



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1^o marzo 2023
EMA/338312/2016 Rev. 4
Agenzia europea per i medicinali

Chi siamo

Questo documento presenta una panoramica delle principali responsabilità dell’Agenzia europea per i medicinali (EMA). Si basa sulla sezione “Chi siamo” del sito web istituzionale dell’EMA.

Il documento contiene link che rimandano a parti del sito web dell’EMA, alcune delle quali sono disponibili solo in inglese.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Sommario

Chi siamo	3
1. Che cosa facciamo	3
Sostegno allo sviluppo e all'accesso ai medicinali	3
Valutazione delle domande di autorizzazione all'immissione in commercio.....	5
Monitoraggio della sicurezza dei medicinali in tutte le fasi del ciclo di vita	5
Pubblicazione di informazioni per gli operatori sanitari e i pazienti.....	5
Che cosa non facciamo	5
2. Autorizzazione dei medicinali	6
Procedura centralizzata di autorizzazione	7
Benefici per i cittadini dell'UE.....	7
Ambito di applicazione della procedura centralizzata di autorizzazione	7
Chi decide in merito all'accesso dei pazienti ai medicinali?.....	8
Come viene assicurata la sicurezza di un medicinale una volta immesso sul mercato?	8
Procedure di autorizzazione nazionali	9
3. Preparazione alle crisi e relativa gestione	10
Carenze di medicinali e dispositivi medici critici	10
Sviluppo, approvazione e monitoraggio di medicinali	11
Consulenza di esperti sui dispositivi medici ad alto rischio	11
4. In che modo l'EMA valuta i medicinali per uso umano	12
Preparazione di una domanda.....	12
Processo di valutazione.....	14
Coinvolgimento di ulteriori esperti.....	16
Esito	18
5. Chi siamo.....	19
Consiglio di amministrazione	19
Direttore esecutivo.....	20
Personale dell'Agenzia	20
Comitati scientifici.....	20
6. Consiglio di amministrazione.....	20
Composizione	21
7. Come lavoriamo.....	21
8. La rete europea di regolamentazione dei medicinali.....	22
Benefici della rete per i cittadini dell'UE	22
Aggregazione delle competenze	22
Gruppi di valutazione multinazionali	23
Condivisione delle informazioni	23
9. Gestione degli interessi concorrenti	23
Esperti scientifici.....	24
Procedura per l'abuso di fiducia	25
Membri del personale	25
Membri del consiglio di amministrazione	25
Revisione annuale delle politiche in materia di indipendenza.....	26

Chi siamo

L'EMA è un'agenzia decentrata dell'Unione europea (UE) con sede ad Amsterdam e ha iniziato le proprie attività nel 1995. Si occupa della valutazione scientifica, della sorveglianza e del monitoraggio della sicurezza dei medicinali sviluppati da aziende farmaceutiche per l'UE.

L'EMA tutela la salute pubblica e animale negli Stati membri dell'UE e nei paesi dello Spazio economico europeo (SEE), garantendo la sicurezza, l'efficacia e l'alta qualità di tutti i medicinali disponibili sul mercato dell'UE.

1. Che cosa facciamo

La missione dell'EMA consiste nel promuovere l'eccellenza scientifica nella valutazione e nella sorveglianza dei medicinali, a beneficio della salute pubblica e animale nell'UE.

Sostegno allo sviluppo e all'accesso ai medicinali

L'EMA si adopera per consentire un **accesso tempestivo dei pazienti** ai nuovi medicinali e svolge un ruolo vitale sostenendo lo sviluppo di medicinali a beneficio dei pazienti.

A tal fine, l'Agenzia utilizza un ampio ventaglio di **meccanismi di regolamentazione** che vengono continuamente riesaminati e migliorati. Per ulteriori informazioni:

- [sostegno per un accesso tempestivo](#);
- [consulenza scientifica e assistenza per l'elaborazione di protocolli](#);
- [procedure pediatriche](#);
- sostegno scientifico per i [medicinali per terapie avanzate](#);
- [assegnazione della qualifica di medicinale orfano](#) a medicinali per malattie rare;
- [linee guida scientifiche](#) sui requisiti per la sperimentazione dei medicinali sotto il profilo della qualità, della sicurezza e dell'efficacia;
- [Innovation Task Force](#), una sede di discussione per un dialogo tempestivo con i richiedenti.

L'EMA ha un ruolo anche nel [sostegno alla ricerca](#) e all'innovazione nel settore farmaceutico e promuove l'innovazione e lo sviluppo di nuovi medicinali da parte di [micro, piccole e medie imprese](#) europee.

Chi si occupa della ricerca iniziale sui medicinali?

Solitamente la ricerca iniziale sui medicinali è condotta da aziende **farmaceutiche e biotecnologiche**: alcune sono grandi aziende che sviluppano molti medicinali, mentre altre sono piccole aziende che possono compiere ricerche solo su uno o due farmaci.

Anche **medici e studiosi** svolgono attività di ricerca e possono riunirsi per effettuare ricerche su nuovi medicinali o nuovi usi di medicinali già esistenti. Tali ricercatori, attivi presso istituti pubblici o aziende private, esaminano ogni anno un vasto numero di sostanze per verificarne il potenziale come medicinali.

Tuttavia, solo una parte ridotta dei composti esaminati si rivela abbastanza promettente da passare alla fase di ulteriore sviluppo.



Lo sapevate?

Gli sviluppatori di **trattamenti innovativi** possono discutere gli aspetti scientifici, legali e normativi riguardanti il loro medicinale con l'EMA nelle prime fasi dello sviluppo attraverso la [Innovation Task Force](#). Nel [2018](#) nove delle 22 richieste di discussioni preliminari sono pervenute da gruppi accademici o basati su istituti universitari.

In che modo vengono testati i nuovi medicinali potenziali?

I nuovi medicinali potenziali vengono testati prima in laboratorio e poi su volontari umani nell'ambito di studi denominati sperimentazioni cliniche. Questi test consentono di comprendere il modo in cui agiscono i medicinali e di valutarne **i benefici e gli effetti indesiderati**.

Gli sviluppatori di medicinali che desiderano condurre [sperimentazioni cliniche](#) nell'UE devono presentare domanda alle autorità nazionali competenti dei paesi in cui intendono condurre tali sperimentazioni.

L'EMA non partecipa all'autorizzazione delle sperimentazioni cliniche nell'UE, che è responsabilità delle autorità nazionali competenti.

Tuttavia, l'EMA, in cooperazione con gli Stati membri dell'UE, svolge un ruolo fondamentale nell'assicurare che gli sviluppatori di medicinali rispettino le **norme internazionali e dell'UE**.

Gli sviluppatori che conducono studi a sostegno dell'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale nell'UE devono rispettare norme rigorose, a prescindere dal fatto che tali studi siano effettuati all'interno o al di fuori dell'UE. Queste norme, denominate [buona prassi clinica](#), si applicano alle modalità di progettazione degli studi e di registrazione e relazione dei risultati e hanno lo scopo di assicurare che gli studi siano scientificamente validi e condotti in modo etico.

L'EMA può influire sulle decisioni che determinano quali medicinali devono essere sviluppati?

