

La legislazione EU sui farmaci e la lotta al cancro dei bambini e degli adolescenti

SIOPE-MAC Policy Event 2023



How can the EU Pharmaceutical Legislation be a Success for Children and Adolescents with Cancer?

Thursday, 7 September 2023 | 03:00 - 04:30 PM CEST
Brussels, Belgium (Location: EU Parliament Altiero Spinelli Building 3E-2)

Alla luce della proposta di revisione della legislazione europea sui farmaci, recentemente pubblicata dalla Commissione Europea, vi è l'opportunità di inserire, nei nuovi regolamenti e nelle relative *policy*, elementi innovativi per migliorare le possibilità di sopravvivenza di bambini e adolescenti malati di cancro. Per questo **SIOPE Europe** (<https://siope.eu>) e **CCI Europe** (<https://ccieurope.eu>) vedono con favore una proposta di revisione della legislazione farmaceutica che sia più centrata sui pazienti, come si evidenzia anche da un recente [Position paper](#) delle due organizzazioni.

Il Parlamento Europeo ed il Consiglio d'Europa avranno un ruolo fondamentale nella progettazione ed approvazione della nuova legge (in particolare il gruppo dei "Parlamentari Europei Contro il Cancro – *MEPs Against Cancer*) assieme a tutti gli *stakeholders* coinvolti sul tema: istituzioni comunitarie, pazienti, genitori, università e centri di ricerca, industrie farmaceutiche, medici e caregivers.

L'incontro del 7 settembre, tenutosi in modalità mista presenza/online, ha avuto dunque lo scopo di raccogliere indicazioni e proposte dai rappresentanti di tutti i settori citati affinché la nuova legislazione possa veramente affrontare i problemi clinici e farmaceutici non ancora risolti. L'incontro è organizzato e presieduto da **Loucas Fourlas**, co-presidente del gruppo inter-parlamentare "*MEPs against cancer*".

Qui di seguito una breve sintesi dei principali interventi.

- In apertura, **Loucas Fourlas** ha auspicato che nel nuovo regolamento i farmaci per l'oncologia pediatrica abbiano un costo ragionevole e siano accessibili in modo uniforme in tutti i paesi membri; che il processo di approvazione dei nuovi farmaci a livello europeo sia più rapido, e, infine, vi sia una maggior collaborazione tra gli Stati Membri nella fase di ricerca e sviluppo dei nuovi farmaci.
- **Stella Kyriakides**, Commissario Europeo alla Salute, dopo aver ricordato che il cancro è la prima causa di morte per malattia di bambini e adolescenti in Europa, ha sottolineato l'importanza della prevenzione e dell'individuazione precoce della patologia ed ha ribadito che i piccoli pazienti e le loro famiglie devono essere "al centro" dei regolamenti e delle direttive in materia. Anche Kyriakides ha ammesso che molti farmaci salvavita non sono disponibili in tutta l'Unione Europea, e la nuova legislazione dovrà tener conto di tale esigenza.
- **Delphine Heenen**, presidente di *Kick Cancer* (Belgio) e membro del Consiglio di CCI Europe, parlando in rappresentanza delle associazioni di genitori ha ricordato che dal 2007 ad oggi sono stati approvati in Europa oltre 200 farmaci oncologici per adulti e solamente 16 farmaci oncologici pediatrici, e di questi, solamente uno è stato sviluppato esclusivamente per i bambini. Ciò a causa delle possibilità di deroga alla sperimentazione clinica pediatrica previste dall'attuale Regolamento UE sui farmaci pediatrici (1901/2006) quando un potenziale farmaco è studiato per tumori che non interessano la popolazione pediatrica. L'approccio scientifico corrente, al quale la normativa si

