



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 novembre 2011
EMA/697914/2011
Ufficio del direttore esecutivo

Punti salienti della relazione annuale 2010



7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7418 8409

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



© European Medicines Agency, 2012. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Introduzione del direttore esecutivo ad interim

Andreas Pott

Nel 2010 si sono verificati numerosi cambiamenti presso l'Agenzia europea per i medicinali, il più toccante dei quali è stata la partenza del direttore esecutivo dell'Agenzia, Thomas Lönngren. Thomas ha lasciato l'Agenzia in dicembre, dopo averla guidata con successo per dieci anni, sovrintendendo alla sua crescita straordinaria, non solo dal punto di vista delle dimensioni ma anche in termini di diversificazione delle attività svolte.

Nel periodo immediatamente precedente alla sua partenza, sono stati intensificati gli sforzi volti a valutare lo stato attuale dell'Agenzia e a compiere preparativi per il futuro. All'inizio dell'anno è stata pubblicata una relazione di valutazione dell'Agenzia, eseguita da Ernst & Young. Nella relazione si elogia l'Agenzia per l'efficacia ed efficienza dimostrate nell'emettere pareri scientifici di elevata qualità sui farmaci per uso umano e veterinario, ma si sottolinea altresì la necessità che l'Agenzia, insieme alla Commissione europea e alle autorità di regolamentazione degli Stati membri, continui a rimanere al passo con le sfide future e a far fronte a nuovi sviluppi e responsabilità. Per tutto il corso dell'anno abbiamo lavorato all'elaborazione di una nuova strategia quinquennale per l'Agenzia ("Road map to 2015", la tabella di marcia verso il 2015 adottata dal consiglio di amministrazione e pubblicata in dicembre) che dovrebbe contribuire ad assicurare che l'Agenzia sia pienamente in grado di affrontare le sfide che la attendono.

Dato l'aumento della mole di lavoro in quasi tutte le aree, per l'Agenzia si è trattato di un altro anno d'intensa attività. Nell'ambito dei medicinali per uso umano, il numero di attività successive all'autorizzazione, assegnazioni della qualifica di "medicinale orfano", procedure di consulenza scientifica e di deferimento ha continuato ad aumentare. Nel corso dell'anno sono stati inoltre emessi diversi pareri di alto profilo, fra i quali la raccomandazione di sospendere l'autorizzazione all'immissione in commercio per Avandia e altri medicinali contenenti rosiglitazone, la sospensione del farmaco contro l'obesità sibutramina e la raccomandazione di condurre ulteriori ricerche sui vaccini per l'infanzia Rotarix e Rotateq dopo l'individuazione di materiale virale inatteso. Anche sul versante dei medicinali veterinari il carico di lavoro è aumentato: il numero di domande di autorizzazione all'immissione in commercio e di procedure di deferimento è stato superiore alle previsioni e le richieste di consulenza scientifica sono quasi raddoppiate rispetto all'anno precedente.

Oltre ad aver incrementato il volume di attività nelle aree principali, l'Agenzia ha raggiunto una serie di importanti traguardi nel corso dell'anno. In luglio è stato lanciato il nuovo sito web dell'Agenzia, che fornisce al pubblico online un più agevole accesso a informazioni sui medicinali, linee guida, consulenza di tipo scientifico e normativo e a informazioni relative ad altre attività dell'Agenzia. In ottobre abbiamo pubblicato nuove regole in materia di conflitti d'interessi, rispondendo all'esigenza dell'Agenzia di poter contare sui migliori esperti scientifici d'Europa garantendo al tempo stesso che non abbiano interessi finanziari o di altro tipo che potrebbero inficiare la loro imparzialità. In novembre abbiamo compiuto un importante passo avanti verso la trasparenza, pubblicando una politica in materia di accesso ai documenti che ha esteso più che mai l'accesso del pubblico ai documenti dell'Agenzia riguardanti sia i medicinali per uso umano che quelli veterinari.

Nel 2010 abbiamo attuato una serie di misure volte a rafforzare le procedure di appalto dell'Agenzia, a seguito di alcuni errori tecnici che si erano verificati negli anni precedenti. Tali errori, dovuti principalmente alla rapida diversificazione delle attività dell'Agenzia, hanno contribuito a motivare (per la prima volta dal 1995, anno di istituzione dell'Agenzia) il voto di rinvio del discarico di bilancio per il 2009 da parte del Parlamento europeo. Sono lieto di comunicare che ora l'Agenzia ha rimediato a tutti gli errori e che attendiamo a breve l'esito positivo della procedura di discarico del bilancio.

Desidero esprimere la mia gratitudine a tutto il personale dell'Agenzia, nonché ai membri dei suoi comitati, dei gruppi di lavoro e del consiglio di amministrazione per il loro duro lavoro, la loro dedizione e il loro sostegno che hanno consentito all'Agenzia di far fronte con successo ai propri impegni, nonostante l'aumento della mole di lavoro per tutto il corso dell'anno. Guardando al 2011, sono certo che l'Agenzia saprà far fronte agevolmente alle nuove sfide che la attendono, ivi comprese la nomina di un nuovo direttore esecutivo e l'attuazione di nuove disposizioni legislative, continuando al tempo stesso a svolgere il proprio compito fondamentale di tutelare la salute pubblica e degli animali nell'Unione europea.

Punti salienti del 2010

Primo trimestre: gennaio-marzo 2010

- L'Agenzia europea per i medicinali (EMA) avvia una consultazione sulla sua "Road map to 2015".
- L'EMA adotta il primo parere sull'uso compassionevole di oseltamivir per il trattamento di pazienti affetti da una patologia potenzialmente fatale provocata da influenza pandemica o stagionale.
- L'EMA e l'azione comune della rete europea per la valutazione delle tecnologie sanitarie (EUnetHTA) avviano una collaborazione volta a migliorare le relazioni pubbliche europee di valutazione (EPAR) al fine di contribuire alle valutazioni dell'efficacia relativa.
- L'EMA e la FDA statunitense convengono su una sola relazione annuale di designazione dei medicinali orfani.
- L'EMA e Swissmedic concordano lo scambio di informazioni sui farmaci contro la pandemia H1N1.
- Il consiglio di amministrazione dell'EMA sottolinea l'importante ruolo della rete europea dei farmaci durante la pandemia H1N1.