L'EMA **non può sponsorizzare medicinali o finanziare studi di ricerca** per un determinato medicinale né può obbligare le aziende a effettuare ricerche su particolari medicinali o trattamenti per una specifica affezione.

In qualità di autorità di regolamentazione dei medicinali, l'EMA deve essere neutrale e non può avere un interesse finanziario o di altro tipo relativamente a medicinali in fase di sviluppo.

Tuttavia, può pubblicizzare, e di fatto pubblicizza, i settori in cui vi è necessità di nuovi medicinali, per esempio nuovi antibiotici, al fine di **incoraggiare le parti interessate** a condurre le ricerche pertinenti. Inoltre, la legislazione dell'UE prevede misure per esortare le aziende a sviluppare [medicinali per malattie rare](#). Queste includono, ad esempio, la riduzione delle tariffe per ottenere un parere scientifico dall'EMA.

La legislazione dell'UE prevede anche un sistema di obblighi, compensi e incentivi al fine di esortare i produttori a effettuare ricerche e sviluppare [medicinali per uso pediatrico](#).

Valutazione delle domande di autorizzazione all'immissione in commercio

I [comitati scientifici](#) dell'EMA formulano raccomandazioni indipendenti sui medicinali per uso umano e veterinario sulla base di una **valutazione scientifica globale dei dati**.

Le valutazioni effettuate dall'Agenzia delle domande di autorizzazione all'immissione in commercio presentate attraverso la procedura centralizzata sono il fondamento dell'[autorizzazione dei medicinali](#) in Europa.

Sostengono inoltre importanti decisioni relative ai medicinali commercializzati in Europa, demandate all'EMA attraverso le [procedure di deferimento](#). L'EMA coordina le [ispezioni](#) in relazione alla valutazione delle domande di autorizzazione all'immissione in commercio o a questioni deferite ai suoi comitati.

Monitoraggio della sicurezza dei medicinali in tutte le fasi del ciclo di vita

L'EMA sorveglia e **monitora costantemente** la sicurezza dei medicinali autorizzati nell'UE per garantire che i loro **benefici siano superiori ai rischi**. L'Agenzia svolge le proprie attività:

- elaborando linee guida e definendo norme;
- coordinando il monitoraggio del rispetto degli obblighi di farmacovigilanza da parte delle aziende farmaceutiche;
- contribuendo alle attività internazionali di farmacovigilanza con autorità di paesi terzi;
- informando il pubblico sulla sicurezza dei medicinali e cooperando con parti esterne, in particolare rappresentanti di pazienti e operatori sanitari.

Per maggiori informazioni, vedere [farmacovigilanza](#).

Pubblicazione di informazioni per gli operatori sanitari e i pazienti

L'Agenzia pubblica **informazioni chiare e imparziali** sui medicinali e sul loro uso approvato. Tali informazioni includono versioni pubbliche delle relazioni di valutazione scientifica e sintesi scritte con un linguaggio divulgativo.

Per ulteriori informazioni:

- [trasparenza](#)
- [cerca medicinali per uso umano](#)
- [cerca medicinali per uso veterinario](#)

Che cosa non facciamo

Non tutti gli aspetti della regolamentazione farmaceutica nell'UE rientrano nel mandato dell'Agenzia. L'EMA non ha competenze in materia di:

- **valutazione della domanda iniziale di autorizzazione all'immissione in commercio di tutti i medicinali l'UE**. I medicinali disponibili nell'UE sono in gran parte autorizzati a livello nazionale. Per maggiori informazioni sugli iter di autorizzazione dei medicinali nell'UE, si rimanda al capitolo 2 sull'autorizzazione dei medicinali;
- **valutazione delle domande di autorizzazione delle sperimentazioni cliniche**. Le [sperimentazioni cliniche](#) sono autorizzate a livello di Stato membro; l'Agenzia svolge comunque un

ruolo importante assicurando che siano applicati i principi di buona prassi clinica in cooperazione con gli Stati membri e gestisce una banca dati delle sperimentazioni cliniche condotte nell'UE;

- **valutazione di dispositivi medici.** In Europa la regolamentazione dei dispositivi medici è effettuata dalle autorità nazionali competenti. L'EMA è coinvolta nella valutazione di alcune categorie di dispositivi medici. Per ulteriori informazioni, vedere [dispositivi medici](#);
- **conduzione di attività di ricerca o sviluppo di medicinali.** Le attività di ricerca o sviluppo di medicinali sono svolte dalle aziende farmaceutiche o da altri soggetti operanti in tale settore, i quali successivamente sottopongono all'Agenzia le conclusioni e i risultati delle sperimentazioni condotte sui loro prodotti;
- **adozione di decisioni sui prezzi o sulla disponibilità dei medicinali.** Le decisioni relative a prezzi e rimborsi sono prese dai singoli Stati membri, tenendo conto del ruolo e dell'impiego potenziali del medicinale nel contesto del sistema sanitario nazionale del paese. Per maggiori informazioni, vedere [organismi di valutazione delle tecnologie sanitarie](#);
- **controllo della pubblicità dei medicinali.** Il controllo della pubblicità dei medicinali non soggetti a prescrizione nell'UE è effettuato principalmente in base all'autoregolamentazione da parte degli organismi del settore, sostenuti dalla funzione conferita per legge alle [autorità nazionali competenti](#) negli Stati membri;
- **controllo o disponibilità di informazioni sui brevetti farmaceutici.** I brevetti aventi effetto nella maggior parte dei paesi europei possono essere ottenuti a livello nazionale, attraverso gli uffici nazionali dei brevetti o mediante una procedura centralizzata presso l'[Ufficio europeo dei brevetti](#);
- **elaborazione di linee guida sul trattamento.** Le linee guida per le decisioni riguardanti la diagnosi, la gestione e il trattamento in ambiti sanitari specifici (talvolta denominate linee guida cliniche) sono elaborate dai governi nazionali o dalle autorità sanitarie dei singoli [Stati membri dell'UE](#);
- **fornitura di consulenza medica.** Gli operatori sanitari possono fornire ai pazienti una consulenza individuale sulle affezioni mediche, sui trattamenti o sugli effetti indesiderati relativi a un medicinale;
- **elaborazione di leggi riguardanti i medicinali.** La legislazione dell'UE in materia di medicinali è elaborata dalla [Commissione europea](#) e adottata dal [Parlamento europeo](#) insieme al [Consiglio dell'Unione europea](#). La Commissione europea elabora anche le politiche dell'UE nel campo dei medicinali per uso umano o veterinario e della salute pubblica. Per maggiori informazioni, vedere [Commissione europea: medicinali per uso umano](#);
- **rilascio di autorizzazioni all'immissione in commercio.** La decisione giuridica di rilascio, sospensione o revoca dell'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale spetta alla [Commissione europea](#) per i prodotti autorizzati a livello centrale e alle autorità competenti nazionali degli [Stati membri dell'UE](#) per i prodotti autorizzati a livello nazionale.

2. Autorizzazione dei medicinali

Tutti i medicinali devono essere autorizzati prima di poter essere immessi in commercio e resi disponibili ai pazienti. Nell'UE esistono fondamentalmente due iter di autorizzazione dei medicinali: l'iter centralizzato e l'iter nazionale.

