



Bruxelles, 25.11.2020
COM(2020) 761 final

**COMUNICAZIONE DELLA COMMISSIONE AL PARLAMENTO EUROPEO,
AL CONSIGLIO, AL COMITATO ECONOMICO E SOCIALE EUROPEO E
AL COMITATO DELLE REGIONI**

Strategia farmaceutica per l'Europa

{SWD(2020) 286 final}

1. Medicinali - un ecosistema forte a un bivio importante

La buona salute è fondamentale per il benessere e dipende da diversi fattori tra cui stili di vita sani e un accesso equo e giusto all'assistenza sanitaria, un pilastro centrale dello stile di vita europeo. L'assistenza sanitaria richiede a sua volta medicinali sicuri, efficaci e a prezzi accessibili.

Negli ultimi anni sono stati compiuti notevoli progressi in materia di salute umana nell'Unione europea e l'aspettativa media di vita alla nascita nell'UE è cresciuta di 3,3 anni dal 2002¹. Nuovi medicinali, vaccini e trattamenti hanno contribuito a fronteggiare alcune delle principali cause di patologie e malattie potenzialmente letali.

Tappe fondamentali dei principali progressi nei trattamenti compiuti nell'UE negli ultimi 20 anni

I prodotti biotecnologici offrono trattamenti per molte patologie croniche, ad esempio il diabete e l'anemia in pazienti con insufficienza renale. Dal 2014 è disponibile una nuova generazione di medicinali antivirali per il trattamento dell'epatite C cronica.

Diversi vaccini ampiamente utilizzati offrono protezione contro l'epatite B, il papilloma virus o il colera. Nel 2020 la Commissione ha autorizzato il primo vaccino contro l'Ebola.

Le terapie personalizzate hanno migliorato radicalmente la prognosi di alcuni pazienti oncologici: ad esempio il trastuzumab ha migliorato il tasso di guarigione del cancro della mammella HER2-positivo² come pure la sopravvivenza complessiva in caso di malattia in fase avanzata.

I medicinali per terapie avanzate, come quelli destinati alla terapia cellulare e alla terapia genica, stanno aprendo la strada a nuove terapie promettenti. Più recentemente sono state autorizzate terapie cellulari CAR-T³ per la cura di determinati tumori del sangue ed anche un medicinale per il trattamento della beta talassemia trasfusione-dipendente, una malattia del sangue.

Allo stesso tempo, sebbene stiamo vivendo un periodo di rapidi cambiamenti e innovazioni, molti pazienti non ne traggono beneficio a causa dell'indisponibilità o della inaccessibilità economica dei medicinali. Si registra inoltre una maggiore consapevolezza della necessità di garantire un impiego sostenibile dei farmaci.

La pandemia di COVID-19 ha e continua ad avere un impatto molto grave sull'Europa. Sebbene la risposta dell'Europa abbia dimostrato punti di forza, sono state messe in primo piano le vulnerabilità esistenti anche relativamente alla disponibilità di dati, all'approvvigionamento di medicinali o alla disponibilità di capacità di fabbricazione per adattare e sostenere la produzione di medicinali. La conclusione di accordi preliminari di acquisto dei vaccini è tuttavia un esempio di cooperazione efficace tra le autorità pubbliche e di regolamentazione, l'industria e le organizzazioni della società civile. La prevista ampia ed equa disponibilità di vaccini sicuri ed efficaci in tempi record fa sperare di poter uscire dalla crisi ed è fonte di ispirazione per un settore farmaceutico rinnovato, innovativo, incentrato sul paziente e all'avanguardia mondiale.

¹ Eurostat: statistiche sulla mortalità e sull'aspettativa di vita.

² Recettore del fattore di crescita dell'epidermide umano 2.

³ Cellule T esprimenti un recettore chimerico per antigene.

È necessario un nuovo approccio dell'UE per assicurare la presenza di un settore solido, equo, competitivo ed ecologico che risponda alle esigenze dei pazienti e attinga al potenziale della trasformazione digitale della sanità e dell'assistenza sulla spinta dei progressi tecnologici in ambiti quali l'intelligenza artificiale e la modellizzazione computazionale. Abbiamo bisogno di catene di approvvigionamento internazionali ben funzionanti e di un mercato unico per i farmaci efficace, grazie a un approccio che interessi l'intero ciclo di vita dei prodotti farmaceutici, dalla produzione alla distribuzione, al consumo e allo smaltimento.

In tale contesto la Commissione propone una **nuova strategia farmaceutica per l'Europa**. Si tratta di una strategia che mette al centro il paziente e mira a garantire la qualità e la sicurezza dei medicinali, rafforzando nel contempo la competitività del settore a livello globale. È un pilastro fondamentale della visione della Commissione volta a costruire un'Unione europea della salute più forte⁴, che la presidente von der Leyen ha presentato nel suo discorso sullo stato dell'Unione del 2020.

La nuova strategia farmaceutica riconosce che l'UE parte da basi solide. L'Europa dispone di un sistema farmaceutico completo, dallo sviluppo e autorizzazione dei medicinali fino alla sorveglianza successiva all'autorizzazione. La Commissione, l'Agenzia europea per i medicinali (EMA) e le autorità di regolamentazione dei medicinali negli Stati membri e nello Spazio economico europeo collaborano nell'ambito della rete europea di regolamentazione dei medicinali per garantire che i pazienti abbiano accesso a **medicinali di elevata qualità, efficaci e sicuri**.

I sistemi sanitari degli Stati membri dell'UE che utilizzano tali medicinali costituiscono un tassello fondamentale negli elevati livelli di protezione e coesione sociale dell'Europa e si fondano su valori comuni quali l'accesso universale a un'assistenza di qualità, l'equità e la solidarietà.

Il settore farmaceutico dell'UE è forte e competitivo. Insieme ad altri attori pubblici e privati, è al servizio della sanità pubblica e funge da motore per la creazione di posti di lavoro, per gli scambi e per la scienza. Nel 2019 i produttori di medicinali hanno apportato il maggiore contributo in assoluto agli investimenti nella ricerca, con oltre 37 miliardi di EUR. Il settore offre 800 000 posti di lavoro diretti e fa registrare un avanzo commerciale di 109,4 miliardi di EUR⁵. L'UE rappresenta il secondo mercato mondiale per i farmaci e ricomprende numerosi portatori di interessi: start-up e grandi aziende, produttori di medicinali brevettati e di medicinali generici e biosimilari, grossisti e distributori ma anche commercianti paralleli, fabbricanti di dispositivi medici e sviluppatori software. Oltre il 70 % dei progetti di ricerca in fase di sviluppo⁶ è condotto da società biofarmaceutiche emergenti, che contribuiscono quindi a un settore dinamico.

La strategia farmaceutica per l'Europa si fonderà su queste basi. Promuoverà l'accesso dei pazienti a medicinali innovativi e a prezzi accessibili. Sosterrà la competitività e la capacità innovativa dell'industria farmaceutica dell'UE. Svilupperà un'autonomia strategica aperta

⁴ Pacchetto "Unione europea della salute": COM(2020) 724, COM(2020) 725, COM(2020) 726, COM(2020) 727.

⁵ Eurostat, commercio internazionale di beni per tipologia di bene.

⁶ IQVIA Institute for Human Data Science (2019), "The global use of medicine in 2019 and outlook to 2023".

dell'UE e garantirà robuste catene di approvvigionamento in modo che l'Europa possa soddisfare le sue esigenze, anche in tempi di crisi. Assicurerà infine una posizione solida dell'UE sulla scena mondiale. La strategia si articola in quattro filoni di attività che scaturiscono da questi obiettivi. Ciascun filone prevede iniziative faro e misure di accompagnamento per garantire che gli obiettivi producano risultati tangibili. Nel loro insieme tali strumenti garantiranno che la politica farmaceutica europea evolva in linea con le transizioni verde e digitale e con i cambiamenti demografici, in modo da mantenersi adeguata alla luce delle realtà di oggi e degli obiettivi di domani, nel quadro di un'Unione della salute più forte.

La strategia contribuirà inoltre a realizzare altri obiettivi dell'Unione. Dando impulso all'innovazione per rispondere alle esigenze non soddisfatte (tra cui la vaccinazione contro le infezioni curabili che causano il cancro, nonché i medicinali per i tumori pediatrici e i tumori rari), la strategia presta un contributo diretto al "piano europeo di lotta contro il cancro". Insieme, la strategia farmaceutica e il piano contro il cancro garantiranno che i pazienti di tutta Europa possano accedere a trattamenti di elevata qualità e a nuove terapie quando ne hanno bisogno, e assicureranno inoltre la disponibilità e l'accessibilità economica dei medicinali essenziali per i pazienti oncologici in tutta l'UE. Le azioni previste dalla strategia e volte ad affrontare la questione dell'accesso ai medicinali contribuiranno inoltre a rispettare gli impegni assunti a livello dell'UE nel quadro degli obiettivi di sviluppo sostenibile delle Nazioni Unite.

La strategia⁷ è anche complementare al Green Deal europeo⁸ e, più nello specifico, all'obiettivo "inquinamento zero" per un ambiente privo di sostanze tossiche, in particolare nella misura in cui affronta la questione dell'impatto delle sostanze farmaceutiche sull'ambiente. La strategia farmaceutica getta le basi affinché l'industria contribuisca alla neutralità climatica dell'UE, ponendo l'accento sulla riduzione delle emissioni di gas a effetto serra lungo la catena del valore. Contribuisce inoltre al piano d'azione per l'attuazione del pilastro europeo dei diritti sociali⁹, ai quadri strategici per la realizzazione di un'Unione dell'uguaglianza¹⁰, al futuro Libro verde sull'invecchiamento, alla strategia sul tema "Plasmare il futuro digitale dell'Europa"¹¹, alla strategia europea per i dati¹², al lavoro per la creazione di uno spazio europeo di dati sanitari, al piano d'azione europeo "One Health" contro la resistenza antimicrobica¹³ e alla nuova strategia industriale per l'Europa¹⁴.

⁷ L'attuazione della strategia sarà compatibile con le risorse disponibili nel quadro finanziario pluriennale 2021-2027 e sarà allineata ai programmi e alle politiche pertinenti.

⁸ COM(2019) 640.

⁹ <https://ec.europa.eu/social/main.jsp?catId=1226&langId=it>.

¹⁰ Cfr. la strategia per la parità di genere (COM(2020) 152 final), il piano d'azione contro il razzismo (COM(2020) 565 final), il quadro strategico dell'UE per l'uguaglianza, l'inclusione e la partecipazione dei Rom (COM(2020) 620 final), la strategia per l'uguaglianza delle persone LGBTIQ+ e, di prossima adozione, la strategia per i diritti delle persone con disabilità e il piano d'azione per l'integrazione e l'inclusione 2020-2027.

¹¹ Commissione europea (2020), "Shaping Europe's digital future" (ISBN 978-92-76-16363-3).

¹² COM(2020) 66.

¹³ https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/antimicrobial_resistance/docs/amr_2017_action-plan.pdf.

¹⁴ COM(2020) 102.

Infine la strategia è di fondamentale importanza anche per i paesi terzi, in particolare i Balcani occidentali e il vicinato dell'UE, in quanto i paesi candidati, i paesi potenziali candidati e i paesi DCFTA¹⁵ hanno l'obbligo di allinearsi all'acquis dell'UE in materia di legislazione farmaceutica.

