



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Il sistema regolatorio europeo per i medicinali

Nuovi medicinali sicuri ed efficaci per i pazienti di tutta l'Unione europea



SISTEMA REGOLATORIO EUROPEO PER I MEDICINALI

Nuovi medicinali sicuri ed efficaci per i pazienti di tutta l'Unione europea

Il presente opuscolo spiega il funzionamento del sistema regolatorio europeo per i medicinali.

Descrive le modalità di autorizzazione e monitoraggio dei farmaci¹ nell'Unione Europea (UE) e il funzionamento della rete di regolamentazione europea per i medicinali – un partenariato tra la Commissione europea, le autorità di regolamentazione dei medicinali degli Stati membri dell'UE e dello Spazio Economico Europeo (SEE), nonché l'Agenzia europea per i medicinali (EMA) – intesa a garantire che i pazienti nell'UE abbiano accesso a farmaci di elevata qualità, efficaci e sicuri.

IL SISTEMA NORMATIVO EUROPEO PER I MEDICINALI

Il sistema regolatorio europeo per i medicinali si basa su una rete di circa 50 autorità di regolamentazione dei 30 paesi del SEE (27 Stati membri dell'UE più Islanda, Liechtenstein e Norvegia), la Commissione europea e l'EMA. Questa rete è ciò che rende unico nel suo genere il sistema regolatorio dell'UE.

La rete è sostenuta da un gruppo di oltre 4000 esperti provenienti da tutta Europa, cosa che le consente di acquisire le migliori competenze scientifiche possibili e di fornire consulenza scientifica della massima qualità.

L'ampio ventaglio di esperti che si occupano della regolamentazione dei farmaci nell'UE incoraggia lo scambio di conoscenze, idee, esperienze dirette e migliori pratiche tra scienziati che si prefiggono di assicurare gli standard più elevati per la regolamentazione dei medicinali.



L'EMA e gli Stati membri collaborano e condividono le competenze nella valutazione di nuovi medicinali, nel monitoraggio della loro sicurezza e nella risposta alle emergenze di sanità pubblica. Inoltre, si sostengono reciprocamente in termini di scambio di informazioni in merito alla regolamentazione dei medicinali, ad esempio, per quanto riguarda la segnalazione dei relativi effetti indesiderati, la sorveglianza delle sperimentazioni cliniche e l'esecuzione di ispezioni presso le aziende farmaceutiche per garantire l'osservanza delle buone prassi cliniche, di fabbricazione, di distribuzione e di farmacovigilanza.

¹ La regolamentazione dei dispositivi medici non rientra nel campo di applicazione del sistema normativo europeo per i medicinali. Per informazioni sul ruolo dell'EMA nella regolamentazione dei dispositivi medici, vedere <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/medical-devices>

Questo sistema funziona perché la normativa dell'UE impone a ogni Stato membro di operare rispettando le stesse norme e gli stessi requisiti in materia di autorizzazione e monitoraggio dei medicinali.

I sistemi informatici che collegano tutte le parti della rete facilitano lo scambio di informazioni su aspetti quali il monitoraggio della sicurezza dei medicinali, l'autorizzazione e la sorveglianza di sperimentazioni cliniche e il rispetto delle buone prassi di fabbricazione e distribuzione.

Grazie alla loro stretta collaborazione, gli Stati membri riducono la duplicazione delle sperimentazioni, condividono il carico di lavoro e garantiscono una regolamentazione dei medicinali efficiente ed efficace in tutta l'UE.

AUTORIZZAZIONI ALL'IMMISSIONE IN COMMERCIO

Al fine di tutelare la salute pubblica e assicurare la disponibilità di medicinali di elevata qualità, sicuri ed efficaci per i cittadini europei, tutti i farmaci devono essere autorizzati prima di poter essere immessi sul mercato nell'UE. Il sistema europeo prevede diverse modalità per ottenere tale [autorizzazione](#).

La **procedura centralizzata** autorizza l'immissione in commercio di un medicinale sulla base di una unica procedura di valutazione e autorizzazione all'immissione in commercio a livello dell'UE, che è valida in tutta l'Unione europea. Le aziende farmaceutiche presentano un'unica domanda di autorizzazione all'EMA.

