



**AMERICAN CHAMBER OF COMMERCE  
IN ITALY**

**GRUPPO DI LAVORO LIFE SCIENCE**

**POSITION PAPER**

**“EU Pharmaceutical Strategy”**



## 1. Le priorità della EU Pharmaceutical Strategy

Il 25 novembre 2020 la Commissione Europea ha pubblicato la Strategia Farmaceutica per l'UE (*EU Pharmaceutical Strategy*) e la valutazione dell'impatto iniziale (IIA) per la revisione dell'attuale legislazione sui farmaci orfani e pediatrici.

La *EU Pharmaceutical Strategy* si basa su **4 pilastri specifici** (composti da azioni legislative e non):

- rispondere agli *unmet medical needs* e garantire l'accessibilità, anche economica dei medicinali;
- sostenere la competitività, l'innovazione e la sostenibilità dell'industria farmaceutica nello sviluppo di farmaci di alta qualità, sicuri ed efficaci;
- migliorare i meccanismi di preparazione e risposta alle crisi, diversificando le catene di approvvigionamento e per gestire efficacemente le carenze di farmaci;
- rafforzare la posizione dell'UE nel mercato mondiale.

All'interno dell'obiettivo di garantire l'accesso ai farmaci e rispondere agli *unmet medical needs*, in particolare, si prevede:

- una revisione dell'attuale legislazione sui farmaci orfani e pediatrici (2022);
- l'adozione del regolamento HTA (2021);
- il rafforzamento del ruolo dell'EMA in relazione agli *unmet medical needs* (2021);
- l'elaborazione di linee guida sulla trasparenza delle informazioni sui prezzi e dei costi di R&S (2021-2024).

Tuttavia, le seguenti misure previste dalla *EU Pharmaceutical Strategy* potrebbero non raggiungere l'obiettivo prefissato di assicurare ai pazienti un equo accesso ai farmaci e di promuovere l'innovazione:

- Modifiche degli incentivi per orfani/pediatrici intervenendo sui rispettivi Regolamenti;
- Divulgazione/Trasparenza dei costi di R&S;
- Trasparenza dei prezzi netti;
- Requisiti di lancio obbligatori per la commercializzazione dei medicinali.



## 2. La posizione di AmCham Italy

AmCham Italy accoglie con favore la pubblicazione della *EU Pharmaceutical Strategy* e condivide pienamente l'obiettivo di garantire un accesso più equo alle cure per i pazienti dell'UE. Data la complessità delle tematiche che vengono affrontate e i diversi livelli decisionali coinvolti (europeo, nazionale, regionale), è importante che tutti gli stakeholder abbiano una comprensione comune delle principali criticità e si confrontino su come superarle.

Tuttavia, AmCham Italy ritiene che la *roadmap* delineata nella *EU Pharmaceutical Strategy* non presti sufficiente attenzione alla tutela dell'innovazione e che alcune delle modifiche proposte possano in realtà avere delle conseguenze negative non compiutamente valutate. Talune delle misure proposte (atti legislativi o di natura politica) dirette a modificare gli incentivi riconosciuti alla proprietà intellettuale, disconoscerebbero il ruolo svolto da quest'ultima motore dell'innovazione in Europa, compromettendone di conseguenza la competitività europea sul piano globale, si pensi ad esempio alle misure proposte per i farmaci orfani e pediatrici, o a quelle che favoriscono unilateralmente l'industria dei farmaci equivalenti e biosimilari.