2. Ottenere risultati per i pazienti: rispondere alle esigenze mediche non soddisfatte e garantire l'accessibilità, anche economica, dei medicinali

2.1. Dare la priorità alle esigenze mediche non soddisfatte

Gli investimenti in materia di ricerca e sviluppo (R&S) a favore di medicinali e trattamenti innovativi sono essenziali per compiere progressi nella prevenzione e nella cura delle malattie. L'accesso a medicinali sicuri, di elevata qualità ed efficaci è un elemento centrale del benessere sociale, anche per le persone appartenenti a gruppi svantaggiati e vulnerabili come le persone con disabilità, le persone appartenenti a minoranze etniche o razziali e gli anziani. C'è un crescente consenso sul fatto che le politiche debbano essere ripensate in modo da incentivare l'innovazione, in particolare in ambiti in cui si registrano esigenze non soddisfatte, e che l'innovazione farmaceutica debba essere maggiormente incentrata sul paziente e orientata ai sistemi sanitari nonché tener conto di norme multidisciplinari, ad esempio nei contesti di assistenza a lungo termine.

Attualmente gli investimenti non si concentrano necessariamente sulle maggiori **esigenze non soddisfatte**, a causa sia dell'assenza di interesse commerciale sia di limiti scientifici. Continuano a mancare trattamenti per patologie importanti, ad esempio le malattie neurodegenerative e i tumori pediatrici. Vi sono oltre 7 000 malattie rare note, compresi i tumori rari, e per il 95 % di queste patologie non esiste alcuna opzione terapeutica¹⁶. Altre lacune riguardano il mancato sviluppo di nuovi antimicrobici, trattamenti o vaccini per minacce sanitarie emergenti (comprese quelle simili all'attuale pandemia di coronavirus della sindrome respiratoria acuta grave 2 (SARS-CoV-2) o alla sindrome respiratoria medio-orientale - MERS) nonché la mancanza di trattamenti per gruppi specifici di popolazione, come le donne in gravidanza e in allattamento e gli anziani.

Lo sviluppo di nuovi antimicrobici o alternative è un ottimo esempio di esigenze mediche non soddisfatte, data la mancanza di opzioni terapeutiche per contrastare la **resistenza antimicrobica**. Tale resistenza riduce la nostra capacità di curare le malattie infettive e minaccia la nostra capacità di effettuare interventi chirurgici di routine. Come sottolineato nel piano d'azione dell'UE "One Health" sulla resistenza antimicrobica¹⁷, si tratta di un problema multifattoriale di rilevanza mondiale, con gravi risvolti sanitari ed economici. L'uso eccessivo e inadeguato degli antimicrobici nell'assistenza sanitaria umana e animale rappresenta una problematica importante e, secondo le stime, causa ogni anno la morte di 33 000 persone

¹⁵ Tra l'Unione europea e la Georgia, la Moldova e l'Ucraina sono istituite zone di libero scambio globali e approfondite (DCFTA).

¹⁶ Valutazione congiunta del regolamento (CE) n. 1901/2006 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 12 dicembre 2006, relativo ai medicinali per uso pediatrico e del regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, concernente i medicinali orfani (SWD(2020) 163 final).

¹⁷ https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/antimicrobial_resistance/docs/amr_2017_action-plan.pdf.

nell'UE/SEE¹⁸. Se da un lato è necessario adottare misure (descritte altrove) volte a ridurre tale uso eccessivo e inadeguato, va anche considerato che tali misure possono avere l'effetto involontario di ridurre gli investimenti in nuovi antibiotici. Gli attuali modelli di incentivi non offrono una soluzione sostenibile; sono necessari nuovi approcci commerciali, tra cui nuovi incentivi per lo sviluppo degli antimicrobici e nuovi sistemi di fissazione dei prezzi.

Iniziative faro relative alla resistenza antimicrobica

- Adottare approcci pilota innovativi in merito alle attività di R&S dell'UE e agli appalti pubblici per gli antimicrobici e le relative alternative, con lo scopo di fornire incentivi *pull* per i nuovi antimicrobici - data obiettivo 2021.
- Promuovere gli investimenti e coordinare la ricerca, lo sviluppo, la fabbricazione, la diffusione e l'uso di nuovi antibiotici nell'ambito della nuova autorità dell'UE per la risposta alle emergenze sanitarie, prima di avviare le operazioni preparatorie dell'autorità relative all'azione sulla resistenza antimicrobica - 2021.
- Valutare, nel riesame della legislazione farmaceutica¹⁹, l'introduzione di misure volte a limitare e ottimizzare l'uso dei medicinali antimicrobici. Analizzare nuovi tipi di incentivi per gli antimicrobici innovativi - 2022.

Altre azioni

- Proporre misure non legislative e ottimizzare l'uso degli strumenti normativi esistenti per combattere la resistenza antimicrobica, comprese l'armonizzazione delle informazioni sul prodotto e l'elaborazione di orientamenti basati su evidenze relativi agli strumenti diagnostici esistenti e nuovi; promuovere l'uso prudente di antibiotici come pure la comunicazione rivolta agli operatori sanitari e ai pazienti - 2021.

La nostra risposta alle sfide poste dalle esigenze mediche tuttora insoddisfatte dovrebbe comprendere varie dimensioni. **Le priorità di ricerca dovrebbero essere allineate con le esigenze dei pazienti e dei sistemi sanitari.** Questo obiettivo può essere sostenuto favorendo la collaborazione tra discipline scientifiche attraverso il coinvolgimento, nelle prime fasi della R&S, delle autorità di regolamentazione, del mondo accademico, degli operatori sanitari, delle organizzazioni dei pazienti e dei soggetti prestatori e pagatori di assistenza sanitaria, come già sperimentato nell'ambito di partenariati innovativi per la ricerca e l'innovazione in campo sanitario.

Dobbiamo **abbattere la compartimentazione** affinché le varie autorità pubbliche responsabili dell'autorizzazione, della valutazione delle tecnologie sanitarie, della prestazione

¹⁸ Cassini et al., (2019) "Attributable deaths and disability-adjusted life-years caused by infections with antibiotic-resistant bacteria in the EU and the European Economic Area in 2015: a population-level modelling analysis", in *Lancet Infect Dis.* Vol.19, Issue 1, pagg. 55-56.

¹⁹ I riferimenti alla "legislazione farmaceutica" rinviano alla direttiva 2001/83/CE del Parlamento europeo e del Consiglio, del 6 novembre 2001, recante un codice comunitario relativo ai medicinali per uso umano (GU L 311 del 28.11.2001, pag. 67) e al regolamento (CE) n. 726/2004 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 31 marzo 2004, che istituisce procedure dell'Unione per l'autorizzazione e la sorveglianza dei medicinali per uso umano e veterinario, e che istituisce l'agenzia europea per i medicinali (GU L 136 del 30.4.2004, pag. 1).

di assistenza sanitaria, dell'assicurazione sanitaria e del finanziamento collaborino tra loro. Una maggiore cooperazione in materia di consulenza scientifica e una convergenza su concetti chiave come le "esigenze mediche non soddisfatte" faciliteranno il disegno di sperimentazioni cliniche, la produzione di evidenze e la valutazione, garantendo che l'innovazione risponda alle esigenze dei pazienti e dei sistemi sanitari nazionali. I risultati di tali discussioni potrebbero anche orientare i finanziamenti verso settori specifici, come la ricerca di base in nuove aree terapeutiche.

A integrazione degli approcci collaborativi esistenti a livello transnazionale in materia di appalti pubblici e di negoziazioni congiunte su fissazione dei prezzi e rimborsi, è opportuno prendere in considerazione nuove modalità di condivisione delle informazioni, come l'analisi delle tendenze emergenti. Una volta adottato, il regolamento proposto relativo alla valutazione delle tecnologie sanitarie²⁰ promuoverà decisioni basate su evidenze riguardo agli investimenti in tecnologie sanitarie innovative con un valore clinico aggiunto per i pazienti.

È stato avviato un processo di riflessione su come **adattare meglio il sistema di incentivi** previsto dal quadro farmaceutico dell'UE al fine di **stimolare l'innovazione nelle aree in cui esistono esigenze mediche non soddisfatte** (ad es. le malattie neurodegenerative e rare e i tumori pediatrici). Si ricercherà un ampio coinvolgimento dei portatori di interessi e un contributo multidisciplinare. I risultati dello studio sugli incentivi farmaceutici²¹ e la valutazione della legislazione sui medicinali per uso pediatrico e per le malattie rare²² serviranno da base per qualsiasi futuro riesame, in linea con i principi per legiferare meglio.

Iniziative faro sulle esigenze non soddisfatte

- Proporre una revisione della legislazione sui medicinali per uso pediatrico e per le malattie rare al fine di migliorare il panorama terapeutico e rispondere alle esigenze non soddisfatte (ad esempio nel caso dei tumori pediatrici) mediante incentivi più mirati - 2022.
- Facilitare la collaborazione sulle esigenze non soddisfatte e sulla produzione di evidenze nelle riunioni congiunte dei comitati/delle reti di regolatori esistenti, degli organismi di valutazione delle tecnologie sanitarie e dei soggetti pagatori, coinvolgendo gli attori chiave nello sviluppo, nell'autorizzazione e nell'accesso ai medicinali, ai fini di un approccio basato sul ciclo di vita e di una migliore accessibilità, anche economica. Lavorare con il Parlamento europeo e il Consiglio per l'adozione del regolamento relativo alla valutazione delle tecnologie sanitarie - 2021.

Altre azioni

- Integrare il regime per i medicinali prioritari (PRIME) dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA) nel quadro normativo per fornire un maggiore sostegno in modo da accelerare lo sviluppo e l'autorizzazione dei prodotti negli ambiti in cui si

²⁰ Proposta di regolamento del Parlamento europeo e del Consiglio relativo alla valutazione delle tecnologie sanitarie, che modifica la direttiva 2011/24/UE (COM(2018) 51 final).

²¹ "Study on the economic impact of supplementary protection certificates, pharmaceutical incentives and rewards in Europe", relazione finale (2018).

²² SWD(2020) 163.

registrano esigenze non soddisfatte - 2022.

- Consentire consulenze scientifiche parallele sul disegno degli studi clinici per i medicinali da parte degli organismi di valutazione delle tecnologie sanitarie e dell'EMA, come previsto dalla proposta di regolamento HTA - 2021.

2.2. *Garantire l'accesso dei pazienti ai medicinali*

Le terapie innovative e promettenti non sempre arrivano al paziente; di conseguenza i pazienti nell'UE godono ancora di diversi livelli di **accesso ai medicinali**. Le aziende non sono obbligate a commercializzare un medicinale in tutti i paesi dell'UE; possono decidere di non commercializzare o di ritirare i propri prodotti da uno o più paesi. Ciò può essere dovuto a vari fattori, quali le politiche nazionali in materia di fissazione dei prezzi e di rimborso, l'entità della popolazione, l'organizzazione dei sistemi sanitari e le procedure amministrative nazionali; di conseguenza risultano svantaggiati soprattutto i mercati più piccoli e meno ricchi. L'esperienza nel settore dei medicinali per uso pediatrico e per le malattie rare illustra il problema. La disponibilità di tali medicinali è aumentata in seguito all'adozione dei regolamenti specifici, ma l'accesso varia notevolmente da uno Stato membro all'altro.