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) o il comitato per i medicinali veterinari (CVMP) dell'Agenzia effettua una valutazione scientifica della domanda e formula una raccomandazione ad uso della Commissione europea, la quale rilascia o meno l'autorizzazione all'immissione in commercio. Una volta rilasciata dalla Commissione europea, l'autorizzazione centralizzata all'immissione in commercio è valida automaticamente in tutti gli Stati membri dell'UE. Il ricorso alla procedura centralizzata è obbligatorio per la maggior

parte dei medicinali più innovativi, tra cui quelli per le malattie rare e per terapie avanzate.



Non tutti i medicinali autorizzati nell'UE rientrano nel campo di applicazione della procedura centralizzata, poiché la maggior parte di essi è autorizzata dalle autorità nazionali competenti (ANC) negli Stati membri.

L'EMA fa sì che vi sia una sola domanda, una sola valutazione, una sola autorizzazione all'immissione in commercio per tutta l'UE.

Quando un'azienda intende ottenere l'autorizzazione per un medicinale in vari Stati membri, ha la possibilità di ricorrere a una delle seguenti procedure:

- la **procedura decentrata**, nell'ambito della quale le ditte possono presentare domanda di autorizzazione simultanea di un medicinale in più di uno Stato membro dell'UE, nel caso in cui tale medicinale non sia ancora stato autorizzato in nessuno degli Stati dell'Unione e non rientri nel campo di applicazione della procedura centralizzata;
- la **procedura di mutuo riconoscimento**, nell'ambito della quale le ditte che dispongono di un medicinale autorizzato in uno Stato membro dell'UE possono chiedere che tale autorizzazione sia riconosciuta in altri paesi dell'UE. Questo processo consente agli Stati membri di fare affidamento sulle rispettive valutazioni scientifiche.

Diversi percorsi di autorizzazione: un insieme di norme comuni

Le norme e i requisiti applicabili ai prodotti farmaceutici nell'UE sono gli stessi, indipendentemente dal percorso di autorizzazione di un medicinale.

Una caratteristica importante del sistema normativo dell'UE per i medicinali è la trasparenza sulle sue modalità operative e decisionali.

Per ogni medicinale per uso umano o veterinario a cui sia stata rilasciata o negata un'autorizzazione all'immissione in commercio a seguito di una valutazione da parte dell'EMA, viene pubblicata una relazione pubblica europea di valutazione ([EPAR](#)). Anche le informazioni sulla valutazione di un medicinale autorizzato da uno Stato membro sono disponibili in una relazione pubblica di valutazione. Le EPAR sono tradotte in tutte le 24 lingue ufficiali dell'UE.

L'EMA pubblica inoltre i dati clinici presentati dalle aziende farmaceutiche a sostegno delle loro domande di autorizzazione per i medicinali per uso umano nell'ambito della procedura centralizzata. La pubblicazione proattiva dei dati clinici sul [sito web dei dati clinici](#) dell'EMA rafforza la fiducia del pubblico nei processi scientifici e decisionali dell'EMA, evita la duplicazione delle sperimentazioni cliniche e consente ad accademici e ricercatori di riesaminare i dati clinici.

PREZZI E RIMBORSO

In seguito al rilascio di un'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale, i singoli Stati membri ne decidono il prezzo e la rimborsabilità tenendo conto del ruolo e dell'impiego potenziali del medicinale nel contesto del sistema sanitario nazionale del paese.

IL RUOLO DELLA COMMISSIONE EUROPEA

La Commissione europea svolge un ruolo importante nella regolamentazione dei medicinali nell'UE. Sulla base di valutazioni scientifiche effettuate dall'EMA, essa concede o rifiuta, modifica o sospende le autorizzazioni all'immissione in commercio dei medicinali valutati con procedura

centralizzata. Può inoltre adottare provvedimenti per l'intera UE nel caso in cui venga individuato un problema per la sicurezza in relazione a un prodotto autorizzato a livello nazionale, o qualora misure di regolamentazione armonizzate in tutti gli Stati membri siano considerate necessarie a seguito di una valutazione da parte del comitato per la sicurezza dell'EMA (PRAC).

