



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

7 agosto 2015  
EMA/372768/2015  
Vicedirettore esecutivo

## Introduzione al programma di lavoro 2015 dell'Agencia

Di Andreas Pott, vicedirettore esecutivo

### Priorità dell'EMA e principali influenze

Il sistema di regolamentazione del settore dei medicinali in Europa si basa su una rete di cui fanno parte circa 50 autorità di regolamentazione nel settore dei medicinali per uso umano e veterinario ("autorità nazionali competenti" o ANC) di 31 paesi dello Spazio economico europeo e l'Agencia europea per i medicinali. La rete dispone della consulenza di migliaia di esperti provenienti dagli Stati membri europei, pertanto può avvalersi delle migliori competenze del settore per lo svolgimento dell'attività di 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 descritte nel presente programma di lavoro influiranno anche sulle autorità nazionali e sulla loro attività.

### Principali influenze

L'ambiente in cui opera l'Agencia è in costante mutamento ed evoluzione. Il lavoro dell'Agencia è influenzato da fattori quali i progressi e la maggiore complessità nello sviluppo dei medicinali, la globalizzazione, il ruolo sempre più importante che rivestono i social media come fonte di informazioni, le aspettative più elevate per quanto riguarda la trasparenza, modifiche legislative chiave e l'incessante impegno a favore di una maggiore efficienza.

Quest'anno, nel 2015, si festeggia il 20° anniversario dell'inaugurazione dell'EMA e l'inizio non solo dell'approvazione centralizzata dei medicinali ma anche dell'intera rete dei medicinali europea. Sarà anche un'opportunità per considerare tutti i risultati conseguiti in questi 20 anni nell'ambito della promozione della salute pubblica e animale e per gettare le basi per i progetti futuri.

### Progressi scientifici e gestione delle complessità per facilitare l'accesso dei pazienti ai farmaci

Nel campo dello sviluppo dei farmaci, i continui progressi e l'utilizzo di conoscenze e tecnologie all'avanguardia nello sviluppo di medicinali sempre più mirati e personalizzati nonché l'integrazione dello sviluppo e dell'utilizzo di medicinali e dispositivi medici contribuiscono ad aumentare la



complessità della consulenza scientifica e di altre attività dell'Agenzia. Una parte importante dell'ordine del giorno dell'Agenzia continuerà a essere lo stretto monitoraggio di tali sviluppi e l'impegno a garantire la disponibilità delle competenze necessarie.

Allo stesso tempo, si sta evolvendo il volto dell'industria farmaceutica, con un aumento del numero delle piccole o medie imprese (PMI) che si occupano delle prime fasi dello sviluppo dei medicinali. In questo contesto, per garantire che un maggior numero di farmaci potenziali possa essere distribuito ai pazienti che ne hanno bisogno, è necessario adattare e semplificare i nostri processi e approcci rendendoli più aperti, flessibili e snelli per gli sponsor, in particolare per le PMI.

Le sempre maggiori aspettative di pazienti e professionisti del settore sanitario riguardo alla disponibilità di medicinali per la cura di diverse patologie insieme alla continua necessità di una risposta flessibile e rapida che contrasti le minacce per la salute pubblica, sottolineano l'importanza di garantire ai pazienti un accesso più rapido ai farmaci sul mercato, mantenendo al tempo stesso invariata la qualità delle valutazioni scientifiche.

Per gestire le tendenze scientifiche e sociali sopra descritte, l'Agenzia sta rafforzando il proprio sostegno allo sviluppo a favore di vari gruppi di parti interessate e ha intrapreso diverse iniziative al fine di instaurare sollecitamente un dialogo che promuova lo sviluppo farmacologico e migliori i percorsi normativi per garantire ai pazienti un rapido accesso ai medicinali. È previsto anche il supporto integrato alle prime fasi dello sviluppo farmacologico, ossia consulenza scientifica legalmente stabilita, assegnazione della qualifica di medicinale orfano, procedure pediatriche e sostegno alle PMI. Inoltre, l'Agenzia sta esaminando gli strumenti normativi esistenti e il loro utilizzo al fine di consentire ai pazienti l'accesso a medicinali per patologie con esigenze mediche ancora insoddisfatte e sta studiando concetti quali percorsi adattivi e meccanismi specifici per sostenere i medicinali innovativi con un alto potenziale per la sanità pubblica.