La mancanza di trasparenza riguardo ai costi della ricerca o alla redditività dell'investimento può influenzare decisioni che incidono sull'accessibilità economica e, in ultima analisi, sull'accesso per i pazienti. Alla luce di quanto sopra e di un'esperienza più ampia, la Commissione riesaminerà il sistema degli **incentivi**. Potrebbero essere previste una maggiore "condizionalità" degli incentivi a vantaggio di un più ampio accesso per i pazienti come pure modalità per rafforzare la concorrenza. La Commissione avvierà inoltre un progetto pilota per comprendere meglio le cause profonde dei rinvii delle immissioni sul mercato, anche relativamente ai tumori, che servirà ad informare la valutazione della legislazione farmaceutica.

I medicinali **generici e biosimilari** offrono a moltissimi pazienti trattamenti accessibili, anche dal punto di vista economico. Consentono inoltre ai sistemi sanitari di ottenere potenziali risparmi in termini di costi grazie al loro effetto positivo sulla concorrenza in termini di prezzi. La Commissione prenderà in considerazione politiche mirate a sostegno di una maggiore concorrenza dei medicinali generici e biosimilari, basate sul buon funzionamento del mercato unico, su adeguati meccanismi di protezione del mercato, sull'eliminazione degli ostacoli che ritardano l'ingresso tempestivo nel mercato di questi prodotti e su un maggiore utilizzo da parte dei sistemi sanitari. In quest'ambito potrebbe inserirsi un ulteriore chiarimento delle disposizioni relative allo svolgimento di sperimentazioni su prodotti brevettati a sostegno delle domande di autorizzazione all'immissione in commercio di medicinali generici e biosimilari (la cosiddetta disposizione di tipo "Bolar").

Le suddette politiche saranno affiancate dall'**applicazione delle norme dell'UE in materia di concorrenza**. La relazione della Commissione sull'applicazione delle norme sulla concorrenza nel settore farmaceutico²³ ha mostrato che talvolta le società produttrici dei medicinali originali attuano strategie volte ad ostacolare l'ingresso o l'espansione dei più

²³ COM(2019) 17.

economici medicinali generici e biosimilari concorrenti e che tali strategie potrebbero richiedere un controllo delle norme sulla concorrenza. La Commissione continuerà inoltre a esaminare attentamente le concentrazioni tra aziende farmaceutiche per evitare distorsioni della concorrenza.

Le nuove tecnologie sanitarie dovrebbero dimostrare il loro valore aggiunto clinico e la relativa efficacia in termini di costi rispetto a quanto già disponibile. La **valutazione delle tecnologie sanitarie** è uno strumento a sostegno di questa analisi e informa le decisioni nazionali in materia di fissazione dei prezzi e di rimborso. Attualmente questa valutazione è estremamente frammentata in tutta l'UE. Il regolamento proposto relativo alla valutazione delle tecnologie sanitarie consentirà la cooperazione sulle norme relative alle evidenze cliniche e sul disegno delle sperimentazioni cliniche. Può quindi sostenere gli Stati membri nel prendere decisioni in merito all'accesso dei pazienti ai nuovi farmaci sulla base di un processo tempestivo e basato su evidenze.

Le azioni nel settore degli **appalti pubblici** possono promuovere la concorrenza e migliorare l'accesso. Gli acquirenti pubblici dovrebbero definire procedure di appalto intelligenti e innovative, ad esempio valutando il ruolo delle procedure in cui "chi vince prende tutto" e migliorando gli aspetti correlati (quali la condizionalità dei prezzi, la consegna tempestiva, la "produzione sostenibile" e la sicurezza e continuità delle forniture), anche tramite l'iniziativa "grandi acquirenti" varata nel quadro della strategia per le PMI.

Così facendo si potrebbero affrontare alcuni importanti obiettivi strategici chiave mediante l'uso di strumenti di acquisto pubblico. Le autorità nazionali potranno condividere le loro esperienze e sviluppare approcci comuni basati sulle migliori pratiche.

Inoltre i sistemi sanitari e le aziende private possono cooperare utilizzando la nuova procedura di gara del "partenariato per l'innovazione" che consente agli acquirenti pubblici di istituire un partenariato per lo sviluppo, la fabbricazione e il successivo acquisto di medicinali per cui c'è una domanda limitata.

Infine la Commissione sosterrà le iniziative regionali di negoziazione o gare d'appalto congiunte, in quanto hanno anch'esse il potenziale di contribuire a migliorare l'accesso ai medicinali²⁴.

Iniziative faro sull'accesso ai medicinali

- Proporre una revisione del sistema di incentivi e obblighi della legislazione farmaceutica tenendo conto del rapporto con i diritti di proprietà intellettuale, al fine di sostenere l'innovazione, l'accesso e l'accessibilità economica dei medicinali in tutta l'UE - 2022.
- Procedere a un riesame della legislazione farmaceutica per tenere conto delle considerazioni relative alla concorrenza di mercato e migliorare in tal modo l'accesso ai medicinali generici e biosimilari, comprese l'intercambiabilità e l'esenzione di tipo "Bolar" - 2022.

Altre azioni

²⁴ Si veda ad esempio l'iniziativa Beneluxa, <https://beneluxa.org/collaboration>.

- Avviare un progetto pilota insieme all'EMA e agli Stati membri, con il coinvolgimento dei futuri titolari delle autorizzazioni all'immissione in commercio, per comprendere le cause profonde dei rinvii delle immissioni sul mercato - 2021.
- Incoraggiare la cooperazione tra gli acquirenti del settore sanitario al fine di attuare approcci innovativi in materia di appalti per l'acquisto di medicinali o dispositivi medici nel quadro dell'iniziativa "grandi acquirenti" - 2021.

2.3. *Garantire l'accessibilità economica dei medicinali per i pazienti e la sostenibilità finanziaria e di bilancio dei sistemi sanitari*

L'**accessibilità economica** dei medicinali ha implicazioni sia per le finanze pubbliche che per i bilanci familiari e rappresenta sempre più una sfida per la maggior parte degli Stati membri. Il modello commerciale è passato dalla vendita di prodotti dominanti sul mercato alla commercializzazione di prodotti di nicchia. Oltre ad avere prezzi ancora più elevati, i nuovi prodotti sono spesso accompagnati da una crescente incertezza riguardo alla loro efficacia reale e ai relativi costi complessivi. Ciò compromette la sostenibilità di bilancio dei sistemi sanitari e riduce le possibilità per i pazienti di accedere a tali medicinali.

Si registra una mancanza di **trasparenza** (in particolare in merito ai costi di R&S) e di **consenso sui principi di calcolo dei costi**. Per informare le discussioni politiche sulla fissazione dei prezzi dei medicinali di nicchia e sul "giusto rendimento" riguardo ai contributi alla ricerca, sono fondamentali una migliore comprensione e maggiore chiarezza. I modelli commerciali in evoluzione (ad esempio acquisizioni ad alto valore di prodotti promettenti in fase di sviluppo) e le nuove modalità di pagamento, come gli accordi di condivisione del rischio e i regimi di pagamento dilazionato, possono avere implicazioni a lungo termine e incidere quindi sull'accessibilità economica dei nuovi medicinali. La Commissione promuoverà la trasparenza delle informazioni sui prezzi per aiutare gli Stati membri a prendere decisioni migliori in materia di fissazione dei prezzi e di rimborso, tenendo conto anche dei possibili effetti a catena sull'innovazione.

La **spesa farmaceutica in ambito ospedaliero**, che sta registrando una rapida crescita, è dichiarata in modo incompleto a livello dell'UE. Le dotazioni per la spesa farmaceutica rappresentano il 20-30 % delle spese ospedaliere e crescono più rapidamente della spesa al dettaglio²⁵. Una tale evoluzione è prevedibile se si considerano gli aumenti di bilancio per i medicinali specialistici somministrati negli ospedali. La Commissione valuterà l'efficacia degli attuali meccanismi di protezione finanziaria, adoperandosi per ottimizzarli al fine di salvaguardare l'accessibilità economica dei medicinali per i singoli pazienti e per i sistemi sanitari. Una migliore conoscenza dell'efficienza e dell'accessibilità dell'assistenza medica negli Stati membri contribuirà alle conoscenze specifiche per paese sui sistemi sanitari (ad esempio nel quadro del semestre europeo e del ciclo sullo "stato della salute nell'UE") e alle possibili riforme negli Stati membri. Per ottenere sistemi sanitari efficienti e sostenibili è fondamentale anche **ridurre al minimo gli sprechi e ottimizzare il valore della spesa** per i medicinali. Questo obiettivo può essere sostenuto da un insieme di leve politiche, fra cui: garantire un buon rapporto costi-benefici mediante la valutazione delle tecnologie sanitarie;

²⁵ Commissione europea, "State of health in the EU: companion report 2019" (ISBN 978-92-76-10194-9).

sfruttare i potenziali risparmi ottenuti con i medicinali generici e biosimilari; favorire una prescrizione responsabile; migliorare l'aderenza terapeutica.

Le decisioni in materia di **fissazione dei prezzi e di rimborso dei medicinali** sono di competenza degli Stati membri. La Commissione intensificherà la cooperazione con e tra gli Stati membri per quanto riguarda l'accessibilità economica e l'efficacia in termini di costi dei medicinali e avvierà un gruppo per guidare la cooperazione tra le autorità nazionali responsabili della fissazione dei prezzi e dei rimborsi e i soggetti pagatori dell'assistenza sanitaria. Sosterrà l'apprendimento reciproco attraverso lo scambio di informazioni e migliori prassi, anche per quanto riguarda gli appalti pubblici e la copertura dei costi farmaceutici da parte dei sistemi di previdenza sociale, i criteri di aumento dei prezzi e la prescrizione razionale.

Determinati fattori, come i prodotti di nicchia recentemente immessi sul mercato destinati a un numero limitato di pazienti o l'assenza di norme di sostituzione automatica per i medicinali biologici, possono creare ostacoli al mercato. Ciò significa che i medicinali generici, biosimilari e i medicinali "più vecchi" concorrenti possono avere difficoltà a entrare o a rimanere sul mercato. Tale mancanza di **concorrenza** ostacola quindi risparmi sui prezzi una volta che i prodotti innovativi perdono la loro esclusiva di mercato. Le norme che non disciplinano direttamente i prezzi o i livelli di rimborso possono tuttavia avere ripercussioni sull'accessibilità economica e sull'efficacia in termini di costi dei medicinali attraverso effetti indiretti sulla contendibilità dei mercati o sulla redditività economica dei prodotti in mercati più maturi. La Commissione terrà conto di questo aspetto nel riesame della legislazione farmaceutica per capire come promuovere al meglio una concorrenza sana che porti a un ribasso dei prezzi dei medicinali. Continuerà inoltre a lavorare, anche attraverso lo scambio di migliori prassi, sulla diffusione dei biosimilari al fine di stimolare la concorrenza.