Secondo trimestre: aprile-giugno 2010

- Il comitato per le terapie avanzate dell'EMA emette una dichiarazione pubblica sulle problematiche relative ai medicinali non regolamentati contenenti cellule staminali.
- L'EMA avvia una consultazione pubblica sugli aspetti etici e relativi alla buona pratica clinica (GCP) delle sperimentazioni cliniche condotte in paesi terzi.
- Il comitato per le terapie avanzate emette il primo parere relativo alla certificazione di un medicinale per terapie avanzate.
- L'EMA organizza un workshop per valutare i successi di dieci anni di legislazione sui medicinali orfani in Europa.
- L'EMA lancia la European paediatric research network, Enpr-EMA (Rete europea per la ricerca pediatrica).
- L'EMA organizza un workshop con esperti europei e internazionali per esaminare nuove possibilità di ricerca e sviluppo sulle cellule staminali.
- L'Ufficio per le PMI dell'EMA vince il premio per il "Contributo più significativo al settore medico-scientifico".
- L'EMA e l'Osservatore europeo delle droghe e delle tossicodipendenze (OEDT) firmano un accordo di cooperazione.
- L'EMA e la Rete europea di centri di farmacoepidemiologia e farmacovigilanza (ENCePP) avviano l'iniziativa "ENCePP studies seal" che certifica gli studi trasparenti e all'avanguardia sulla sicurezza dei medicinali.

Terzo trimestre: luglio-settembre 2010

- L'EMA attiva il suo nuovo sito web.

- Un seminario organizzato congiuntamente dall'EMA e dalla Commissione europea avvia un processo di riflessione sulle future possibilità di sviluppo dell'Agenzia e della rete di regolamentazione europea.
- L'EMA pubblica una politica sulla comunicazione di questioni inerenti alla sicurezza dei medicinali per uso umano.
- L'EMA avvia una revisione di Pandemrix per problemi di narcolessia.
- L'EMA raccomanda la sospensione di Avandia, Avandamet ed Avaglim per problemi cardiovascolari.
- L'EMA e la FDA statunitense estendono il proprio accordo di riservatezza a tempo indeterminato.
- L'EMA organizza un seminario internazionale sulla sperimentazione clinica nel contesto dello sviluppo dei medicinali a livello mondiale.
- L'EMA organizza il primo seminario scientifico sulle nanomedicine.
- Una nuova normativa in materia di farmacovigilanza viene adottata dal Parlamento europeo.

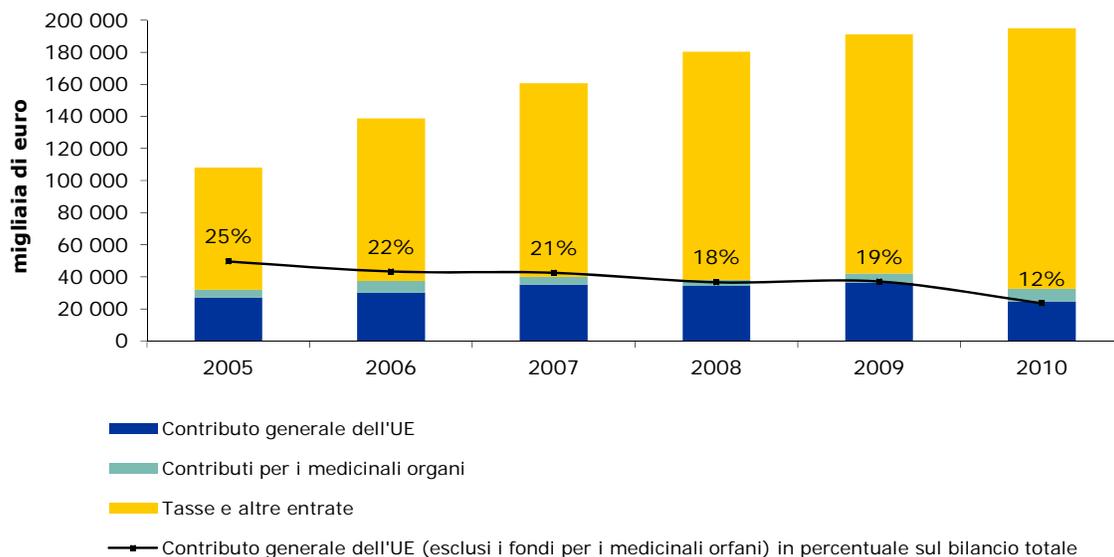
Quarto trimestre: ottobre - dicembre 2010

- L'EMA rafforza le norme sul conflitto di interessi che si applicano ai suoi esperti scientifici.
- L'EMA e altri soggetti interessati avviano un progetto pilota per consultazioni multilaterali fra parti interessate nelle fasi iniziali di sviluppo dei farmaci.
- L'EMA adotta nuove tasse per le domande di autorizzazione all'immissione in commercio.
- L'EMA riceve la millesima domanda di piano di investigazione pediatrica (PIP) o deroga.
- L'EMA pubblica una nuova politica in materia di accesso ai documenti.
- L'EMA e il Massachusetts Institute of Technology avviano un progetto congiunto in materia di scienza della regolamentazione.
- La Commissione europea inizia la procedura di assunzione per il nuovo direttore esecutivo dell'EMA.
- Il consiglio di amministrazione dell'EMA lancia la nuova "Road map to 2015".
- L'EMA completa la sua revisione sulla sicurezza di Avastin nel trattamento del carcinoma mammario.
- L'EMA e il Centro europeo per la prevenzione e il controllo delle malattie (ECDC) firmano un accordo di cooperazione.
- L'EMA istituisce una banca dati delle PMI per favorire l'interazione fra le piccole e medie imprese.

Dati principali del 2010

Oltre ai progressi compiuti in numerose aree prioritarie, nel 2010 l'Agencia ha registrato un incremento in quasi tutti gli ambiti della propria attività fondamentale.