La Commissione europea può inoltre prendere misure inerenti ad altri aspetti della regolamentazione dei medicinali, quali:

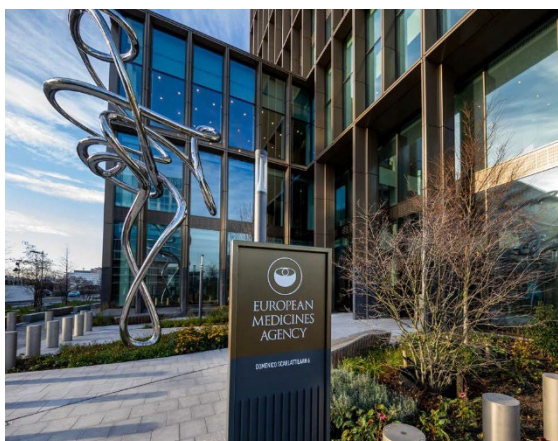
- **diritto di iniziativa** – può proporre nuovi atti legislativi o modifiche di atti già esistenti per il settore farmaceutico;
- **attuazione** – può adottare misure di esecuzione e monitorare la corretta applicazione del diritto dell'UE in materia di prodotti farmaceutici;
- **sensibilizzazione globale** – assicura un'opportuna collaborazione con i partners internazionali pertinenti e promuove il sistema regolatorio europeo a livello globale.

IL RUOLO DELL'EMA

L'EMA è responsabile della valutazione scientifica, principalmente dei medicinali innovativi e altamente tecnologici sviluppati da aziende farmaceutiche e destinati a essere utilizzati nell'UE. L'EMA è stata istituita nel 1995 al fine di garantire il miglior uso delle risorse scientifiche in tutta Europa per la valutazione, la sorveglianza e la farmacovigilanza dei medicinali.

Esperti del settore contribuiscono al lavoro dell'EMA in qualità di membri dei suoi comitati scientifici, gruppi di lavoro, gruppi consultivi scientifici e di altri gruppi consultivi ad hoc, oppure come membri dei gruppi nazionali che valutano i medicinali.

Gli esperti sono selezionati sulla base delle loro competenze scientifiche e/o della loro esperienza rispetto ad una specifica malattia e molti di loro vengono messi a disposizione dell'EMA dalle autorità nazionali competenti degli Stati membri.



Gli esperti dell'EMA non possono avere interessi finanziari o di altro tipo nell'industria farmaceutica e dei dispositivi medici che possano comprometterne l'imparzialità.

Le dichiarazioni di conflitto di interessi da loro firmate sono pubbliche.

COMITATI SCIENTIFICI DELL'EMA

L'EMA dispone attualmente di sette comitati scientifici che si occupano di svolgere le sue valutazioni scientifiche:

- comitato per i medicinali per uso umano (CHMP);
- comitato di valutazione dei rischi per la farmacovigilanza (PRAC);
- comitato per i medicinali veterinari (CVMP)
- comitato per i medicinali orfani (COMP);
- comitato per i medicinali di origine vegetale (HMPC);
- comitato per le terapie avanzate (CAT);
- comitato pediatrico (PDCO).

AUTORITÀ NAZIONALI COMPETENTI

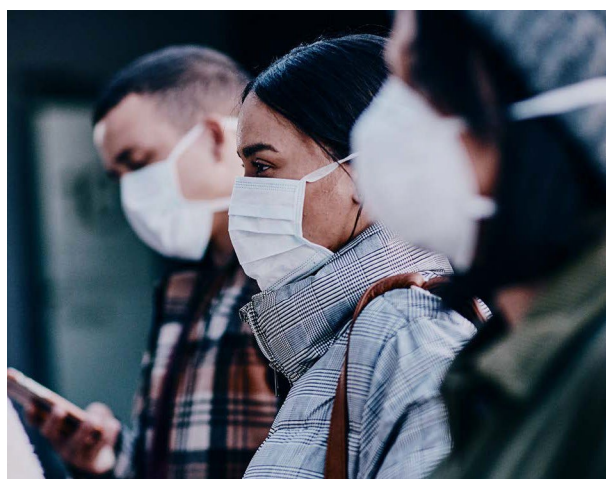
Il lavoro delle autorità nazionali competenti (ANC), responsabili della regolamentazione dei medicinali per uso umano e veterinario negli Stati membri dell'UE, viene coordinato dal forum dei **direttori delle Agenzie per i medicinali (HMA)**.

I direttori delle Agenzie per i medicinali lavorano a stretto contatto con l'EMA e la Commissione europea per massimizzare la cooperazione e garantire l'efficiente funzionamento della rete europea di regolamentazione dei medicinali. Si riuniscono quattro volte l'anno per affrontare questioni di importanza strategica, quali lo scambio di informazioni, gli sviluppi informatici e la condivisione delle migliori prassi, oltre che per semplificare il mutuo riconoscimento e le procedure decentrate.