Iniziative faro in materia di accessibilità economica

- Proporre una revisione della legislazione farmaceutica affrontando gli aspetti che ostacolano il funzionamento competitivo dei mercati e tenere conto degli effetti di mercato che incidono sull'accessibilità economica - 2022.
- Sviluppare la cooperazione nell'ambito di un gruppo di autorità competenti, sulla base dell'apprendimento reciproco e dello scambio di migliori prassi sulle politiche in materia di prezzi, pagamenti e appalti, al fine di migliorare l'accessibilità economica e l'efficacia in termini di costi dei medicinali e la sostenibilità del sistema sanitario, anche per la cura del cancro - 2021-2024.

Altre azioni

- Lavorare con gli Stati membri per l'attuazione di misure non legislative volte a migliorare la trasparenza, ad esempio orientamenti sui principi e metodi di calcolo dei costi per determinare i costi di R&S dei medicinali - 2021-2024.
- Proseguire la valutazione, attraverso il semestre europeo, dell'adeguatezza e della sostenibilità dei sistemi sanitari nazionali e, ove opportuno, formulare raccomandazioni specifiche per paese al fine di garantirne l'accessibilità e l'efficienza.

3. Sostenere un'industria farmaceutica europea competitiva e innovativa

3.1. Offrire un ambiente fertile all'industria europea

Un'industria farmaceutica dell'UE competitiva ed efficiente sotto il profilo delle risorse riveste un interesse strategico per la sanità pubblica, la crescita economica, l'occupazione, gli scambi e la scienza. L'UE mira a sostenere questo settore affinché sia competitivo e resiliente di modo che, a sua volta, possa **rispondere meglio alle esigenze dei pazienti**. Il settore è in rapido mutamento. Imprese affermate ricorrono sempre di più all'esternalizzazione di alcune funzioni e concentrano gli investimenti su un numero limitato di aree terapeutiche, disinvestendo in altre. Nuovi attori, soprattutto aziende tecnologiche, sono entrati nel mercato. L'incontro di questi segmenti industriali distinti trasformerà i modelli commerciali e i mercati attuali.

La nuova strategia industriale per l'Europa²⁶ prevede azioni chiave a sostegno dell'industria nell'UE. A partire da tale quadro, la strategia farmaceutica creerà un **contesto normativo stabile e flessibile** capace di offrire certezza giuridica per gli investimenti e di accogliere le tendenze tecnologiche. Ciò significa anche prevedere incentivi equilibrati ed equi per ricompensare e proteggere l'innovazione, come pure creare le giuste condizioni affinché le aziende di tutte le dimensioni nell'UE possano essere competitive.

I diritti di proprietà intellettuale offrono protezione per i prodotti e i processi innovativi ma la loro applicazione, soprattutto per quanto riguarda i brevetti e i certificati protettivi complementari, varia da uno Stato membro all'altro.

Ciò produce duplicazioni e inefficienze, ostacolando la competitività del settore. Il piano d'azione della Commissione sulla proprietà intellettuale²⁷ comprende misure volte a semplificare e razionalizzare il sistema di proprietà intellettuale farmaceutica dell'UE, in particolare per quanto riguarda i certificati protettivi complementari.

Per sfruttare appieno l'enorme potenziale delle nuove tecnologie e della digitalizzazione è fondamentale un accesso sicuro ed efficiente ai dati sanitari. Al fine di sostenere l'innovazione, il settore e le autorità di regolamentazione devono poter accedere ai dati attraverso una solida **infrastruttura di dati** a livello UE. Un sistema interconnesso che consenta l'accesso a dati sanitari comparabili e interoperabili provenienti da tutta l'UE darebbe origine a un vero e proprio effetto moltiplicatore in termini di ricerca, regolamentazione e produzione di evidenze. La Commissione proporrà uno **spazio europeo di dati sanitari** e istituirà un'**infrastruttura interoperabile di accesso ai dati** che miglioreranno lo scambio, l'accesso federato e l'analisi transfrontaliera dei dati sanitari nell'UE. Si contribuirà così a migliorare l'erogazione dell'assistenza sanitaria nonché la ricerca, l'elaborazione delle politiche e la regolamentazione in questo settore, tutelando nel contempo i diritti fondamentali delle persone, in particolare il diritto alla vita privata e alla protezione dei dati²⁸.

²⁶ Cfr. nota a piè di pagina 10.

²⁷ COM(2020) 760.

²⁸ Nel pieno rispetto del regolamento generale sulla protezione dei dati: regolamento (UE) 2016/679 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 27 aprile 2016, relativo alla protezione delle persone fisiche con

È essenziale continuare a creare opportunità di lavoro di qualità nell'UE lungo tutta la catena del valore dell'industria farmaceutica. A tal fine, un'industria farmaceutica competitiva deve poter accedere a una **forza lavoro qualificata e specializzata**. NextGenerationEU offre opportunità di finanziamento senza precedenti per sostenere la disponibilità e l'adattabilità di una forza lavoro qualificata e la sua adattabilità, mentre l'agenda per le competenze per l'Europa²⁹ getta le basi per realizzare questi obiettivi. In particolare, dovrebbe contribuire a far sì che tutti i principali attori del settore farmaceutico mettano in comune le risorse e investano nel miglioramento delle competenze e nella riqualificazione di tutti i dipendenti lungo la catena del valore, anche attraverso impegni che dovranno concretizzarsi nell'ambito del patto per le competenze³⁰ varato il 10 novembre 2020. Contribuendo all'aumento degli specialisti STEM³¹, l'agenda per le competenze mirerà ad aumentare il numero di laureati e insegnanti (di ambo i sessi) specializzati in discipline STEM migliorando l'attrattiva di questi percorsi di studio e carriera. I ricercatori sono all'avanguardia della scienza e dell'innovazione e devono poter contare anche su una specifica gamma di competenze. Si farà di più per migliorare le competenze degli scienziati, in linea con l'agenda per le competenze, e per promuoverne la mobilità in tutta Europa.

Per sostenere l'innovazione, l'eterogeneità delle fonti di **finanziamento** è uno strumento essenziale. Un elemento chiave del sostegno alla strategia sarà il nuovo e ambizioso programma a sé stante per la salute EU4Health. Inoltre Orizzonte Europa, la politica di coesione, il Fondo europeo per la difesa, i partenariati pubblico-privato e pubblico-pubblico in materia di investimenti come la "Innovative Health Initiative"³² e i programmi nazionali sono importanti facilitatori per la R&S, anche per le piccole e medie imprese (PMI) e il mondo accademico. Alcuni di questi partenariati possono contribuire a un'adozione precoce dell'innovazione nei sistemi sanitari. Iniziative della Commissione quali la strategia per le PMI per un'Europa sostenibile e digitale³³, Startup Europe³⁴, il Consiglio europeo per l'innovazione e l'Istituto europeo di innovazione e tecnologia contribuiranno a creare il contesto adatto affinché le PMI e le start-up attive nel settore sanitario possano crescere e attirare capitali di rischio. Analogamente, esistono opportunità di investimento in partenariati internazionali nel settore della sanità attraverso strumenti di cooperazione internazionale come il piano per gli investimenti esterni dell'UE. È al contempo necessaria una maggiore trasparenza dei costi relativi alla ricerca e allo sviluppo dei farmaci.

Iniziative faro in materia di competitività

- Ottimizzare il sistema dei certificati protettivi complementari per renderlo più trasparente ed efficiente, come previsto nel piano d'azione sulla proprietà intellettuale - 2022.
- Proposta legislativa relativa a uno spazio europeo dei dati sanitari, che consenta di

riguardo al trattamento dei dati personali, nonché alla libera circolazione di tali dati e che abroga la direttiva 95/46/CE (regolamento generale sulla protezione dei dati), (GU L 119 del 4.5.2016, pag. 1).

²⁹ COM(2020) 274.

³⁰ Il patto per le competenze: mobilitazione di tutti i partner per investire nelle competenze.

³¹ Scienza, tecnologia, ingegneria e matematica.

³² Partenariato europeo per Innovative Health (Initiative).

³³ COM(2020) 103.

³⁴ <https://ec.europa.eu/digital-single-market/en/startup-europe>.

migliorare l'assistenza sanitaria, la ricerca sanitaria, l'innovazione e le decisioni basate su evidenze - 2021.

- Istituire entro il 2025 un'infrastruttura interoperabile di accesso ai dati per lo spazio europeo dei dati sanitari, al fine di agevolare l'analisi transfrontaliera sicura dei dati sanitari; fase di test nel 2021 attraverso un progetto pilota con la partecipazione dell'EMA e delle autorità nazionali - 2021-2025.
- Sostenere i partenariati pubblico-privato e pubblico-pubblico a livello finanziario e tecnico, ad esempio attraverso la "Innovative Health Initiative", con particolare attenzione alle PMI, al mondo accademico e alle organizzazioni senza scopo di lucro, e tramite i partenariati per la trasformazione dei sistemi sanitari - 2021.

Altre azioni

- Dare priorità agli investimenti nelle competenze per sostenere la disponibilità e l'adattabilità di una forza lavoro qualificata attraverso NextGenerationEU, nell'ambito del nuovo dispositivo per la ripresa e la resilienza e attraverso gli impegni assunti nel quadro del patto per le competenze - 2022.

3.2. Favorire l'innovazione e la trasformazione digitale

I pazienti nell'UE confidano nella possibilità di beneficiare di un'assistenza sanitaria all'avanguardia. I progressi scientifici e tecnologici sono fondamentali per migliorare la salute dei pazienti e per favorire un modo più efficiente ed economicamente vantaggioso di scoprire e utilizzare i medicinali. Questi progressi possono tradursi non solo in medicinali completamente nuovi, ma anche in usi alternativi per quelli esistenti.

I medicinali per terapie avanzate e alcuni medicinali per le malattie rare costituiscono una sfida, sia in termini scientifici che di fabbricazione. Trattamenti curativi possono derivare dalle **terapie geniche e cellulari** in fase di sviluppo, sempre più numerose, che richiederanno un nuovo modello commerciale per affrontare, in termini di costi, il passaggio dai trattamenti cronici ai trattamenti una tantum. La fabbricazione di medicinali più personalizzati "al letto del paziente"³⁵ potrebbe rappresentare una tendenza futura.

I **vaccini**, l'individuazione precoce e il miglioramento del benessere possono incidere sulla gestione delle malattie e sull'uso dei trattamenti. La pandemia di COVID-19 ha dimostrato la necessità di approcci innovativi allo sviluppo, all'approvazione e alla sorveglianza successiva all'autorizzazione dei vaccini, così come al riposizionamento dei medicinali. Oltre alla consueta farmacovigilanza, saranno sviluppate piattaforme per sorvegliare la sicurezza e l'efficacia dei vaccini dopo l'autorizzazione. La COVID-19 ha inoltre sottolineato l'importanza della collaborazione tra i diversi portatori di interessi e di un accesso libero e sicuro a diversi tipi di dati sanitari, come le banche dati molecolari detenute dalle aziende, utilizzando accordi sulla condivisione dei dati. A tal fine sono necessarie piattaforme aperte e

³⁵ Si tratta di un'evoluzione dalla produzione di medicinali personalizzati esclusivamente in fabbrica a una messa a punto presso il letto del paziente.

una maggiore collaborazione per individuare le serie di dati che possono essere messe a disposizione per il riutilizzo³⁶.