Figure 1. Evoluzione del bilancio dell'EMA

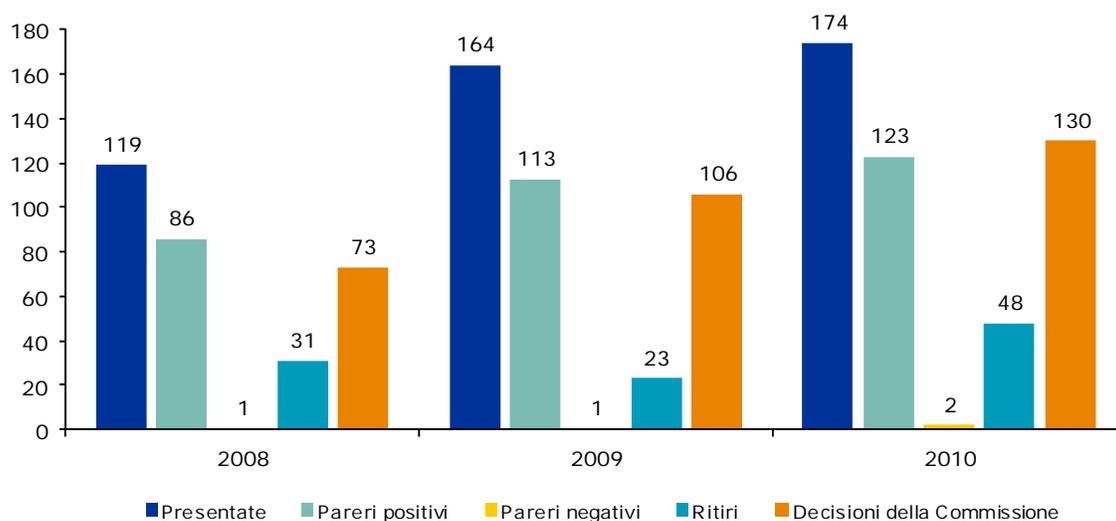


Medicinali per uso umano

Assegnazione della qualifica di medicinale orfano

I medicinali orfani sono medicinali destinati alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di un'affezione che comporta una minaccia per la vita o la debilitazione cronica e che colpisce non più di cinque soggetti su diecimila nell'Unione europea o medicinali che, per ragioni economiche, non verrebbero sviluppati in mancanza di incentivi.

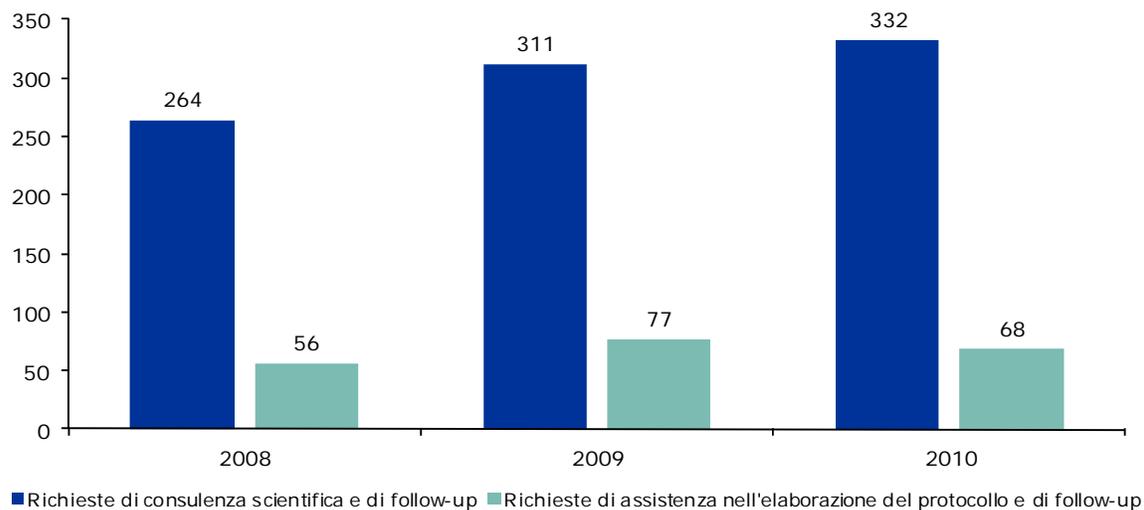
Figure 2. Designazione di medicinali orfani



Consulenza scientifica

L'Agenzia fornisce consulenza scientifica e assistenza nell'elaborazione del protocollo agli sponsor nelle fasi di ricerca e sviluppo dei medicinali. La consulenza scientifica è considerata un mezzo per garantire una più rapida disponibilità dei medicinali ai pazienti e agli operatori sanitari nonché uno strumento per promuovere l'innovazione e la ricerca.

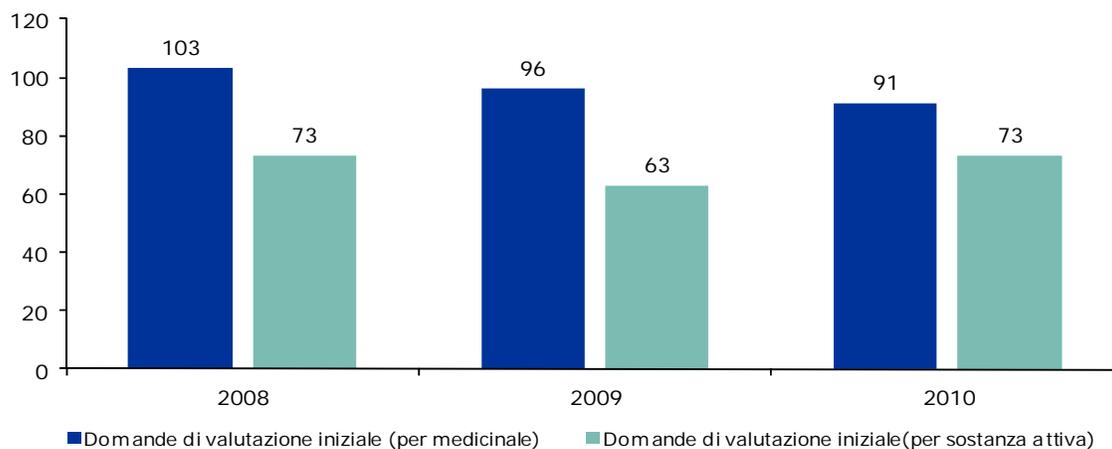
Figure 3. Richieste ricevute di consulenza scientifica e di assistenza nell'elaborazione del protocollo



Valutazione iniziale

La valutazione iniziale comprende tutte le attività connesse all'elaborazione delle domande di autorizzazione all'immissione in commercio dei medicinali: dai colloqui precedenti alla presentazione delle domande con i futuri richiedenti, con la valutazione del CHMP, fino alla concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio da parte della Commissione europea.