Oltre alle PMI, anche il mondo accademico e i partenariati pubblico-privati stanno contribuendo in maniera sempre più rilevante all'innovazione nel campo dei medicinali. La sempre più impellente necessità che industria e mondo accademico affrontino i regolatori in una fase precoce del loro impegno aumenta l'importanza del ruolo che svolge l'Agenzia nel facilitare tale contatto e garantire una condivisione sollecita delle conoscenze. A questo scopo, l'Agenzia rafforzerà il proprio supporto anche a questo gruppo di parti interessate.

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

L'efficienza è la chiave per il successo delle attività dell'Agenzia e per la gestione del maggior numero di responsabilità e della maggiore complessità delle procedure normative. Le crescenti interdipendenze tra comitati e discipline scientifiche nell'ambito del processo decisionale sottolineano ulteriormente la necessità di semplificare e allineare costantemente i processi, di migliorare la garanzia e il controllo della qualità, di aumentare la solidità dei processi e di garantire procedure valutative più efficaci. Nel 2015 l'Agenzia si baserà sul proprio recente programma per aumentare efficacia ed efficienza delle attività. I processi rivisti e migliorati e le più efficienti modalità di lavoro saranno incorporati all'interno di tutta l'organizzazione come parte del processo di transizione verso la fase di miglioramento continuo.

Il processo di valutazione dei medicinali è in costante evoluzione. Nei prossimi anni aumenterà la necessità di tenere conto di aspetti quali i valori e le preferenze dei pazienti, le esigenze di altre parti interessate (ad esempio organismi di valutazione delle tecnologie sanitarie o HTA) al momento della pianificazione dei programmi di ricerca clinica e delle misure post-autorizzazione, dell'impatto di dati e prove basati sulla "vita reale" e di altri aspetti. Ciò influirà sulle modalità di valutazione dei medicinali utilizzate dai comitati scientifici e, di conseguenza, sul carico di lavoro per l'Agenzia, sia per quanto riguarda il suo impegno a supporto della valutazione scientifica da parte dei comitati sia per quanto

riguarda il suo ruolo di fornitore chiave di orientamenti formativi, tecnici e metodologici in ambito scientifico. Sarà necessario avvalersi di solidi processi interni e garantire l'ampliamento delle capacità globali della Rete.

Nell'ambito dei continui sforzi profusi al fine di soddisfare la richiesta di una maggiore efficienza operativa, aumentando al contempo il livello dei servizi offerti dall'Agenzia, la gestione dei dati è diventata un'attività chiave per la creazione di un ambiente integrato e condiviso in grado di fornire una fonte di dati unica, accurata e coerente all'Agenzia, ai suoi partner e alle parti interessate. Per l'Agenzia, l'attuazione del programma di integrazione dei dati è l'attività chiave in quest'area.

### **La rete europea di regolamentazione dei farmaci**

La rete europea di regolamentazione dei farmaci (la Rete) rappresenta il pilastro delle attività e del successo del sistema europeo. Come conseguenza dello sviluppo scientifico, l'Agenzia prevede per i prossimi anni un aumento significativo delle proprie attività, sia in termini di volumi (ad esempio consulenza scientifica e farmacovigilanza) sia in termini di complessità dei prodotti, delle procedure e delle tematiche scientifiche. L'aumento del carico di lavoro richiederà una maggiore partecipazione da parte delle ANC. Allo stesso tempo, la capacità di gestire il maggiore carico di lavoro è talvolta limitata dall'attuale capacità della Rete e trovare soluzioni sostenibili per mantenere e aumentare tale capacità rivestirà un'importanza fondamentale.

Per affrontare tali sviluppi, l'Agenzia continua a consolidare e migliorare la propria collaborazione con le ANC e il proprio supporto in loro favore attraverso varie iniziative, ad esempio un programma rivisto di sviluppo delle competenze e della formazione in cooperazione con le autorità nazionali, la promozione del programma di esperti nazionali e alcuni progetti a sostegno del lavoro, dell'efficacia e dell'efficienza delle ANC che diano priorità al proprio programma di sviluppo delle tecnologie informatiche.

Le ANC e l'Agenzia dovranno anche prepararsi per la prossima revisione della normativa fiscale al fine di garantire alla Rete i finanziamenti e la sostenibilità adeguati.