La **trasformazione digitale** interessa la scoperta, lo sviluppo, la fabbricazione, la produzione di evidenze, la valutazione, la fornitura e l'uso di medicinali. I medicinali, le tecnologie mediche e la sanità digitale diventano sempre più parte integrante delle opzioni terapeutiche globali, comprendendo sistemi basati sull'intelligenza artificiale ai fini di prevenzione, diagnosi, trattamenti migliori, monitoraggio terapeutico e dati per i medicinali personalizzati e per altre applicazioni sanitarie.

La **medicina personalizzata** è un pacchetto integrato di soluzioni sanitarie che comprende elementi di medicinali e dispositivi medici strutturati in modo da soddisfare le esigenze di un singolo paziente. In futuro si continuerà a prescrivere l'assunzione di compresse ai pazienti, ma tali compresse potranno essere abbinate a nuove tecnologie per determinare l'uso, la frequenza di assunzione e il dosaggio giusti in funzione della situazione personale di ciascun paziente. In questo modo si potrà anche sostenere trattamenti in contesti multidisciplinari come l'assistenza a lungo termine. Le terapie digitali possono utilizzare piattaforme basate su app per aiutare i pazienti a gestire malattie croniche quali diabete, depressione e patologie cardiache e a diminuire il trattamento farmacologico.

Iniziative come **"1+ Million Genome"**³⁷, che esplorano le modalità per accedere ai dati genetici potenzialmente in grado di migliorare la prevenzione delle malattie anche attraverso una migliore comprensione degli impatti di determinanti ambientali quali i cambiamenti climatici e l'inquinamento, facilitano trattamenti più personalizzati e forniscono una scala sufficiente per nuove ricerche clinicamente incisive, anche su diversi tipi di cancro.

Il calcolo ad alte prestazioni e l'intelligenza artificiale possono contribuire ad accelerare l'individuazione di potenziali principi attivi per il riposizionamento e ridurre gli elevati tassi di insuccesso. Il progetto della Commissione "Exscalate4COV" utilizza ad esempio il supercalcolo nell'ambito della pandemia di COVID-19. È opportuno prestare la dovuta attenzione al fine di evitare distorsioni di genere, razza o di altra natura nei dati prodotti dall'intelligenza artificiale. I progressi tecnologici possono anche sostenere il principio cosiddetto delle "3 R" (sostituire, ridurre, perfezionare) per l'uso etico degli animali nella sperimentazione dei medicinali.

Una sperimentazione clinica rigorosa, con comparatori adeguati che rispecchino gli standard di cura nell'UE, dovrebbe continuare ad essere la principale fonte di evidenze ai fini dell'autorizzazione dei medicinali innovativi. La piena attuazione del **regolamento sulla sperimentazione clinica**³⁸ istituirà un sistema armonizzato, altamente coordinato, solido e agile per la valutazione e la supervisione delle sperimentazioni cliniche nell'UE. Migliorerà la trasparenza delle informazioni, indipendentemente dall'esito delle sperimentazioni, per consentire il controllo pubblico e affronterà nuovi sviluppi quali le sperimentazioni adattive e

³⁶ In linea con la strategia dell'UE in materia di dati, in particolare per il riutilizzo dei dati e la condivisione dei dati tra aziende e amministrazioni pubbliche.

³⁷ "Towards access to at least 1 million sequenced genomes in the EU by 2022";
<https://ec.europa.eu/digital-single-market/en/european-1-million-genomes-initiative>.

³⁸ Regolamento (UE) n. 536/2014 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 aprile 2014, sulla sperimentazione clinica di medicinali per uso umano (GU L 158 del 27.5.2014, pag. 1).

complesse e l'uso di tecniche *in silico* e di approcci virtuali. L'esperienza acquisita attraverso progetti di R&I finanziati dall'UE con sperimentazioni adattive dimostra che la ricerca può avviare cambiamenti in grado di ridurre i costi e i tempi di sviluppo.

La Commissione si adopererà per garantire che il nuovo quadro sostenga **disegni di sperimentazione innovativi**. Di concerto con le autorità di regolamentazione, i gruppi di pazienti e i portatori di interessi europei, sosterrà il disegno, la pianificazione e la conduzione di sperimentazioni cliniche maggiormente orientate al paziente attraverso documenti di orientamento internazionali armonizzati e tenendo conto dell'esperienza acquisita con le sperimentazioni cliniche per vaccini e trattamenti contro la COVID-19. Ciò comprende la partecipazione rappresentativa di gruppi di popolazione, ad esempio gruppi suddivisi per genere e per età, che probabilmente utilizzeranno il medicinale studiato nelle sperimentazioni cliniche, al fine di garantirne un'adeguata sicurezza ed efficacia. Le **sperimentazioni pragmatiche**, in cui la cura è prescritta e assunta come nella normale pratica quotidiana, possono migliorare l'acquiescenza del paziente e la tolleranza al trattamento individuando la posologia ottimale e l'uso con altri trattamenti. L'interesse commerciale spesso più debole per queste sperimentazioni fa sì che la loro organizzazione sia demandata principalmente al mondo accademico, dove il prezzo del trattamento in studio e le insufficienti conoscenze normative possono costituire un ostacolo.

La Commissione sostiene le iniziative volte a migliorare le conoscenze in materia normativa dei ricercatori accademici e dei portatori di interessi senza scopo di lucro mediante consulenze scientifiche e in materia regolamentare, in modo che le evidenze da essi prodotte possano essere utilizzate senza soluzione di continuità per **riposizionare i medicinali non protetti da brevetto** per nuovi usi terapeutici. In questo processo saranno promossi il coinvolgimento del settore e i partenariati.

Grazie ai nuovi modelli di sviluppo dei prodotti e di prestazione dell'assistenza, le autorità di regolamentazione prendono coscienza dei limiti della legislazione e delle potenziali esigenze di adattabilità normativa. La rapida evoluzione dei prodotti che combinano medicinali e **dispositivi medici** si riflette nella nuova legislazione³⁹, ma permangono alcune sfide. Tra queste la necessità di chiarire ruoli e responsabilità, di snellire le norme e le procedure e di sviluppare le necessarie competenze in materia di regolamentazione e la collaborazione intersettoriale. Per garantire la qualità di tali dispositivi, è importante accedere a strutture di collaudo dove si possano testare i dispositivi che si avvalgono dell'intelligenza artificiale.

La Commissione proporrà una **revisione della legislazione farmaceutica** per valutare come sfruttare al meglio questa trasformazione. Saranno previsti tra l'altro **nuovi metodi di produzione e valutazione delle evidenze**, come l'analisi dei big data e dei "dati del mondo reale" a sostegno dello sviluppo, dell'autorizzazione e dell'uso dei medicinali. Le autorità di regolamentazione possono richiedere l'accesso ai dati grezzi al momento dell'autorizzazione

³⁹ Regolamento (UE) 2017/745 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 5 aprile 2017, relativo ai dispositivi medici, che modifica la direttiva 2001/83/CE, il regolamento (CE) n. 178/2002 e il regolamento (CE) n. 1223/2009 e che abroga le direttive 90/385/CEE e 93/42/CEE del Consiglio (GU L 117 del 5.5.2017, pag. 1) e regolamento (UE) 2017/746 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 5 aprile 2017, relativo ai dispositivi medico-diagnostici in vitro e che abroga la direttiva 98/79/CE e la decisione 2010/227/UE della Commissione (GU L 117 del 5.5.2017, pag. 176).

per valutare appieno questi elementi innovativi del trattamento. Incentivando inoltre lo sviluppo e la convalida di biomarcatori pertinenti si potrebbe sostenere l'efficacia dell'adozione di alcuni medicinali nuovi e costosi, ma anche medicinali generici, contribuendo così alla sostenibilità dei sistemi sanitari.

Iniziative faro in materia di innovazione

- Proporre una revisione della legislazione farmaceutica per adattarla ai prodotti di punta, agli sviluppi scientifici (ad esempio la genomica o la medicina personalizzata) e alla trasformazione tecnologica (ad esempio l'analisi dei dati e gli strumenti digitali) e fornire incentivi su misura per l'innovazione - 2022.
- Rafforzare il dialogo tra le autorità di regolamentazione e le altre autorità competenti nel settore dei medicinali e dei dispositivi medici al fine di intensificare la cooperazione sulla produzione di evidenze nei rispettivi settori - 2021.
- Sostenere progetti collaborativi che riuniscano i portatori di interessi al fine di portare avanti l'uso del calcolo ad alte prestazioni e dell'intelligenza artificiale in combinazione con i dati sanitari dell'UE per l'innovazione farmaceutica - 2021-2022.
- Istituire un accesso federato sicuro a 10 milioni di genomi a livello transfrontaliero per la ricerca, l'innovazione e le applicazioni cliniche, compresa la medicina personalizzata - 2025.

Altre azioni

- Dare piena attuazione al quadro normativo per le sperimentazioni cliniche che sostiene disegni di sperimentazione innovativi e uno sviluppo di medicinali più orientato al paziente - 2021.
- Avviare un progetto pilota con il coinvolgimento dell'industria e del mondo accademico, per testare un quadro di riferimento per il riposizionamento di medicinali non protetti da brevetto e ispirare eventuali azioni normative - 2021.
- Varare una piattaforma vaccinale per il monitoraggio dell'efficacia e della sicurezza dei vaccini, sostenuta da una rete di sperimentazioni cliniche a livello dell'UE - 2021.
- Rafforzare il sostegno e la formazione del mondo accademico e delle organizzazioni senza scopo di lucro in materia di scienza a fini normativi, affinché la ricerca possa meglio tradursi in sviluppo di prodotti - 2022.
- Avviare un'iniziativa per progetti pilota di regolamentazione in un ambiente di sperimentazione fornito dall'EMA e dalla Commissione per testare l'adattabilità del quadro farmaceutico allo sviluppo di nuovi prodotti di punta - 2022.

3.3. Un sistema normativo solido e flessibile

L'**efficienza normativa** è un prerequisito per un sistema farmaceutico moderno. L'UE aggiorna costantemente il suo quadro di riferimento per garantire che un sistema globale copra l'intero ciclo di vita dei medicinali. Tale quadro si fonda su un sistema duale in cui la Commissione autorizza medicinali innovativi per tutta l'UE sulla base di un parere positivo dell'EMA e le autorità nazionali di regolamentazione autorizzano un numero elevato di medicinali generici e altri medicinali essenziali.

La Commissione esplorerà la necessità di riconoscere in modo più formale il **ruolo della rete** delle agenzie nazionali per i medicinali (capi delle agenzie per i medicinali) e della sua struttura operativa nel sistema normativo.

Nel quadro del riesame della legislazione, la Commissione valuterà le procedure per esplorare nuovi approcci per la valutazione delle evidenze scientifiche relative alla sicurezza e all'efficacia dei medicinali e cercherà di allineare i **tempi di approvazione normativa** dell'UE a quelli di altre regioni del mondo. Valuterà in che modo le infrastrutture e processi di regolamentazione adattati potrebbero sfruttare la tecnologia digitale e l'intelligenza artificiale per sostenere il processo decisionale normativo e aumentare l'efficienza. L'esperienza dell'EMA durante la pandemia di COVID-19 (ad esempio nel riesame continuo delle nuove evidenze scientifiche per accelerare la valutazione) ispirerà le azioni future. La Commissione intende riformare gli strumenti normativi esistenti, quali l'esame delle priorità e la consulenza scientifica a sostegno delle aziende, in particolare le PMI, nello sviluppo di prodotti innovativi a beneficio delle esigenze mediche non soddisfatte.