Figure 4. Domande di valutazione iniziale ricevute

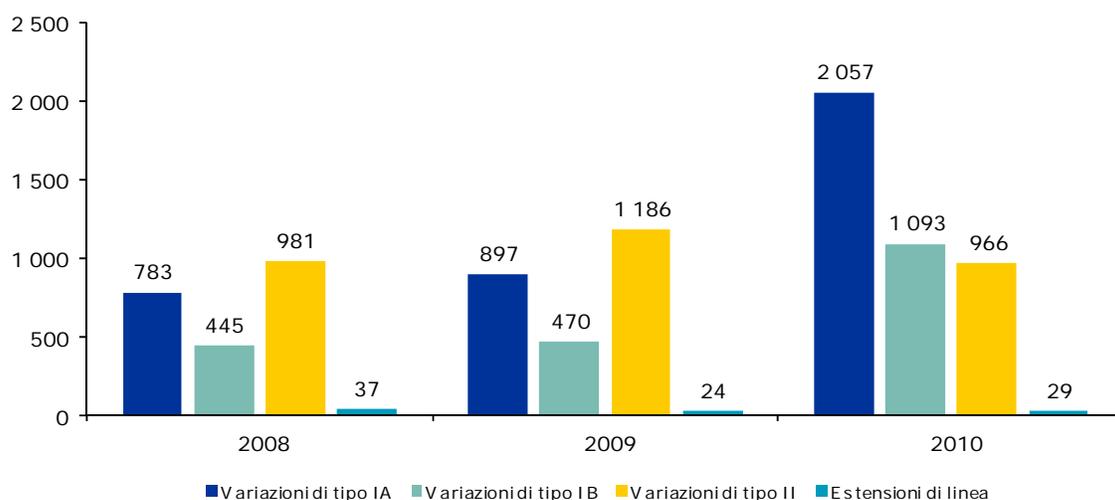


È stato registrato un calo del 5% del numero di domande di valutazione iniziale, risultato pari a 91. Di tali domande, 73 sono state presentate per sostanze attive, con un incremento del 16% rispetto al 2009. Sul totale delle domande ricevute, 46 riguardavano medicinali nuovi, 12 dei quali sono stati designati medicinali orfani. Quasi la metà (44) di tutte le domande sono state presentate per medicinali biosimilari o generici e ibridi o oggetto di consenso informato.

Attività post-autorizzazione

Le attività post-autorizzazione riguardano le variazioni, le estensioni e i trasferimenti delle autorizzazioni all'immissione in commercio.

Figure 5. Domande post-autorizzazione ricevute

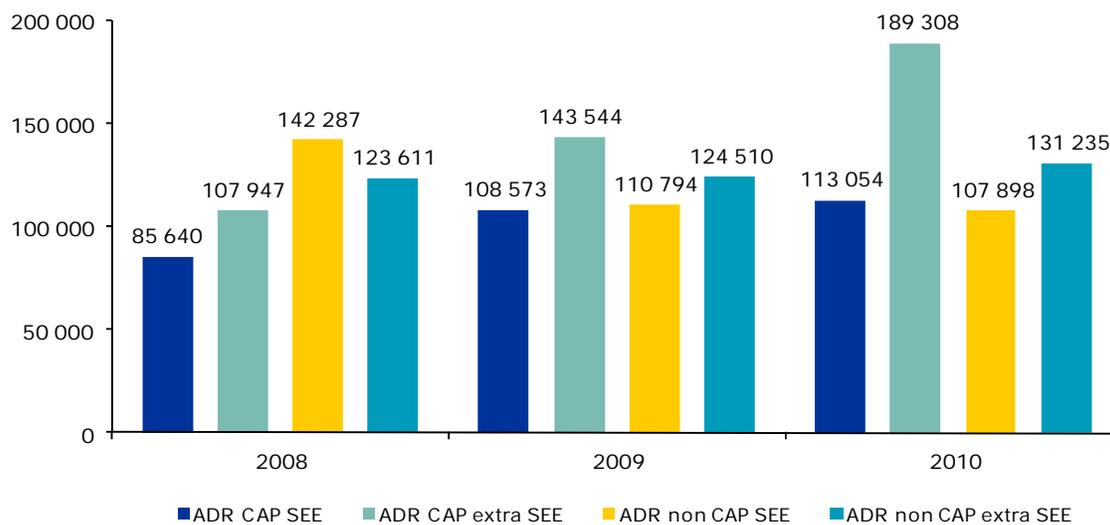


La distribuzione dei tipi di variazioni è cambiata in maniera significativa nel corso dell'anno a seguito dell'adozione della nuova legislazione in materia di variazioni.

Attività di farmacovigilanza e manutenzione

La farmacovigilanza comprende la scienza e le attività inerenti al rilevamento, alla valutazione, alla comprensione e alla prevenzione delle reazioni avverse al farmaco (ADR) o a qualsiasi altra problematica connessa ai farmaci. Essa include la gestione di sospette reazioni avverse al farmaco in fase di pre e post-autorizzazione, rapporti periodici di aggiornamento sulla sicurezza (PSUR), piani di gestione dei rischi (RMP) e studi sulla sicurezza e sull'efficacia/efficienza post-autorizzazione.

Figure 6. Segnalazioni ricevute di reazioni avverse ai farmaci dall'area SEE ed extra SEE

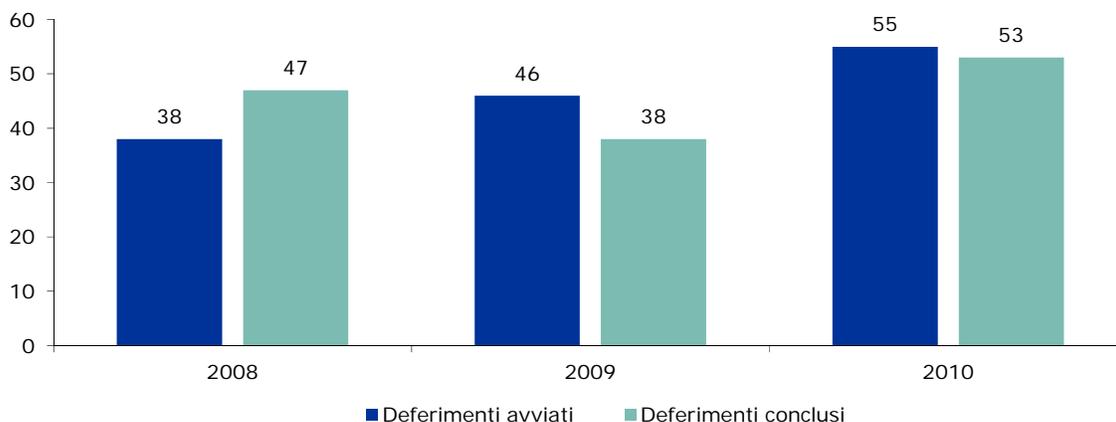


SEE = Spazio economico europeo. CAP = Medicinali con autorizzazione centralizzata. ADR = Reazione avversa al farmaco.

Procedure di deferimento

Le procedure di deferimento sono utilizzate per risolvere divergenze e questioni problematiche fra gli Stati membri. Nelle procedure di deferimento viene richiesto all'Agenzia europea per i medicinali di condurre, per conto dell'Unione europea, una valutazione scientifica di un particolare medicinale o di una classe di medicinali al fine di approvare una raccomandazione su una posizione armonizzata a livello dell'Unione europea.

