



## Fatti salienti del 2008

Sintesi della relazione annuale dell'Agenzia europea per i medicinali per il 2008

### Sommario

<b>Sommario</b> .....	<b>1</b>
<b>L'anno in sintesi</b> .....	<b>2</b>
<b>Attività principali nel 2008</b> .....	<b>3</b>
Valutazione dei medicinali per uso umano .....	3
Valutazione dei medicinali per uso veterinario .....	10
Monitoraggio della sicurezza dei medicinali .....	12
Sostegno dell'innovazione e della disponibilità di medicinali .....	14
Rafforzamento della collaborazione con partner europei ed internazionali .....	15
Interazione con pazienti, consumatori e medici/operatori sanitari .....	16
Promozione della trasparenza, della comunicazione e della divulgazione d'informazioni .....	17
<b>Numeri relativi alle entrate e al personale</b> .....	<b>18</b>

La versione integrale della relazione annuale delle attività svolte nel 2008 è disponibile sul sito web dell'Agenzia all'indirizzo:

<http://www.emea.europa.eu/htms/general/direct/ar.htm>

## L'anno in sintesi

Il 2008 è stato un anno di consolidamento e di costante progresso per l'Agenzia europea per i medicinali (EMA), piuttosto che uno di importanti svolte o innovazioni.

Tuttavia, vista la continua globalizzazione del settore farmaceutico, gli ulteriori rapidi progressi delle scienze mediche e il ritmo implacabile dell'attività regolatoria nella rete dei medicinali dell'Unione europea (UE), non si può dire che sia stato un anno 'monotono' per l'Agenzia.

Dal momento che lo sviluppo farmaceutico e gli studi clinici dei medicinali si muovono sempre più oltre le sfere tradizionali d'Europa e Nord America, gli enti regolatori stanno diventando più intensamente consapevoli dell'esigenza di una cooperazione internazionale per assicurare l'impiego di pratiche sicure ed etiche per lo sviluppo e la sperimentazione dei medicinali in tutte le parti del mondo. Nel 2008, l'Agenzia ha intensificato la sua collaborazione con partner internazionali per assicurare il suo contributo alle iniziative globali per garantire medicinali migliori e più sicuri in tutto il mondo.

Più vicino casa, l'Agenzia ha continuato a lavorare con i suoi partner istituzionali dell'UE e con le autorità regolatorie nazionali degli Stati membri per stimolare l'innovazione nel settore farmaceutico, rafforzare il monitoraggio della sicurezza dei medicinali, scambiare competenze su un'ampia varietà di questioni, e instaurare stretti rapporti su cui fondare il migliore sistema regolatorio possibile per l'Europa.

Per quanto riguarda il lavoro di valutazione principale dell'Agenzia, il 2008 è stato un anno altamente produttivo. Il numero di pareri positivi adottati per le richieste di autorizzazione all'immissione in commercio per i medicinali per uso umano è stato più alto rispetto a qualsiasi altro anno finora. Di conseguenza, si renderanno disponibili 66 nuovi medicinali per i cittadini europei — tra cui quelli per la prevenzione o il trattamento di malattie gravi e debilitanti come il cancro osseo nei bambini, malattie del sistema immunitario, l'HIV e l'artrite reumatoide.

Il lavoro di valutazione relativo ai medicinali per uso pediatrico, i medicinali per le malattie rare, i medicinali a base di piante ed i medicinali veterinari è stato intenso anche nel 2008, mentre il volume di lavoro relativo all'offerta di consulenza scientifica, la stesura di linee direttrici, l'elaborazione di domande di variazione e la conduzione di attività di farmacovigilanza è stato in generale ragionevolmente elevato.

L'Agenzia ha dedicato molte energie durante l'anno alla preparazione per l'entrata in vigore del nuovo regolamento per le terapie avanzate dell'UE — una normativa che rafforzerà in misura considerevole le procedure regolatorie relative a medicinali all'avanguardia nelle scienze mediche.

Le prossime pagine offrono una breve descrizione dei punti chiave delle attività dell'Agenzia in ciascuna delle sue aree di priorità per l'anno, insieme a dati numerici fondamentali che dimostrano il volume e l'evoluzione delle sue principali procedure scientifiche e regolatorie.

## Attività principali nel 2008

Questa sezione offre una descrizione generale delle principali attività dell'Agenzia europea per i medicinali nel 2008, elencate in base alle aree di priorità che l'Agenzia si è imposta nel suo programma di lavoro per il 2008.

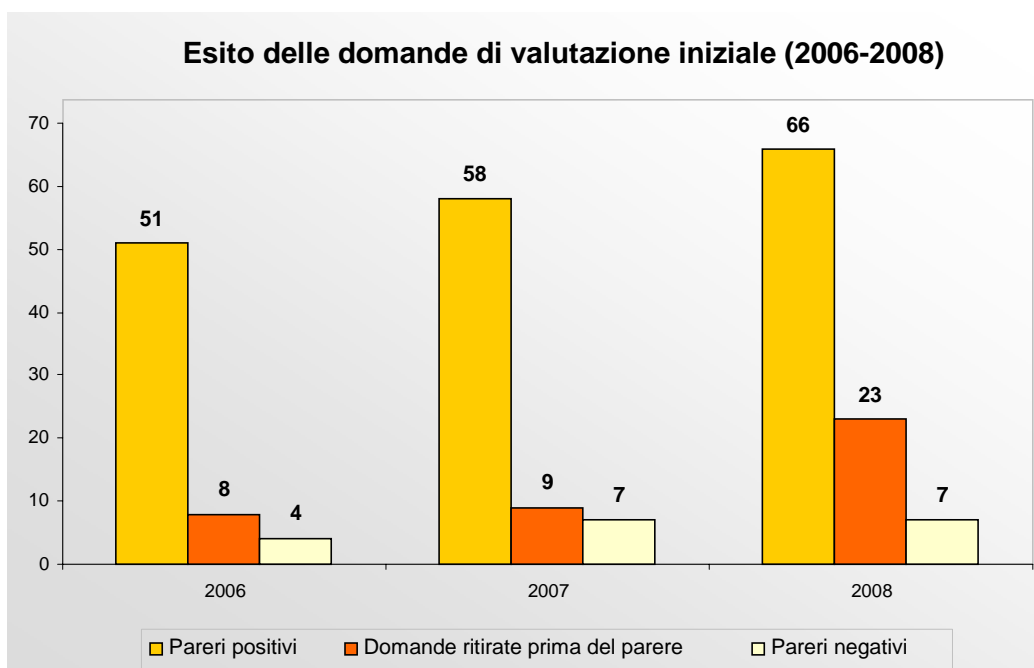
### Valutazione dei medicinali per uso umano

#### *Numero record di pareri positivi adottati per nuovi medicinali per uso umano*

Nel 2008, il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha adottato 66 pareri positivi<sup>1</sup> — il numero più alto mai adottato in un solo anno — in seguito al completamento di procedure di valutazione iniziale<sup>2</sup> per nuovi medicinali per uso umano.

La maggior parte dei pareri positivi del CHMP adottati nel 2008 si riferisce ai medicinali contro il cancro, seguiti dagli antinfettivi e dai medicinali per il trattamento di disturbi neurologici e del sistema nervoso centrale.