Uno studio⁴⁰ sull'autorizzazione e la sorveglianza dei medicinali per uso umano servirà da base per la valutazione del quadro normativo al fine di **semplificare e razionalizzare le procedure** e di ridurre i costi. Due esempi di aree in cui è necessaria una semplificazione sono la gestione delle variazioni nelle autorizzazioni all'immissione in commercio e la valutazione dei fascicoli di qualità relativi ai principi attivi. Sarà avviato un processo di riflessione sul funzionamento dei comitati scientifici e sulle sinergie tra detti comitati, nonché sul ruolo dei pazienti e degli operatori sanitari.

Inoltre un migliore utilizzo delle **informazioni sul prodotto in formato elettronico** (ePI) potrebbe facilitare la trasmissione di informazioni sul medicinale agli operatori sanitari e ai pazienti nell'ambiente multilingue dell'UE e sostenere una maggiore disponibilità di medicinali in tutti gli Stati membri. È opportuno che qualsiasi misura tenga conto delle esigenze di tutti i pazienti e di tutti gli operatori sanitari. Dovrebbero inoltre essere prese in considerazione misure volte a garantire che i medicinali siano manipolati in modo sicuro dai lavoratori, anche durante la somministrazione dei trattamenti.

La Commissione valuterà le **sfide in materia di classificazione e interazione** relative ad altre procedure di regolamentazione (quali i dispositivi medici e le sostanze di origine umana) e prenderà in considerazione azioni volte ad aumentare la cooperazione tra i settori normativi e, ove necessario, la chiarezza per i portatori di interessi riguardo ai prodotti innovativi, mantenendo nel contempo elevati standard di qualità, sicurezza ed efficacia.

Le prescrizioni normative per l'autorizzazione dei medicinali per uso umano contenenti o costituiti da **organismi geneticamente modificati** (OGM) dovrebbero essere adeguate all'obiettivo quando si tratta di affrontare le specificità dei medicinali e la conduzione di sperimentazioni cliniche con tali prodotti nell'UE (attualmente ostacolata dalla frammentazione delle prescrizioni nazionali). Le possibili soluzioni saranno approfondite nel corso della valutazione della legislazione farmaceutica. In generale, dovrebbero essere presi in considerazione meccanismi per l'adeguamento continuo e tempestivo dei requisiti tecnici

⁴⁰ "Study on the experience acquired as a result of the procedures for authorisation and monitoring of medicinal products for human use" - pubblicazione programmata nel 2021.

alla luce della scienza e delle tecnologie emergenti, al fine di migliorare l'efficacia nella protezione della salute umana riducendo al minimo gli impatti nocivi sull'ambiente.

Le autorità di regolamentazione devono inoltre adeguarsi ai nuovi sviluppi scientifici e tecnologici potenziando le competenze necessarie e conseguendo un'eccellenza operativa per gestire terapie nuove e più complesse. Al riguardo, la disponibilità di finanziamenti sufficienti a tutti i livelli costituisce un fattore importante. Il sistema tariffario dell'EMA è essenziale per finanziare le attività di regolamentazione a livello dell'UE e garantire la copertura dei relativi costi. La Commissione terrà conto di questo aspetto nella prossima revisione della normativa relativa alle tariffe dell'EMA.

Iniziative faro sull'efficienza normativa

- Proporre una revisione della legislazione farmaceutica per semplificare e razionalizzare le procedure di approvazione e garantire flessibilità per l'adeguamento tempestivo delle prescrizioni tecniche agli sviluppi scientifici e tecnologici, al fine di affrontare le sfide relative all'interazione tra medicinali e dispositivi e di rafforzare gli elementi che favoriscono la competitività - 2022.
- Proporre una revisione del quadro delle variazioni per i medicinali, modificando la legislazione e gli orientamenti, affinché la gestione del ciclo di vita dei medicinali sia più efficiente e adatta alla digitalizzazione - 2021-2023.

Altre azioni

- Proposta di revisione della legislazione sulle tariffe dell'EMA - 2021.
- Prevedere un processo di valutazione unico in tutti gli Stati membri per i principi attivi utilizzati in diversi medicinali generici (fascicoli permanenti per i principi attivi) per facilitarne l'autorizzazione e la gestione del ciclo di vita - 2022.
- Valutare la possibilità di adeguare le prescrizioni normative della legislazione farmaceutica applicabili ai medicinali per uso umano contenenti o costituiti da organismi geneticamente modificati (OGM) - 2022.
- Aggiornare il registro dell'Unione dei medicinali autorizzati mediante procedura centralizzata della Commissione per includervi un dashboard statistico e rendere i dati pienamente disponibili per l'uso secondario nell'ambito dell'iniziativa dell'UE "Open Data" - 2021.
- Sviluppare e attuare informazioni sul prodotto in formato elettronico (ePI) per tutti i medicinali dell'UE, coinvolgendo gli Stati membri e l'industria, valutare e rivedere le pertinenti disposizioni della legislazione - 2022.
- Proporre una revisione della legislazione per conferire alle autorità di regolamentazione maggiori poteri per adeguare di propria iniziativa i termini delle autorizzazioni all'immissione in commercio sulla base di evidenze scientifiche - 2022.
- Semplificare e razionalizzare il sistema di sanzioni per trattare i casi di inosservanza in modo proporzionato ed efficiente - 2024.

4. **Rafforzare la resilienza: catene di approvvigionamento diversificate e sicure; farmaci sostenibili dal punto di vista ambientale; meccanismi di preparazione e risposta alle crisi**

4.1. *Garantire la fornitura di medicinali in tutta l'UE ed evitare carenze*

Il Consiglio europeo⁴¹ ha riconosciuto che "raggiungere l'autonomia strategica mantenendo nel contempo un'economia aperta è un obiettivo fondamentale dell'Unione". Le **carenze** di medicinali destano grave preoccupazione nell'UE da diversi anni e si sono aggravate durante la pandemia di COVID-19. Le situazioni di carenza compromettono la salute dei pazienti e gravano pesantemente sui sistemi sanitari e sugli operatori sanitari. Possono determinare situazioni di "sottotrattamento" e un prolungamento delle degenze ospedaliere. Sono sempre più frequenti carenze di prodotti presenti sul mercato da molti anni e ampiamente utilizzati⁴². I motivi sono complessi e includono le strategie di commercializzazione, il commercio parallelo, la scarsità di principi attivi farmaceutici e di materie prima, la debolezza degli obblighi di servizio pubblico, le quote di approvvigionamento o le questioni legate alla fissazione dei prezzi e al rimborso.

Per rafforzare **l'autonomia strategica aperta dell'UE** nel settore dei medicinali sono necessarie azioni volte a individuare le dipendenze strategiche nel settore sanitario e a proporre misure per ridurle, eventualmente anche diversificando le catene di produzione e di approvvigionamento, garantendo la costituzione di scorte strategiche e promuovendo la produzione e gli investimenti in Europa. Ridurre al minimo l'impatto della carenza di medicinali sull'assistenza ai pazienti richiederà misure sia preventive sia di attenuazione per rafforzare in modo significativo l'obbligo di approvvigionamento continuo. Quest'anno la Commissione ha avviato uno studio per individuare le cause profonde delle carenze e valutare il quadro giuridico. Lo studio servirà da base per la valutazione e la revisione della legislazione vigente. Le misure legislative potrebbero comprendere obblighi più rigorosi per il settore al fine di garantire l'approvvigionamento dei medicinali, un sistema di notifica anticipata delle carenze e dei ritiri, maggiore trasparenza delle scorte lungo tutta la catena di approvvigionamento e un ruolo di coordinamento più incisivo per l'EMA in termini di monitoraggio e gestione delle carenze. Tali misure saranno integrate da una cooperazione rafforzata tra gli Stati membri, ad esempio sotto forma di migliori approcci e strategie in materia di acquisizione, appalti congiunti per medicinali critici e una cooperazione a livello dell'UE sui mezzi e sugli strumenti per l'elaborazione delle politiche nazionali in materia di prezzi e di rimborsi. Per i prodotti caratterizzati da volumi ridotti o da un uso limitato, saranno fondamentali nuovi contratti commerciali e/o modelli di pagamento.

Le catene di fabbricazione e di approvvigionamento dei farmaci sono complesse, sempre più globalizzate e talvolta non sufficientemente diversificate. Nelle varie fasi di produzione di un singolo ingrediente possono essere coinvolti più attori, in diverse parti del mondo, i cui processi di produzione hanno prestazioni ambientali diverse. Determinate tecnologie necessarie per la produzione di materie prime non sono più disponibili nell'UE. Già prima della pandemia di COVID-19 vi erano preoccupazioni circa la resilienza delle catene di produzione farmaceutica e sia il Parlamento europeo che gli Stati membri hanno invitato la

⁴¹ Conclusioni del Consiglio europeo del 2 ottobre 2020 (EUCO 13/20).

⁴² Pharmaceutical Group of European Union (PGEU), "Medicine shortages survey: 2019 results".

Commissione ad affrontare la questione⁴³, in particolare per quanto riguarda l'approvvigionamento di materie prime farmaceutiche, di prodotti intermedi e di principi attivi farmaceutici che possono contribuire al rischio di carenza di medicinali critici. La pandemia ha dimostrato che spesso le autorità pubbliche non hanno accesso a informazioni complete sulla struttura delle catene di fabbricazione e di approvvigionamento. Per rispondere adeguatamente alle crisi sono necessarie catene di approvvigionamento resilienti e sufficientemente diversificate che operino in un contesto commerciale prevedibile ed efficiente sotto il profilo delle risorse.

La Commissione avvierà e coordinerà quindi un **dialogo strutturato** con gli attori della catena di valore della produzione farmaceutica, le autorità pubbliche, le ONG dei pazienti e della sanità e la comunità della ricerca. Nella sua prima fase, il dialogo strutturato mirerà ad acquisire una migliore comprensione del funzionamento delle **catene di approvvigionamento globali** e a individuare con precisione le cause e i fattori alla base delle **diverse potenziali vulnerabilità**, comprese le potenziali dipendenze che minacciano l'approvvigionamento di medicinali critici, principi attivi farmaceutici e materie prime sulla base della raccolta e dell'analisi dei dati.

In una seconda fase, il dialogo strutturato servirà a proporre una serie di **possibili misure** per affrontare le vulnerabilità individuate e a **formulare opzioni strategiche** che la Commissione e le altre autorità dell'UE dovranno valutare per garantire la sicurezza dell'approvvigionamento e la disponibilità di medicinali critici, principi attivi farmaceutici e materie prime. Sebbene dal punto di vista della salute pubblica e della preparazione alle crisi sia importante valutare se sia necessario acquisire capacità di fabbricazione nell'UE di determinati medicinali critici, qualsiasi potenziale misura dovrebbe essere pienamente conforme al diritto dell'Unione in materia di concorrenza come pure alle norme dell'Organizzazione mondiale del commercio (OMC).