PREPARAZIONE E GESTIONE DELLE EMERGENZE DI SALUTE PUBBLICA

L'EMA svolge un ruolo chiave sia nella preparazione che durante **eventi gravi ed emergenze di salute pubblica**, quale una pandemia, , in linea con il [regolamento \(UE\) 2022/123](#) relativo a un ruolo rafforzato dell'EMA nella preparazione alle crisi e nella loro gestione.

La [task force per le emergenze](#) (ETF) dell'EMA è un organo consultivo e di supporto e costituisce la pietra angolare della preparazione alle crisi e della risposta alle emergenze dell'Agenzia.



Fornisce consulenza agli sviluppatori di vaccini e farmaci che possano aiutare ad affrontare emergenze di sanità pubblica o che mirino a contrastare agenti patogeni in grado di causare tali emergenze; inoltre, offre supporto scientifico al fine di facilitare le sperimentazioni cliniche nell'UE per i medicinali più promettenti. Infine, rilascia inoltre raccomandazioni scientifiche per al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'EMA in merito all'uso di medicinali prima della loro autorizzazione, quali i programmi di uso compassionevole o le autorizzazioni nazionali per l'uso di emergenza, ed effettua revisioni scientifiche dei dati sui medicinali che possono essere utili per rispondere ad un'emergenza di salute pubblica.

Il [gruppo direttivo esecutivo dell'EMA per le carenze di medicinali e la relativa sicurezza](#) (Medicine Shortages Steering Group, MSSG) garantisce una risposta accurata a questioni che incidono sulla qualità, la sicurezza, l'efficacia e l'approvvigionamento dei

medicinali durante eventi gravi ed emergenze di salute pubblica².

L'MSSG monitora l'offerta e la domanda di medicinali critici per individuare carenze potenziali o effettive degli stessi e fornisce raccomandazioni e azioni di coordinamento, a livello dell'UE, volte a prevenire tali carenze o a mitigarne gli effetti. Inoltre, nel caso l'emergenza di salute pubblica o l'evento grave incida sulla qualità, sulla sicurezza o sull'efficacia dei medicinali, l'MSSG ha il compito di analizzare le informazioni disponibili e di considerare la necessità di adottare misure urgenti e coordinate nell'UE.

L'MMSG è supportato dal gruppo di lavoro del punto di contatto unico per le carenze di medicinali (SPOC), composto da rappresentanti delle autorità nazionali competenti per i medicinali, che hanno il compito di condividere con l'EMA e il suo network le informazioni sulle potenziali carenze, quanto su quelle in corso.

SOSTEGNO ALLO SVILUPPO DI MEDICINALI

L'Agenzia sostiene lo sviluppo di meccanismi regolatori per agevolare, con la massima tempestività, l'accesso dei pazienti a nuovi medicinali promettenti. L'Agenzia può inoltre fornire consulenza sui requisiti in materia di dati per garantire la disponibilità di un fascicolo completo al momento della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio.

Linee guida

L'EMA prepara delle [linee guida scientifiche](#) in collaborazione con esperti dei suoi comitati scientifici e gruppi di lavoro e in consultazione con pazienti e operatori sanitari. Tali linee guida rispecchiano le più recenti teorie sugli sviluppi della scienza biomedica. Guidano inoltre il lavoro degli sviluppatori di medicinali che desiderano presentare una domanda di autorizzazione all'immissione in commercio nell'UE e garantiscono che i medicinali siano sviluppati in modo coerente e secondo gli standards di massima qualità.

Task force per l'innovazione

La [task force per l'innovazione](#) (ITF) è un gruppo multidisciplinare che include competenze scientifiche, tecniche, metodologiche, normative e giuridiche.

² Da febbraio 2023, l'EMA è anche responsabile del monitoraggio degli eventi, della segnalazione delle carenze e del coordinamento delle risposte dei paesi dell'UE alle carenze di dispositivi medici critici e di dispositivi medico-diagnostici *in vitro* durante le emergenze di sanità pubblica.

Le riunioni informative dell'ITF consentono agli sviluppatori di medicinali, in particolare alle piccole e medie imprese e agli accademici, di avviare un dialogo molto precoce sugli aspetti scientifici, tecnici e metodologici legati allo sviluppo di medicinali innovativi.

Ciò facilita lo scambio informale di informazioni e guida il processo di sviluppo, integrazione, rafforzamento e preparazione delle procedure formali esistenti, quali la qualificazione di nuove metodologie e la consulenza scientifica.