Un solo altro parere positivo è stato adottato a favore della concessione di un'autorizzazione all'immissione in commercio condizionale (un'autorizzazione di un anno, rinnovabile su base annuale, a condizione che vengano soddisfatti determinati obblighi specifici) mentre pareri negativi sono stati adottati per 7 richieste. Ventitre (23) domande sono state ritirate dai richiedenti prima del termine della procedura di valutazione.



<sup>1</sup> Il CHMP adotta dei pareri dopo una rigorosa valutazione dei dati scientifici presentati dalle aziende farmaceutiche a sostegno delle richieste di approvazione dei loro medicinali. Il CHMP valuta la qualità, la sicurezza e l'efficacia del medicinale in questione e adotta un parere positivo se è convinto che i dati presentati dimostrano che i benefici del medicinale sono superiori agli eventuali rischi associati con il suo impiego. Un parere del CHMP è una raccomandazione per la Commissione europea in merito a se deve concedere o meno un'autorizzazione all'immissione in commercio comunitaria (o licenza) che consenta il lancio sul mercato del medicinale in questione in tutti e 30 i paesi dello Spazio economico europeo (i 27 Stati membri dell'Unione europea, più Islanda, Liechtenstein e Norvegia).

<sup>2</sup> Le procedure di valutazione iniziale si riferiscono a domande per medicinali nuovi che non sono stati ancora mai autorizzati nell'Unione europea.

### *Benefici per la salute pubblica dei medicinali raccomandati per l'autorizzazione nel 2008*

Dei 66 medicinali che hanno ricevuto parere positivo dal CHMP nel 2008, quelli che sono di particolare importanza comprendono:

- il primo medicinale per la terapia di mantenimento dei pazienti adulti affetti da leucemia mieloide acuta (un tipo di cancro che colpisce i globuli bianchi), in combinazione con interleuchina-2 (un medicinale contro il cancro). Può essere usato durante la prima remissione dei pazienti (un periodo senza i sintomi della malattia dopo il primo ciclo di trattamento);
- un medicinale per il trattamento dell'osteosarcoma non metastatico ad alto grado (un raro cancro delle ossa) nei bambini, negli adolescenti e nei giovani adulti. Può essere usato con altri medicinali antitumorali dopo l'asportazione chirurgica del cancro;
- un medicinale per gli adulti affetti da porpora trombocitopenica immunitaria cronica, una malattia rara in cui il sistema immunitario del paziente distrugge le piastrine che aiutano il sangue a coagulare se la persona sanguina;
- un medicinale per il trattamento degli adulti che non possono sottoporsi a trapianto di midollo osseo e soffrono di sindromi mielodisplastiche (malattie in cui il midollo osseo produce un numero insufficiente di cellule del sangue);
- un medicinale per il trattamento dell'iperfenilalaninemia (alti livelli di fenilalanina nel sangue) in pazienti con i disturbi genetici fenilchetonuria o carenza di tetraidrobiopterina;
- un nuovo composto di una classe esistente di medicinali antiretrovirali che può essere usato per il trattamento degli adulti con infezione da HIV-1 (il virus che causa l'AIDS) in cui il trattamento con altri medicinali della stessa classe si è rivelato inefficace;
- un agente biologico antireumatico (antagonista del recettore dell'interleuchina-6) che può essere usato in combinazione con metotressato per il trattamento degli adulti con artrite reumatoide attiva tra moderata e severa (una malattia immunitaria che causa infiammazione delle articolazioni). È indicato per l'uso nei pazienti che non rispondono bene, o non riescono a tollerare, i trattamenti convenzionali per l'artrite;
- il primo vaccino per gli adulti contro l'encefalite giapponese, una malattia trasmessa dalle zanzare che causa infiammazione del cervello e che può portare a disabilità a lungo termine o alla morte;
- due nuovi vaccini "mock-up" che possono essere adattati per l'uso in una pandemia influenzale. Questi modelli non sono di per sé destinati alla produzione ma possono essere usati per accelerare considerevolmente la procedura di autorizzazione per i vaccini 'reali' una volta identificato il ceppo virale responsabile della pandemia;
- il primo vaccino pre pandemico per l'uso negli adulti contro il sottotipo H5N1 del virus influenzale di tipo A, che può causare l'influenza aviaria nell'uomo;
- due medicinali per prevenire la formazione di tromboembolia venosa (coaguli di sangue nelle vene), che possono essere somministrati per via orale e, quindi, offrono un'alternativa alla terapia convenzionale per iniezione.

### Numero di domande di valutazione iniziale per medicinali per uso umano aumentato del 14%

Le domande di valutazione iniziale si riferiscono a medicinali nuovi che non sono ancora mai stati autorizzati in alcun modo nell'Unione europea.

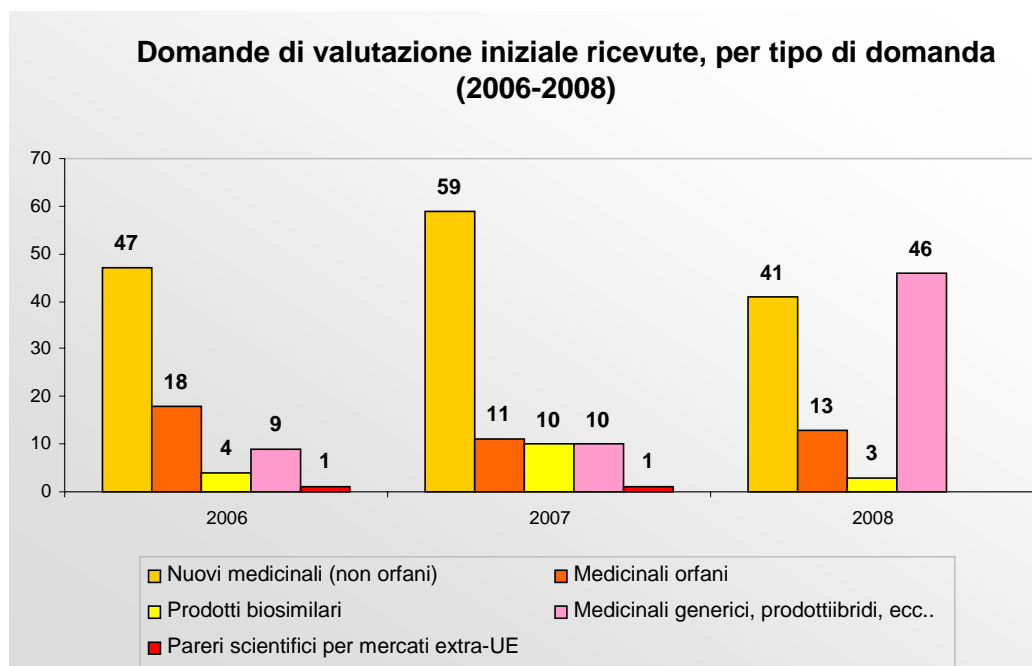
Il numero di domande di valutazione iniziale presentate all'Agenzia nel 2008 per la valutazione di nuovi medicinali per uso umano è 103 — il 14% in più rispetto al 2007.

Il CHMP elabora queste domande in 210 giorni, come stabilito dalla legislazione dell'UE, ed adotta pareri in ciascun caso relativamente a se raccomanda o meno il rilascio di un'autorizzazione all'immissione in commercio.