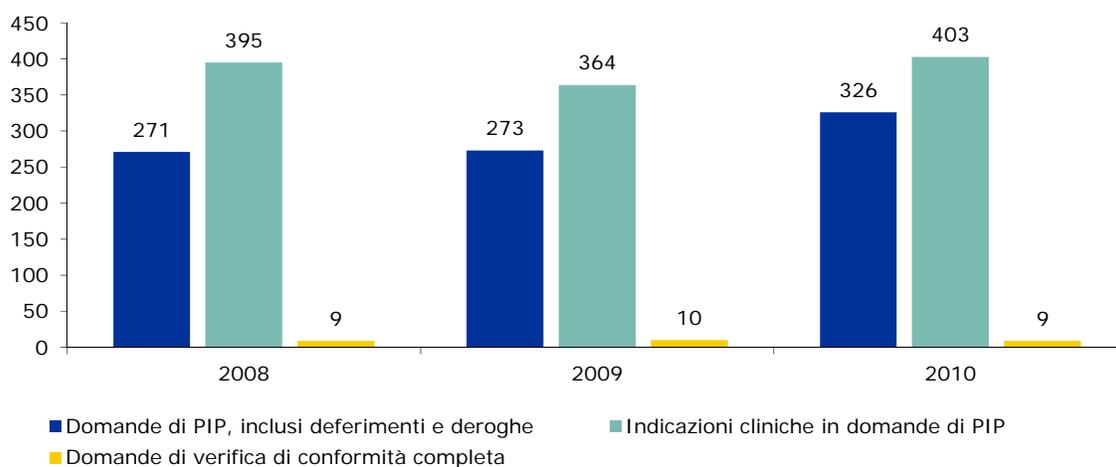
Figure 7. Procedure di deferimento avviate e concluse



Medicinali per uso pediatrico

Questa area comprende le attività dell'Agenzia svolte in relazione alla valutazione e approvazione nonché alla verifica di conformità dei piani di investigazione pediatrica (PIP) e delle deroghe dal comitato pediatrico (PDCO).

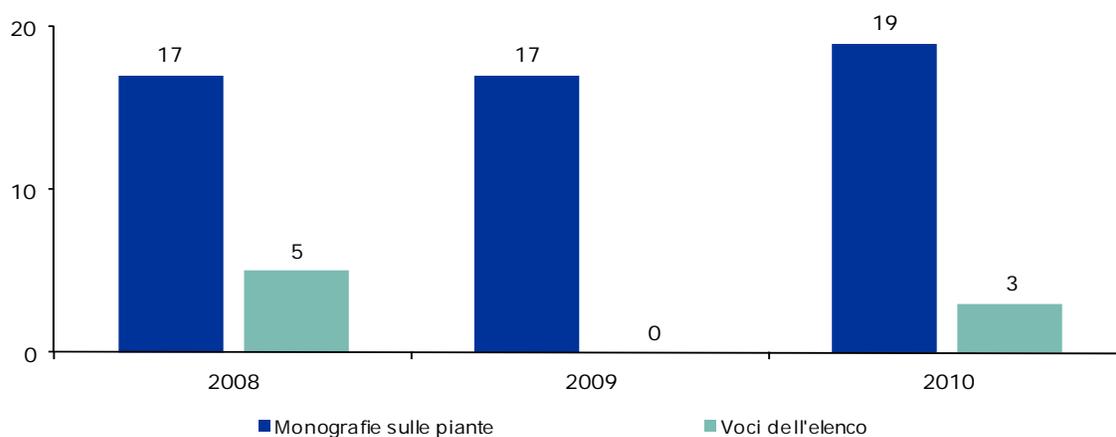
Figure 8. Domande relative ai piani di investigazione pediatrica (PIP)



Medicinali a base di piante

Il comitato per i medicinali a base di piante (HMPC) dell'Agenzia, al fine di promuovere una sempre maggiore armonizzazione del processo di rilascio delle autorizzazioni e di informazione sulle sostanze vegetali a livello dell'UE, redige monografie comunitarie sulle erbe per farmaci tradizionali e di uso consolidato e una bozza di elenco di sostanze vegetali, preparati vegetali e loro combinazioni destinati a essere utilizzati in medicinali tradizionali di origine vegetale.

Figure 9. Medicinali a base di piante

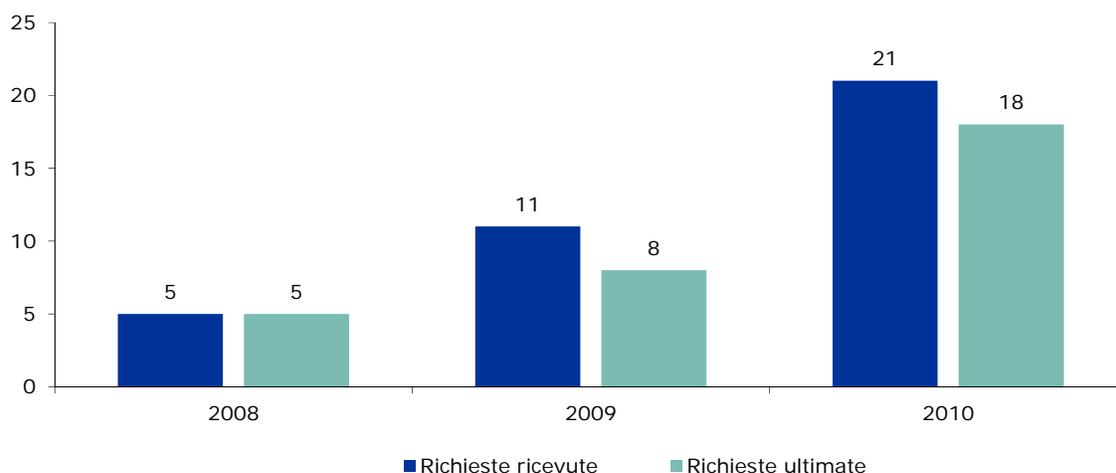


Medicinali per uso veterinario

Consulenza scientifica

La consulenza scientifica viene fornita su qualsiasi aspetto della ricerca e sviluppo in relazione alla qualità, sicurezza ed efficacia dei medicinali per uso veterinario e al fine di determinare i limiti massimi di residui. La consulenza scientifica è considerata un mezzo per garantire una più rapida disponibilità dei medicinali veterinari nonché uno strumento per promuovere l'innovazione e la ricerca.