Ufficio per le PMI

L'[ufficio per le PMI](#) fornisce incentivi e sostegno alle micro, piccole e medie imprese (PMI) che sviluppano medicinali per uso umano o veterinario, al fine di promuovere l'innovazione e lo sviluppo di nuovi farmaci. Il sostegno è disponibile per tutte le aziende e imprese a cui l'EMA abbia assegnato lo status di PMI.

Consulenza scientifica

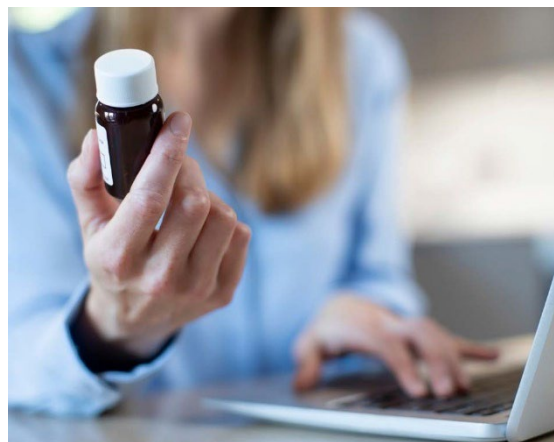
L'EMA fornisce alle aziende farmaceutiche [consulenza scientifica](#) specifica sui prodotti per lo sviluppo di medicinali. Si tratta di uno strumento importante per favorire lo sviluppo e la disponibilità di medicinali efficaci, sicuri e di alta qualità, a beneficio dei pazienti. La consulenza scientifica può essere fornita anche dalle autorità nazionali competenti.

PROGRAMMA «PRIME»

[PRIME](#) è un programma a partecipazione volontaria per sostenere lo sviluppo di medicinali che mirano a rispondere ad un bisogno medico insoddisfatto. Consente agli sviluppatori di medicinali di intraprendere un dialogo precoce e rafforza l'interazione con l'EMA per ottimizzare i piani di sviluppo. Ciò aiuta le aziende a generare dati più affidabili e accelera la valutazione di questi medicinali in modo che i pazienti possano accedervi in tempi più stretti.

COINVOLGIMENTO DEI PAZIENTI E DEGLI OPERATORI SANITARI

I pazienti e gli operatori sanitari fanno parte del consiglio di amministrazione dell'EMA e sono coinvolti nella valutazione dei medicinali durante tutto il loro ciclo di vita normativo. Apportano alle discussioni specifiche sul medicinale l'esperienza della pratica clinica e il punto di vista reale di chi convive con una malattia.



I pazienti e gli operatori sanitari sono membri dei comitati scientifici dell'EMA (CAT, COMP, PDCO, PRAC), della task force per le emergenze (ETF) e del gruppo direttivo per le carenze di medicinali (MSSG) e contribuiscono singolarmente in qualità di esperti alla consulenza scientifica e ai gruppi consultivi scientifici. Esaminano inoltre i documenti prima della loro pubblicazione e contribuiscono allo sviluppo delle guide scientifiche. I comitati scientifici possono consultare pazienti e operatori sanitari su questioni specifiche relative ad una specifica malattia. Ad esempio, il comitato per la sicurezza dell'EMA (PRAC) può organizzare [audizioni pubbliche](#) durante la revisione della sicurezza dei medicinali per acquisire punti di vista, conoscenze e approfondimenti sull'utilizzo dei medicinali nella pratica clinica.

Inoltre, L'EMA collabora strettamente con le organizzazioni europee che rappresentano i pazienti, i consumatori, gli operatori sanitari e le società scientifiche e può contare su gruppi di lavoro dedicati per lo scambio di opinioni con gli operatori sanitari (HCPWP) e con i pazienti e i consumatori (PCWP). Questi organismi apportano un contributo alle consultazioni più generali dell'EMA sulle linee guida scientifiche, nonché sulle politiche e sugli obiettivi strategici (ad esempio, strategia regolatoria scientifica, resistenza antimicrobica).

COLLABORAZIONE CON IL SETTORE ACCADEMICO

Il settore accademico rappresenta un'importante fonte di innovazione e promuove la produzione da parte delle piccole e medie imprese, nonché delle aziende farmaceutiche di grandi dimensioni. L'EMA collabora con il settore accademico per sostenere le opportunità offerte dai progressi della scienza e della tecnologia e per

garantire che le autorità di regolamentazione siano pronte ad affrontare le sfide future.

L'Agenzia offre **incentivi tariffari** al settore accademico per incoraggiare lo sviluppo di medicinali prioritari e medicinali per i pazienti affetti da malattie rare. Fornisce inoltre supporto normativo e scientifico per facilitare lo sviluppo di medicinali nuovi e innovativi.