Procedura centralizzata di autorizzazione

Questa procedura prevede che le aziende farmaceutiche presentino all'EMA una **domanda unica di autorizzazione all'immissione in commercio**.

In questo modo, il titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio può commercializzare il medicinale e metterlo a disposizione dei pazienti e degli operatori sanitari in tutta l'UE sulla base di una sola autorizzazione all'immissione in commercio.

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) o il comitato per i medicinali per uso veterinario (CVMP) dell'EMA effettua una valutazione scientifica della domanda e raccomanda di rilasciare o non rilasciare l'autorizzazione all'immissione in commercio.

Una volta rilasciata dalla [Commissione europea](#), l'autorizzazione centralizzata all'immissione in commercio è **valida in tutti gli Stati membri dell'UE** e nei paesi del SEE (Islanda, Liechtenstein e Norvegia).

Benefici per i cittadini dell'UE

- Medicinali autorizzati per tutti i cittadini dell'UE simultaneamente.
- Singola valutazione da parte di esperti europei.
- Informazioni sui prodotti disponibili allo stesso tempo in tutte le lingue dell'UE.

Ambito di applicazione della procedura centralizzata di autorizzazione

La procedura centralizzata è **obbligatoria** per:

- medicinali per uso umano contenenti un nuovo principio attivo per il trattamento di:
 - [virus dell'immunodeficienza umana](#) (HIV) o sindrome da immunodeficienza acquisita (AIDS);
 - [cancro](#);
 - [diabete](#);
 - [malattie neurodegenerative](#);
 - [malattie autoimmuni e altre disfunzioni immunitarie](#);
 - [malattie virali](#);
- medicinali derivati da procedimenti biotecnologici, come l'ingegneria genetica;
- [medicinali per terapie avanzate](#), tra cui la terapia genica, la terapia cellulare somatica o l'ingegneria tissutale;
- [medicinali orfani](#) (medicinali per malattie rare);
- medicinali veterinari usati come stimolatori della crescita o della resa.

È **facoltativa** per altri medicinali:

- contenenti nuovi principi attivi per indicazioni diverse da quelle sopra indicate;
- che costituiscono un'innovazione significativa sul piano terapeutico, scientifico o tecnico;
- la cui autorizzazione è nell'interesse della salute pubblica o animale a livello UE.

Oggi **la grande maggioranza dei nuovi medicinali innovativi** passa attraverso la procedura centralizzata di autorizzazione all'immissione in commercio nell'UE.

Chi decide in merito all'accesso dei pazienti ai medicinali?

I medicinali cui è stata rilasciata un'autorizzazione all'immissione in commercio dalla Commissione europea possono essere commercializzati in tutta l'UE.

Tuttavia, prima che un medicinale sia messo a disposizione dei pazienti in un determinato paese dell'UE, devono essere adottate decisioni relative ai **prezzi** e ai **rimborsi** a livello nazionale e regionale nel contesto del sistema sanitario nazionale del paese.

L'EMA non ha alcun ruolo in questo ambito. Tuttavia, per favorire tali processi, l'Agenzia collabora con gli organismi di valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA), che valutano l'efficacia relativa del nuovo medicinale rispetto ai medicinali esistenti, e con i **soggetti pagatori per l'assistenza sanitaria** dell'UE, che esaminano l'efficienza economica del medicinale, il suo impatto sui bilanci sanitari e la gravità della malattia.

La collaborazione ha l'obiettivo di trovare modi per consentire agli sviluppatori di fornire alle autorità di regolamentazione dei medicinali nonché agli organismi HTA e ai soggetti pagatori dell'UE i dati di cui necessitano durante lo sviluppo di un medicinale, anziché generare nuovi dati dopo l'autorizzazione. Producendo tempestivamente prove che soddisfino le esigenze di tutti questi gruppi nel corso dello sviluppo di un medicinale, le decisioni relative ai prezzi e ai rimborsi a livello nazionale diventano più rapide e semplici.

A tal fine, l'EMA e la [Rete europea per la valutazione delle tecnologie sanitarie \(EUnetHTA\)](#) offrono agli sviluppatori di medicinali la possibilità di ricevere una [consulenza simultanea e coordinata sui loro piani di sviluppo](#).

I rappresentanti dei pazienti sono coinvolti regolarmente in queste consultazioni, in modo che le loro opinioni ed esperienze possano essere integrate nelle discussioni.



Lo sapevate?

Nel 2019, durante lo sviluppo di 27 medicinali, sono state fornite, su richiesta, consulenze simultanee da parte degli organi dell'EMA e dell'HTA. I pazienti sono stati coinvolti in due terzi di questi casi.

Come viene assicurata la sicurezza di un medicinale una volta immesso sul mercato?

Una volta che un medicinale è stato autorizzato per l'uso nell'UE, l'EMA e gli Stati membri dell'UE **esercitano un controllo costante** sulla sua sicurezza e intraprendono azioni nel caso in cui nuove informazioni indichino che il medicinale non è più così sicuro ed efficace come si pensava in precedenza.

- Il controllo della sicurezza dei medicinali prevede una serie di **attività di routine** che includono:
- la valutazione delle modalità di gestione e controllo dei rischi associati a un medicinale una volta autorizzato;

- il controllo costante di presunti effetti indesiderati segnalati dai pazienti e dagli operatori sanitari, identificati in nuovi studi clinici o riportati nelle pubblicazioni scientifiche;
- la valutazione periodica delle relazioni presentate dall'azienda titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio sul rapporto rischi/benefici di un medicinale nella vita reale;
- la valutazione della progettazione e dei risultati degli studi sulla sicurezza successivi all'autorizzazione richiesti al momento dell'autorizzazione.

Su richiesta di uno Stato membro o della Commissione europea l'EMA può anche sottoporre a revisione un medicinale o una classe di medicinali. Si tratta delle cosiddette procedure di **deferimento** dell'UE, di solito innescate da timori relativi alla sicurezza di un medicinale, all'efficacia delle misure di minimizzazione del rischio o al rapporto rischi/benefici del medicinale.

All'interno dell'EMA vi è un apposito comitato responsabile della valutazione e del controllo della sicurezza dei medicinali, il [comitato di valutazione dei rischi per la farmacovigilanza \(PRAC\)](#). Ciò garantisce che l'EMA e gli Stati membri dell'UE possano reagire molto rapidamente una volta individuato un problema e **adottare tempestivamente tutte le misure necessarie**, quali la modifica delle informazioni a disposizione dei pazienti e degli operatori sanitari oppure la limitazione o la sospensione dell'uso di un medicinale, al fine di proteggere i pazienti.

Per maggiori informazioni, vedere [farmacovigilanza: quadro generale](#).

Procedure di autorizzazione nazionali

I medicinali disponibili nell'UE sono stati per la maggioranza autorizzati a livello nazionale, o perché l'autorizzazione è stata rilasciata prima dell'istituzione dell'EMA oppure perché non rientravano nel campo di applicazione della procedura centralizzata.

