

Regolamento europeo dei farmaci pediatrici

La popolazione pediatrica è un gruppo vulnerabile che si differenzia dagli adulti per caratteristiche fisiologiche, psicologiche e di sviluppo. Questo rende particolarmente importante la ricerca di medicinali orientata in funzione dell'età e dello sviluppo. Ad oggi, oltre il 50% dei medicinali impiegati per il trattamento dei bambini in Europa non è stato studiato, né autorizzato per uso pediatrico^{1,2}. La salute e la qualità di vita dei bambini possono quindi subire le conseguenze della mancata sperimentazione e autorizzazione dei medicinali per tale uso. Ai piccoli pazienti, molto di frequente, vengono somministrati farmaci concepiti per gli adulti, semplicemente a dosi ridotte, senza considerare che l'organismo dei più piccoli li assorbe o li elimina in maniera diversa, o sviluppa effetti secondari particolari. I bambini hanno bisogno di composizioni farmaceutiche differenti da quelle per gli adulti, non soltanto per una tolleranza migliore, ma anche ai fini di una maggiore efficacia. Poche industrie farmaceutiche, tuttavia, producono medicinali specifici destinati ai bambini poiché gli studi clinici sono più difficili e i tempi per la loro messa a punto più lunghi.

In questo contesto l'Unione Europea ha deciso di dotarsi di mezzi efficaci per sostenere lo sviluppo dei medicinali pediatrici e colmare questa carenza nel settore della sanità pubblica. A questo proposito, il Consiglio Europeo con la Risoluzione del 14 dicembre 2000 ha invitato la Commissione Europea a presentare proposte sotto forma di incentivi, misure di regolamentazione o altre misure di sostegno in tema di ricerca clinica e sviluppo, affinché i medicinali nuovi e quelli commercializzati destinati alla popolazione pediatrica siano ad essa del tutto adeguati.

Il 9 dicembre 2005, il Consiglio dei Ministri della Salute della Unione Europea ha adottato tale proposta di regolamento europeo sui medicinali per uso pediatrico, che può passare ora al Parlamento Europeo ed entrare in vigore al più tardi nel 2007.

La proposta approvata si basa sulle esperienze acquisite nell'ambito dell'attuale quadro normativo in Europa per i medicinali e sulle indicazioni circa le prescrizioni e gli incentivi per i medicinali pediatrici della legislazione statunitense e del regolamento dell'Unione Europea sui medicinali orfani.

Tale proposta è direttamente correlata ai seguenti atti legislativi comunitari che disciplinano:

- il quadro regolamentare per i medicinali³,
- l'istituzione dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA)⁴,
- la regolamentazione ed esecuzione della sperimentazione clinica nella Comunità⁵,
- la designazione di medicinali orfani in ambito comunitario e incentivi volti a promuoverne lo sviluppo⁶.

In tal modo si istituisce un quadro normativo specifico ed eventuali ulteriori disposizioni saranno adottate dalla Commissione sotto forma di linee-guida, previa consultazione degli Stati membri, dell'EMA e degli enti coinvolti.

La proposta di regolamento risulta, dunque, articolata sulle seguenti tematiche:

• **Comitato pediatrico e Piani di Indagine Pediatrica**

Il regolamento istituisce un Comitato multidisciplinare provvisto di competenze in tutti gli aspetti connessi ai medicinali per uso pediatrico, che sarà l'organo responsabile della valutazione e dell'approvazione dei Piani di Indagine Pediatrica (PIP). Questi programmi di ricerca e sviluppo mirano ad acquisire i dati necessari per determinare le condizioni in cui un medicinale possa essere autorizzato per uso pediatrico. I pareri del Comitato sono pubblici, analogamente ai PIP che vengono ad esso sottoposti dalle industrie farmaceutiche al fine di beneficiare del prolungamento della validità dei brevetti.

Nel valutare i PIP, il Comitato deve considerare due principi fondamentali:

- gli studi clinici dovranno essere realizzati solo se presentano potenziali benefici terapeutici per la popolazione pediatrica, onde evitare la duplicazione degli studi;
- le esigenze per la realizzazione degli studi sulla popolazione pediatrica non dovranno causare ritardi nell'autorizzazione dei medicinali per altre popolazioni.

• **Deroghe**

Il regolamento prevede che venga stilato un elenco di deroghe per determinati medicinali e

classi medicinali, in quanto non tutti i medicinali sviluppati per gli adulti saranno adatti ai bambini o necessari per la terapia pediatrica. Tra l'altro, occorrerà evitare di realizzare su tale popolazione studi non necessari.

