



Documento di seduta

B8-1340/2016

12.12.2016

PROPOSTA DI RISOLUZIONE

presentata a seguito dell'interrogazione con richiesta di risposta orale B8-1818/2016

a norma dell'articolo 128, paragrafo 5, del regolamento

sul regolamento relativo ai medicinali per uso pediatrico
(2016/2902(RSP))

**Giovanni La Via, Françoise Grossetête, Elena Gentile, Bolesław G. Piecha,
Frédérique Ries, Stefan Eck, Joëlle Mélin**

a nome della commissione per l'ambiente, la sanità pubblica e la sicurezza alimentare

**Risoluzione del Parlamento europeo sul regolamento relativo ai medicinali per uso pediatrico
(2016/2902(RSP))**

Il Parlamento europeo,

- visto il regolamento (CE) n. 1902/2006 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 20 dicembre 2006, che modifica il regolamento 1901/2006 relativo ai medicinali utilizzati in pediatria (regolamento sui medicinali pediatrici)¹,
 - vista la relazione della Commissione al Parlamento europeo e al Consiglio intitolata "Medicinali migliori per i bambini: dall'ideazione alla realtà – Relazione generale sulle esperienze acquisite a seguito dell'applicazione del regolamento (CE) n. 1901/2006 relativo ai medicinali per uso pediatrico" (COM(2013)0443),
 - viste le conclusioni del Consiglio del 17 giugno 2016 sul rafforzamento dell'equilibrio nei sistemi farmaceutici dell'UE e degli Stati membri,
 - vista la relazione del gruppo di alto livello del Segretario generale delle Nazioni Unite sull'accesso ai medicinali, dal titolo "Promoting innovation and access to health technologies" (Promuovere l'innovazione e l'accesso alle tecnologie sanitarie), pubblicata nel settembre 2016,
 - vista l'interrogazione alla Commissione sul riesame del regolamento sui medicinali per uso pediatrico (O-0001352016 – B8-1818/2016),
 - visti l'articolo 128, paragrafo 5, e l'articolo 123, paragrafo 2, del suo regolamento,
- A. considerando che il regolamento sui medicinali pediatrici ha avuto un impatto significativo sullo sviluppo di medicinali per uso pediatrico, in quanto molte aziende farmaceutiche considerano lo sviluppo a fini pediatrici parte integrante dell'attività complessiva di sviluppo di un prodotto; che il numero di progetti di ricerca in ambito pediatrico è aumentato notevolmente e che ora sono disponibili maggiori informazioni di alta qualità sull'uso pediatrico dei farmaci approvati; che anche il numero relativo di sperimentazioni cliniche pediatriche è aumentato;
- B. considerando che il regolamento sui medicinali pediatrici ha contribuito a migliorare la situazione generale e ha comportato vantaggi concreti rispetto a una serie di malattie infantili; che, tuttavia, non sono stati compiuti progressi sufficienti in una serie di settori, in particolare l'oncologia pediatrica e la neonatologia;
- C. considerando che il cancro infantile rimane la prima causa di morte per malattia nei bambini di età superiore a un anno e che ogni anno in Europa 6 000 giovani muoiono di cancro; che due terzi di quanti sopravvivono soffrono degli effetti collaterali dovuti ai trattamenti esistenti (effetti segnalati come gravi fino al 50 % dei casi) e che occorre migliorare costantemente la qualità della vita di coloro che sopravvivono a un tumore

¹ GU L 378 del 27.12.2006, pag. 20.

infantile;

- D. considerando che il regolamento sui medicinali pediatrici ha favorito il rafforzamento del dialogo e della cooperazione tra le varie parti interessate in materia di sviluppo di farmaci pediatrici;
- E. considerando che meno del 10 % dei bambini con una recidiva incurabile potenzialmente letale ha accesso a nuovi farmaci sperimentali in studi clinici da cui potrebbero trarre beneficio;
- F. considerando che un accesso molto più ampio a terapie innovative può salvare la vita di bambini e adolescenti affetti da malattie potenzialmente letali come il cancro, e che è pertanto necessario studiare senza indebito ritardo tali terapie attraverso studi appropriati nei bambini;
- G. considerando che l'uso off-label di medicinali nei bambini è ancora molto diffuso nell'UE in diversi settori terapeutici; che, sebbene gli studi sull'entità dell'uso off-label nei pazienti pediatrici differiscano per portata e popolazione di pazienti, non vi è stata una diminuzione delle prescrizioni off-label dopo l'introduzione del regolamento sui medicinali pediatrici; che l'Agenzia europea per i medicinali (EMA) è già stata invitata a redigere orientamenti sull'uso di farmaci off-label/senza licenza basato su esigenze mediche, nonché un elenco di farmaci off-label utilizzati nonostante l'esistenza di prodotti alternativi con licenza;
- H. considerando che il regolamento sui medicinali pediatrici istituisce le norme che disciplinano lo sviluppo di medicinali per uso umano al fine di rispondere alle esigenze terapeutiche specifiche della popolazione pediatrica;
- I. considerando che, dall'entrata in vigore del regolamento sui medicinali pediatrici, sono stati autorizzati solo due farmaci anticancro innovativi specifici per il trattamento di un tumore maligno pediatrico in base a un piano d'indagine pediatrica concordato;
- J. considerando che, nell'ambito del quadro normativo vigente, sono applicate deroghe all'obbligo giuridico di perseguire lo sviluppo di medicinali per uso pediatrico qualora siano messi a punto farmaci per condizioni patologiche riscontrabili in età adulta e non pediatrica; che tale impostazione normativa risulta insoddisfacente nel caso di malattie specifiche ed esclusive dell'età pediatrica; che, inoltre, di anno in anno aumenta il numero di relazioni annuali sulle misure differite presentate all'EMA ai sensi dell'articolo 34, paragrafo 4, del regolamento sui medicinali pediatrici;
- K. considerando che molti tipi di cancro infantile non si verificano negli adulti; che, tuttavia, il meccanismo di azione di un medicinale efficace nel trattamento di un tipo di cancro dell'età adulta può avere effetti su un tipo di cancro infantile;
- L. considerando che per le malattie prettamente infantili, quali i tumori pediatrici, il mercato offre incentivi limitati per lo sviluppo di farmaci pediatrici specifici;
- M. considerando che il terzo programma dell'UE in materia di sanità (2014-2020) contempla un impegno volto a migliorare le risorse e le competenze per i pazienti affetti da malattie rare;