Figure 10. Richieste di consulenza scientifica ricevute e portate a termine

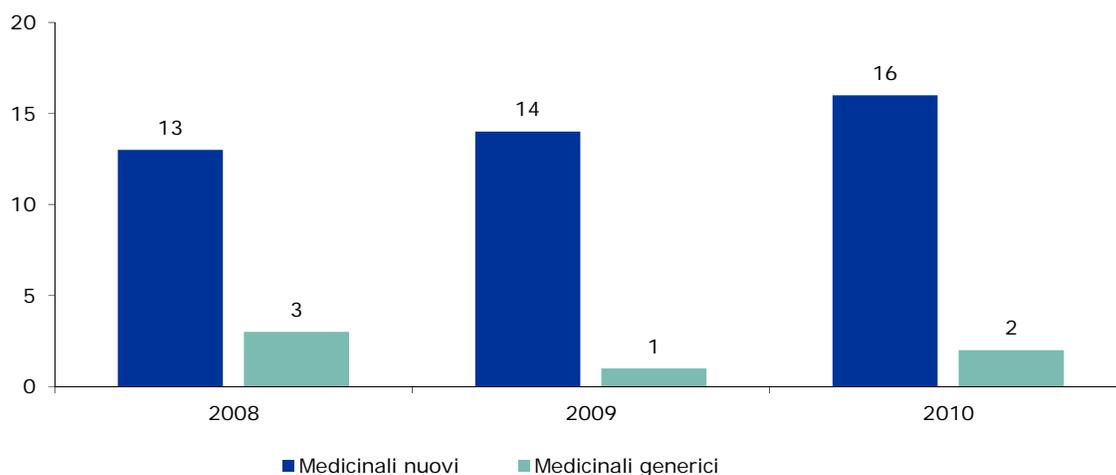


Nel 2010 il ricorso alla consulenza scientifica da parte delle aziende che sviluppano medicinali veterinari è stato notevole, specialmente presso le piccole e medie imprese. Sono pervenute otto richieste per prodotti destinati a usi minori, specie minori e a mercati limitati.

Valutazione iniziale

La valutazione iniziale comprende tutte le attività connesse all'elaborazione delle domande di autorizzazione all'immissione in commercio di medicinali veterinari: dalle riunioni precedenti alla presentazione delle domande con i futuri richiedenti, con la valutazione effettuata dal comitato per i medicinali veterinari (CVMP), fino alla concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio da parte della Commissione europea.

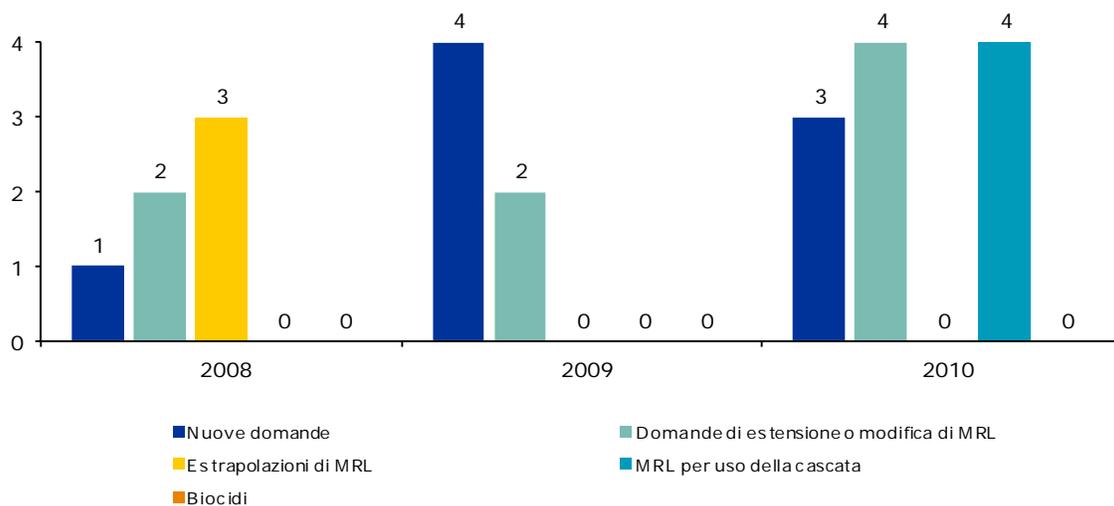
Figure 11. Domande di valutazione iniziale



Limiti massimi di residui

L'uso di medicinali veterinari in animali destinati alla produzione alimentare può determinare la presenza di residui negli alimenti ottenuti dagli animali trattati. L'Agenzia stabilisce i limiti massimi di residui delle sostanze farmacologicamente attive impiegate per il trattamento degli animali, al fine di garantire il consumo sicuro di alimenti di origine animale quali la carne, il pesce, il latte, le uova e il miele.

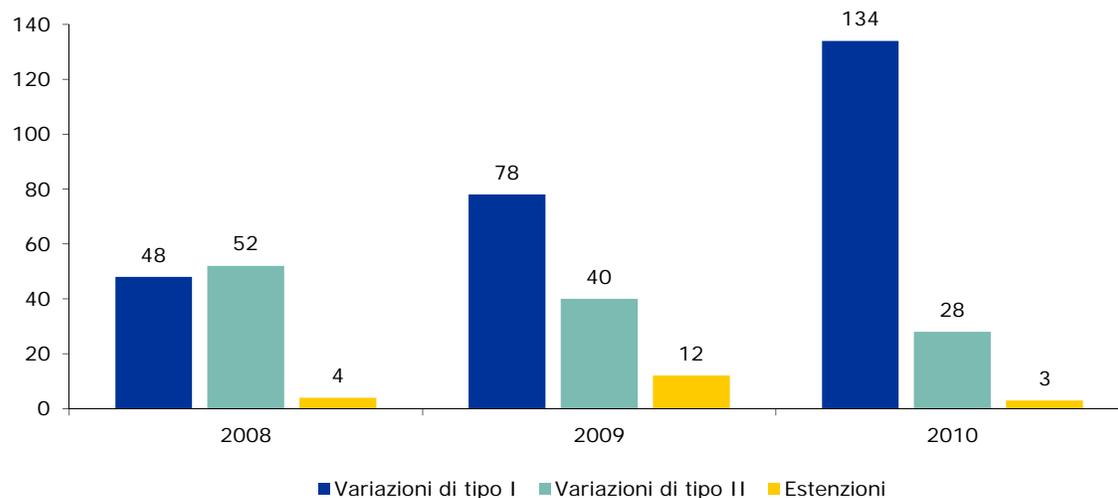
Figure 12. Domande concernenti i limiti massimi di residui (MRL)



Attività post-autorizzazione

Le attività post-autorizzazione riguardano le variazioni delle autorizzazioni all'immissione in commercio, tra cui le estensioni e i trasferimenti delle autorizzazioni all'immissione in commercio.