Al fine di migliorare la prevedibilità dell'ambiente commerciale dei prodotti sanitari, compresi i medicinali, l'UE **collaborerà con i membri dell'OMC** a un'iniziativa volta a facilitare gli scambi di prodotti sanitari e a contribuire a una risposta efficace alle emergenze sanitarie. Tale iniziativa contribuirebbe a rafforzare la resilienza e la solidità delle catene di approvvigionamento nell'UE e in tutti gli altri paesi partner dell'OMC, basandosi su una maggiore cooperazione tra i partner commerciali per evitare inutili perturbazioni nella produzione e distribuzione di beni essenziali, aspetto di fondamentale importanza in caso di necessità.

Iniziative faro sull'autonomia strategica aperta

- Proporre una revisione della legislazione farmaceutica per migliorare la sicurezza dell'approvvigionamento e affrontare le carenze attraverso misure specifiche, tra cui un sistema di notifica anticipata delle carenze e dei ritiri, maggiore trasparenza delle scorte e un coordinamento e meccanismi dell'UE più incisivi per monitorare, gestire ed evitare le carenze - 2022.

⁴³ Risoluzione del Parlamento europeo del 17 settembre 2020 sulla penuria di medicinali – come affrontare un problema emergente (2020/2071(INI)) e conclusioni del Consiglio europeo del 2 ottobre 2020 (EUCO 13/20).

- Dare seguito alla richiesta del Consiglio europeo di un'autonomia strategica aperta e avviare un dialogo strutturato con e tra gli attori della catena di valore della fabbricazione farmaceutica e le autorità pubbliche, per individuare le vulnerabilità nella catena di approvvigionamento globale di medicinali critici, materie prime farmaceutiche, prodotti intermedi e principi attivi farmaceutici al fine di formulare opzioni strategiche e proporre azioni volte a rafforzare la continuità e la sicurezza dell'approvvigionamento nell'UE - 2021.
- Valutare azioni volte a garantire una maggiore trasparenza da parte dell'industria relativamente alle catene di approvvigionamento, attraverso un processo volontario - 2021.

Altre azioni

- Incoraggiare gli Stati membri e fornire sostegno per avviare una stretta cooperazione attraverso i finanziamenti forniti da EU4Health al fine di elaborare orientamenti, misure e strumenti che potrebbero essere utilizzati sia a livello dell'UE che nell'elaborazione delle politiche nazionali per far fronte alle carenze strutturali - 2021-2022.
- Promuovere azioni a livello dell'OMC per aumentare la resilienza nelle catene di approvvigionamento globali di beni essenziali - 2021.

4.2. Medicinali di elevata qualità, sicuri e sostenibili dal punto di vista ambientale

La recente esperienza con l'imprevista presenza di impurità di nitrosammine in alcuni medicinali⁴⁴ ha messo in luce l'importanza di un sistema solido di individuazione dei problemi di qualità e di gestione della conformità. È essenziale rafforzare la supervisione della catena di fabbricazione globale e garantire una maggiore trasparenza in tutta la catena di approvvigionamento. Rispetto alla qualità dei medicinali, elemento imprescindibile è la responsabilità di tutti gli attori ma soprattutto dei titolari delle autorizzazioni all'immissione in commercio. È opportuno migliorare la conformità alle buone prassi di fabbricazione e di distribuzione.

A livello internazionale l'UE svolge un ruolo attivo nella promozione di **buone prassi di fabbricazione** che garantiscono la massima qualità dei prodotti farmaceutici. Tale obiettivo sarà realizzabile attraverso consessi quali la conferenza internazionale sull'armonizzazione dei requisiti tecnici per la registrazione di medicinali per uso umano (ICH) e la cooperazione bilaterale e multilaterale in materia di ispezioni. I meccanismi di cooperazione bilaterale sono vantaggiosi, in particolare l'affidamento reciproco fatto sulle ispezioni che evita la duplicazione degli sforzi e consente un uso più efficiente degli ispettori. All'interno dell'UE la Commissione sosterrà la cooperazione tra gli Stati membri in materia di ispezioni e contribuirà a migliorare le capacità.

La Commissione analizzerà inoltre l'impatto normativo dei **nuovi metodi di fabbricazione** emergenti, come la fabbricazione decentralizzata o la fabbricazione continua. Questi metodi

⁴⁴ <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/post-authorisation/referral-procedures/nitrosamine-impurities>.

creano nuovi modelli di fabbricazione e determinano il passaggio dalla tipologia industriale a quella "al letto del paziente". Pur accelerando i tempi di produzione, creano però nuove sfide in termini di qualità, ispezione e supervisione adeguate.

La produzione, l'uso e lo smaltimento dei medicinali hanno implicazioni ambientali, in quanto i residui e i prodotti di scarto possono diffondersi nell'**ambiente**. Ne consegue non solo un impatto negativo sull'ambiente: alcuni scarti e residui possono infatti avere un potenziale di perturbazione del sistema endocrino mentre altri possono accrescere il rischio di resistenza antimicrobica. La presenza di farmaci antimicrobici nell'acqua e nel suolo può contribuire ad accelerare lo sviluppo di batteri resistenti. L'obiettivo "inquinamento zero" del **Green Deal europeo** si propone di tutelare sia la salute pubblica sia gli ecosistemi. È necessario intervenire durante tutto il ciclo di vita dei medicinali per ridurre l'uso delle risorse, le emissioni e i livelli di residui farmaceutici nell'ambiente. L'esposizione complessiva a tali residui dovrebbe essere minimizzata e ridotta il più possibile. C'è ancora un problema relativo ai **rifiuti** costituiti da medicinali inutilizzati. La Commissione ha recentemente adottato orientamenti sulla raccolta differenziata dei rifiuti domestici pericolosi, tra cui i prodotti farmaceutici⁴⁵. Si dovrebbero valutare ulteriori misure volte a limitare tali rifiuti, tra cui confezioni più piccole e allineate all'uso reale dei prodotti. Il piano d'azione per l'economia circolare⁴⁶ e la strategia in materia di sostanze chimiche sostenibili⁴⁷ stabiliscono un quadro per la transizione generale verso la produzione e il consumo di risorse e di materie prime farmaceutiche sicure e che abbiano il minor impatto possibile sull'ambiente e sul clima. Inoltre l'approccio strategico dell'UE riguardo all'impatto ambientale dei farmaci⁴⁸ e il piano d'azione europeo "One Health" contro la resistenza antimicrobica⁴⁹ stabiliscono azioni mirate attualmente in fase di attuazione (tra cui azioni che migliorano la valutazione del rischio ambientale e la gestione dei rifiuti).

La strategia farmaceutica per l'Europa si basa su tali misure e le integra, in particolare nell'ambito del riesame della legislazione farmaceutica che comprende anche le disposizioni sulla valutazione del rischio ambientale. L'innovazione in materia di farmaci e fabbricazione sostenibili sotto il profilo ambientale e climaticamente neutri dovrebbe diventare un motore dell'industria farmaceutica dell'UE, la quale dovrebbe applicare le migliori tecniche disponibili a livello di fabbricazione per ridurre le emissioni e contribuire all'obiettivo climatico dell'UE lungo le sue catene di approvvigionamento.

La Commissione favorirà inoltre, attraverso la cooperazione internazionale, azioni volte ad affrontare i **rischi ambientali** in altri paesi in cui le emissioni di farmaci causate dalla fabbricazione e da altre fonti possono contribuire alla diffusione della resistenza antimicrobica. È opportuno valutare in quale misura la resistenza antimicrobica possa essere affrontata attraverso le buone prassi di fabbricazione. La Commissione coopererà con

⁴⁵ Comunicazione della Commissione - Raccolta differenziata di rifiuti domestici pericolosi (2020/C 375/01), del 6.11.2020.

⁴⁶ COM(2020) 98.

⁴⁷ COM(2020) 667.

⁴⁸ COM(2019) 128. Ulteriori informazioni sui progressi compiuti nell'attuazione dell'approccio strategico riguardo all'impatto ambientale dei farmaci sono disponibili all'indirizzo <https://ec.europa.eu/environment/water/water-dangersub/pharmaceuticals.htm>.

⁴⁹ COM(2017) 339.

l'Organizzazione mondiale della sanità (OMS), con altre organizzazioni internazionali chiave nonché a livello bilaterale al fine di sensibilizzare sui rischi ambientali, anche mediante la condivisione delle migliori prassi e l'elaborazione di orientamenti internazionali. Promuoverà la produzione e lo smaltimento sostenibili sul piano ambientale dei medicinali a livello mondiale, anche attraverso un dialogo politico e l'assunzione di impegni volontari da parte del settore.

Iniziative faro in materia di qualità e sostenibilità ambientale

- Proporre una revisione delle disposizioni in materia di fabbricazione e approvvigionamento contenute nella legislazione farmaceutica al fine di migliorare la trasparenza e rafforzare la supervisione della catena di approvvigionamento nonché chiarire le attribuzioni di responsabilità per garantire la sostenibilità ambientale complessiva, salvaguardare la qualità dei medicinali e assicurare la preparazione alle nuove tecnologie di fabbricazione - 2022.
- Proporre una revisione della legislazione farmaceutica per rafforzare le prescrizioni in materia di valutazione del rischio ambientale e le condizioni d'uso dei medicinali e tracciare un bilancio dei risultati della ricerca nel quadro dell'iniziativa sui medicinali innovativi - 2022.

Altre azioni

- Procedere a un riesame del quadro sulle buone prassi di fabbricazione e favorire le ispezioni delle buone prassi di fabbricazione e di distribuzione al fine di migliorare la conformità - 2022.
- Collaborare con gli Stati membri per rafforzare la loro capacità di partecipare al programma internazionale di ispezione e audit - in corso.
- Lavorare con i partner internazionali nel quadro di una cooperazione volta a garantire la qualità e la sostenibilità ambientale dei principi attivi farmaceutici importati dai paesi terzi - in corso.
- Valutare con gli Stati membri e l'EMA la fattibilità di migliorare le informazioni contenute nelle banche dati esistenti o negli archivi collegati per quanto riguarda i siti di fabbricazione, il loro uso per i prodotti autorizzati nell'UE e lo stato delle ispezioni - 2022.
- Proseguire la messa in opera delle azioni nell'ambito dell'approccio strategico riguardo all'impatto ambientale dei farmaci, compreso lo smaltimento sicuro sotto il profilo ambientale dei medicinali, confezioni più piccole e meno imballaggi - in corso.
- Lavorare con gli Stati membri e i portatori di interessi allo sviluppo di migliori pratiche in materia di decarbonizzazione delle catene del valore - 2021.

4.3. Rafforzare i meccanismi europei di risposta alle crisi sanitarie

La cooperazione efficace tra il settore pubblico e quello privato è stata fondamentale nella risposta dell'Unione alla pandemia di COVID-19. La possibilità di concludere molteplici accordi preliminari di acquisto di vaccini è prova di un ecosistema eterogeneo, composto da piccole e medie imprese farmaceutiche e da affermate multinazionali del settore, favorito da

un ambiente normativo e finanziario robusto. La natura e la rapidità della risposta alla COVID-19 dimostrano tuttavia la necessità di un approccio più strutturale alla preparazione, ma mettono anche in luce carenze nella capacità del settore di rispondere e prepararsi rapidamente alle situazioni di emergenza sanitaria, con potenziali conseguenze per l'autonomia strategica europea.