Delle 103 domande ricevute nel 2008:

- 73 si riferivano a medicinali con un nuovo principio attivo, ovvero un composto chimico o biologico che non è stato mai usato in un medicinale autorizzato;
- 13 si riferivano a medicinali 'orfani', quelli che sono indicati nella diagnosi, la prevenzione o il trattamento di malattie o disturbi rari e seriamente debilitanti;
- 46 erano per medicinali generici o ibridi, ovvero medicinali il cui principio attivo è essenzialmente identico a quello di un medicinale già autorizzato;
- 3 erano per 'medicinali biosimilari', ovvero medicinali il cui principio attivo è realizzato con, o derivato da, un organismo vivo, ed è simile a quello di un medicinale già autorizzato.

Il numero di domande relative a medicinali contro forme di cancro, malattie infettive, malattie metaboliche o malattie del tratto alimentare era in proporzione più alto rispetto al numero di quelle relative a medicinali per usi terapeutici diversi.



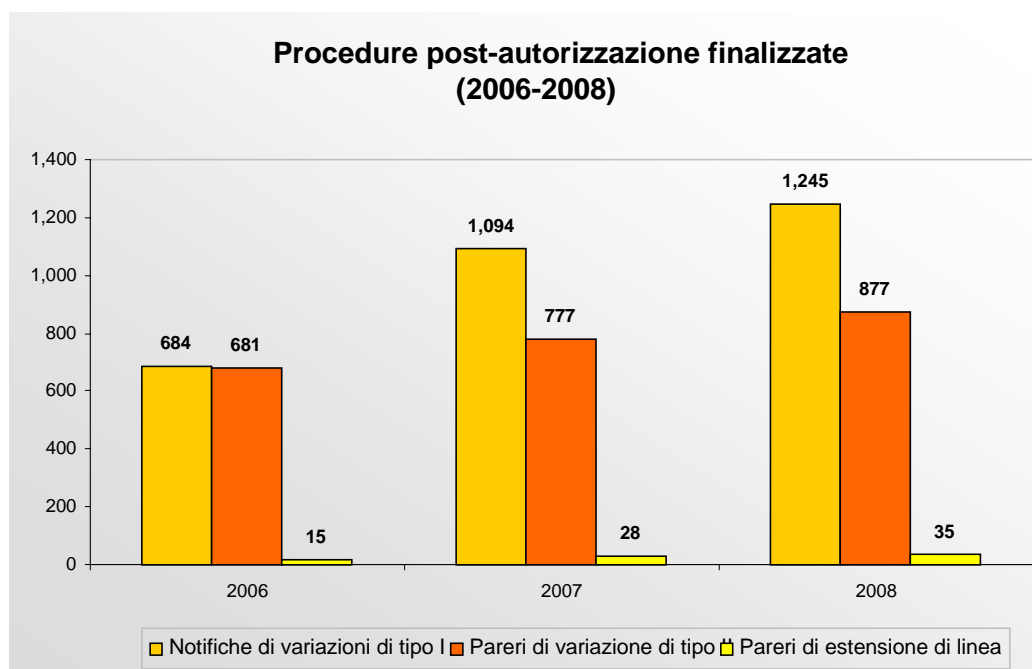
### *Volume di procedure post-autorizzazione finalizzate per medicinali per uso umano aumentato del 13%*

Le 'procedure post-autorizzazione' si riferiscono all'elaborazione di richieste inviate dai titolari delle autorizzazioni all'immissione in commercio che desiderano apportare modifiche ai loro medicinali autorizzati o che sono obbligati a farlo (ad esempio per inserire nuove avvertenze di sicurezza nelle informazioni prescrittive).

Per le variazioni minori basta inviare una notifica all'Agenzia per la convalida. Per le variazioni importanti, il titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio è solitamente obbligato a presentare nuovi dati per la valutazione del CHMP e l'adozione di un parere sull'accettabilità della modifica proposta.

Nel 2008, il numero totale delle procedure post-autorizzazione finalizzate è stato 2 157, o circa il 13% in più rispetto all'anno precedente. Di queste:

- 31 erano procedure di variazione di tipo II che hanno prodotto pareri positivi del CHMP in merito all'estensione delle indicazioni di medicinali autorizzati. Questo dà ai medici un ambito più ampio per prescrivere questi medicinali ai pazienti, il che va a vantaggio dei pazienti perché si estendono le opzioni terapeutiche disponibili per il loro caso;
- oltre 100 erano procedure di variazione di tipo II che hanno avuto come risultato l'aggiunta di nuove informazioni, tra cui avvertenze di sicurezza o precauzioni, alle informazioni prescrittive di medicinali autorizzati, contribuendo così a ridurre il rischio di uso improprio o effetti collaterali indesiderati associati all'uso di questi medicinali;
- 1 procedura ha portato al primo parere positivo in assoluto del CHMP in merito alla modifica della classificazione di un medicinale autorizzato da 'soggetto a prescrizione' a 'non soggetto a prescrizione'. Il medicinale in questione era un farmaco contro l'obesità.



Spiegazione delle categorie post-autorizzazione:

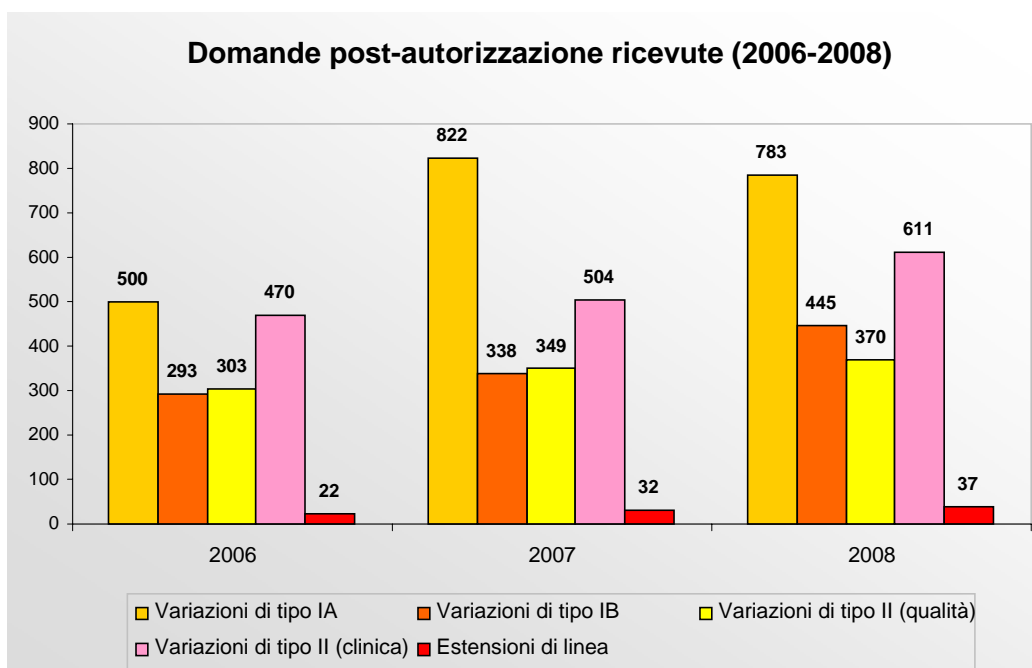
- Le variazioni di tipo I si riferiscono a modifiche minori dell'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale, ad es. una modifica del nome del medicinale, la variazione del nome o dell'indirizzo del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio o del fabbricante,

variazioni minori dei componenti del medicinale o del loro processo di produzione, oppure variazioni minori dei materiali per il confezionamento.