L'EMA partecipa anche a una serie di progetti di ricerca con il settore accademico, le società scientifiche e i gruppi di ricerca nell'ambito della sua missione volta a promuovere l'eccellenza scientifica a fini regolatori.

AUTORIZZAZIONE E SORVEGLIANZA DEI PRODUTTORI

I produttori, gli importatori e i distributori di medicinali nell'UE devono essere muniti di licenza prima di poter svolgere le attività di loro competenza.



Le autorità di regolamentazione di ciascuno Stato membro sono responsabili del rilascio delle licenze per l'esecuzione di tali attività all'interno dei rispettivi territori nazionali. Tutte le licenze di fabbricazione e importazione vengono inserite nel [EudraGMDP](#), la banca dati europea, accessibile al pubblico, gestita dall'EMA.

I produttori elencati nella domanda di immissione in commercio nell'UE di un medicinale sono sottoposti a ispezione da parte di un'autorità competente dell'UE. Tra questi sono compresi i produttori situati al di fuori dell'UE, salvo il caso in cui sia in vigore un accordo di mutuo riconoscimento tra l'Unione europea e il paese di fabbricazione, che consente alle autorità dell'UE e alle loro

controparti di fare affidamento sulle rispettive ispezioni.

Gli esiti delle ispezioni sono accessibili a tutti gli Stati membri e sono resi disponibili al pubblico in tutta l'UE attraverso EudraGMDP.

L'equivalenza tra gli ispettorati degli Stati membri è garantita e mantenuta con diverse modalità, tra cui la legislazione comune, buone prassi di fabbricazione (BPF) comuni, procedure comuni per gli ispettorati, supporto tecnico, riunioni, eventi formativi, nonché audit interni ed esterni.

Per poter essere importato nell'UE, un principio attivo farmaceutico deve essere accompagnato da una certificazione scritta rilasciata dall'autorità competente del Paese di produzione, in cui si attesti che le buone prassi di fabbricazione (BPF) applicate rispettino lo standard minimo in materia di BPF riconosciuti nell'UE.

Una deroga può essere applicata ad alcuni Paesi i quali hanno presentato domanda di revisione, da parte dell'UE, del loro sistema regolatorio per la sorveglianza dei produttori di principi attivi farmaceutici e i cui sistemi siano risultati equivalenti a quello dell'UE stessa.

Prima di poter essere immesso sul mercato nell'UE, ogni lotto di medicinali deve essere dotato di una certificazione che attesti che il medicinale stesso sia stato fabbricato e testato secondo le buone prassi di fabbricazione e sia conforme all'autorizzazione all'immissione in commercio. Se il prodotto è fabbricato al di fuori dell'UE ed è stato importato, deve essere sottoposto a prove analitiche complete nell'UE, a meno che non sia in vigore un accordo di mutuo riconoscimento tra l'UE e il Paese di esportazione.

MONITORAGGIO DELLA SICUREZZA DEI MEDICINALI

Il sistema regolatorio europeo per i medicinali monitora la sicurezza di tutti i farmaci che sono disponibili sul mercato europeo per tutto il corso della loro vita.

Tutti i sospetti effetti indesiderati segnalati dai pazienti e dagli operatori sanitari devono essere inseriti in EudraVigilance, la banca dati dell'UE gestita dall'EMA che raccoglie, gestisce e analizza le segnalazioni di sospetti effetti indesiderati dei medicinali. Questi dati sono continuamente monitorati dall'EMA e

dagli Stati membri al fine di individuare eventuali nuove informazioni sulla sicurezza.

L'EMA pubblica le segnalazioni dei sospetti effetti indesiderati dei medicinali autorizzati nel SEE nella [banca dati](#) europea delle segnalazioni delle sospette reazioni avverse ai farmaci. Tale sito web consente agli utenti di visualizzare i dati di tutte le segnalazioni di sospetti effetti indesiderati trasmesse a EudraVigilance.

L'EMA dispone di un comitato dedicato alla sicurezza dei medicinali per uso umano: il comitato di valutazione dei rischi per la farmacovigilanza, o PRAC. Il PRAC ha un ampio mandato che comprende tutti gli aspetti della farmacovigilanza. Oltre a contribuire alla valutazione del rischio, il comitato fornisce consulenza e raccomandazioni alla rete europea di regolamentazione dei medicinali in materia di pianificazione della gestione del rischio e di valutazione del rapporto beneficio/rischio dei medicinali, dopo l'immissione in commercio.