- N. considerando che si registrano ritardi significativi nell'avvio di studi clinici pediatrici di farmaci oncologici, in quanto chi mette a punto i farmaci attende che prima questi si mostrino promettenti nei pazienti oncologici adulti;
- O. considerando che nulla impedisce a un ricercatore di porre prematuramente termine a una sperimentazione pediatrica promettente se un farmaco non offre risultati positivi nella popolazione bersaglio adulta;
- P. considerando che i meccanismi finanziari di premi e incentivi per lo sviluppo di medicinali pediatrici, come l'autorizzazione all'immissione in commercio per uso pediatrico ("paediatric use marketing authorisation", abbreviato in PUMA), arrivano in ritardo e hanno un effetto limitato; che, sebbene sia necessario garantire che le aziende farmaceutiche non facciano uso improprio o abusivo dei premi e degli incentivi, l'attuale sistema di premi deve essere sottoposto a riesame onde determinare come potrebbe essere migliorato per stimolare maggiormente la ricerca e lo sviluppo di farmaci pediatrici, soprattutto in oncologia pediatrica;
- Q. considerando che i titolari di autorizzazione all'immissione in commercio hanno l'obbligo di aggiornare le informazioni relative al prodotto per tenere conto delle conoscenze scientifiche più recenti;
- R. considerando che i piani d'indagine pediatrica sono approvati a seguito di complesse trattative fra le autorità di regolamentazione e le aziende farmaceutiche e troppo spesso si rivelano impraticabili e/o sono avviati troppo tardi perché utilizzati in maniera errata dato che si concentrano sulla rara comparsa di un cancro dell'adulto in un bambino piuttosto che sull'impiego potenzialmente più ampio del nuovo farmaco in altri tumori infantili pertinenti; che non tutti i piani d'indagine pediatrica approvati vengono completati, dato che le ricerche su una sostanza attiva vengono spesso abbandonate in una fase successiva se non confermano le speranze iniziali in relazione alla sicurezza e all'efficacia del medicinale; che finora è stato completato solo il 12 % dei piani d'indagine pediatrica approvati;
- S. considerando che il regolamento (UE) n. 536/2014 del Parlamento europeo e del Consiglio sulla sperimentazione clinica di medicinali per uso umano prevede la creazione di un portale unico per la presentazione delle domande, che consenta ai promotori di presentare un'unica domanda per sperimentazioni condotte in più Stati membri; che tali sperimentazioni transfrontaliere sono particolarmente importanti per le malattie rare, come i tumori pediatrici, dal momento che in un solo paese potrebbe non esservi un numero di pazienti sufficiente a rendere la sperimentazione praticabile;
- T. considerando che ai piani d'indagine pediatrica vengono apportate numerose modifiche; che, tuttavia, se le modifiche di grande portata di un piano vanno discusse con il comitato pediatrico, nel caso di cambiamenti di minore impatto la questione non è definita con altrettanta chiarezza;
- U. considerando che, conformemente all'articolo 39, paragrafo 2, del regolamento sui medicinali pediatrici, gli Stati membri devono fornire alla Commissione prove dettagliate riguardanti l'impegno concreto a sostenere la ricerca, lo sviluppo e la disponibilità dei medicinali per uso pediatrico;

