



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

8 febbraio 2016  
EMA/171285/2016  
Direttore Esecutivo

## Introduzione al programma di lavoro 2016 dell’Agenzia del direttore esecutivo Guido Rasi

### Aree prioritarie dell’EMA e principali influenze

Il sistema di regolamentazione dei medicinali in Europa si basa su una rete di circa 50 autorità di regolamentazione dei medicinali per uso umano e veterinario (“autorità nazionali competenti” o ANC) provenienti dai 31 Stati membri dello Spazio economico europeo, unitamente all’Agenzia europea per i medicinali (EMA). La rete si avvale di migliaia di esperti provenienti dagli Stati membri europei, che le consentono di acquisire le migliori competenze possibili per la regolamentazione dei medicinali all’interno dell’Unione europea (UE).

Per tenere fede alle proprie responsabilità, l’EMA opera a stretto contatto con le ANC. Ciò significa che le tendenze in materia di ambiente, le previsioni del carico di lavoro e l’attuazione di una serie di obiettivi e attività descritti nel presente documento di programmazione avranno un impatto anche sulle autorità nazionali e sulla loro attività, e richiederanno il loro apporto e sostegno.

L’Agenzia opera in un ambiente in costante cambiamento ed evoluzione. Il suo lavoro è influenzato dagli sviluppi nell’industria farmaceutica, e da fattori quali la globalizzazione, la crescente complessità dello sviluppo dei medicinali, le esigenze delle parti interessate in materia di trasparenza e le modifiche legislative chiave che insieme incidono sul lavoro dell’Agenzia.

### Evoluzione del carico di lavoro

L’Agenzia è un’organizzazione guidata dalla domanda. Gli sviluppi nell’industria farmaceutica e il numero dei medicinali in commercio influenzano fortemente la quantità delle attività di pre-autorizzazione, le domande iniziali di immissione in commercio e le attività connesse alla fase di post-autorizzazione. L’Agenzia osserva gli andamenti stabili, crescenti di queste attività.

Le richieste di consulenza scientifica e di follow-up mostrano tendenze positive negli ultimi anni. Nel 2016 l’Agenzia inizierà a fornire agli sviluppatori di medicinali un supporto scientifico e normativo tempestivo ed intensificato attraverso lo schema dei farmaci prioritari (PRIME).

L’Agenzia sta ultimando l’attuazione della nuova normativa di farmacovigilanza nel 2016-2017. Diverse attività sono iniziate solo nel 2015 o devono ancora essere avviate. Tra queste vi sono l’introduzione



della valutazione singola per i prodotti autorizzati a livello nazionale (PSUSA) nel 2015, l'imminente attuazione di udienze pubbliche, e a partire dal 2017 la gestione delle segnalazioni presentate dall'industria farmaceutica. L'Agenzia prevede che la quantità delle PSUSA continuerà ad aumentare nei prossimi anni.

Il regolamento (UE) n.536/2014 sulla sperimentazione clinica è stato pubblicato a maggio del 2014, e richiede che l'Agenzia, in collaborazione con la Commissione europea (CE) e con gli Stati membri, sviluppi i sistemi necessari per la sua attuazione. Una volta sviluppati i sistemi necessari e applicato il regolamento, l'Agenzia avrà il compito di preservare questi sistemi e di fornire supporto alle parti interessate.

Si prevede che le discussioni che conducono alla revisione della normativa UE per i medicinali veterinari continueranno nei prossimi anni, con la normativa che sarà applicata non prima del 2019. Fino ad allora, l'Agenzia si impegnerà a garantire che il quadro giuridico esistente venga utilizzato nel modo più efficiente possibile e a svolgere i necessari preparativi per l'entrata in vigore della normativa revisionata.