- Le variazioni di tipo II si riferiscono a variazioni importanti dell'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale, ad es. una modifica delle indicazioni (il tipo di malattia o disturbo per cui può essere usato), oppure una modifica sostanziale del confezionamento o delle informazioni che accompagnano il medicinale.
- Le domande di estensione della linea si riferiscono a modifiche del(i) principio(i) attivo(i), del dosaggio, della forma farmaceutica (ad es. polvere, pomata o compressa) o della via di somministrazione (ad es. orale, endovenosa o sottocutanea) di un medicinale autorizzato.

*Volume di procedure post-autorizzazione avviate per i medicinali per uso umano aumentato del 10%*

Nel 2008 sono state ricevute in totale 2 246 domande relative ad attività post-autorizzazione per medicinali per uso umano — un aumento del 10% rispetto all'anno precedente. Come negli anni precedenti, la maggior parte (55%) si riferisce alla notifica all'Agenzia da parte dei titolari delle autorizzazioni all'immissione in commercio di variazioni minori dei loro medicinali autorizzati.



### *Supervisione dello sviluppo di medicinali per uso pediatrico*

Le aziende che intendono presentare una domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per un medicinale che stanno sviluppando per l'uso nei bambini o negli adolescenti devono presentare prima un piano di indagine pediatrica (PIP), descrivendo gli studi che condurranno per dimostrare la qualità, la sicurezza e l'efficacia del loro medicinale usato in queste popolazioni di pazienti. In alternativa, se il loro medicinale non è destinato all'uso pediatrico, devono fare domanda di deroga dall'obbligo di presentare un piano di indagine pediatrica.

I titolari delle autorizzazioni all'immissione in commercio per medicinali già approvati per l'uso negli adulti possono fare domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per uso pediatrico (PUMA) se desiderano che il medicinale venga approvato per l'uso in bambini o adolescenti.

Le domande per l'approvazione di PIP, deroghe e PUMA vengono esaminate dal comitato pediatrico dell'Agenzia, che conduce anche controlli di conformità per verificare che le ditte che richiedono

l'autorizzazione all'immissione in commercio abbiano sviluppato il medicinale in conformità al PIP approvato.

Nel 2008, il comitato pediatrico:

- ha ricevuto 271 domande di PIP;
- ha adottato 129 pareri positivi e 4 pareri negativi su domande di PIP, e 8 pareri positivi sulla modifica di PIP approvati;
- ha adottato 48 pareri su domande di deroghe specifiche per il prodotto;
- ha adottato 35 decisioni su deroghe per la classe<sup>3</sup>;
- ha condotto 5 controlli di conformità nell'ambito della procedura di convalida per le domande di autorizzazione all'immissione in commercio;
- ha fatto 1 raccomandazione positiva sull'estensione dell'uso di un medicinale autorizzato per l'uso negli adulti all'uso nei bambini, sulla base di dati di studi clinici generati in conformità con un PIP approvato.

### *Valutazione delle domande riguardanti la designazione di medicinali orfani*

I medicinali 'orfani' sono indicati per la diagnosi, la prevenzione o il trattamento di patologie potenzialmente fatali o croniche debilitanti che colpiscono non più di cinque persone su 10 000 nell'Unione europea. L'UE offre alle case farmaceutiche incentivi per lo sviluppo di questi medicinali in modo che i pazienti affetti da malattie rare possano beneficiare di una qualità della terapia medica analoga a quella di altri pazienti.

Per qualificarsi per questi incentivi, la ditta deve prima presentare una domanda all'Agenzia, che, attraverso il comitato per i medicinali orfani (COMP), valuta se il medicinale deve essere o meno designato come medicinale orfano. Il parere del COMP viene inoltrato alla Commissione europea, che prende la decisione definitiva sulla designazione di medicinali orfani.

Nel 2008:

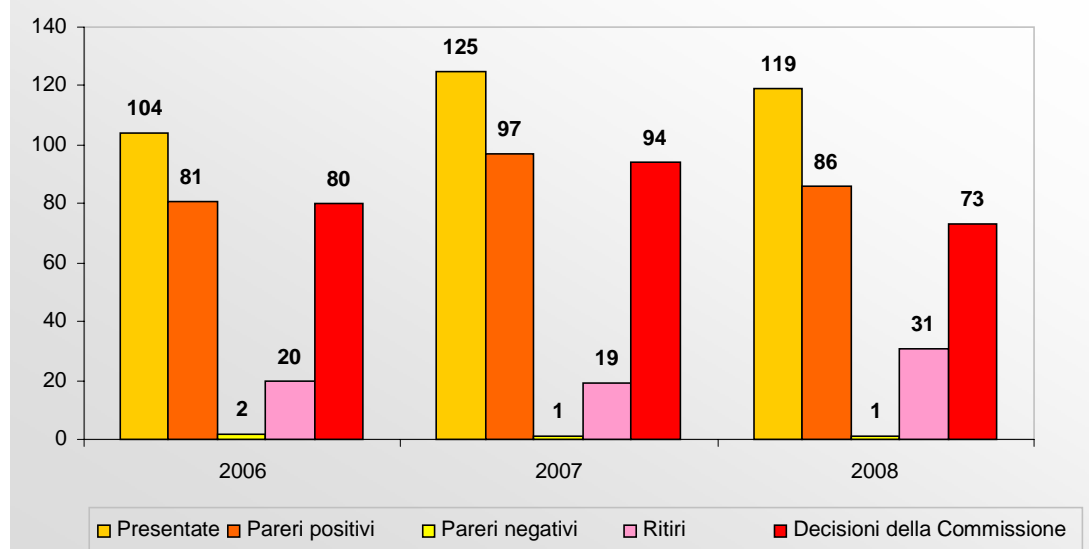
- sono state presentate all'Agenzia 119 domande di designazione di medicinali orfani;
- il COMP ha adottato 86 pareri positivi ed 1 parere negativo;
- sono stati dati più pareri positivi sulla designazione di medicinali orfani per medicinali contro il cancro rispetto a qualsiasi altro tipo di medicinale;
- quasi due terzi delle designazioni di medicinali orfani hanno riguardato medicinali per il trattamento di patologie che colpiscono i bambini.

---

<sup>3</sup> Il comitato pediatrico adotta decisioni su determinate classi di medicinali per cui non è necessario stabilire alcun PIP, ad es. medicinali destinati al trattamento di patologie che non colpiscono bambini o adolescenti (ad es. morbo di Parkinson). I richiedenti sono esenti dall'obbligo di presentare una domanda di deroga specifica per il prodotto se il medicinale per il quale richiedono un'autorizzazione all'immissione in commercio appartiene ad una di queste classi.



### Procedure di designazione di medicinali orfani (2006-2008)



#### *Pareri scientifici per i medicinali a base di piante*

L'autorizzazione dei medicinali a base di piante (piante medicinali o parti di queste, oppure preparati medicinali che le contengono) nell'Unione europea di solito avviene seguendo le procedure nazionali dei singoli paesi.

Il ruolo dell'Agenzia è quello di preparare, attraverso il comitato per i medicinali a base di piante (HMPC), pareri scientifici in merito alla qualità, la sicurezza e l'efficacia di questi medicinali, in modo da consentire l'armonizzazione delle informazioni regolatorie ad essi relative in tutta l'UE.

