



NUOVI FARMACI APPROVATI DA EMA NEL 2025

Nel 2025, la European Medicines Agency (EMA) ha dato parere favorevole alla Commissione Europea affinché venissero autorizzati all'immissione in commercio 104 nuovi farmaci, di cui 38 contenenti un principio attivo mai autorizzato prima in Europa. Di questi 38 nuovi farmaci, 18 sono costituiti da piccole molecole, 8 da anticorpi e 3 da terapia genica.

Nel 2025, la European Medicines Agency (EMA) ha dato parere favorevole (recommendation) a che 104 nuovi farmaci venissero autorizzati dalla Commissione Europea per l'utilizzo nell'Unione Europea [1].

Le medicine possono essere raggruppate in diverse categorie [1], così come riportato in Tab. 1, dipendentemente dalla tipologia di farmaco e dalla procedura che ha portato alla loro raccomandazione per l'approvazione. Nel numero complessivo di raccomandazioni (104) sono presenti anche farmaci che contengono un principio attivo già approvato precedentemente e per il quale viene dato parere favorevole, ad esempio, al suo uso come generico oppure per una diversa indicazione terapeutica. La somma dei farmaci, così come classificati in Tab. 1, è superiore al numero di nuove medicine perché diversi rientrano in una o più delle categorie riportate. Come mostrato in Tab. 1, EMA ha dato parere fa-

vorevole all'approvazione di 38 medicine che contengono un principio attivo mai approvato prima nell'Unione Europea. A queste si aggiungono 41 "biosimilars", il numero più alto mai approvato. Si tratta di farmaci biologici molto simili ad altri precedentemente approvati. Di questi 41 biosimilari, ben 23 contengono denosumab, un anticorpo monoclonale usato in ambito endocrinologico, in particolare per il trattamento di osteoporosi, perdita di tessuto osseo e altre patologie scheletriche. Accanto ai biosimilari, sono stati raccomandati per l'approvazione anche 10 farmaci generici, tipicamente costituiti da piccole molecole. L'autorizzazione alla commercializzazione sia di biosimilari sia di generici viene concessa solo dopo che sono scaduti i brevetti che rivendicano i farmaci originali e il loro uso.

Lo scorso anno, EMA ha espresso parere favorevole all'approvazione di 4 "Advanced therapy medicinal products" (ATMP). Si tratta di obecabtagene autoleucel (nome commerciale Aucatzyl), costituito da "chimeric antigen receptor T-cells" (CAR-T), ingegnerizzate a partire dalle cellule T di ciascun paziente, utilizzate per il trattamento di leucemia linfoblastica acuta non rispondente ad altri farmaci. Un secondo ATMP è dorocubicel (nome commerciale Zemcelpro), che contiene due tipi di cellule staminali derivate dal sangue del cordone ombelicale, approvato per il trattamento di tumori del sangue. Un altro ATMP è beremagene geperpavec (nome commerciale Vyjuvek), costituito dal virus herpes simplex 1 modificato per portare all'interno delle cellule della pelle il gene corretto che codifica per il collagene di tipo VII. Beremagene geperpavec è stato approvato per il trattamento della epidermolisi bollosa distrofica. Il quarto ATMP è etuvetidigene autotemcel

Medicines Recommendation process	Number
New Active Substances	38
Biosimilars	41
Generics	10
Advanced therapy medicinal products	4
Orphan medicines	16
PRIME	6
Accelerated assessments	3
Conditional marketing approvals	8
Approval under exceptional circumstances	2

Tab. 1 - Tipologie di nuove medicine e procedura per la raccomandazione all'approvazione [1]



(nome commerciale Waskyra), per il trattamento di pazienti con la sindrome di Wiskott-Aldrich e che hanno una mutazione nel gene WAS, una malattia rara. I pazienti hanno frequenti sanguinamenti e infezioni, oltre ad avere un alto rischio di sviluppare alcuni tipi di tumori, tra cui i linfomi. Il farmaco contiene cellule staminali dal sangue del paziente che sono state geneticamente modificate per produrre la proteina WAS funzionante. Questa medicina è stata sviluppata da Fondazione Telethon ed è stata approvata anche negli Stati Uniti dalla Food and Drug Administration (FDA) [2].