dovrebbe richiamare, è invece basato sul criterio del meccanismo d'azione (*mechanism of action - MoA*) dei farmaci. In USA il criterio del MoA è stato già adottato, con il RACE Act del 2017, che è entrato in vigore nel 2020; in UE, si attende l'aggiornamento, che dovrebbe essere ormai prossimo, dei Regolamenti sui farmaci pediatrici e sui farmaci orfani, per i quali le associazioni e le società di oncematologia pediatrica hanno richiesto l'adozione del criterio del MoA e altre modifiche per rispondere alle esigenze dei bambini e ragazzi malati di cancro. Heenen ha poi sollecitato le aziende farmaceutiche sull'approccio del MoA in modo che il principio attivo dei nuovi farmaci sia mirato alla cura di specifici tumori infantili e non una "derivazione" dei farmaci per adulti, non studiati per i bambini (*off label*). Infine, la presidente di Kick Cancer ha auspicato una maggiore efficienza dei *Paediatric Investigation Plans* (PIPs) facendo in modo che l'autorizzazione ai nuovi farmaci debba necessariamente tenere conto degli studi e dei *trials* clinici effettuati su pazienti pediatrici, però evitando ritardi e rinvii (*deferrals*) che oggi si verificano spesso.

➤ **Gilles Vassal**, direttore dei programmi di ricerca dell'Istituto Gustave Roussy (Francia) e consigliere di SIOP Europe, ha sostenuto l'esigenza di affrontare le cosiddette "esigenze non soddisfatte" (*unmet needs*) nella revisione della legge europea, attraverso un approfondito sviluppo di nuove terapie e nuovi farmaci nel breve e nel medio termine. Il concetto di *unmet needs* è complesso da definire, in quanto oltre alla possibilità di incrementare il tasso di cura dovrebbe anche includere la riduzione degli effetti collaterali ed effetti a lungo termine. Ha inoltre sollevato il tema della necessità di monitorare la carenza di farmaci che si verifica in molti paesi. Sul piano della ricerca Vassal ha auspicato la creazione di un fondo di finanziamento esclusivamente dedicato ai farmaci per i tumori infantili, così come ne esistono per altri filoni di ricerca farmaceutica. Infine ha sollevato il problema della durata dell'esclusività dei farmaci, che andrebbe rivista e riconsiderata sulla base delle nuove esigenze dei pazienti.

Hanno poi preso la parola alcuni funzionari della Commissione e membri del Parlamento Europeo (Fabio D'Atri, Pernilla Weiss, Tomislav Sokol, Tilly Metz) che, dopo aver recepito e condiviso molti spunti offerti dai precedenti interventi, hanno a loro volta proposto altri elementi di cui la nuova legislazione dovrebbe tener conto: tra gli altri l'introduzione di incentivi economici mirati per lo sviluppo di nuovi farmaci pediatrici, una maggior collaborazione tra *stakeholders* (in particolare tra il mondo della ricerca e le rappresentanze dei pazienti e genitori) ed il ribilanciamento delle relazioni tra case farmaceutiche ed il resto della comunità dell'oncoematologia pediatrica, che favorisca una maggior trasparenza in chiave di "*open science policy*".



I rappresentanti delle case farmaceutiche (Victoria Kitcatt di **EFPIA**, European Federation of Pharma Industries e Adrian van der Hoven di **Medicines for Europe**) hanno confermato l'impegno dell'industria nella ricerca mirata al cancro infantile, in particolare nell'affrontare alcuni *unmet needs*: la riduzione del tasso di mortalità come obiettivo primario, la riduzione della tossicità nei farmaci, la lotta agli effetti secondari provocati dalla malattia e dalle terapie. Hanno inoltre ribadito che si sta sviluppando una più intensa collaborazione tra imprese farmaceutiche europee anche in funzione degli obiettivi della nuova legislazione.

Hanno chiuso i lavori **Pamela Kearns**, *past president* di SIOP Europe e **Georgia Kokkinou**, membro del Consiglio di CCI Europe, che hanno ribadito l'importanza di informare e creare consapevolezza sul cancro infantile (soprattutto nel mese di settembre ad esso dedicato) a tutti i livelli, ed hanno rinforzato il messaggio ai legislatori europei di insistere per lo sviluppo di più farmaci dedicati ai tumori infantili e a garantirne la disponibilità in ogni angolo del continente.

Giulio Senni

Laura Diaco