- V. considerando che, a norma dell'articolo 40, paragrafo 1, del regolamento sui medicinali pediatrici, nel bilancio dell'Unione vanno previsti fondi di ricerca concernenti medicinali pediatrici destinati a sostenere gli studi attinenti ai medicinali o alle sostanze attive non tutelati da un brevetto o da un certificato protettivo complementare;
- W. considerando che, a norma dell'articolo 50 del regolamento sui medicinali pediatrici, entro il 26 gennaio 2017 la Commissione è tenuta a presentare al Parlamento europeo e al Consiglio una relazione sulle esperienze acquisite in seguito all'applicazione degli articoli 36, 37 e 38, comprensiva di un'analisi dell'impatto economico dei premi e degli incentivi unitamente a un'analisi delle previste conseguenze di detto regolamento per la salute pubblica, al fine di proporre le modifiche necessarie;
1. chiede alla Commissione di presentare in tempo debito la relazione di cui all'articolo 50 del regolamento sui medicinali pediatrici; sottolinea la necessità che la relazione individui in modo completo e analizzi nel dettaglio gli ostacoli che attualmente si frappongono all'innovazione nel settore dei medicinali per uso pediatrico; pone l'accento sull'importanza di una solida base di conoscenze comprovate di questo tipo per garantire politiche efficaci;
 2. esorta la Commissione, sulla base di tali risultati, a esaminare la possibilità di apportare modifiche, anche attraverso una revisione legislativa del regolamento sui medicinali pediatrici, che tengano nella dovuta considerazione: a) piani di sviluppo pediatrico basati sul meccanismo d'azione e non solo sul tipo di malattia, b) modelli di definizione delle priorità farmacologiche e in materia di malattie, che tengano conto delle esigenze pediatriche insoddisfatte e della fattibilità, c) piani d'indagine pediatrica più tempestivi e più realizzabili, d) incentivi che stimolino maggiormente la ricerca e rispondano più efficacemente alle esigenze pediatriche, garantendo nel contempo una valutazione dei costi di ricerca e sviluppo e la piena trasparenza dei risultati clinici, ed e) strategie per evitare l'uso off-label quando esistono medicinali pediatrici autorizzati;
 3. sottolinea i benefici in termini di vite salvate, in oncologia pediatrica, di uno sviluppo pediatrico obbligatorio basato sul meccanismo d'azione di un farmaco abbinato alla biologia di un tumore, piuttosto che su indicazioni che limitano l'uso del farmaco a un tipo specifico di cancro;
 4. sottolinea la necessità di stabilire priorità per quanto riguarda le esigenze pediatriche e i farmaci provenienti da diverse società, sulla base di dati scientifici, al fine di abbinare le migliori terapie disponibili alle esigenze terapeutiche dei bambini, in particolare quelli affetti da cancro, il che permetterebbe di ottimizzare le risorse utilizzate per la ricerca;
 5. sottolinea l'importanza delle sperimentazioni transfrontaliere per la ricerca su numerose malattie pediatriche e rare; accoglie pertanto con favore il regolamento (UE) n. 536/2014 del Parlamento europeo e del Consiglio sulla sperimentazione clinica di medicinali per uso umano, che agevolerà l'esecuzione di questo tipo di sperimentazioni, e invita l'EMA a garantire che le infrastrutture necessarie alla sua attuazione siano disponibili quanto prima;
 6. sottolinea che la realizzazione di piani d'indagine pediatrica precoci, nonché un dialogo e un'interazione scientifici e regolamentari tempestivi con l'EMA permettono alle aziende di ottimizzare i progressi pediatrici globali e, in particolare, di sviluppare piani

d'indagine pediatrica più fattibili;

7. invita la Commissione a prendere in esame la possibilità di modificare il regolamento sui medicinali pediatrici affinché sperimentazioni promettenti sulla popolazione pediatrica non vengano interrotte prematuramente a causa di risultati insoddisfacenti sulla popolazione bersaglio adulta;
8. sottolinea l'urgente necessità di valutare come i diversi tipi di finanziamenti e premi – compresi i numerosi strumenti basati su meccanismi di scorporo – possano essere meglio utilizzati per guidare e accelerare lo sviluppo di farmaci pediatrici negli ambiti in cui ve ne è maggiore bisogno, in particolare farmaci per la neonatologia e i tumori infantili, soprattutto i tumori che colpiscono solo in età pediatrica; ritiene che i premi dovrebbero incoraggiare l'avvio dello sviluppo pediatrico di tali farmaci non appena siano disponibili motivazioni scientifiche sufficienti che ne giustifichino l'uso in pediatria e dati sulla sicurezza per gli adulti, e non dovrebbero dipendere dal valore terapeutico comprovato in indicazioni per l'uso in età adulta;
9. invita la Commissione a lavorare urgentemente su eventuali modifiche normative che nel frattempo potrebbero contribuire a migliorare la situazione;
10. invita la Commissione a rinnovare, nell'ambito di Orizzonte 2020, le disposizioni in materia di finanziamento messe a punto per sostenere la ricerca clinica pediatrica di elevata qualità, a seguito di un riesame critico dei progetti attualmente finanziati;
11. invita la Commissione a rafforzare l'importanza della creazione di reti europee per la ricerca clinica pediatrica, nonché a garantire che gli Stati membri adottino misure per sostenere la ricerca, lo sviluppo e la disponibilità di medicinali per uso pediatrico;
12. incarica il suo Presidente di trasmettere la presente risoluzione alla Commissione.