### **Globalizzazione**

Continuerà la tendenza che vede sempre un maggior numero di siti produttivi ubicati al di fuori dell'UE e di studi clinici condotti al di fuori dei paesi europei. Quindi, l'impegno necessario a garantire che i farmaci testati e prodotti al di fuori dell'UE rispettino i requisiti europei farà sì che tutti gli sforzi si concentrino sullo sviluppo e il rafforzamento della collaborazione con i partner internazionali per quanto riguarda controlli collaborativi, scambio di informazioni, creazione di capacità e maggiore fiducia reciproca. Come conseguenza della maggiore complessità e globalizzazione delle catene di fornitura dei medicinali, saranno necessari anche uno scambio di informazioni più efficace e una cooperazione più stretta e più agevole tra le autorità, al fine di garantire l'integrità di prodotti e dati e la continuità della catena di fornitura dei medicinali.

Allo stesso tempo, si è sempre più consapevoli della necessità di evitare la duplicazione del lavoro svolto dai regolatori in tutto il mondo e di utilizzare le risorse in modo più efficace. Pertanto l'Agenzia sosterrà ulteriormente tutti gli sforzi volti ad aumentare la condivisione del lavoro internazionale in ogni area nonché la convergenza delle prassi e del lavoro internazionali all'interno delle coalizioni internazionali per incoraggiare un utilizzo migliore e più efficace delle risorse normative globali.

### **Legislazione in materia di farmacovigilanza e sperimentazione clinica**

Gli ultimi punti della legislazione UE sulla farmacovigilanza saranno implementati nel corso del 2015 e del 2016. In seguito alla piena attuazione della legislazione, aumenterà il ruolo di coordinamento dell'Agenzia nel monitoraggio di tutti i medicinali europei, indipendentemente dal loro iter di autorizzazione, e quindi anche l'ambito delle responsabilità dell'Agenzia nel settore della

farmacovigilanza. Nell'ambito di tale cambiamento, nei prossimi anni aumenterà significativamente il volume di dati e informazioni da gestire e il numero di procedure da seguire. Allo scopo di affrontare questa situazione e migliorare le attività di farmacovigilanza e la sicurezza dei pazienti europei, l'Agenzia svilupperà ulteriori fonti di dati.

Il regolamento sulle sperimentazioni cliniche pubblicato nel maggio del 2014 ha visto assegnare all'Agenzia la responsabilità dello sviluppo dei sistemi necessari all'attuazione del regolamento stesso. Di conseguenza, nei prossimi anni una delle aree di interesse chiave dell'Agenzia sarà lo sviluppo del portale e della banca dati UE sulle sperimentazioni cliniche e di altri sistemi associati.

### **Legislazione sui medicinali veterinari**

Si prevede che la revisione della legislazione UE sui medicinali veterinari, condotta allo scopo di semplificare enormemente i requisiti normativi mantenendo al contempo un elevato livello di protezione della salute umana e animale, influenzerà le attività dell'Agenzia, una volta adottata la legislazione. Si prevede che le discussioni proseguiranno durante i prossimi anni e che la legislazione verrà adottata nel 2016. Pertanto l'Agenzia continuerà a fornire supporto tecnico alla Commissione europea (la "Commissione" o CE) nell'ambito dei dibattiti con il Parlamento europeo e il Consiglio in merito alla loro proposta di revisione della legislazione veterinaria, e in merito alle modifiche al contesto per l'autorizzazione di medicine veterinarie innovative, alla semplificazione della gestione post-autorizzazione dei prodotti veterinari, alla farmacovigilanza e ad altri aspetti. La pianificazione di modifiche all'interno dell'Agenzia, come conseguenza dell'attuazione della legislazione rivista, inizierà nel 2015.

### **La resistenza agli antimicrobici e altre minacce per la salute pubblica**

La resistenza agli antimicrobici (AMR) è un problema crescente per l'uomo e gli animali. La situazione è aggravata dal fatto che negli ultimi anni sono stati autorizzati pochi nuovi medicinali antimicrobici. Data la gravità della questione, è stato sviluppato dall'Organizzazione mondiale della sanità (OMS) un piano di azione globale per l'AMR, portando così l'AMR sullo stesso livello di altre crisi sanitarie globali di pari importanza quali le pandemie di malattie infettive.