Tra i farmaci raccomandati per l'approvazione, 16 hanno lo status di "medicines orfane", ovvero destinate al trattamento di pazienti con patologie rare, malattie la cui prevalenza in Europa non è superiore a cinque pazienti ogni 10.000 persone. Circa il 37% di questi 16 farmaci sono per il trattamento di rare forme tumorali, mentre il 25% è indicato per malattie metaboliche [1].

Nel processo che porta alla raccomandazione di un nuovo farmaco, EMA ha istituito delle "corsie preferenziali" atte ad accorciare i tempi per arrivare ad un parere riguardo l'approvazione o meno di un farmaco e renderlo quindi disponibile ai malati nel più breve tempo possibile. Analoghe procedure sono attive anche presso la FDA statunitense. Tali corsie preferenziali sono riservate a farmaci per il trattamento di malattie per le quali non esistono terapie oppure quelle esistenti non sono particolarmente efficaci (unmet medical need).

Nel caso delle *PRIORITY MEDICINES* (PRIME), di cui hanno beneficiato 6 farmaci nel 2025 (Tab. 1), EMA offre un supporto alla pianificazione e all'ottimizzazione degli studi clinici in modo da facilitare la generazione di dati robusti riguardo a benefici e rischi del farmaco e rendere pertanto possibile una più veloce valutazione dei risultati degli studi. Dei sei farmaci che hanno beneficiato della procedura PRIME, tre ricadono nella categoria ATMP, descritta sopra (obecabtagene autoleucel, dorocubicel e beremagene geprepavec) e un quarto è un vaccino contro chikungunya. Un quinto ATMP è costituito da teplizumab (nome commerciale Teizeild), un anticorpo monoclonale per il trattamento di adulti e bambini, a partire dagli 8 anni di età, affetti da diabete di tipo 1 di stadio 2. Ha usufruito della procedura PRIME anche brensocatib (Fig. 5, V. oltre;

nome commerciale Brinsupri), una piccola molecola che inibisce selettivamente la dipeptidil peptidasi 1 (DPP1) e che rappresenta il primo trattamento specifico per le bronchiectasie non correlate a fibrosi cistica [3].

La procedura di "Accelerated assessment" è riservata a farmaci per malattie per le quali ci sia un chiaro "unmet medical need". L'iter di valutazione per farmaci con tale designazione viene completato in un massimo di 150 giorni rispetto ai 210 della procedura standard. Fra i tre farmaci che hanno beneficiato dell'Accelerated assessment, due sono piccole molecole, brensocatib e lenacapavir (nome commerciale Yeytuo), mentre il terzo è il vaccino contro chikungunya. Lenacapavir inibisce la formazione del capsido di HIV, la membrana proteica che avvolge il materiale genetico del virus, ed è indicato per il trattamento di HIV resistente ad altri farmaci. La raccomandazione per l'approvazione da parte di EMA riguarda l'uso nella profilassi di HIV mediante iniezione sottocutanea due volte all'anno, in quanto il farmaco era già stato approvato per il trattamento di HIV nel 2022 (nome commerciale Sunlenca).

Medicine per malattie gravi e per le quali c'è un chiaro bisogno di farmaci possono ricevere una "Conditional marketing authorization". Tale autorizzazione viene concessa anche in presenza di un complesso di dati clinici inferiore a quello normalmente richiesto se si ritiene che i benefici derivanti dalla disponibilità precoce della medicina siano superiori al rischio che si corre nel non avere a disposizione dati clinici esaustivi. Tale autorizzazione è, però, subordinata all'obbligo dello sponsor di produrre, entro un tempo definito, tutti i dati clinici normalmente richiesti. Nel 2025, hanno beneficiato della Conditional marketing authorization 8 farmaci, di cui 6 antitumorali, resmetirom (Fig. 5, V. oltre; nome commerciale Rezdiffra), un farmaco per il trattamento della steatoepatite associata a disfunzione metabolica, e givinstat (Fig. 5, V. oltre; nome commerciale Duvyzat), un inibitore non selettivo delle istone deacetilasi per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne [4], sviluppato da Italfarmaco.