AmCham Italy dopo aver analizzato alcune delle misure proposte da attuare nei prossimi anni, ha concluso che le **politiche delineate debbano essere guidate da tre principi cardine: sostegno all'innovazione, tutela della proprietà intellettuale e rafforzamento della capacità dell'UE di attrarre investimenti.**

1. **In merito alla proposta di collegare gli incentivi di proprietà intellettuale all'effettivo stato di commercializzazione dei prodotti**, AmCham Italy ricorda che, come noto, i farmaci non possono essere immessi sul mercato contemporaneamente in tutti i Paesi dell'EU per una complessa interazione di fattori, sovente al di fuori del controllo delle aziende farmaceutiche stesse, ad es. requisiti normativi, velocità delle procedure di negoziazione di prezzo e rimborso, possibilità di ottenere un prezzo sostenibile sia per il SSN che per l'industria, differenti sistemi e livelli di spesa sanitaria, ricchezza nei diversi Paesi e una molteplicità dei livelli del processo decisionale. I prezzi dei farmaci, infatti, non sono fissati unilateralmente dalle aziende farmaceutiche, ma seguono le procedure stabilite dai governi, per cui collegare gli incentivi all'accesso al mercato attribuirebbe in modo sproporzionato tutti gli oneri ad un unico soggetto, l'industria, che sarebbe ingiustamente penalizzato, senza raggiungere il risultato di un migliore accesso.
2. **Relativamente alla definizione di una metodologia che stabilisca una maggiore trasparenza sui costi di R&S**, AmCham Italy ritiene legittimo che i farmaci siano resi disponibili ai sistemi sanitari ad un prezzo appropriato. Un approccio basato sui costi non è tuttavia corretto ed è stato peraltro superato già dagli anni '90, perchè non tiene conto di alcune peculiarità della ricerca farmaceutica. Infatti, è documentato che nel processo di scoperta e sviluppo di farmaci solo una 1/10.000 molecole identificate arrivi sul mercato. In



## American Chamber of Commerce in Italy

questa prospettiva, pertanto, vanno considerati anche il rischio molto elevato degli investimenti, le battute d'arresto e i fallimenti, che comunque hanno contribuito a far avanzare le conoscenze e la ricerca scientifica per lo sviluppo di nuovi farmaci sempre più efficaci e sicuri. In questo contesto si deve inquadrare la difficoltà di determinare con precisione i costi da attribuire ad un singolo farmaco, anche tenendo conto che la ricerca da anni ormai è globalizzata. Altrimenti, l'effetto che si produrrebbe sarebbe quello di ricompensare la ricerca costosa piuttosto che il valore che un nuovo farmaco apporta ai pazienti, ai sistemi sanitari e alla società.

- 3. Quanto a rendere possibile un maggiore scambio di informazioni tra le agenzie regolatorie per una maggiore trasparenza dei prezzi netti**, AmCham Italy segnala che il meccanismo dei prezzi di riferimento esterni (External Reference Pricing, ERP) basato sul confronto con i prezzi degli altri Paesi, non tiene conto delle differenze socioeconomiche e/o epidemiologiche di ciascun Paese e dei diversi sistemi di distribuzione e classificazione dei farmaci. La trasparenza dei prezzi netti potrebbe, inoltre, avere conseguenze negative proprio per i Paesi a basso reddito. Questi ultimi, infatti, correrebbero il rischio di perdere gli sconti che consentono ai loro pazienti l'accesso ai farmaci, a favore di Paesi con capacità reddituale più alta che si ritroverebbero a pagare invece prezzi più bassi.
- 4. Relativamente all'intenzione di modificare i Regolamenti sugli incentivi per i farmaci orfani e pediatrici**, AmCham Italy ritiene opportuno evidenziare che il Regolamento sugli orfani è una storia di successo europea. Lo stesso studio sponsorizzato dalla Commissione Europea mostra che il Regolamento sugli orfani ha stimolato lo sviluppo di nuovi trattamenti per i pazienti affetti da malattie rare precedentemente senza opzioni terapeutiche: dagli 8 farmaci orfani autorizzati prima dell'entrata in vigore del Regolamento, si è passati ai 193 del 2020. Questi incentivi hanno trasformato la vita dei pazienti e delle loro famiglie, migliorando i risultati sanitari e contribuendo allo sviluppo dell'economia. In 10 anni, anche il Regolamento Pediatrico ha confermato il suo assoluto valore, come dimostrano gli oltre 260 nuovi farmaci approvati per i bambini, in un settore in cui la R&S è messa alla prova dalle difficoltà di reclutamento dei pazienti e dalla mancanza di ricerca di base. L'attuale Regolamento riconosce queste difficoltà bilanciando obblighi e incentivi. Ridurre il criterio di prevalenza per incanalare gli incentivi verso il 95% delle malattie rare per le quali non è disponibile un trattamento non risponderebbe necessariamente agli *unmet medical needs*. Infatti, la maggior parte dei pazienti affetti da malattie rare (98%) è colpita solo da poche (11%) delle malattie rare più diffuse, come documentato dalla letteratura scientifica. Allo stesso modo, lo sviluppo di farmaci per il trattamento dei tumori rari spesso procede attraverso estensioni di indicazioni, nel senso che una molecola già nota per alcuni trattamenti può poi rivelarsi efficace nel trattamento di altre patologie tumorali rare.