Figure 13. Domande post-autorizzazione ricevute

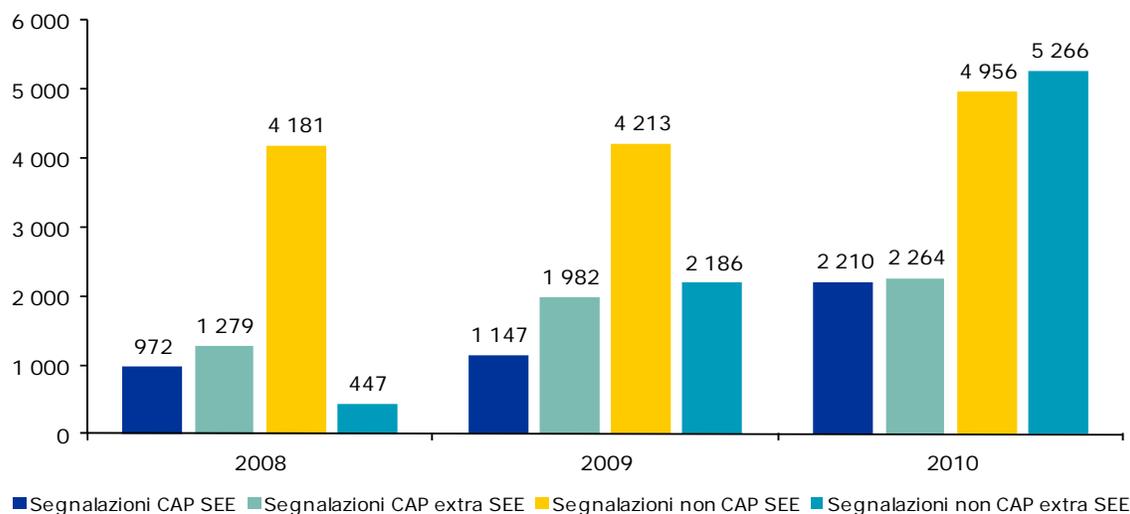


Analogamente ai medicinali per uso umano, si è osservata una redistribuzione delle domande di post-autorizzazione a seguito dell'adozione della nuova legislazione in materia di variazioni.

Attività di farmacovigilanza e manutenzione

La farmacovigilanza comprende le attività inerenti al rilevamento, alla valutazione, alla comprensione e alla prevenzione delle reazioni avverse ai farmaci (ADR) o a qualsiasi altra problematica connessa ai farmaci. Mira ad assicurare che il monitoraggio post-autorizzazione e un'efficace gestione dei rischi siano applicati sistematicamente ai medicinali veterinari su tutto il territorio dell'UE.

Figure 14. Segnalazioni di sospette reazioni avverse ai farmaci (ADR) gravi in animali ed esseri umani

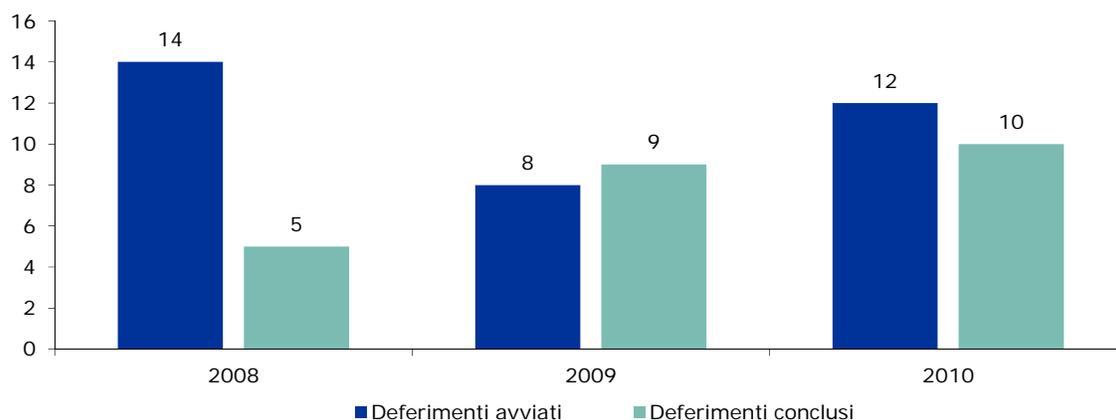


SEE = Spazio economico europeo. CAP = medicinali con autorizzazione centralizzata.

Procedure di deferimento

Le procedure di deferimento sono utilizzate per risolvere divergenze e questioni problematiche fra gli Stati membri. Nelle procedure di deferimento viene richiesto all'Agenzia europea per i medicinali di condurre, per conto dell'Unione europea, una valutazione scientifica di un particolare medicinale o di una classe di medicinali al fine di approvare una raccomandazione su una posizione armonizzata a livello dell'Unione europea.

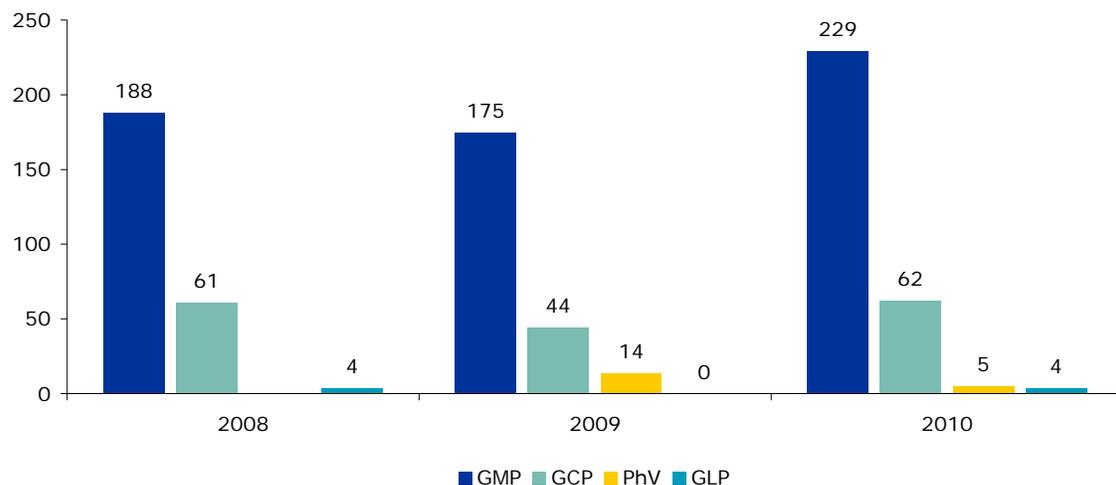
Figure 15. Procedure di deferimento avviate e concluse