Una procedura particolare è quella che porta ad "Approval under exceptional circumstances". Questa si applica quando non sia possibile raccogliere dati clinici esaustivi, ad esempio perché ci sono pochi pazienti con una determinata malattia, come nel caso

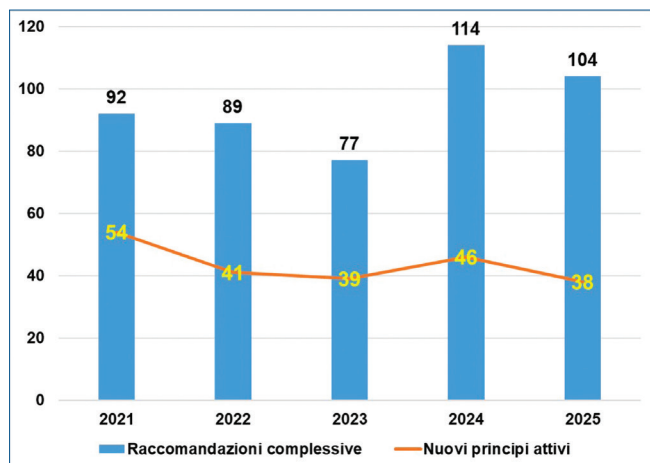


Fig. 1 - Numero complessivo di raccomandazioni di nuove medicine da parte di EMA nel periodo 2021-2025. In giallo è riportato il numero di medicine contenenti un principio attivo mai approvato prima in Europa [6]

di patologie molto rare, oppure perché tale raccolta sarebbe non etica in quanto richiederebbe tempi di attesa eccessivamente lunghi per i pazienti, oppure quando le limitate conoscenze scientifiche sull'eziologia della malattia non permettono una valutazione esaustiva del farmaco in clinica. Anche per questa procedura, come per la Conditional marketing authorization, l'autorizzazione è subordinata all'obbligo dello sponsor di produrre, entro un tempo definito, ulteriori dati clinici a conferma dell'efficacia e della sicurezza del farmaco. Lo scorso anno, tale procedura è stata utilizzata per l'approvazione di due farmaci: sargramostim (nome commerciale Imreplys), un fattore di crescita umano stimolante le colonie di granulociti e macrofagi (GM-CSF) per il trattamento di pazienti esposti in modo acuto a dosi mielosoppressive di radiazioni con sottosindrome ematopoietica della sindrome da radiazione acuta, e Maapliv (nome commerciale), una miscela di amminoacidi indicata per trattamento della malattia delle urine a sciropo d'acero (MSUD) che si manifesta con un episodio di scompenso acuto nei pazienti dalla nascita.

Nel 2025, il numero di medicine per cui è stato espresso parere favorevole all'utilizzo ha visto un calo di circa il 9% rispetto al 2024 [5], quando EMA raccomandò 114 medicine per l'approvazione da parte della Commissione Europea (Fig. 1).

Con riferimento agli ultimi cinque anni, il numero di raccomandazioni per l'approvazione di nuove medicine ha raggiunto un massimo nel 2024 ed è quindi diminuito nel 2025. Il numero di nuovi principi attivi

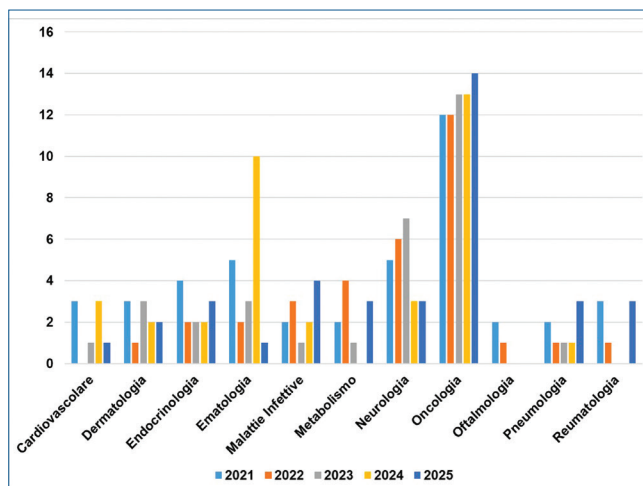


Fig. 2 - Numero di farmaci contenenti un nuovo principio attivo raccomandati per l'approvazione nel periodo 2021-2025 suddivisi per area terapeutica [6]

è diminuito di circa il 17% nel 2025 rispetto al 2024 ma è in linea con i numeri del 2022 e 2023 [6].