L'Agenzia si occupa di regolamentare sia i medicinali umani sia quelli veterinari, pertanto è particolarmente adatta a implementare l'approccio "One Health" e a seguirne l'applicazione nell'ambito dell'impegno contro l'AMR, sia attraverso il proprio lavoro sia mediante la collaborazione con i partner europei e internazionali. Pertanto l'EMA proseguirà la propria collaborazione con l'UE e i partner internazionali in relazione a un numero di iniziative volte a limitare la diffusione dell'AMR. Nell'ambito di tali attività, l'Agenzia continuerà a contribuire alle iniziative della task force transatlantica sulla resistenza antimicrobica (TATFAR), il cui scopo è migliorare il livello di comunicazione, coordinamento e cooperazione tra UE e Stati Uniti nella sfera degli antimicrobici umani e veterinari. L'Agenzia intende infine portare avanti l'attuazione del progetto di sorveglianza europea del consumo di antimicrobici quali medicinali veterinari (ESVAC), che raccoglie informazioni sulle modalità di utilizzo dei medicinali antimicrobici negli animali nell'UE, contribuendo a migliorare la comprensione dei fattori di rischio responsabili dello sviluppo e della diffusione della resistenza agli antimicrobici.

Inoltre l'Agenzia svilupperà e migliorerà i propri meccanismi di risposta alle crisi sanitarie pubbliche, facendo tesoro delle esperienze passate nell'ambito delle influenze pandemiche e del lavoro in corso per quanto riguarda il virus Ebola.

### **Trasparenza**

Mentre l'EMA rinnova il proprio impegno a favore della condivisione di conoscenze e informazioni con ANC, pazienti, professionisti del settore sanitario, mezzi di comunicazione e altre parti interessate, si prevede l'aumento della richiesta di dati e dell'importanza del ruolo centrale di coordinamento

dell'Agenzia, insieme al miglioramento dell'integrazione dei dati. Inoltre, le richieste delle parti interessate riguarderanno sempre di più non solo l'accesso ai dati ma anche la loro interpretazione e analisi. Ciò si traduce in un bisogno crescente di gestire e condividere dati affidabili, in particolare per sostenere il processo decisionale legislativo basato su dati fattuali fondato sulla scienza, migliorare l'utilizzo dei medicinali e soddisfare le richieste di maggiore trasparenza e apertura.

La trasparenza del processo decisionale in tutto il ciclo di vita dei medicinali continua a essere un elemento chiave. I pazienti, i consumatori e i professionisti del settore sanitario chiedono maggiori e migliori informazioni a sostegno del loro processo decisionale nonché alti livelli di trasparenza da parte del settore e dei regolatori. La società vuole vedere i risultati di studi clinici, 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, e questo influirà sulla fiducia pubblica nei confronti del lavoro svolto dall'Agenzia.

L'attuazione della politica sull'accesso ai dati clinici sarà un altro aspetto significativo delle iniziative dell'Agenzia a favore della trasparenza.

### **Tecnologia dell'informazione e social media**

La crescente tendenza di pazienti e professionisti del settore sanitario a usare Internet, comunicazioni mobili e social media per la ricerca di informazioni sui medicinali solleva la questione dell'importanza che riveste un utilizzo più ampio di questi canali di comunicazione al fine di garantire un accesso semplice, costante e tempestivo a informazioni autorevoli, affidabili e comprensibili sui medicinali.

Il ruolo crescente della tecnologia dell'informazione nel campo della salute, compreso l'utilizzo di cartelle e banche dati sanitarie elettroniche, di comunicazioni mobili e social media da parte di consumatori e professionisti del settore sanitario, richiede inoltre che i metodi di sorveglianza si evolvano al fine di contemplare tali sviluppi.

### **Priorità**

Alla luce delle influenze descritte poc'anzi e di altri fattori legati allo scenario operativo, l'Agenzia si è posta per il 2015 le seguenti priorità:

- portare le attività operative a un livello elevato di qualità, efficienza e coerenza sia in campo umano che veterinario;
- semplificare le prime fasi dello sviluppo dei medicinali sia in campo umano che veterinario;
- promuovere la cooperazione all'interno della Rete nonché con i partner europei e internazionali;
- attuare la legislazione sulla farmacovigilanza e sulle sperimentazioni cliniche;
- fornire supporto tecnico alla Commissione europea durante il processo di codicisione nell'ambito della proposta di revisione della legislazione sui farmaci veterinari del Consiglio e del Parlamento europeo;
- garantire un'efficiente gestione delle crisi e la capacità di risposta alle minacce alla salute pubblica, tra cui la resistenza agli antimicrobici e la disponibilità di trattamenti antinfettivi;
- migliorare ulteriormente la trasparenza e attuare strategie di comunicazione;
- migliorare la qualità, l'integrazione e l'accessibilità dei dati detenuti dall'Agenzia.