Ogni Stato membro dell'UE ha specifiche procedure nazionali di autorizzazione. Informazioni su tali procedure sono disponibili in genere nei siti web delle autorità nazionali competenti:

- [autorità nazionali competenti \(medicinali per uso umano\)](#)
- [autorità nazionali competenti \(medicinali per uso veterinario\)](#)

Se un'azienda farmaceutica intende chiedere l'autorizzazione all'immissione in commercio in diversi Stati membri dell'UE per un medicinale che non rientra nell'ambito di applicazione della procedura centralizzata, può farlo in due modi:

- con la **procedura di mutuo riconoscimento**, attraverso la quale un'autorizzazione all'immissione in commercio rilasciata in uno Stato membro può essere riconosciuta in altri paesi dell'UE;
- con la **procedura decentrata**, attraverso la quale un medicinale non ancora autorizzato nell'UE può essere autorizzato simultaneamente in diversi Stati membri dell'UE.

Per ulteriori informazioni vedere:

- [gruppo di coordinamento per la procedura di mutuo riconoscimento e la procedura decentrata – medicinali per uso umano](#)
- [gruppo di coordinamento per la procedura di mutuo riconoscimento e la procedura decentrata – medicinali per uso veterinario](#)

I **requisiti in materia di dati** e le norme che si applicano all'autorizzazione dei medicinali sono gli stessi in tutta l'UE, indipendentemente dall'iter di autorizzazione.

3. Preparazione alle crisi e relativa gestione

In base alla legislazione entrata in vigore il 1° marzo 2022, l’Agenzia europea per i medicinali (EMA) svolge un ruolo formale nella preparazione alle situazioni di crisi che interessano il mercato unico dei medicinali e dei dispositivi medici dell’Unione europea (UE) nonché nella gestione di tali crisi.

Il [regolamento \(UE\) 2022/123](#) mira a mettere l’UE nelle condizioni di reagire alle **crisi sanitarie** in modo rapido, efficiente e coordinato. Formalizza parte delle strutture e dei processi istituiti dall’EMA durante la [pandemia di COVID-19](#) e assegna nuovi compiti all’Agenzia nei seguenti settori:

- monitoraggio e mitigazione delle carenze potenziali o effettive di medicinali e dispositivi medici critici;
- sostegno scientifico allo sviluppo tempestivo di medicinali di alta qualità, sicuri ed efficaci durante le emergenze di sanità pubblica;
- predisposizione delle condizioni atte a garantire un agevole lavoro dei gruppi di esperti impegnati nella valutazione dei dispositivi medici ad alto rischio e consulenza in materia di preparazione alle crisi e relativa gestione.
- Il regolamento è entrato in vigore il 1° marzo 2022. Tuttavia, le disposizioni in materia di carenze di [dispositivi medici](#) critici inizieranno ad applicarsi solo dal 2 febbraio 2023.
- Il regolamento fa parte del [pacchetto dell’Unione europea della salute](#) proposto dalla Commissione europea nel novembre 2020 ed è in linea con le priorità della rete europea di regolamentazione dei medicinali.
- Per attuarlo l’EMA sta collaborando con la Commissione e altri partner dell’UE.

Carenze di medicinali e dispositivi medici critici

Ai sensi del regolamento (UE) 2022/123 l’EMA ha le seguenti responsabilità in materia di monitoraggio e mitigazione delle **carenze di medicinali e dispositivi medici**:

- monitoraggio di eventi, anche relativi a [carenze di medicinali](#), che potrebbero sfociare in una situazione di crisi (emergenze di sanità pubblica o eventi gravi), avvalendosi di strutture e processi istituiti dall’Agenzia stessa, tra cui la [rete di punti di contatto unici](#) e la rete di punti di contatto unici del settore ;
- segnalazione delle carenze e coordinamento delle risposte dei paesi dell’UE alle carenze di medicinali critici durante una crisi;
- monitoraggio di eventi, segnalazione delle carenze e coordinamento delle risposte dei paesi dell’UE alle carenze di [dispositivi medici, anche per diagnostica in vitro](#), critici durante le emergenze di sanità pubblica (dal 2 febbraio 2023);
- istituzione e manutenzione della Piattaforma europea di monitoraggio delle carenze per facilitare l’acquisizione di dati e informazioni sulle carenze nonché **sull’offerta e sulla domanda di medicinali**, compresi quelli forniti dai titolari delle autorizzazioni all’immissione in commercio (entro l’inizio del 2025);
- istituzione di due gruppi direttivi per coordinare le iniziative dell’UE volte a mitigare i problemi di fornitura di medicinali e di dispositivi medici, ossia il gruppo direttivo esecutivo per le carenze e la sicurezza dei medicinali e il gruppo direttivo esecutivo per le carenze dei dispositivi medici. Il gruppo direttivo esecutivo per le carenze e la sicurezza dei medicinali è inoltre incaricato della

valutazione e del coordinamento delle iniziative in materia di sicurezza, qualità ed efficacia dei medicinali in situazioni di crisi.

Tra i principali vantaggi derivanti dall'attribuzione di tali responsabilità all'EMA vi sono:

- maggiore coordinamento nella prevenzione e nella mitigazione delle carenze di medicinali e dispositivi medici nell'UE;
- messa a disposizione di una piattaforma centralizzata dell'UE per segnalare, monitorare, prevenire e gestire le carenze di medicinali.

Sviluppo, approvazione e monitoraggio di medicinali

Ai sensi del regolamento (UE) 2022/123 l'EMA ha le seguenti responsabilità in materia di sviluppo, approvazione e monitoraggio dei medicinali in preparazione alle emergenze di sanità pubblica e durante le stesse:

- istituire una [task force per le emergenze \(Emergency Task Force, ETF\)](#) intesa a fornire consulenza scientifica e ad analizzare le evidenze relative ai medicinali potenzialmente utili a fare fronte a un'emergenza di sanità pubblica, offrire supporto scientifico per facilitare la conduzione di sperimentazioni cliniche e sostenere i propri comitati scientifici mediante l'autorizzazione dei medicinali e il monitoraggio della relativa sicurezza nonché per mezzo di raccomandazioni sull'uso pre-autorizzazione degli stessi. L'ETF metterà a frutto le esperienze acquisite con la task force per la COVID-19 istituita dall'EMA durante la relativa [pandemia](#);
- coordinare studi indipendenti **sull'uso, sull'efficacia e sulla sicurezza dei medicinali** in relazione alle emergenze di sanità pubblica, compresi quelli sull'efficacia e sulla sicurezza dei vaccini, in collaborazione con il [Centro europeo per la prevenzione e il controllo delle malattie \(ECDC\)](#);
- investire nell'acquisizione di **evidenze reali** e sfruttarle al meglio per supportare la preparazione e la risposta alle crisi, anche attraverso la rete [DARWIN EU](#), per fornire accesso a evidenze contenute nelle banche dati sull'assistenza sanitaria in tutta l'UE.

Tra i principali vantaggi derivanti dall'attribuzione di tali responsabilità all'EMA vi sono:

- valutazione e accesso accelerati a medicinali sicuri ed efficaci in grado di trattare o prevenire una malattia (potenzialmente) all'origine di un'emergenza di sanità pubblica;
- miglioramento della qualità dei dati e dell'uso delle risorse attraverso un maggiore sostegno a livello dell'UE alla conduzione di sperimentazioni cliniche in preparazione a un'emergenza di sanità pubblica nonché durante la stessa, oltre che attraverso una consulenza scientifica armonizzata;
- miglioramento del coordinamento e dell'armonizzazione a livello dell'UE delle necessarie attività di regolamentazione in preparazione a un'emergenza di sanità pubblica e durante la stessa.