Analizzando le aree terapeutiche per le quali sono stati raccomandati i farmaci che contengono un nuovo principio attivo (Fig. 2), si osserva che l'oncologia è quella con il maggior numero di raccomandazioni (14), seguita dalle malattie infettive (4), mentre 3 raccomandazioni per nuove medicine si sono avute nelle aree terapeutiche neurologia, metabolismo, endocrinologia, reumatologia e pneumologia (3). L'oncologia si conferma ancora come l'area terapeutica nella quale si è avuto il maggior numero di raccomandazioni negli ultimi anni.

Entrando nel dettaglio della tipologia dei nuovi principi attivi, le cosiddette *Modalità Terapeutiche*, si osserva come le piccole molecole rappresentino la

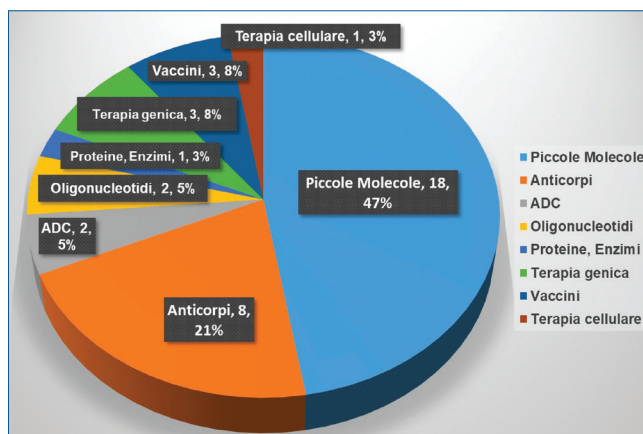


Fig. 3 - Tipologia dei principi attivi mai approvati prima in Europa nel 2025 [7]

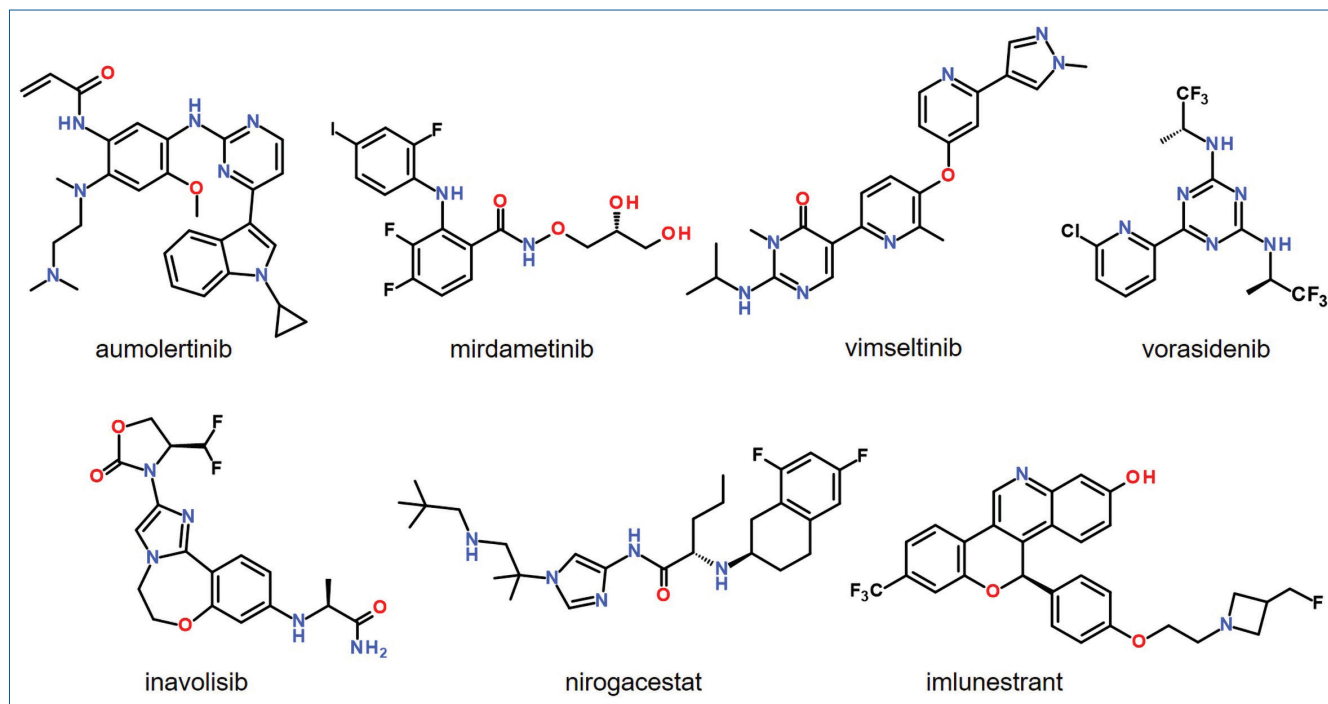


Fig. 4 - Struttura di alcune piccole molecole raccomandate da EMA per l'approvazione come anti-tumorali