## 3. Alcune proposte di AmCham Italy

1. La necessità di rispondere agli *unmet medical needs* e garantire l'accessibilità, anche economica, dei farmaci richiede una comprensione comune dei problemi e una ricerca delle possibili soluzioni nell'interesse dei pazienti, che non possono essere affrontate solamente dalla Commissione e da un Regolamento, ma richiederebbe il coinvolgimento di tutti gli stakeholders coinvolti, quali i responsabili delle decisioni dell'UE e nazionali, le comunità di ricerca e assistenza sanitaria e i pazienti.
2. L'innovazione che il settore farmaceutico potrà portare sarà poi più significativa quanto più ampio sarà lo spettro di valutazioni dei benefici offerti dalle nuove opzioni terapeutiche (ivi incluse tutte le forme di innovazione incrementale) in termini di salute per i pazienti, di valore per il sistema sanitario e di valore sociale più ampio, includendo i costi evitati per il SSN (mancati ricoveri, migliore aderenza alla terapia, ecc.) e il risparmio generato in altri settori delle finanze pubbliche (ad esempio nel welfare: pensioni di invalidità, giorni di lavoro persi ecc.).
3. Se l'obiettivo è garantire che ulteriori ricerche siano condotte in ambiti caratterizzati da *unmet medical needs*, la conclusione non dovrebbe essere quella di riaprire i Regolamenti dei farmaci orfani e pediatrici che hanno portato risultati evidenti in termini di innovazione, ma identificare le aree in cui esistono elevati *unmet medical needs*, e fornire i giusti incentivi per aree prioritarie specifiche.
4. AmCham intende, infine, confermare che i temi legati al prezzo e alla rimborsabilità dei farmaci e quindi all'accesso da parte dei pazienti sono competenze nazionali e, come tali, non possono essere risolte nell'ambito della revisione della legislazione europea. AmCham ritiene, per converso che, in termini di miglioramento dell'accesso ai farmaci, molte soluzioni dovrebbero essere trovate a livello nazionale, ad es. ottimizzando le procedure di prezzo e rimborso attraverso un uso più esteso dei *Managed Entry Agreements* (MEAs), replicando gli approcci innovativi adottati durante la pandemia (rolling review), riducendo il carico burocratico delle procedure e sperimentandone altre nuove per dare spazio all'innovazione (e.g. percorsi di accesso e rimborsabilità ad hoc per le cosiddette *digital therapeutics and digital care*, come già avviene in altri Paesi EU). In sintesi, solo assicurando che l'innovazione sia riconosciuta e premiata per il proprio valore, pur nel rispetto della sostenibilità economica dei sistemi sanitari, sarà possibile trattare e gestire adeguatamente le patologie più complesse, assicurando la sostenibilità grazie a un'aumentata efficienza dei percorsi di cura e della spesa sanitaria.