore Responsabile: Stefano Bonato
Comitato di Redazione: Alessandra Aloe, Mariangela Amoroso, Marie-Georges Besse, Olga Bussinello, Maurizio Cuocolo, Eros Fabrizi, Marisa Le Donne, Mario Spione
Supporto di Redazione: Francesca De Luca, Sabrina Lucioni

Il Giornale della SIMeF
Segreteria di Redazione:
Via Felice Cavallotti, 15 - 20900 Monza
tel 039.9639115
E-mail info@simef.it

Registrazione del Tribunale di Milano, N. 319 del 14/05/2007

Numero progressivo 04/2026
Periodicità: bimestrale
Editore: MedicalStar

WWW.SIMeF.IT

Hanno collaborato a questo numero:

Alessandra Aloe, Mariangela Amoroso, Stefano Bonato, Olga Bussinello, Monica Capozzi, Federico Chinni, Maurizio Cuocolo, Gualberto Gussoni, Marisa Le Donne, Anna Piccolboni, Sergio Scaccabarozzi, Alberta Spreafico.

Seguici su