Nel 2008, l'HMPC:

- ha finalizzato 17 monografie comunitarie sulle piante<sup>4</sup> per medicinali a base di piante tradizionali e ben consolidati;
- ha reso disponibile per la consultazione pubblica 14 bozze di monografie comunitarie sulle piante per medicinali a base di piante tradizionali e ben consolidati;
- ha adottato 5 inserimenti nell'"Elenco comunitario di sostanze, preparati e combinazioni a base di piante da utilizzare nei tradizionali medicinali a base di piante"<sup>5</sup>. Una bozza di inserimento è stata resa disponibile per la consultazione pubblica.

<sup>4</sup> Una monografia sulle piante è una raccolta di tutte le informazioni pertinenti relative ad un medicinale a base di piante, compresa la composizione, l'uso, le precauzioni di sicurezza, ecc.

<sup>5</sup> L'"Elenco comunitario..." è un elenco ufficiale, istituito dall'HMPC ed approvato dalla Commissione europea, di sostanze e preparati a base di piante che vengono usati in medicina da tempo sufficiente e che, quindi, sono considerati non nocivi nelle normali condizioni d'uso.

## Valutazione dei medicinali per uso veterinario

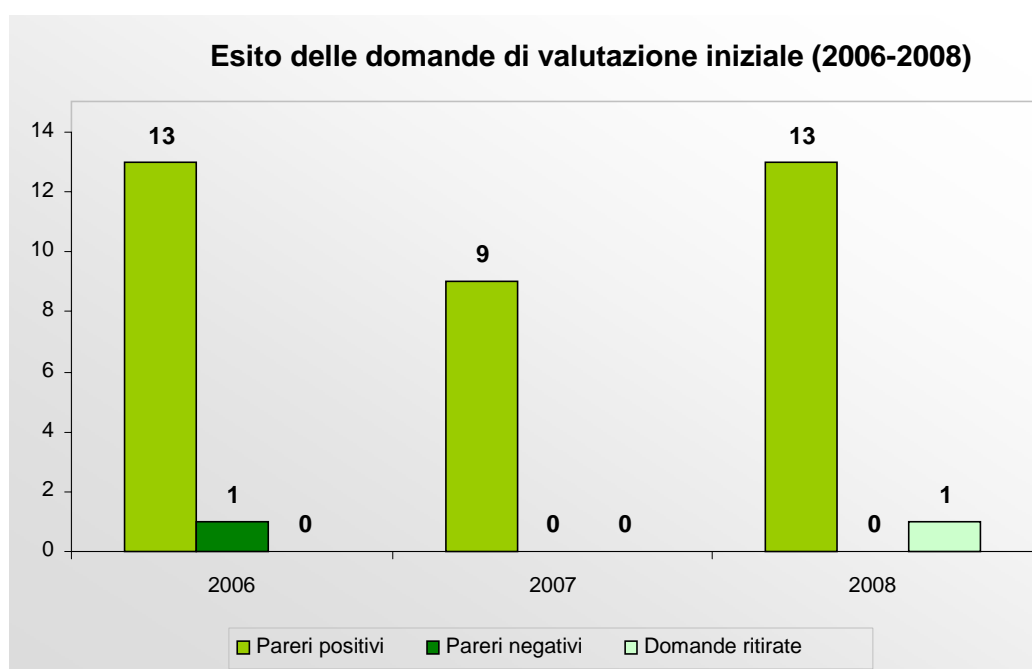
### *Tredici (13) pareri positivi adottati per nuovi medicinali veterinari*

Il numero di procedure di valutazione iniziale finalizzate dall'Agenzia in relazione ai medicinali veterinari nel 2008 è 13.

Tutte e 13 le procedure hanno portato all'adozione di pareri positivi da parte del comitato per i medicinali veterinari (CVMP) dell'Agenzia. Di queste:

- 7 si riferivano a medicinali per il trattamento di una varietà di patologie dei cani, tra cui il dolore, tumori e disturbi muscoloscheletrici;
- 1 si riferiva ad un antidolorifico per cani e gatti;
- 1 si riferiva ad un antidolorifico/antinfiammatorio per cavalli;
- 1 si riferiva ad un medicinale per il trattamento delle malattie respiratorie nei bovini;
- 1 si riferiva ad un vaccino per la prevenzione del virus del Nilo occidentale in cavalli e pony;
- 1 si riferiva ad un medicinale per combattere il circovirus suino nei maiali;
- 1 si riferiva ad un medicinale per il trattamento della mastite bovina nei bovini.

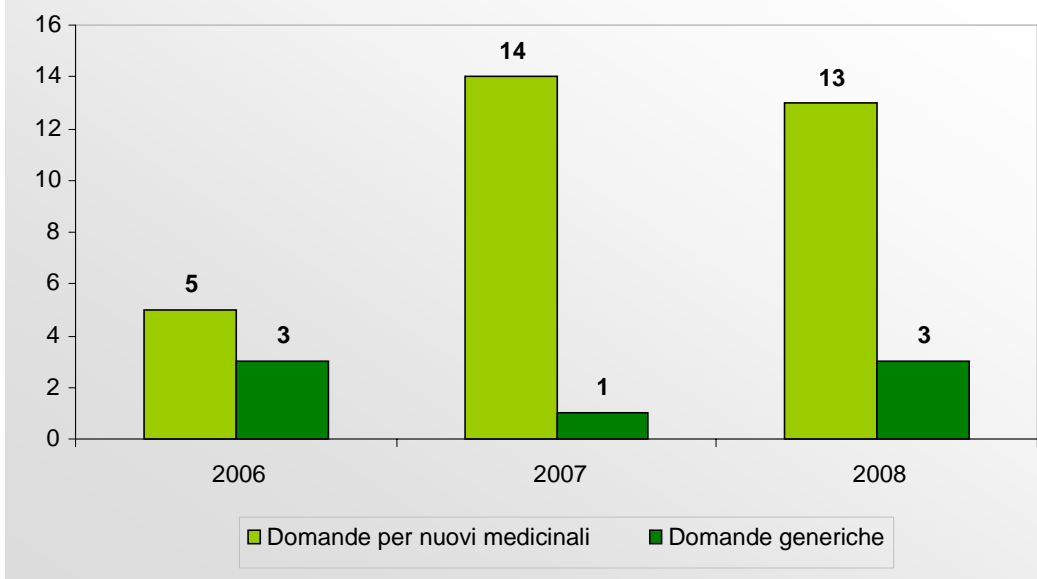
Una sola altra domanda è stata ritirata dal richiedente prima del termine della procedura di valutazione.



### *Il numero di domande di valutazione iniziale ricevute per i medicinali veterinari rimane stabile*

Il volume delle domande ricevute dall'Agenzia nel 2008 per la valutazione iniziale di nuovi medicinali veterinari era, con 16 domande, simile a quello osservato nel 2007. Tre di queste domande riguardavano versioni generiche di medicinali già autorizzati.