Consulenza di esperti sui dispositivi medici ad alto rischio

Ai sensi del regolamento (UE) 2022/123 l'EMA è responsabile di garantire un agevole lavoro dei [gruppi di esperti dell'UE](#) relativamente a determinati dispositivi medici ad alto rischio. Per ulteriori informazioni cfr. la pagina sui

- [dispositivi medici ad alto rischio](#).

Nel coordinamento dei suddetti gruppi di esperti l'EMA è subentrata al Centro comune di ricerca della Commissione europea.

I principali vantaggi dell'attribuzione di questa responsabilità all'EMA sono:

- modalità di lavoro sostenibili per i gruppi di esperti sul lungo termine;
- miglioramento della cooperazione tra l'ETF e i gruppi di esperti durante le emergenze di sanità pubblica.

4. In che modo l'EMA valuta i medicinali per uso umano

L'Agenzia europea per i medicinali (EMA) si occupa della valutazione scientifica delle domande di autorizzazione all'immissione in commercio centralizzate nell'Unione europea. Questa procedura di autorizzazione permette alle aziende farmaceutiche di commercializzare il medicinale e metterlo a disposizione dei pazienti e degli operatori sanitari in tutto lo Spazio economico europeo sulla base di un'unica autorizzazione all'immissione in commercio.

Preparazione di una domanda

Cosa succede prima dell'inizio della valutazione di un medicinale?

Pochi mesi prima dell'inizio della valutazione, l'EMA fornisce indicazioni agli sviluppatori dei medicinali per assicurare che le loro domande di autorizzazione all'immissione in commercio siano conformi ai requisiti legali e regolamentari al fine di evitare inutili ritardi.

Per ottenere l'autorizzazione all'immissione in commercio, gli sviluppatori di medicinali devono presentare dati specifici sul loro medicinale. L'EMA effettua quindi una valutazione approfondita di questi dati per stabilire se il medicinale è sicuro, efficace e di buona qualità e pertanto idoneo all'uso nei pazienti.

L'EMA fornisce alle aziende indicazioni sul tipo di informazioni che devono essere incluse in una domanda di autorizzazione all'immissione in commercio.

Circa sei o sette mesi prima della presentazione di una domanda, gli sviluppatori del medicinale possono incontrare l'EMA per assicurarsi che la loro domanda sia conforme ai requisiti legali e regolamentari, ossia che includa tutti i diversi aspetti richiesti dalla legislazione dell'UE, necessari per dimostrare che un medicinale agisce nel modo previsto.

A questi incontri partecipano vari membri del personale dell'EMA responsabili di settori quali la qualità, la sicurezza e l'efficacia, la gestione dei rischi o gli aspetti pediatrici, che seguiranno la domanda durante tutta la valutazione.

L'EMA esorta gli sviluppatori a richiedere tali riunioni prima della presentazione delle domande con lo scopo di migliorarne la qualità ed evitare inutili ritardi.

Chi sostiene i costi della valutazione dei medicinali?

La legislazione europea impone alle aziende farmaceutiche di contribuire ai costi di regolamentazione dei medicinali. Dal momento che le aziende produrranno utili dalla vendita di medicinali, è giusto che sostengano la maggior parte dei costi finanziari della relativa regolamentazione. Ciò significa che i contribuenti dell'UE non devono sostenere tutti i costi legati all'assicurazione della sicurezza e dell'efficacia dei medicinali.

Le aziende versano anticipatamente una tassa amministrativa prima dell'inizio della valutazione dell'EMA. La tassa amministrativa applicabile per ciascuna procedura è definita dalla legislazione dell'UE.

Quali informazioni devono essere presentate all'interno di una domanda di autorizzazione all'immissione in commercio?

I dati presentati dagli sviluppatori di medicinali nella domanda di autorizzazione all'immissione in commercio devono essere conformi alla legislazione dell'UE e includere informazioni riguardanti:

- il gruppo di pazienti che si propone di trattare e l'eventuale esistenza di un'esigenza medica non soddisfatta affrontata dal medicinale;
- la qualità del medicinale, comprese le sue proprietà chimiche e fisiche, quali la stabilità, la purezza e l'attività biologica;
- la conformità ai requisiti internazionali per le prove di laboratorio, la fabbricazione di medicinali e la conduzione di sperimentazioni cliniche ("buona pratica di laboratorio", "buona prassi clinica" e "buone prassi di fabbricazione");
- il meccanismo d'azione del medicinale esaminato in studi di laboratorio;
- il modo in cui il medicinale viene distribuito ed eliminato dall'organismo;
- i benefici osservati nel gruppo di pazienti cui il medicinale è destinato;
- gli effetti indesiderati del medicinale osservati nei pazienti, comprese popolazioni speciali come i bambini o gli anziani;
- il modo in cui saranno gestiti e monitorati i rischi una volta che il medicinale è stato autorizzato;
- quali informazioni ci si propone di raccogliere dagli studi di follow-up dopo l'autorizzazione.

Le informazioni riguardanti eventuali timori (noti o potenziali) circa la sicurezza del medicinale, le modalità di gestione e monitoraggio dei rischi dopo l'autorizzazione del medicinale e i dati che ci si propone di raccogliere dagli studi di follow-up sono descritti in dettaglio nel "piano di gestione del rischio" (RMP). Tale documento viene valutato dal comitato per la sicurezza dell'EMA, il PRAC, per garantirne l'idoneità.

Le informazioni da procurare ai pazienti e agli operatori sanitari (ovvero il riassunto delle caratteristiche del prodotto o RCP, l'etichettatura e il foglio illustrativo) devono essere fornite dallo sviluppatore e vengono esaminate e approvate dal CHMP.

Da dove provengono i dati sui medicinali?

La maggior parte delle prove raccolte su un medicinale durante il suo sviluppo proviene da studi finanziati dallo sviluppatore del medicinale stesso. Qualsiasi altro dato disponibile sul medicinale (ad esempio, tratto da studi esistenti nella letteratura medica) deve essere presentato dal richiedente e quindi valutato.

Gli studi a sostegno dell'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale devono rispettare norme severe e vengono condotti in un contesto regolamentato. Le norme internazionali, denominate buona prassi clinica, si applicano alla progettazione degli studi, alla registrazione e alla comunicazione, al fine di garantire che gli studi siano scientificamente validi e condotti in modo etico. I tipi di prove necessarie per determinare i benefici e i rischi di un medicinale sono definiti dal diritto dell'UE a cui

devono attenersi gli sviluppatori di medicinali. L'EMA può richiedere di eseguire ispezioni in modo da verificare il rispetto di tali norme.

L'EMA sostiene lo svolgimento di studi di alta qualità tramite iniziative come la rete europea per la ricerca pediatrica presso l'Agenzia europea per i medicinali (Enpr-EMA) e la rete europea di centri di farmacoepidemiologia e farmacovigilanza (ENCePP) che riuniscono le competenze tecniche di centri accademici indipendenti in tutta Europa. Grazie a queste iniziative, ulteriori fonti di prova possono integrare le prove fornite dagli sviluppatori del medicinale, in particolare nel contesto del monitoraggio continuo della sicurezza di un medicinale dopo la sua autorizzazione.