percentuale più elevata, con 18 farmaci, pari al 47% del totale, come riportato in Fig. 3, seguite dagli anticorpi monoclonali con 8 farmaci (21%) e da vaccini e terapia genica con 3 farmaci ciascuno, 16% complessivo del totale. Seguono due nuovi farmaci costituiti da oligonucleotidi antisense e due anticorpi monoclonali coniugati con piccole molecole (Antibody Drug Conjugates, ADC), per un complessivo 10% del totale [7].

Rispetto ai farmaci con un nuovo principio attivo raccomandati per l'approvazione da EMA nel 2024 [5], nel 2025 le piccole molecole tornano ad avere un ruolo largamente preponderante. Infatti, nel 2024 EMA aveva raccomandato per l'approvazione 17 piccole molecole e 15 anticorpi, con un rapporto di 1,13 tra i numeri delle due modalità terapeutiche, mentre nel 2025 tale rapporto è raddoppiato (2,25). In Fig. 4 sono riportate le strutture di alcune delle piccole molecole raccomandate da EMA per l'approvazione come anti-tumorali. Si noti che 3 delle 7 molecole riportate sono inibitori di proteine chinasi (aumolertinib, mirdametinib e vimseltinib). Tra i farmaci approvati merita una segnalazione nirogacestat (Fig. 4; nome commerciale Ogsiveo), un inibitore della gamma-secretasi, per il trattamento dei tumori desmoidi in progressione (o fibromato-

si aggressive) [8]. Questo farmaco era stato originariamente studiato per la malattia di Alzheimer in quanto inibitore della gamma-secretasi, un enzima che taglia la proteina APP (Amyloid Precursor Protein) portando alla formazione di peptidi beta-amiloide che formano fibrille tossiche per i neuroni, una delle possibili cause della malattia [9].

Le strutture di una selezione di altre piccole molecole raccomandate da EMA per l'approvazione sono riportate in Fig. 5. Tra queste è da notare la combinazione di vanzacaftor, tezacaftor e deutivacaftor che costituiscono i principi attivi di Alyftrek, un nuovo farmaco per il trattamento dei pazienti con fibrosi cistica [10]. Questi composti sono modulatori delle forme mutate della proteina CFTR, il canale ionico le cui mutazioni causano la fibrosi cistica. In particolare, Alyftrek è indicato per pazienti aventi almeno un allele con la mutazione F508del nella proteina CFTR [11]. A differenza della tripla combinazione in uso, Kaftrio, la nuova combinazione contiene vanzacaftor al posto di elexacaftor e deutivacaftor (ivacaftor deuterato), una modifica che ne diminuisce il metabolismo. Pertanto, i pazienti con fibrosi cistica non devono più assumere la compressa di ivacaftor (Kalydeco) in aggiunta a Kaftrio, migliorando la compliance al trattamento.