### Domande di valutazione iniziale ricevute (2006-2008)

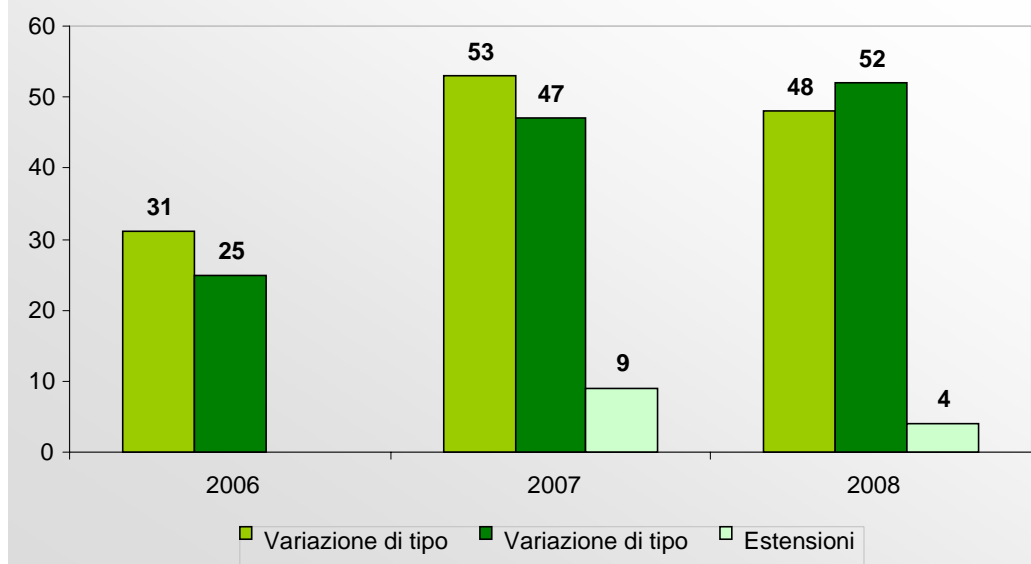


*Il volume di procedure post-autorizzazione avviate per i medicinali veterinari rimane stabile*

Nel 2008 sono state ricevute in totale 104 domande di valutazione post-autorizzazione di medicinali veterinari — leggermente meno delle 109 ricevute nel 2007.

Circa la metà di queste domande si riferiva a variazioni di tipo I (modifiche minori) e metà a variazioni di tipo II (modifiche importanti). Quattro erano domande di estensione della linea.

### Domande post-autorizzazione ricevute (2006-2008)

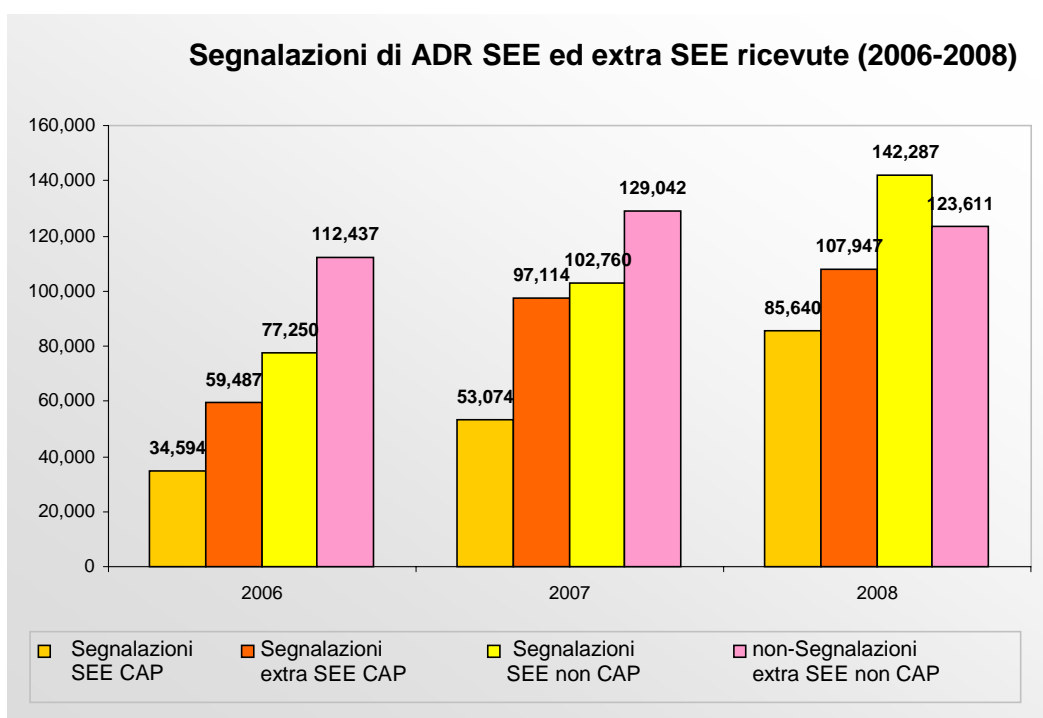


## Monitoraggio della sicurezza dei medicinali

### Segnalazione in EudraVigilance

Nel 2008, sono state inserite in EudraVigilance in totale 459 485 segnalazioni di reazioni avverse ai farmaci (ADR) associate all'uso di medicinali nell'uomo. Tali segnalazioni coprono tutte le reazioni avverse (effetti collaterali indesiderati) che sono state osservate, nello Spazio economico europeo (SEE)<sup>6</sup> o in altre parti del mondo e riguardano sia i medicinali con autorizzazione centralizzata<sup>7</sup> che quelli con autorizzazione non centralizzata (indicati rispettivamente con 'CAP' e 'non CAP' nel grafico di seguito).

Il sistema di segnalazione EudraVigilance, gestito dall'Agenzia europea per i medicinali, consente di sorvegliare continuamente la sicurezza dei medicinali autorizzati per poter prendere rapidamente gli opportuni provvedimenti regolatori, ad es. la sospensione di un'autorizzazione all'immissione in commercio, ogni qualvolta si presentano rischi per la salute pubblica.



### Segnalazione in EudraVigilance per i medicinali veterinari

Esiste un sistema equivalente che si chiama EudraVigilance per i medicinali veterinari per ricevere segnalazioni di reazioni avverse derivanti dall'uso di medicinali veterinari autorizzati.

Nel 2008 sono state registrate in totale 1 943 segnalazioni di reazioni avverse negli animali nell'EudraVigilance per i medicinali veterinari, di cui 1 712 si riferivano a reazioni in animali da compagnia (971 nei cani e 704 nei gatti) e 231 in animali destinati alla produzione alimentare (mucche, maiali, ecc.). Altre 308 segnalazioni si riferivano a reazioni avverse nell'uomo in seguito all'esposizione a medicinali veterinari.

<sup>6</sup> Lo Spazio economico europeo comprende i 27 Stati membri dell'Unione europea, più Islanda, Liechtenstein e Norvegia.

<sup>7</sup> I medicinali con autorizzazione centralizzata sono quelli che sono stati approvati contemporaneamente in tutti i paesi del SEE, attraverso procedure attuate dall'Agenzia europea per i medicinali, mentre i medicinali autorizzati con procedura non centralizzata sono stati approvati separatamente da uno o più paesi del SEE.

### *Esame dei rapporti periodici di aggiornamento sulla sicurezza per medicinali per uso umano e veterinari*

Oltre a tenere sotto controllo le segnalazioni di reazioni avverse, l'Agenzia esamina anche i rapporti periodici di aggiornamento sulla sicurezza che i titolari delle autorizzazioni all'immissione in commercio sono obbligati a presentare per quanto riguarda i loro medicinali autorizzati con procedura centralizzata. Questi rapporti contengono tutti i dati noti sulla sicurezza relativi all'uso del medicinale in questione, comprese le informazioni che si rendono disponibili attraverso ulteriori studi condotti dopo che il medicinale è stato autorizzato.

Nel 2008, l'Agenzia ha esaminato 391 rapporti di questo tipo relativi a medicinali per uso umano e 91 relativi a medicinali veterinari.