## **Il progresso scientifico e il mutato scenario dello sviluppo dei medicinali**

I progressi scientifici e tecnologici stanno ridefinendo le basi scientifiche delle malattie, ampliando le possibilità per lo sviluppo e l'utilizzo dei medicinali e aumentando le richieste di consulenza e valutazione normative. Le nuove tecnologie emergenti, i medicinali personalizzati, le nuove terapie avanzate, i prodotti combinati e indefiniti insieme contribuiscono a far crescere la complessità dei medicinali.

La disponibilità di competenze sostenibili, di elevata qualità scientifica e normativa costituiranno un fattore critico di successo per affrontare il progresso della scienza normativa. Pertanto, il rafforzamento e lo sviluppo delle capacità e abilità in tutta la rete attraverso il Network Training Centre, il sostegno al lavoro della rete per l'innovazione, e l'arricchimento delle competenze attraverso il mondo accademico rimarranno una parte importante del programma dell'Agenzia.

Allo stesso tempo, il volto dell'industria farmaceutica si sta evolvendo, con un numero crescente di piccole o medie imprese (PMI) che intraprendono le prime fasi dello sviluppo dei medicinali. Il rinforzo del sostegno alle PMI per facilitare l'esplorazione del sistema di regolamentazione dell'UE e semplificare gli approcci dell'Agenzia, rendendoli più aperti, flessibili e facili da esplorare, sarà la chiave che garantirà ai potenziali medicinali di raggiungere i pazienti in tale contesto.

## **Accesso tempestivo ai medicinali promettenti**

Le aspettative sempre più elevate dei pazienti e dei professionisti in assistenza sanitaria per avere disponibili quanto prima dei medicinali promettenti, in combinazione con la continua necessità di una reazione flessibile e rapida verso le minacce emergenti per la salute pubblica, richiedono di esplorare percorsi flessibili per la concessione delle licenze e per la durata dei medicinali. Di conseguenza, gli obiettivi prioritari dell'Agenzia a tale riguardo comprenderanno il miglioramento dell'utilizzo degli strumenti di regolamentazione esistenti, quali l'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata e procedure di valutazione accelerate, studiando il modo di ottimizzare i percorsi di sviluppo e attuando il nuovo schema per i medicinali prioritari (PRIME). Preservare la qualità della valutazione scientifica e garantire la sicurezza dei medicinali rimane fondamentale, e introdurre un approccio più completo verso la pianificazione e la produzione dei dati post-autorizzazione rappresenta un elemento importante di questi sforzi.

Considerare il ruolo della valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA)/comitati prezzi e rimborso nell'ottenere medicinali innovativi per i pazienti, esplorare le sinergie potenziali ed estendere e

rafforzare la collaborazione con i comitati HTA per lo scambio di informazioni durante tutto il tempo della concessione della licenza rappresenterà un altro elemento chiave per l'Agenzia e per le ANC.

### **Globalizzazione**

La globalizzazione delle attività farmaceutiche porta a un crescente numero di attività produttive e di sperimentazione clinica che vengono condotte fuori dall'UE. Questo, assieme alla complessità delle catene di rifornimento internazionale, presenta delle sfide per assicurare l'aderenza agli standard produttivi e delle sperimentazioni cliniche richieste, per garantire l'integrità dei dati e per gestire i rischi del processo di produzione e delle operazioni di contraffazione.

Per garantire che i medicinali testati e prodotti al di fuori dell'UE soddisfino i requisiti dell'UE, l'Agenzia e le ANC continueranno e rafforzeranno la loro collaborazione con i partner internazionali in relazione ai controlli condivisi e collaborativi, allo scambio di informazioni e ad una maggiore fiducia reciproca, nonché l'armonizzazione degli standard e la costruzione della capacità normativa, specialmente nei paesi dove hanno luogo la produzione e gli studi clinici. Per quanto riguarda gli standard dei medicinali veterinari, un'attenzione particolare verrà data alla promozione del programma VICH Outreach, che intende estendere il ricorso alle linee guida VICH ai paesi con un sistema normativo meno sviluppato.