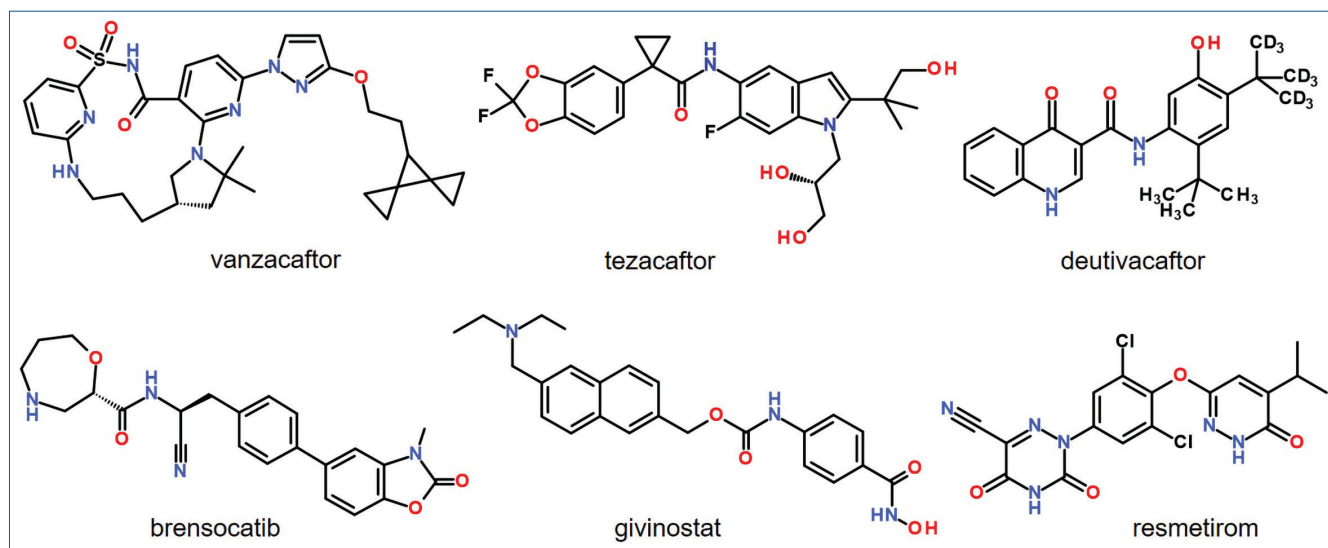


Fig. 5 - Struttura di alcune piccole molecole raccomandate da EMA per l'approvazione nelle aree terapeutiche pneumologia, neurologia e metabolismo

Nel 2025, EMA ha espresso parere negativo riguardo a sette medicine per cui era stata richiesta la raccomandazione per l'approvazione [1]. In questi casi, gli sponsor possono richiedere un riesame entro 15 giorni dal ricevimento del parere negativo. L'attività di EMA non si limita a valutare le richieste di raccomandazione per l'autorizzazione all'utilizzo di nuovi farmaci, ma si estende anche al monitoraggio della sicurezza e del rapporto rischio-beneficio dei farmaci già immessi in commercio, così come avviene per tutte le agenzie regolatorie. Sempre nel 2025, EMA ha pubblicato diverse raccomandazioni finalizzate a limitare l'utilizzo o a prestare particolare attenzione ad alcuni effetti collaterali di farmaci presenti sul mercato [1]. Tra queste è da segnalare l'aggiornamento dei possibili effetti collaterali di semaglutide, un farmaco per il trattamento del diabete di tipo 2 e dell'obesità, includendo anche la Neuropatia Ottica Ischemica Anteriore Non Arteritica, una ischemia del nervo ottico che può portare alla perdita della vista [1].

BIBLIOGRAFIA

- [1] Human Medicines Highlights 2025. European Medicines Agency 2026 <https://www.ema.europa.eu/en/news/human-medicines-highlights-2023>
- [2] A. Mullard, *Nature Reviews Drug Discovery*, 2026, **25**, 88.
- [3] K. Kingwell, *Nature Reviews Drug Discovery*, 2025, **24**, 729.
- [4] Y.N. Lamb, *Drugs*, 2024, **84**, 849.
- [5] Human Medicines Highlights 2024. European Medicines Agency 2025.
- [6] Elaborazione dei dati contenuti negli Human Medicines Highlights di EMA per gli anni 2021, 2022, 2023, 2024 e 2025.
- [7] Elaborazione dei dati riportati in "Human Medicines Highlights 2025. European Medicines Agency 2026".
- [8] S.J. Keam, *Drugs*, 2024, **84**, 355.
- [9] G. Tansir, S. Rastogi, M.M. Gounder, *Future Oncology*, 2025, **21**, 2985.
- [10] A. Mullard, *Nature Reviews Drug Discovery*, 2025, **24**, 83.
- [11] C. Keating, L.M. Yonker *et al.*, *Lancet Respir. Med.*, 2025, **13**, 256.

New Drugs Approved by EMA in 2025

In 2025, the European Medicines Agency (EMA) recommended to the European Commission the authorization of 104 new medicines, of which 38 contain a new active substance never approved before in the EU. Out of the 38 new drugs, 18 are small molecules, 8 are antibodies and 3 are gene therapy.