• **Autorizzazione all'immissione in commercio per uso pediatrico**

Al fine di creare uno strumento per fornire incentivi ai medicinali non protetti da brevetto, viene proposto un nuovo tipo di autorizzazione all'immissione in commercio: l'autorizzazione all'immissione in commercio per uso pediatrico, l'AICUP, che si avvarrà delle attuali procedure di autorizzazione all'immissione in commercio, ma è destinata in maniera specifica ai medicinali sviluppati esclusivamente per uso pediatrico.

• **Gli incentivi**

Per garantire lo sviluppo di nuovi farmaci (o indicazioni terapeutiche, o forme farmaceutiche nuove o vie di somministrazione) e l'immissione sul mercato di specialità di prodotti specificamente sviluppati e valutati per l'età pediatrica, è stato proposto un meccanismo di incentivi per le aziende produttrici che permetta di sviluppare ricerche e studi clinici appositi, senza ritardare l'introduzione di farmaci la cui documentazione sia già pronta per conseguire la registrazione. Per incoraggiare l'industria farmaceutica a intraprendere questa strada, la soluzione ipotizzata è di prolungare di sei mesi la validità dei brevetti o certificati di protezione complementare di cui beneficiano.

• **Proroga dell'esclusiva di mercato per i medicinali orfani**

I medicinali orfani, destinati a trattare malattie rare, potranno beneficiare dell'esclusiva commerciale per dodici anni (al posto di dieci) se concepiti specificamente per i bambini.

• **Promozione della ricerca**

Viene ritenuto indispensabile che ci sia un forte e diffuso supporto alla ricerca nel campo farmacologico per l'infanzia. Si richiede l'istituzione, a decorrere dall'anno seguente l'adozione del regolamento, di un programma europeo specifico per la ricerca sui medicinali a favore dei bambini: MICE (*Medicines Investigations for the Children of Europe*).

Si prevede, altresì, che, qualora sei anni dopo l'entrata in vigore del regolamento la nuova legislazione non avesse prodotto gli effetti sperati, la Commissione sarà invitata a stilare un bilancio teso a modificare la normativa.

• **Informazioni sull'uso di medicinali in campo pediatrico**

Al fine di individuare le priorità per la ricerca pediatrica, il Comitato istituisce un inventario delle esigenze terapeutiche sulla base dei dati raccolti e resi disponibili dagli Stati membri su tutti gli impieghi attuali dei medicinali nella popolazione pediatrica. Due anni dopo l'entrata in vigore della normativa, l'inventario dei bisogni terapeutici dovrebbe essere aggiornato al fine di stabilire le priorità in materia di ricerca.

Per ottimizzare gli sforzi, poi, il regolamento prevede di costituire, con il patrocinio dell'EMA, una rete europea delle reti nazionali ed europee esistenti, di ricercatori e di centri con competenza specifica in campo pediatrico.

È importante che gli studi e le sperimentazioni previste e realizzate dai PIP vengano portate a conoscenza non solo del soggetto titolato a dare l'autorizzazione all'immissione sul mercato di farmaci, ma anche del Comitato pediatrico, che ne ha approvata la relativa richiesta, e di tutti gli organismi che operano nel campo della ricerca e delle sperimentazioni cliniche. Lo scopo è quello di massimizzare i risultati delle ricerche e, ovviamente, di evitare duplicazioni, migliorando in generale la disponibilità di informazioni sull'uso di medicinali nei bambini. **bif**

Bibliografia

1. Conroy S, Choonara I, Impicciatore P, et al. Survey of unlicensed and off label drug use in paediatric wards in European countries. *BMJ* 2000; 320: 79-82.
2. Choonara I, Dunne J. Licensing of medicines. *Arch Dis Child* 1998; 78: 402-3.
3. Direttiva 2001/83/CE del Parlamento Europeo e del Consiglio del 6 novembre 2001. G.U. L. 311 del 28/11/2001.
4. Regolamento (CE) n. 726/2004 del Parlamento Europeo e del Consiglio del 31 marzo 2004. G.U. L. 136 del 30/4/2004.
5. Direttiva 2001//20/CE del Parlamento Europeo e del Consiglio del 4 aprile 2001.
6. Regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento Europeo e del Consiglio. G.U. L. 18 del 22/1/2000.