### **Affrontare le priorità della salute pubblica**

La resistenza agli antimicrobici (AMR) è un problema crescente per l'uomo e gli animali. La gravità della questione è stata anche riconosciuta dallo sviluppo di un piano d'azione globale per l'AMR dall'Organizzazione mondiale della sanità (OMS), mostrando così l'AMR come una crisi sanitaria globale di importanza equivalente alle pandemie di malattie infettive. Gli sforzi per combattere l'AMR rimarranno elevati nel programma dell'Agenzia e includeranno la fornitura del sostegno necessario al piano di azione della Commissione europea, alle iniziative transatlantiche e dell'OMS, l'adozione dell'approccio 'one health', lo sviluppo o l'aggiornamento di linee guida rilevanti (inclusi gli aspetti pediatrici) e il bilanciamento della necessità di assicurare la disponibilità continua degli antimicrobici nei medicinali per uso veterinario con l'esigenza di minimizzare il rischio per l'uomo proveniente dal loro utilizzo negli animali.

Accanto ai vecchi problemi quali la resistenza antimicrobica, emergono nuove malattie e sfide. Le tendenze sociali, che includono l'invecchiamento della popolazione, la politerapia e la comorbilità, nonché malattie nuove e ridefinite quali la demenza, diventeranno un onere per la salute pubblica. L'Agenzia attuerà la sua strategia geriatrica, identificando le aree di ricerca prioritarie in pediatria e si impegnerà in diverse attività correlate alla demenza e al morbo di Alzheimer. L'Agenzia continuerà inoltre il lavoro per facilitare lo sviluppo di medicinali per malattie rare e per identificare le aree che necessitano di ulteriori ricerche.

Per affrontare le carenze e assicurare la disponibilità dei medicinali autorizzati, l'Agenzia continuerà a promuovere la gestione proattiva attraverso i produttori e i possessori dell'autorizzazione all'immissione in commercio, e indurre controlli per garantire la qualità del prodotto e la continuità della fornitura. Poiché la disponibilità dei medicinali va oltre i problemi di fornitura, l'Agenzia sosterrà anche misure aggiuntive che possono riguardare i più ampi aspetti della disponibilità utilizzando i forum esistenti nelle ANC.

Inoltre l'Agenzia migliorerà i propri meccanismi di risposta alle crisi sanitarie pubbliche, facendo tesoro delle esperienze passate nell'ambito della pandemia influenzale e del lavoro sull'Ebola.

### **Medicinali veterinari**

Assicurare un'adeguata disponibilità di una vasta gamma di medicinali veterinari di alta qualità, sicuri ed efficaci resta la priorità principale per gli enti normativi all'interno della Unione europea. La

Commissione europea ha proposto cambiamenti ambiziosi al quadro giuridico dei medicinali veterinari, finalizzati a garantire che la normativa, nei prossimi anni, sia adattata dove necessario alle esigenze particolari dell'ambito veterinario. Le nuove terapie che sono state osservate in precedenza solo nell'ambito umano si stanno facendo strada nella medicina veterinaria, e l'Agenzia avrà bisogno di sfruttare le competenze della rete per sviluppare o adattare i requisiti normativi per rendere interessante il mercato europeo per questo tipo di prodotto. Il lavoro proseguirà con il facilitare l'accesso al mercato per i prodotti per l'uso minore nelle specie maggiori o per l'uso nelle specie minori (MUMS), fornendo riduzioni dei costi per quei prodotti considerati di maggior beneficio per gli animali e per la salute pubblica. Infine, particolare attenzione sarà data all'affrontare le sfide che si presenteranno nell'immettere nuovi vaccini sul mercato e nel garantire che i vaccini autorizzati siano disponibili per affrontare rapidamente le incursioni di malattie esotiche, il cui rischio è cresciuto in modo sostanziale negli ultimi anni.