Processo di valutazione

Qual è il principio fondamentale alla base della valutazione di un medicinale?

Il rapporto tra i benefici e i rischi di un medicinale è il principio fondamentale che guida la valutazione di un medicinale. Un medicinale può essere autorizzato solo se i suoi benefici superano i rischi.

Tutti i medicinali hanno sia benefici che rischi. Nel valutare le prove raccolte su un medicinale, l'EMA stabilisce se i benefici superino i rischi nel gruppo di pazienti a cui è destinato.

Inoltre, poiché non tutto è noto sulla sicurezza di un medicinale al momento dell'autorizzazione iniziale, anche il modo in cui i rischi saranno minimizzati, gestiti e monitorati una volta che il medicinale sarà più ampiamente utilizzato è parte integrante della valutazione e viene concordato al momento dell'autorizzazione.

Sebbene l'autorizzazione di un medicinale si basi su un **rapporto globale positivo tra i benefici e i rischi** a livello di popolazione, ciascun paziente è diverso e, prima di utilizzare un medicinale, i medici insieme al paziente devono valutare se rappresenti la giusta opzione di trattamento per loro sulla base delle informazioni disponibili sul medicinale e sulla situazione specifica del paziente.



Lo sapevate?

In alcuni casi, ad esempio quando un medicinale è destinato a trattare una malattia potenzialmente letale per la quale non esiste un trattamento soddisfacente o se la malattia in questione è molto rara, l'EMA può raccomandare un'autorizzazione all'immissione in commercio sulla base di prove meno complete o limitate sul medicinale, purché in una fase successiva vengano forniti ulteriori dati.

Come per tutte le autorizzazioni all'immissione in commercio, deve comunque essere dimostrato che i benefici del medicinale superano i rischi.

Per ulteriori informazioni:

- [autorizzazione all'immissione in commercio condizionata](#)
 - [linee guida sulle procedure per il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio in circostanze eccezionali](#)
-

Chi partecipa alla valutazione delle domande di autorizzazione all'immissione in commercio?

Un **comitato di esperti**, ognuno supportato da un gruppo di valutatori, esamina le domande.

Il [comitato per i medicinali per uso umano \(CHMP\)](#) dell'EMA valuta le domande presentate dagli sviluppatori di medicinali e raccomanda se un medicinale debba o meno ottenere un'autorizzazione all'immissione in commercio. Il comitato è composto da un membro e da un supplente per ciascuno Stato membro dell'UE, nonché dell'Islanda e della Norvegia. Inoltre, ha a disposizione fino a cinque esperti dell'UE in settori pertinenti, quali statistica e qualità dei medicinali, nominati dalla Commissione europea.

Nello svolgimento di una valutazione ciascun membro del CHMP si avvale del sostegno di un gruppo di valutatori presso le agenzie nazionali, che, sulla base di un ampio ventaglio di competenze, esaminano i vari aspetti del medicinale, quali la sicurezza, la qualità e il meccanismo d'azione.

Durante la valutazione il CHMP collabora altresì con altri comitati dell'EMA. Tra questi figurano:

- Il [comitato per le terapie avanzate \(CAT\)](#), che guida la valutazione di medicinali per terapie avanzate (terapia genica, ingegneria tissutale e medicinali a base di cellule);
- il [comitato di valutazione dei rischi per la farmacovigilanza \(PRAC\)](#) per aspetti relativi alla sicurezza del medicinale e alla gestione dei rischi;
- il [comitato pediatrico \(PDCO\)](#) per aspetti relativi all'uso pediatrico del medicinale;
- il [comitato per i medicinali orfani \(COMP\)](#) per i medicinali designati orfani.

Come funziona il CHMP?

La **revisione inter pares e le decisioni collegiali** sono al centro delle valutazioni del CHMP.

Per ogni domanda relativa a un nuovo medicinale vengono nominati due membri del comitato, il relatore e il co-relatore, provenienti da paesi diversi, per condurre la valutazione (per i medicinali generici viene nominato solo un relatore). La nomina è effettuata sulla base di criteri oggettivi per sfruttare al meglio le competenze disponibili nell'UE.

Il relatore e il co-relatore hanno il compito di condurre la valutazione scientifica del medicinale indipendentemente l'uno dall'altro. Ciascuno costituisce un **gruppo di valutazione**, formato da valutatori della propria agenzia nazionale e talvolta di altre agenzie nazionali.

Nelle relazioni di valutazione ciascun gruppo sintetizza i dati della domanda, formula un parere sugli effetti del medicinale e presenta pareri su eventuali incertezze e limitazioni dei dati. Inoltre, individua le domande alle quali il richiedente dovrà rispondere. Le due valutazioni separate tengono conto dei requisiti regolamentari, delle linee guida scientifiche pertinenti e dell'esperienza nella valutazione di medicinali simili.

Oltre al relatore e al co-relatore, il CHMP nomina anche uno o più **revisori inter pares** tra i propri membri. Il loro ruolo consiste nell'esaminare il modo in cui vengono eseguite le due valutazioni e garantire che l'argomentazione scientifica sia valida, chiara e solida.

Tutti i membri del CHMP, mediante discussioni con i colleghi e gli esperti delle rispettive agenzie nazionali, contribuiscono attivamente al processo di valutazione. Esaminano le valutazioni dei relatori, forniscono osservazioni e individuano ulteriori domande da sottoporre al richiedente. La valutazione iniziale e le osservazioni ricevute dai revisori inter pares e da altri membri del comitato vengono poi discusse nel corso di una riunione plenaria del CHMP.

A seguito delle discussioni e man mano che, durante la valutazione, si rendono disponibili nuove informazioni fornite da ulteriori esperti o da chiarimenti presentati dal richiedente, gli argomenti

scientifici vengono affinati in modo da elaborare una raccomandazione finale, che rappresenta l'analisi e il parere del comitato sui dati. Ciò può talvolta implicare, ad esempio, che la posizione del comitato sui benefici e sui rischi del medicinale cambi nel corso della valutazione e si discosti dalle valutazioni iniziali effettuate dai relatori.

Il CHMP può richiedere ulteriori informazioni durante la valutazione?

Durante la valutazione il CHMP solleva questioni sulle prove documentate nella domanda e chiede al richiedente di fornire **chiarimenti o analisi supplementari** per affrontarle. Le risposte devono essere rese disponibili entro un termine concordato.

Il CHMP può sollevare obiezioni o perplessità in merito a qualsiasi aspetto del medicinale. Se irrisolte, le obiezioni importanti **precludono l'autorizzazione all'immissione in commercio**.

Obiezioni importanti possono riguardare, ad esempio, il modo in cui è stato studiato o prodotto il medicinale oppure gli effetti osservati nei pazienti, quali l'entità dei benefici o la gravità degli effetti indesiderati.

Coinvolgimento di ulteriori esperti

Su quali competenze supplementari può fare affidamento il CHMP?

Durante la valutazione vengono spesso consultati esperti con conoscenze scientifiche o esperienza clinica specifiche per arricchire il dibattito scientifico.

Il CHMP può ricorrere a ulteriori esperti in qualsiasi momento della valutazione per ricevere consulenza su aspetti specifici sollevati nel corso del processo.