Nel caso in cui si rilevi un problema inerente alla sicurezza di un medicinale autorizzato in più di uno Stato membro, la stessa misura di regolamentazione concordata dal PRAC viene adottata in tutta l'UE e le stesse indicazioni vengono fornite ai pazienti e agli operatori sanitari di tutti gli Stati membri.

SPERIMENTAZIONI CLINICHE

L'autorizzazione e la supervisione di una sperimentazione clinica sono di competenza dello Stato membro in cui la sperimentazione ha luogo. Il [sistema informativo sulle sperimentazioni cliniche](#) (CTIS) è un sistema online che supporta la sottomissione delle domande di autorizzazione, il processo di autorizzazione e la vigilanza regolamentari delle sperimentazioni cliniche nell'UE e nel SEE. Consente ai promotori delle sperimentazioni cliniche di presentare domanda per condurre una sperimentazione in uno o più Stati membri dell'UE e alle autorità nazionali competenti di trattare la domanda e monitorare le sperimentazioni autorizzate. I protocolli e i risultati delle sperimentazioni cliniche sono disponibili al pubblico.

L'iniziativa [Accelerare le sperimentazioni cliniche nell'UE](#) (ACT EU) mira a consolidare il ruolo dell'UE come centro competitivo per la ricerca clinica innovativa. Si basa sulle normative della sperimentazione clinica e sull'avvio del CTIS e mira a promuovere sperimentazioni multinazionali più ampie, in

particolare nel contesto accademico, a consentire metodi di sperimentazione innovativi e ad elaborare e pubblicare orientamenti sulle metodologie chiave.

ACT EU sostiene inoltre la modernizzazione della buona prassi clinica (BPC) e di una piattaforma multilaterale per facilitare una discussione più olistica in tutto il panorama della ricerca clinica.



DATI DEL MONDO REALE

I dati generati in contesti sanitari reali, come quelli provenienti dalle cartelle cliniche elettroniche e dalle richieste di rimborso per le assicurazioni sanitarie, integrano le evidenze emerse dalle sperimentazioni cliniche nella valutazione dei medicinali.

L'EMA gestisce la rete per l'analisi dei dati e l'interrogazione del mondo reale ([DARWIN EU®](#)), una rete federata che consente al network europeo di regolamentazione di accedere ai risultati dell'analisi dei dati provenienti da banche dati sanitarie reali in tutta l'UE. Questi risultati sono alla base del processo decisionale regolatorio e sostengono lo sviluppo, l'autorizzazione e l'uso sicuro ed efficace dei medicinali da parte dei pazienti.

COOPERAZIONE INTERNAZIONALE

La Commissione europea e l'EMA, in stretta collaborazione con gli Stati membri, si adoperano per creare saldi legami con organizzazioni e partners internazionali in tutto il mondo. Queste attività hanno lo scopo di favorire lo scambio tempestivo di competenze normative e scientifiche nonché lo sviluppo delle migliori prassi nel campo della regolamentazione a livello globale.

La Commissione europea e l'EMA collaborano con l'Organizzazione mondiale della sanità (OMS) su una serie di questioni, tra cui quelle relative ai medicinali ad alta priorità destinati ai mercati extra-UE (rivisti nell'ambito della cosiddetta [procedura](#)

[Medicinali dell'UE per tutti](#) o "EU-M4all" dell'EMA), e quelle che riguardano la qualità dei medicinali e lo sviluppo di denominazioni comuni internazionali.

SOSTENERE L'ACCESSO AI MEDICINALI AD ALTA PRIORITÀ PER I PAZIENTI AL DI FUORI DELL'UE — EU-M4ALL

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'EMA può effettuare valutazioni scientifiche ed esprimere pareri sui medicinali destinati ad essere utilizzati esclusivamente al di fuori dell'UE. Nel valutare questi medicinali, il CHMP collabora con l'OMS e le autorità nazionali di regolamentazione dei paesi in cui saranno utilizzati i prodotti e applica gli stessi rigorosi standard vigenti per i medicinali destinati all'uso all'interno dell'UE. I medicinali considerati idonei all'ammissione in tale procedura sono solitamente impiegati per la prevenzione o il trattamento di malattie che incidono sulla salute pubblica globale. Tra questi sono inclusi i vaccini utilizzati nell'ambito del programma ampliato di vaccinazione dell'OMS o per la protezione contro una malattia che rappresenta una priorità per la salute pubblica, così come i medicinali per le malattie di cui si occupa in via prioritaria l'OMS, quali HIV/AIDS, malaria, dengue e tubercolosi.