Ispezioni

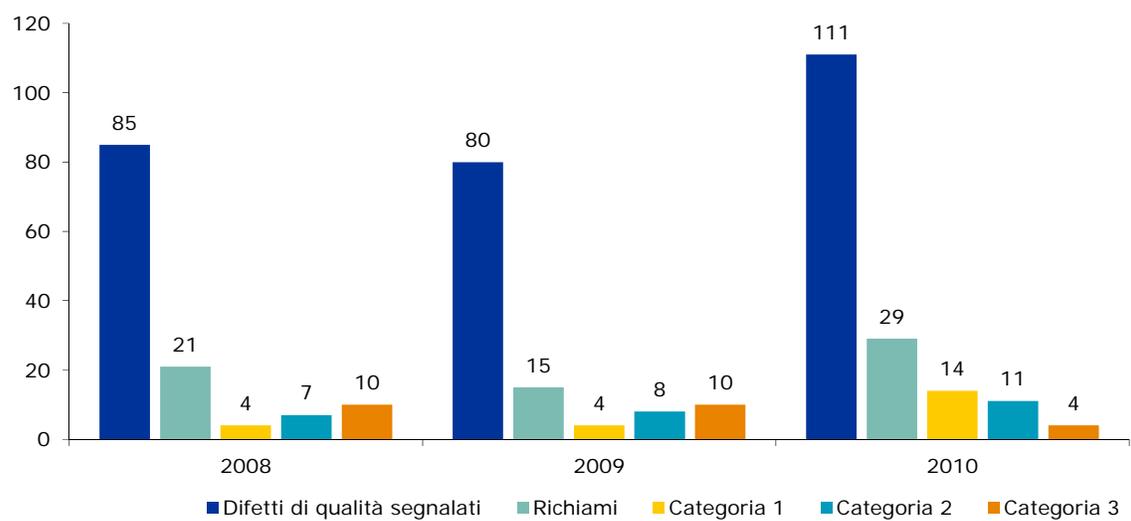
L'Agenzia coordina le attività di verifica della conformità ai principi di buona pratica di fabbricazione (GMP), buona pratica clinica (GCP), buona pratica di laboratorio (GPL) e agli obblighi di farmacovigilanza (PhV), nonché taluni aspetti della supervisione dei medicinali autorizzati in uso nell'Unione europea. Svolge tali compiti effettuando ispezioni su richiesta del CHMP o del CVMP in relazione alla valutazione di domande di autorizzazione all'immissione in commercio e/o alla valutazione di questioni deferite a tali comitati ai sensi della legislazione dell'UE.

Figure 16. Numero di ispezioni



Il numero totale delle ispezioni è risultato superiore del 20% rispetto alle previsioni, principalmente a causa di un aumento inatteso del numero di ispezioni concernenti la buona pratica clinica (GCP) richieste.

Figure 17. Numero di difetti di qualità segnalati



Raccomandazioni significative sottoposte ad approvazione nel 2010

Benefici per la salute pubblica derivanti dai medicinali per uso umano dei quali è stata raccomandata l'approvazione nel 2010

Fra i nuovi medicinali per uso umano di cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha raccomandato l'autorizzazione all'immissione in commercio nel 2010 si segnalano in particolare i seguenti:

- Due vaccini contro la pandemia H1N1 per la profilassi dell'influenza in una situazione di pandemia dichiarata ufficialmente.
- Un nuovo prototipo di vaccino influenzale pandemico H5N1 indicato per la profilassi dell'influenza in una situazione di pandemia dichiarata ufficialmente (i prototipi di vaccino pandemico non sono destinati allo stoccaggio ma possono essere utilizzati per accelerare la disponibilità di un vaccino definitivo in caso di pandemia, una volta identificato il ceppo pandemico).
- Vaccini contro l'influenza pandemica indicati per l'immunizzazione contro il sottotipo H5N1 del virus dell'influenza A.
- Un vaccino antinfluenzale somministrato per via nasale indicato per la profilassi dell'influenza nei bambini.
- Un agente diagnostico indicato come agente di stress farmacologico per imaging di perfusione miocardica (MPI) con radionuclidi.
- Un medicinale orfano designato ottenuto mediante la tecnologia del DNA ricombinante indicato nel trattamento degli attacchi di angioedema. È derivato dal latte di conigli transgenici, in grado di produrre la proteina umana nel proprio latte.
- Un medicinale orfano designato indicato per il trattamento della malattia di Gaucher; il prodotto assume particolare rilievo dal punto di vista della salute pubblica data la scarsità di medicinali autorizzati per il trattamento di questa malattia.
- Due medicinali orfani designati indicati per il trattamento delle patologie polmonari: uno per la terapia soppressiva dell'infezione polmonare cronica da *Pseudomonas aeruginosa* nella fibrosi cistica e un altro per la fibrosi polmonare idiopatica.
- Un medicinale orfano designato indicato per il trattamento di difetti congeniti nella sintesi primaria degli acidi biliari dovuti a carenze enzimatiche.
- Un medicinale orfano designato indicato per il trattamento di pazienti affetti da leucemia linfocitica cronica.
- Un medicinale indicato per il trattamento di mantenimento della malattia polmonare ostruttiva cronica grave associata a bronchite cronica in pazienti adulti, in aggiunta al trattamento con broncodilatatori, che offre un trattamento orale con una nuova modalità di azione.
- Due medicinali indicati per il trattamento di patologie psichiatriche; il primo per episodi maniacali di grado da moderato a severo associati a disturbo bipolare di tipo I e il secondo per il trattamento della schizofrenia.
- Un medicinale indicato per il trattamento di una patologia muscoloscheletrica nota come contrattura di Dupuytren, che offre un'alternativa non chirurgica.

Benefici per la salute degli animali derivanti dai medicinali per uso veterinario dei quali è stata raccomandata l'approvazione nel 2010

Fra i nuovi medicinali per uso veterinario dei quali il comitato per i medicinali veterinari (CVMP) dell'Agenzia ha raccomandato l'autorizzazione all'immissione in commercio nel 2010 si segnalano in particolare i seguenti:

- Quattro vaccini contro la febbre catarrale ovina (malattia della lingua blu). Tali vaccini sono stati autorizzati in circostanze eccezionali per proteggere il bestiame bovino e ovino dai segni clinici e per ridurre o prevenire la trasmissione dei sierotipi 1, 2, 4 e 8 del virus altamente variabile della febbre catarrale ovina. L'autorizzazione a livello dell'UE rende i vaccini immediatamente disponibili nel quadro di campagne nazionali e transnazionali di controllo di questa malattia altamente virulenta e contagiosa che colpisce il bestiame domestico.
- Un vaccino per ridurre la diffusione della *Coxiella burnetii* da parte di bovini e caprini infetti. Un'estesa epidemia di questa malattia di origine batterica, che è l'agente patogeno della febbre Q nell'uomo, si è verificata nei Paesi Bassi nel 2009. Il CVMP ha pertanto ritenuto opportuno raccomandare che il prodotto sia autorizzato in circostanze eccezionali sulla base di un bilancio rischi-benefici positivo continuando a svolgere ulteriori studi per stabilire con maggiore precisione il suo grado di efficacia nei caprini.
- Due nuovi medicinali per il trattamento degli ectoparassiti, principalmente pulci, negli animali domestici. Questi tipi di trattamento continuano a rappresentare un'area prioritaria per la salute degli animali da compagnia.

Characters: 16.587