Lo sapevate?

Vengono consultati esperti esterni in circa un quarto delle valutazioni dei nuovi medicinali (esclusi i medicinali generici).

Il CHMP può richiedere sostegno e porre domande specifiche ai suoi [gruppi di lavoro](#) che hanno esperienza in un particolare settore, quale la biostatistica, oppure in un'area terapeutica specifica, come quella del cancro. I membri dei gruppi di lavoro dell'EMA hanno una conoscenza approfondita degli ultimi sviluppi scientifici nel settore di loro competenza.

Il comitato può anche ricorrere a esperti esterni attraverso i suoi gruppi consultivi scientifici o gruppi di esperti ad hoc. A questi gruppi, che comprendono operatori sanitari e pazienti, viene chiesto di rispondere a domande specifiche sull'uso potenziale e sul valore del medicinale in questione nella pratica clinica.



Lo sapevate?

L'EMA scambia regolarmente pareri sulle valutazioni dei medicinali in corso con altre agenzie di regolamentazione come la [FDA statunitense](#), la [Health Canada](#) e le [autorità di regolamentazione giapponesi](#). Tali discussioni possono riguardare, ad esempio, questioni cliniche e statistiche, strategie di gestione dei rischi e studi da condurre dopo l'autorizzazione.

Per ulteriori informazioni:

- [attività di gruppo](#)
-

Come vengono coinvolti i pazienti e gli operatori sanitari?

I pazienti e gli operatori sanitari sono coinvolti in qualità di esperti e forniscono il proprio punto di vista sulla possibilità che il medicinale possa soddisfare le proprie esigenze.

I pazienti e gli operatori sanitari sono invitati a partecipare in veste di esperti a gruppi consultivi scientifici o gruppi di esperti ad hoc. I pazienti contribuiscono alle discussioni mettendo in evidenza, ad esempio, la propria **esperienza della malattia**, le proprie esigenze e i rischi che riterrebbero accettabili in considerazione dei benefici attesi. Gli operatori sanitari possono fornire consulenza su gruppi di pazienti con esigenze non soddisfatte o sulla fattibilità delle misure proposte per ridurre al minimo i rischi associati a un medicinale nella pratica clinica.

Inoltre, singoli pazienti possono essere invitati a partecipare di persona o in teleconferenza alle riunioni plenarie del CHMP o essere consultati per iscritto (è disponibile l'[esito di un progetto pilota](#)).



Lo sapevate?

Nel 2018 pazienti e operatori sanitari sono stati coinvolti nella valutazione di circa un nuovo medicinale su quattro (esclusi i medicinali generici).

Quali sono le misure per salvaguardare l'indipendenza degli esperti?

L'indipendenza viene tutelata da un **elevato livello di trasparenza** e dall'applicazione di restrizioni qualora si ritenga che alcuni interessi siano potenzialmente in grado di incidere sull'imparzialità.

Sono state messe in atto politiche dell'EMA in materia di [gestione di interessi concorrenti](#) per limitare la partecipazione di membri, esperti e personale con possibili interessi in conflitto con l'attività dell'Agenzia, mantenendo nel contempo la possibilità dell'EMA di accedere alle migliori competenze disponibili.

I membri e gli esperti di comitati, gruppi di lavoro e gruppi consultivi scientifici o gruppi di esperti ad hoc presentano una **dichiarazione di interessi** prima di partecipare in qualsiasi modo alle attività dell'EMA.

L'Agenzia assegna a ciascuna dichiarazione di interessi un livello di rischio, in base all'eventualità che l'esperto abbia interessi diretti o indiretti (finanziari o di altra natura) passibili di influire sulla sua imparzialità. Prima di un coinvolgimento in una specifica attività, l'EMA controlla la dichiarazione di interessi. Nel caso in cui venga individuato un interesse concorrente, al membro o all'esperto in questione sono conferiti diritti limitati.

Le restrizioni possono includere l'esclusione dalla partecipazione alle discussioni su un particolare argomento o dalle votazioni nel merito. Le dichiarazioni di interessi dei membri e degli esperti e le informazioni sulle restrizioni applicate durante le riunioni dei comitati scientifici sono accessibili al pubblico mediante i verbali delle riunioni.

Le norme per gli esperti che fanno parte di comitati scientifici sono più severe di quelle previste per i partecipanti agli organi consultivi e ai gruppi di esperti ad hoc. In questo modo l'EMA può avvalersi delle migliori competenze nell'ambito dei gruppi consultivi al fine di raccogliere le informazioni più pertinenti e complete e applicare norme più severe nel processo decisionale.

Analogamente i requisiti previsti per i presidenti e i membri che ricoprono un ruolo di primo piano, ad esempio i relatori, sono più rigorosi di quelli applicabili ad altri membri dei comitati.

Inoltre, i membri dei comitati, dei gruppi di lavoro, dei gruppi di consulenza scientifica (e gli esperti che partecipano alle riunioni) e il personale dell'EMA devono rispettare i principi stabiliti nel [codice di condotta dell'EMA](#).



Lo sapevate?

Le [dichiarazioni di interesse](#) di tutti gli esperti, compresi i pazienti e gli operatori sanitari, che partecipano alle attività dell'EMA sono divulgate sul sito web dell'Agenzia. L'EMA pubblica inoltre [relazioni annuali](#) in materia di indipendenza, che contengono fatti e cifre sugli interessi dichiarati e sulle restrizioni che ne derivano.

Esito

In che modo il CHMP formula la sua raccomandazione finale?

Si giunge alla raccomandazione finale del CHMP mediante una **votazione formale**. Idealmente, il CHMP raggiunge un consenso e raccomanda all'unanimità l'approvazione o il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio; tale consenso viene raggiunto nel 90 % dei casi. Tuttavia, quando non si giunge a una raccomandazione finale all'unanimità, la raccomandazione finale del comitato rappresenta il punto di vista della maggioranza.

Quali informazioni sono pubblicamente disponibili durante la valutazione di un nuovo medicinale e nel momento in cui è stata presa una decisione?

L'EMA assicura un elevato livello di trasparenza riguardo alla valutazione dei medicinali pubblicando gli ordini del giorno e i verbali delle riunioni, le relazioni che descrivono la modalità di valutazione del medicinale e i risultati degli studi clinici presentati dagli sviluppatori del medicinale nelle loro domande.

L'[elenco dei nuovi medicinali in corso di valutazione](#) da parte del CHMP è disponibile sul sito web dell'EMA e viene aggiornato ogni mese.

L'EMA pubblica anche gli ordini del giorno e i verbali di tutte le riunioni dei suoi comitati, dove sono reperibili informazioni sulla fase di valutazione.

Una volta assunta una decisione in merito all'autorizzazione o al rifiuto di un'autorizzazione all'immissione in commercio, l'EMA pubblica una serie completa di documenti denominati relazione pubblica europea di valutazione (EPAR). Questa comprende la relazione pubblica di valutazione del CHMP, che descrive in dettaglio i dati valutati e le ragioni per cui il CHMP ha raccomandato di autorizzare o rifiutare l'autorizzazione.

Per le domande ricevute dopo il 1° gennaio 2015, l'EMA pubblica anche i risultati degli studi clinici presentati dagli sviluppatori di medicinali a sostegno delle domande di autorizzazione all'immissione in commercio. Per le domande antecedenti è possibile acquisire i risultati degli studi clinici attraverso una [richiesta di accesso al documento](#).