La cooperazione con l'OMS e le autorità di regolamentazione dei paesi destinatari arricchisce le competenze epidemiologiche e sulla malattia a livello locale, facilita una valutazione del rapporto beneficio/rischio adeguata alla popolazione destinataria non appartenente all'UE, ottimizza il programma di prequalificazione dell'OMS e infine agevola la registrazione nazionale dei medicinali nei Paesi destinatari.

L'[iniziativa OPEN](#) consente all'OMS e ad alcune autorità di regolamentazione dei medicinali al di fuori dell'UE di partecipare a selezionate valutazioni scientifiche dell'EMA. L'iniziativa mira a facilitare la condivisione delle competenze scientifiche, affrontare le sfide comuni e migliorare la trasparenza delle decisioni regolatorie.

Per l'UE, uno dei principali forum per la cooperazione internazionale multilaterale è la Conferenza internazionale sull'armonizzazione dei requisiti tecnici per la registrazione dei medicinali per uso umano (ICH), che riunisce le autorità di regolamentazione dei medicinali e l'industria farmaceutica di tutto il mondo. L'ICH si dedica all'armonizzazione in materia di sicurezza, qualità ed efficacia come criteri principali per l'approvazione e l'autorizzazione di nuovi medicinali. La Cooperazione internazionale per l'armonizzazione dei requisiti tecnici per la registrazione di medicinali veterinari è il forum equivalente per il settore veterinario.

L'EMA e numerose autorità nazionali competenti sono inoltre coinvolte nella Convenzione per il riconoscimento reciproco delle ispezioni concernenti la fabbricazione dei prodotti farmaceutici e nel regime di cooperazione in materia di ispezione

farmaceutica (congiuntamente denominati PIC/S), la quale rappresenta una stretta cooperazione internazionale tra le autorità di ispezione farmaceutica nel campo delle buone prassi di fabbricazione.

La cooperazione normativa e lo scambio di informazioni con le autorità di regolamentazione internazionali sono assicurati anche attraverso il programma internazionale delle autorità di regolamentazione farmaceutica (International Pharmaceutical Regulators Programme, IPRP).

Nel 2013 è stato istituito un forum strategico a livello di agenzie globali, la coalizione internazionale delle autorità di regolamentazione dei medicinali (International Coalition of Medicines Regulatory Authorities, ICMRA). L'ICMRA è un'entità a partecipazione volontaria, di livello esecutivo, costituita da autorità di regolamentazione dei medicinali di tutto il mondo, che fornisce coordinamento, sensibilizzazione e leadership strategici.

È in vigore anche una serie di accordi di cooperazione bilaterale, che facilitano lo scambio di informazioni importanti sui medicinali tra le autorità di regolamentazione all'interno e all'esterno dell'UE.

L'UNIONE EUROPEA: INFORMAZIONI ESSENZIALI



Popolazione

>477 milioni



Autorità di regolamentazione
dei medicinali:

50+



PIL:

€ 14,5 trilioni



Lingue ufficiali:

24

L'UE ha sviluppato un mercato unico attraverso un sistema standardizzato di leggi che si applicano a tutti gli Stati membri. Le stesse norme e procedure armonizzate si applicano a tutti i **27 Stati membri** per quanto riguarda l'autorizzazione dei medicinali e la sorveglianza della loro sicurezza.

L'adesione all'UE comporta un impegno ad applicare l'«**acquis comunitario**» (l'insieme degli orientamenti e della legislazione dell'UE), al fine di garantire che tutti gli Stati membri dell'UE operino nel rispetto delle stesse norme.



■ **27 Stati membri dell'UE:** Austria, Belgio, Bulgaria, Cechia, Cipro, Croazia, Danimarca, Estonia, Finlandia, Francia, Germania, Grecia, Irlanda, Italia, Lettonia, Lituania, Lussemburgo, Malta, Paesi Bassi, Polonia, Portogallo, Romania, Slovacchia, Slovenia, Spagna, Svezia, Ungheria.

■ **Spazio economico europeo (SEE):** 27 Stati membri dell'UE più Islanda, Liechtenstein e Norvegia

Agenzia europea per i medicinali

Domenico Scarlattilaan 6
1083 HS Amsterdam
Paesi Bassi

Telefono: +31 (0)88 781 6000

Invia una domanda: www.ema.europa.eu/contact

www.ema.europa.eu