Il pacchetto "**Unione europea della salute**" è un primo passo per sviluppare soluzioni strutturali e adeguate alle esigenze future volte a migliorare la preparazione e la resilienza dell'UE alle minacce per la salute a carattere transfrontaliero. Amplia il ruolo dell'EMA, cui assegna una funzione di polo centrale per l'eccellenza scientifica. Mette l'Agenzia nelle condizioni di accelerare le procedure di consulenza scientifica e di valutazione, di ponderare le capacità di approvvigionamento e di monitorare, quantificare e attenuare le carenze di medicinali di importanza fondamentale durante una crisi. Il pacchetto rafforza il mandato del Centro europeo per la prevenzione e il controllo delle malattie di fornire sostegno pratico agli Stati membri e alla Commissione europea attraverso la sorveglianza epidemiologica e raccomandazioni scientifiche relative a misure sanitarie adeguate per far fronte alle crisi sanitarie. Comprende infine un regolamento sulle gravi minacce a carattere transfrontaliero per migliorare la preparazione e la risposta e annuncia un'Autorità europea per la risposta alle emergenze sanitarie (HERA).

L'HERA colma una grave lacuna strutturale nell'infrastruttura dell'UE di preparazione e risposta alle crisi; tale autorità rafforzerà il coordinamento delle operazioni lungo l'intera catena del valore e svilupperà investimenti strategici per la ricerca, lo sviluppo, la fabbricazione, la diffusione, la distribuzione e l'uso di contromisure mediche. A tal fine sarà necessario costruire ecosistemi di capacità pubbliche e private che, nel loro insieme, rendano possibile una risposta rapida in caso di necessità.

Attraverso analisi delle tendenze emergenti e previsioni, l'HERA anticiperà le minacce specifiche e favorirà lo sviluppo tecnologico. Individuerà e affronterà le carenze di investimenti nelle contromisure chiave, compreso lo sviluppo di antimicrobici innovativi. Monitorerà e metterà in comune la capacità di produzione, il fabbisogno e la disponibilità di materie prime, affrontando così le vulnerabilità della catena di approvvigionamento. Sosterrà lo sviluppo di soluzioni tecnologiche trasversali (ad es. tecnologie di piattaforma per i vaccini) a sostegno della pianificazione della preparazione e della risposta alle future minacce per la salute pubblica e dello sviluppo di contromisure specifiche, anche attraverso la ricerca, le sperimentazioni cliniche e l'infrastruttura di dati.

Qualora un'emergenza sanitaria colpisca l'UE saranno necessarie risorse supplementari, ad es. meccanismi di appalto o costituzione di scorte su vasta scala e tempestivi, per reagire in modo adeguato nell'interesse di tutti gli Stati membri. Sulla base dell'esperienza acquisita con lo sviluppo di vaccini contro la COVID-19 e delle relative procedure di appalto congiunto, la Commissione valuterà e avvierà un'azione preparatoria incentrata sulle minacce emergenti per la salute umana, ad es. le malattie infettive e la resistenza antimicrobica. Parallelamente, avvierà una valutazione d'impatto e una consultazione sull'istituzione di un'autorità dell'UE nell'ottica di proporre, nel 2021, una struttura dedicata dotata di un mandato e di risorse adeguati, pronta a essere operativa in tempi rapidi. Saranno garantite sinergie e complementarità con gli organismi dell'UE esistenti e con i pertinenti programmi di spesa.

Sono previste varie misure supplementari a sostegno della resilienza. Il programma EU4Health e i partenariati pubblico-privato integreranno le politiche nazionali volte a

proteggere le persone dalle gravi minacce per la salute a carattere transfrontaliero e contribuiranno alla preparazione e alla risposta alle crisi. Nell'ambito del riesame della legislazione, verranno anche esaminate le modalità per creare un sistema più resiliente alle crisi. Parallelamente, completeranno il quadro la ricerca e innovazione, le catene globali del valore e di approvvigionamento, la cooperazione e la convergenza internazionali e il potenziamento e diversificazione delle strutture di produzione. Nel contesto del suo piano d'azione sulla PI, la Commissione analizzerà gli strumenti tesi a migliorare la disponibilità della proprietà intellettuale relativa alle tecnologie critiche in tempi di crisi.

Iniziativa faro sui meccanismi europei di risposta alle crisi sanitarie

- Proposta relativa a un'Autorità dell'UE per la risposta alle emergenze sanitarie - 2021.

5. Garantire una voce forte dell'UE a livello mondiale

Il sistema di regolamentazione dell'UE in materia di farmaci è riconosciuto essere ben sviluppato, affidabile e maturo. Inoltre, in termini di scambi mondiali, il settore farmaceutico è economicamente strategico per l'UE.

Nella sua azione a livello mondiale la Commissione collaborerà strettamente con l'EMA e con le autorità nazionali competenti nell'ambito della rete di regolamentazione.

La Commissione proseguirà il dialogo aperto con altre regioni e paesi, anche con i paesi a basso e medio reddito. Esaminerà come migliorare l'attrattiva della procedura di formulazione dei pareri sui medicinali destinati esclusivamente ai mercati al di fuori dell'UE quale strumento di cooperazione con altri paesi e di facilitazione dell'accesso ai medicinali al di fuori dell'Unione. L'UE continuerà inoltre a impegnarsi nei consessi multilaterali per rafforzare la cooperazione in materia di regolamentazione e, ove possibile, la convergenza, in particolare nell'ambito del programma internazionale di regolamentazione farmaceutica⁵⁰ e della coalizione internazionale delle autorità di regolamentazione dei medicinali⁵¹.

L'UE ha interesse a collaborare con i suoi partner internazionali per fissare norme più ambiziose in termini di qualità, efficacia e sicurezza nelle organizzazioni e nei consessi di cooperazione internazionale. Le **norme internazionali comuni** rappresentano uno strumento fondamentale in quanto facilitano lo sviluppo globale dei farmaci. L'UE continuerà a svolgere un ruolo di primo piano nelle organizzazioni internazionali che promuovono tale normazione, come l'ICH i cui orientamenti fungono sempre di più da norme globali. La Commissione collaborerà attivamente con altri partner dell'ICH per definire un piano per la preparazione e l'aggiornamento degli orientamenti per un'ulteriore armonizzazione.

I mercati globali sono una fonte essenziale di crescita, anche per le PMI. È necessario garantire di **condizioni di parità** e un contesto normativo favorevole all'innovazione e alla competitività. Nelle relazioni bilaterali con altri paesi, la Commissione difenderà gli interessi dell'UE, compreso l'accesso reciproco ai mercati degli appalti nei paesi terzi, ma individuerà

⁵⁰ <http://www.iprp.global/home>.

⁵¹ <http://www.icmra.info/drupal/en/home>.

anche settori comuni di interesse strategico. In particolare l'Africa è un partner importante con cui esplorare la cooperazione in materia di innovazione, produzione e trasferimento di tecnologie. La Commissione si concentrerà sulla cooperazione internazionale, sul rafforzamento della governance globale e sulle alleanze con i paesi partner, anche avvalendosi di iniziative o di azioni basate sull'OMC per facilitare gli scambi di prodotti sanitari.

L'UE **sosterrà le attività dell'Organizzazione mondiale della sanità (OMS)** volte a rafforzare la capacità normativa incoraggiando i meccanismi di affidamento e istituendo un quadro per designare le autorità di regolamentazione quali autorità inserite nell'elenco dell'OMS.

Iniziativa faro sulla cooperazione internazionale

- Lavorare a livello mondiale, con l'EMA e con la rete di autorità nazionali di regolamentazione, nei consessi internazionali e mediante la cooperazione bilaterale per promuovere una convergenza normativa al fine di garantire l'accesso a medicinali sicuri, efficaci, di elevata qualità e a prezzi accessibili a livello mondiale - in corso.

Altre azioni

- Portare avanti l'armonizzazione internazionale proponendo in modo proattivo temi in linea con i più recenti sviluppi scientifici; promuovere l'adozione e l'attuazione di norme internazionali e garantire condizioni di parità per gli operatori sul mercato internazionale rafforzando le relazioni bilaterali e multilaterali dell'UE - in corso.

6. Lavorare insieme verso il successo: un approccio cooperativo e a più livelli per l'attuazione della strategia

Grazie alla strategia farmaceutica potremo continuare a fornire medicinali sicuri e di elevata qualità garantendo che i benefici dell'innovazione giovinno ai pazienti nell'UE. La strategia farà sì che l'UE rimanga un luogo attraente per gli investimenti, la ricerca e lo sviluppo di medicinali. Migliorerà la resilienza e la preparazione alle crisi del sistema dell'UE e rafforzerà la posizione dell'Unione sulla scena mondiale.

Per garantire il successo di questa strategia è necessario **un approccio globale e integrato** che affronti le sfide e abbatta la compartimentazione, collaborando tra le varie discipline e competenze normative lungo l'intero ciclo di vita dei medicinali e delle tecnologie mediche per trovare i giusti approcci strategici.

Il successo della transizione dipenderà dal **dialogo collaborativo**, come dimostrato dalle varie attività di consultazione condotte per l'elaborazione di questa strategia. La Commissione è disposta a proseguire questo dialogo. Di conseguenza intende aprire un canale di comunicazione con tutte le autorità nazionali e i portatori di interessi pertinenti affinché possano non solo fornire il loro contributo, ma anche diventare partner in questo processo. Al fine di facilitare l'interazione con i portatori di interessi sarà impiegato un **dialogo inclusivo con la società civile basato sulle strutture esistenti**: autorità pubbliche, industria, operatori sanitari, organizzazioni di pazienti, di consumatori e della società civile e comunità di ricercatori.

La Commissione riferirà periodicamente sui progressi compiuti e manterrà il **Parlamento europeo e il Consiglio pienamente informati e coinvolti** in tutte le azioni pertinenti, tenendo conto del loro ruolo nella definizione delle politiche e nel processo legislativo.

La Commissione perseguirà gli obiettivi della strategia e attuerà azioni specifiche **in partenariato con gli Stati membri**, grazie a un dialogo rafforzato, una stretta interazione e uno scambio proattivo di informazioni tra gli Stati membri e la Commissione. Il principale forum di discussione con gli Stati membri sarà il comitato farmaceutico⁵², mentre altri meccanismi di collaborazione esistenti nell'UE saranno rafforzati e razionalizzati a tal fine.

La strategia definisce una visione pluriennale. Rappresenta l'inizio di un processo che garantirà che la politica farmaceutica dell'UE raggiunga i suoi obiettivi e serva la salute pubblica in modo sostenibile dal punto di vista economico, ambientale e sociale, in un ambiente in continua evoluzione che trasforma tanto la scienza quanto i mercati. La sua attuazione richiede un impegno a lungo termine e la mobilitazione di risorse. Il suo successo dipenderà dall'impegno e dal contributo di tutti gli attori della catena del valore farmaceutica nello sviluppare un senso di titolarità comune.

⁵² 75/320/CEE: Decisione del Consiglio, del 20 maggio 1975, relativa alla creazione di un comitato farmaceutico (GU L 147 del 9.6.1975, pag. 23).