### *Attuazione della strategia europea di gestione dei rischi*

La strategia europea di gestione dei rischi è una strategia sviluppata dall'Agenzia e dai suoi partner della rete regolatoria europea per i medicinali. Il suo obiettivo è quello di attuare provvedimenti che consentano il rilevamento precoce, la valutazione, la minimizzazione e la comunicazione dei rischi associati ai medicinali nel corso del loro ciclo di vita.

La principale iniziativa intrapresa nel 2008 nel contesto di questa strategia è stata l'introduzione di un sistema di notifica precoce per migliorare la comunicazione tra le varie autorità regolatorie europee e con la FDA degli Stati Uniti sul provvedimento regolatorio previsto da prendere in risposta ai problemi di sicurezza (emergenti). Questo sistema consente all'Agenzia e ai suoi partner di adottare un approccio più proattivo e coerente alla comunicazione dei problemi di sicurezza all'interno della rete.

## Sostegno dell'innovazione e della disponibilità di medicinali

### *Sostegno alle PMI*

Le piccole e medie imprese (PMI) operanti nel settore farmaceutico umano e veterinario sono spesso innovatori di nuove tecnologie e terapie emergenti. Per questo motivo, sono state realizzate norme speciali nella legislazione dell'UE per offrire incentivi finanziari a queste aziende, compresa la riduzione o la dilazione delle tariffe da versare all'Agenzia per procedure regolatorie quali domande di autorizzazione all'immissione in commercio oppure, nel caso dei medicinali veterinari, per stabilire i limiti massimi di residui<sup>8</sup>.

Un Ufficio PMI dedicato all'interno dell'Agenzia offre sostegno alle PMI su queste questioni e questioni affini per aiutarle a potenziare al massimo i benefici di cui possono godere e, quindi, contribuisce a promuovere l'innovazione di nuovi medicinali e a migliorarne la disponibilità per i pazienti.

Nel 2008, l'ufficio PMI:

- ha pubblicato una versione rivista e aggiornata della Guida per le PMI sul sito web dell'Agenzia;
- ha continuato con il suo lavoro di identificazione di specifiche esigenze di orientamento relative alle terapie avanzate;
- ha rivisto ed approvato 84 domande di PMI per la riduzione o la dilazione delle tariffe;
- ha elaborato 337 domande di qualifica o rinnovo dello status di PMI;
- ha ricevuto 85 richieste di assistenza amministrativa.

### *Consulenza scientifica a sostegno dello sviluppo dei medicinali*

L'Agenzia contribuisce ad accelerare la disponibilità di medicinali attraverso la consulenza scientifica offerta alle aziende.

In qualunque fase dello sviluppo di un medicinale, una ditta può richiedere consulenza scientifica su come condurre al meglio i vari studi e le sperimentazioni necessarie per dimostrare la qualità, la sicurezza e l'efficacia del prodotto, migliorando, così, le probabilità di ottenere un'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Una forma speciale di consulenza scientifica, chiamata assistenza nell'elaborazione del protocollo, può essere offerta per aiutare chi sviluppa medicinali designati orfani a dimostrare che il medicinale in questione offre un beneficio significativo rispetto ad altri trattamenti disponibili, una condizione necessaria per ottenere un'autorizzazione all'immissione in commercio per un medicinale orfano.

Nel 2008, l'Agenzia, attraverso i suoi comitati scientifici e gruppi di lavoro competenti:

- ha finalizzato un numero record di 328 richieste di consulenza scientifica e di assistenza nell'elaborazione del protocollo relative a medicinali per uso umano (aumento del 14% rispetto al numero di richieste finalizzate nel 2007);
- ha ricevuto 320 richieste nuove o di follow-up di consulenza scientifica o di assistenza nell'elaborazione del protocollo relative a medicinali per uso umano;
- ha ricevuto 5 richieste di consulenza scientifica relativa a medicinali veterinari.

### *Preparazione per l'istituzione del comitato per le terapie avanzate*

L'Agenzia ha dedicato sforzi considerevoli nel 2008 all'istituzione del suo sesto comitato scientifico — il comitato per le terapie avanzate (CAT) — e ad attuare tutte le procedure pertinenti e mettere insieme il personale in anticipo sulla riunione inaugurale del comitato a gennaio 2009.

---

<sup>8</sup> Limite massimo di residui: concentrazione massima accettabile del residuo di un medicinale in un prodotto alimentare derivato da un animale sottoposto a trattamento.

L'istituzione del comitato CAT è stata concordata nel regolamento per le terapie avanzate dell'UE<sup>9</sup> — una nuova e importante normativa che introduce procedure speciali per la valutazione e l'autorizzazione di 'medicinali per terapie avanzate' — medicine derivanti dalla terapia genica, dalla terapia cellulare somatica o dall'ingegneria tissutale — che offrono ai pazienti opzioni terapeutiche innovative.

## **Rafforzamento della collaborazione con partner europei ed internazionali**

### *Rafforzamento della rete europea dei medicinali*

La rete europea dei medicinali è una partnership di oltre 40 autorità regolatorie nazionali dello Spazio economico europeo. Collettivamente, queste organizzazioni partner offrono la competenza scientifica migliore disponibile per garantire un solido sistema regolatorio per i medicinali in Europa. È da questa rete che arriva la maggior parte degli esperti che diventano membri di comitati scientifici, gruppi di lavoro e affini dell'Agenzia.

Nel contesto delle continue iniziative atte al rafforzamento dell'efficienza della rete, l'Agenzia nel 2008 si è concentrata su:

- miglioramento della pianificazione delle risorse, specialmente fornendo regolarmente calcoli delle risorse richieste per le prossime domande di procedure regolatorie;
- miglioramento dell'organizzazione delle riunioni presso l'Agenzia, in particolar modo migliorando la disponibilità di attrezzature di video- e teleconferenza, riducendo, così, la necessità di far viaggiare gli esperti per raggiungere la sede dell'Agenzia;
- miglioramento dello sviluppo di competenze, in particolar modo offrendo una serie di corsi di formazione per esperti e addetti alla valutazione su una varietà di argomenti specialistici.

### *Rafforzamento della collaborazione con partner internazionali*

Le autorità regolatorie per i medicinali di tutto il mondo hanno lo stesso obiettivo di stabilire procedure adeguate per lo sviluppo, la verifica, l'autorizzazione e la sorveglianza dei medicinali, nell'interesse della tutela della popolazione che rappresentano. Così facendo, affrontano anche sfide molto simili e, mettendo insieme le loro esperienze, condividendo le informazioni, scambiandosi competenze e armonizzando le loro pratiche regolatorie, hanno migliori probabilità di superare quelle sfide.

L'Agenzia s'impegna in un intenso programma annuale di attività con i suoi partner regolatori e scientifici in Europa, e con le loro controparti di altri continenti, per contribuire a queste attività globali per medicinali migliori e più sicuri.

Nel 2008, le attività principali di collaborazione con partner internazionali sono state:

- partecipazione ad una serie di progetti gestiti dall'Organizzazione Mondiale della Sanità, in particolar modo il programma 'Medicine appropriate per i bambini' che mira a gestire la necessità di una migliore disponibilità di medicinali sicuri per i bambini;
- un programma di attività in corso ideato per aiutare le autorità regolatorie di Croazia, Turchia e l'ex Repubblica jugoslava di Macedonia a prepararsi per l'integrazione nella rete europea dei medicinali al momento in cui questi paesi verranno annessi all'UE;
- ulteriori contributi ad una serie di attività con i partner della Conferenza internazionale sull'armonizzazione dei requisiti tecnici per la registrazione di prodotti farmaceutici per uso umano (ICH) e veterinario (VICH) tripartita (UE-USA-Giappone).
- una serie di scambi di informazioni con le autorità per i medicinali di Stati Uniti, Canada e Giappone, nel contesto degli accordi di riservatezza firmati tra l'UE e questi paesi;
- nomina di un funzionario per i rapporti internazionali che soprintenda all'ulteriore sviluppo delle attività dell'Agenzia con i suoi partner internazionali.