### **Coinvolgimento delle parti interessate e trasparenza**

Con una moltitudine di parti interessate coinvolte fin dalle prime fasi dello sviluppo fino ai pazienti che hanno accesso e che utilizzano i medicinali, l'Agenzia opera continuamente per interagire e coinvolgere le parti interessate nei processi normativi nel miglior modo possibile. Ciò include lo sviluppo e l'attuazione degli ambiti per l'interazione con le parti interessate, la rilevazione dei valori e delle preferenze dei pazienti nella valutazione del beneficio-rischio dei medicinali, l'attuazione delle udienze pubbliche, l'esecuzione di indagini per comprendere meglio ed essere in grado di rispondere alle esigenze e alle aspettative delle parti interessate e una continua cooperazione con altre agenzie dell'UE nelle aree di interesse comune.

I pazienti, i consumatori e i professionisti in assistenza sanitaria richiedono elevati livelli di trasparenza e nuove e migliori informazioni per sostenere il processo decisionale. La società vuole vedere i risultati degli studi clinici, della farmacovigilanza e di altre fasi del ciclo di vita del farmaco. Tutti gli aspetti dell'attività dell'Agenzia, dalla valutazione iniziale fino al monitoraggio post-autorizzazione, saranno soggetti a un controllo più scrupoloso da parte delle parti interessate e della comunità nel suo complesso. Quindi, la trasparenza è una delle priorità principali dell'Agenzia. L'attuazione della politica sulla pubblicazione e sull'accesso ai dati clinici sarà un aspetto significativo delle iniziative dell'Agenzia a favore della trasparenza nel 2016.

### **Migliorare la qualità e l'efficacia del lavoro normativo**

L'efficacia è la chiave per l'erogazione sostenibile delle attività normative e per fronteggiare le crescenti responsabilità, la quantità e la complessità delle procedure e delle attività. Questo è particolarmente importante rispetto alle continue pressioni economiche sugli Stati membri, e alle autorità di regolamentazione viene richiesto di tagliare i costi offrendo nel contempo le proprie responsabilità. All'EMA, come ad altre agenzie dell'UE, viene richiesto di ridurre il numero delle cariche del 10% durante il 2014-2020<sup>1</sup>. Allo stesso tempo, i cambiamenti normativi stanno ampliando le responsabilità dei regolatori dei medicinali in Europa.

L'Agenzia continuerà a migliorare i processi interni e ad attuare il proprio sistema di gestione delle prestazioni del processo per incrementare ulteriormente le operazioni di efficienza e ottimizzazione. Nell'ambito del sostegno all'opera delle ANC, l'Agenzia fornirà sistemi telematici, sia per attuare i requisiti legali sia per favorire l'eccellenza operativa, per facilitare la capacità di costruzione tramite il Network Training Centre, e per sostenere la condivisione del lavoro nei vari settori.

---

<sup>1</sup> Comunicazione della Commissione al Parlamento Europeo e al Consiglio. Programmazione delle risorse umane e finanziarie per le agenzie decentrate 2014-2020; [http://ec.europa.eu/budget/library/biblio/documents/fin\\_fwk1420/COM\\_2013\\_519\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/budget/library/biblio/documents/fin_fwk1420/COM_2013_519_en.pdf)

Nel palcoscenico mondiale, gli enti normativi di tutto il mondo stanno anche riconoscendo in maniera crescente la potenzialità e l'esigenza di creare sinergie, per evitare sovrapposizioni e per utilizzare più efficacemente le risorse normative globali. Qui, l'Agenzia continua la sua collaborazione con le autorità e gli enti normativi competenti non-UE per incrementare la fiducia verso le rispettive attività di controllo e verifica, per sviluppare scambi di informazioni sui prodotti lungo tutto il loro ciclo di vita, per collaborare alle attività in particolari aree di interesse, e per costruire la capacità e l'abilità degli enti normativi nei paesi con sistemi meno sviluppati.