---

<sup>9</sup>[Regolamento \(CE\) n. 1394/2007 sui medicinali per terapie avanzate.](#)

## **Interazione con pazienti, consumatori e medici/operatori sanitari**

Medici/operatori sanitari, pazienti ed altri consumatori di medicinali sono le parti interessate fondamentali del lavoro dell'Agenzia perché, oltre ad essere gli utenti finali principali dei medicinali e delle informazioni sui medicinali di cui è responsabile l'Agenzia, hanno conoscenze e competenze specifiche da offrire a loro volta all'Agenzia.

L'Agenzia s'impegna a mantenere un forte rapporto di collaborazione con queste importanti parti interessate e ha creato una serie di meccanismi per coinvolgerle in una varietà di attività, tra cui:

- partecipazione alle riunioni del gruppo di lavoro di pazienti e consumatori o del gruppo di lavoro di medici/operatori sanitari.
- controllo della qualità delle informazioni sui medicinali autorizzati;
- assistenza nella preparazione di documenti guida regolatori e procedurali;
- offerta di raccomandazioni all'Agenzia e ai suoi comitati scientifici su tutte le questioni di loro interesse diretto o indiretto.

### *Miglioramento delle opportunità d'interazione*

Le energie spese nel 2008 per migliorare ulteriormente il coinvolgimento di medici/operatori sanitari, pazienti e consumatori nelle attività dell'Agenzia sono state:

- estensione dell'ambito di coinvolgimento di pazienti e consumatori nell'analisi della qualità dei foglietti illustrativi (le informazioni contenute nella confezione di un medicinale);
- collaborazione con pazienti e consumatori per stabilire, attraverso un sondaggio, il livello di soddisfazione per il loro attuale coinvolgimento nelle attività dell'Agenzia;
- integrazione dei suggerimenti ricevuti da medici/operatori sanitari, pazienti e consumatori nello sviluppo della strategia di comunicazione dell'Agenzia.



## Promozione della trasparenza, della comunicazione e della divulgazione d'informazioni

### *Offerta di un maggiore accesso alle informazioni dell'Agenzia*

Le attività condotte nel 2008 per garantire una maggior trasparenza dei documenti e dei dati controllati dall'Agenzia sono state:

- discussione all'interno del consiglio di amministrazione dell'Agenzia in merito alla pubblicazione dei documenti. È stato convenuto che, a partire da marzo 2009, i documenti non riservati del consiglio, compresi ordini del giorno e verbali, saranno pubblicati sul sito web dell'Agenzia<sup>10</sup> dopo le singole riunioni del consiglio;
- preparazione e pubblicazione per la consultazione di una politica di accesso ai documenti, che prevede la possibilità per il pubblico di richiedere l'accesso a qualsiasi documento prodotto o ricevuto e conservato dall'Agenzia;
- preparazione e pubblicazione per la consultazione di una politica sui livelli di accesso adeguati da parte di autorità regolatorie, medici/operatori sanitari, pazienti, industria farmaceutica e pubblico generale alle informazioni contenute in EudraVigilance — il database dell'UE delle reazioni avverse ai medicinali;
- preparazione per la futura offerta di accesso a determinati dati contenuti in EudraCT — il database dell'UE delle informazioni sugli studi clinici — e preparazione di un piano di attuazione per adattare i sistemi informatici in modo da consentire tale accesso.

### *Miglioramento delle comunicazioni dell'Agenzia sul web*

Nel 2008 è stato lanciato il progetto PFOI (public-facing online information project) per iniziare una completa revisione del sito web pubblico dell'Agenzia. Questo processo intende migliorare in misura considerevole la presentazione e la funzionalità del sito web, e migliorare la qualità del contenuto accessibile attraverso il sito.

Questo progetto prevederà la consultazione con i principali interlocutori dell'Agenzia, compresi i pazienti, i medici/operatori sanitari, le autorità regolatorie e le case farmaceutiche e prevede di realizzare un nuovo sito web entro la fine del 2009.

Nel frattempo, nel corso dell'anno, sono stati apportati costanti miglioramenti alle comunicazioni dell'Agenzia via internet, tra cui:

- lancio del sito web ENCePP<sup>11</sup>, dedicato alle attività della nuova rete ENCePP (European Network of Centres for Pharmacoepidemiology and Pharmacovigilance), coordinata dall'Agenzia;
- creazione di una nuova sezione 'Linee guida regolatorie e procedurali'<sup>12</sup> del sito web pubblico dell'Agenzia, intesa a fornire un pratico accesso ai principali documenti guida regolatori e procedurali relativi al funzionamento della procedura di autorizzazione centralizzata;
- creazione di una sezione 'Medicinali per gli anziani' sul sito web pubblico dell'Agenzia<sup>13</sup>, dedicata alla divulgazione di informazioni sul lavoro che l'Agenzia sta svolgendo insieme ai suoi partner per sviluppare norme armonizzate per lo sviluppo, la verifica, l'approvazione e l'uso di medicinali per gli anziani.

---

<sup>10</sup> Documenti del consiglio di amministrazione:

[http://www.emea.europa.eu/htms/general/manage/MB/MB\\_documents.html](http://www.emea.europa.eu/htms/general/manage/MB/MB_documents.html)

<sup>11</sup> Sito web dell'ENCePP: <http://www.encepp.eu>

<sup>12</sup> 'Guida regolatoria e procedurale': <http://www.emea.europa.eu/htms/human/raguidelines/intro.htm>

<sup>13</sup> 'Medicinali per gli anziani': <http://www.emea.europa.eu/htms/human/elderly/introduction.htm>

## Numeri relativi alle entrate e al personale

### Entrate aumentate del 10,7%

Le entrate complessive dell'Agenzia nel 2008 sono state di 182 895 000 euro — leggermente sopra il 10% in più rispetto al 2007.

La tabella di seguito mostra una suddivisione dettagliata delle entrate dell'Agenzia per il 2007 e il 2008, insieme alle cifre previste per il 2009.

	2007		2008		2009 (previsione)	
	€'000	%	€'000	%	€'000	%
<b>Entrate</b>						
Tariffe	111 753	67,61	126 318	69,07	138 966	73,65
Contributo generale dell'UE	39 750	24,05	39 997	21,87	36 390	19,29
Contributo speciale dell'UE per i medicinali orfani	4 892	2,96	6 000	3,28	5 500	2,91
Contributo del SEE	789	0,48	956	0,52	888	0,47
Programmi comunitari	583	0,35	600	0,33	300	0,16
Altro	7 522	4,55	9 024	4,93	6 645	3,52
<b>ENTRATE TOTALI</b>	<b>165 289</b>	<b>100,00</b>	<b>182 895</b>	<b>100,00</b>	<b>188 689</b>	<b>100,00</b>

### Personale aumentato del 14%

Il numero totale di persone impiegate dall'Agenzia alla fine del 2008, comprensivo di personale ordinario più agenti contrattuali, esperti in visita, incaricati provvisori e tirocinanti era 624, o circa il 14% in più dei 547 impiegati del 2007.