Informazioni dettagliate sulla natura e sulla tempistica delle pubblicazioni dell'EMA riguardanti i medicinali per uso umano, dal primo sviluppo alla valutazione iniziale fino alle modifiche successive all'autorizzazione, sono disponibili nella [guida dell'EMA alle informazioni sui medicinali per uso umano valutati dall'EMA](#).



Lo sapevate?

All'ottobre 2018 l'EMA aveva pubblicato i risultati degli studi clinici presentati dagli sviluppatori di medicinali nelle loro domande per oltre 100 medicinali recentemente valutati dall'Agenzia stessa. Tali dati sono disponibili per un controllo pubblico nella sezione del [sito web dell'EMA relativa ai dati clinici](#).

5. Chi siamo

L'Agenzia europea per i medicinali (EMA) è un'agenzia decentrata dell'Unione europea (UE), che si occupa della valutazione scientifica, della sorveglianza e del monitoraggio della sicurezza dei medicinali sviluppati dalle aziende farmaceutiche e destinati a essere impiegati nell'UE.

L'EMA è diretta da un consiglio di amministrazione indipendente. Le operazioni giornaliere sono svolte dal personale, presso la sede di Amsterdam, sotto la supervisione del direttore esecutivo.

L'EMA è un'organizzazione basata su reti alle cui attività partecipano migliaia di esperti di tutta Europa nell'ambito dei comitati scientifici dell'Agenzia.

Consiglio di amministrazione

Il [consiglio di amministrazione](#) è costituito da 35 membri, che sono nominati per agire nell'interesse pubblico e non rappresentano alcun governo, organizzazione o settore.

Il consiglio stabilisce il bilancio dell'Agenzia, approva il programma di lavoro annuale ed è responsabile di garantire che l'Agenzia operi in modo efficace e collabori proficuamente con le organizzazioni partner dell'UE e di paesi terzi.

Per ulteriori informazioni, vedere il punto 3.1.

Direttore esecutivo

Il [direttore esecutivo](#) è il rappresentante legale dell’Agenzia. È responsabile di tutti gli aspetti operativi, della gestione del personale e dell’elaborazione del programma di lavoro annuale.

Personale dell’Agenzia

Il personale dell’Agenzia assiste il direttore esecutivo nell’esercizio dei suoi compiti, compresi gli aspetti amministrativi e procedurali del diritto dell’UE in materia di valutazione e monitoraggio della sicurezza dei medicinali nell’UE.

[Organigramma dell’Agenzia europea per i medicinali](#)

Comitati scientifici

L’EMA ha sette [comitati](#) scientifici che valutano i medicinali in tutto il loro ciclo di vita, dalle prime fasi dello sviluppo all’autorizzazione all’immissione in commercio fino al monitoraggio della sicurezza una volta che i medicinali sono disponibili sul mercato.

Inoltre, l’Agenzia ha vari [gruppi di lavoro e gruppi correlati](#), che i comitati possono consultare relativamente a questioni scientifiche connesse al loro ambito specifico di competenza.

Questi organi sono composti da [esperti europei](#) messi a disposizione dalle autorità nazionali competenti degli [Stati membri dell’UE](#), che lavorano in stretta collaborazione con l’EMA nell’ambito della [rete europea di regolamentazione dei medicinali](#).

6. Consiglio di amministrazione

Il consiglio di amministrazione è l’organo direttivo dell’Agenzia europea per i medicinali. Ha un ruolo di supervisione con responsabilità generale in materia di questioni di bilancio e pianificazione, nomina del direttore esecutivo e monitoraggio dell’efficacia delle attività dell’Agenzia.

I **compiti operativi** del consiglio vanno dall’adozione di norme attuative giuridicamente vincolanti, alla definizione di linee di indirizzo strategiche per le reti scientifiche, fino alla presentazione di relazioni sull’uso dei contributi dell’Unione europea (UE) per le attività dell’Agenzia.

Il consiglio di amministrazione è competente per la definizione di norme giuridicamente vincolanti relative all’attuazione di alcune parti del **regolamento sulle tasse**. Adotta il regolamento finanziario dell’Agenzia e le relative norme di attuazione, che sono testi vincolanti per l’Agenzia, il consiglio e il direttore esecutivo.

Svolge un ruolo chiave nella procedura di “discarico” (convalida) dei **conti** dell’Agenzia da parte dell’autorità di bilancio dell’Unione europea. Nell’ambito di tale procedura il consiglio effettua un’analisi e una valutazione della relazione di attività annuale del direttore esecutivo. Tale attività rientra tra i controlli e le relazioni sulla base dei quali il direttore esecutivo riceve il discarico per il bilancio dell’Agenzia. Il consiglio esprime inoltre un parere sui conti annuali dell’Agenzia.

Intrattiene stretti rapporti con il **contabile** dell’Agenzia, nominato dal consiglio, e con il **revisore interno**, che riferisce al consiglio e al direttore esecutivo in merito alle constatazioni di audit.

È consultato riguardo al regolamento interno e alla composizione dei [comitati](#) dell’Agenzia.

È responsabile dell'adozione delle **disposizioni di attuazione** per l'applicazione pratica delle norme e dei regolamenti applicabili ai funzionari e agli altri agenti dell'UE.

I compiti e le responsabilità del consiglio di amministrazione sono definiti nel [quadro giuridico](#) dell'Agenzia.

Composizione

I membri del consiglio di amministrazione sono nominati sulla base delle loro conoscenze specialistiche nella gestione e, ove opportuno, dell'esperienza nel settore dei medicinali per uso umano o veterinario. Sono selezionati al fine di garantire il massimo livello di specializzazione, un ampio ventaglio di competenze e la distribuzione geografica più ampia possibile nell'ambito dell'UE.

Il consiglio di amministrazione è composto dai seguenti **membri**:

- un rappresentante di ognuno degli Stati membri dell'UE;
- due rappresentanti della Commissione europea;
- due rappresentanti del Parlamento europeo;
- due rappresentanti delle organizzazioni dei pazienti;
- un rappresentante delle organizzazioni dei medici;
- un rappresentante delle organizzazioni dei veterinari.

Oltre ai membri il consiglio di amministrazione comprende anche tre **osservatori** rispettivamente per l'Islanda, il Liechtenstein e la Norvegia.

I rappresentanti degli Stati membri, della Commissione europea e del Parlamento europeo sono nominati direttamente dallo Stato membro e dall'istituzione che rappresentano. I quattro membri della "società civile" (rappresentanti dei pazienti, dei medici e dei veterinari) sono nominati dal Consiglio dell'Unione europea previa consultazione del Parlamento europeo.

I rappresentanti degli Stati membri e della Commissione possono avere supplenti.

I membri del consiglio sono nominati con mandato triennale, rinnovabile.

7. Come lavoriamo

Per svolgere la propria missione, l'EMA opera in stretta collaborazione con le autorità nazionali competenti nell'ambito di una rete di regolamentazione. L'Agenzia applica anche politiche e procedure volte a garantire l'indipendenza, l'apertura e la trasparenza del suo operato, nonché il rispetto degli standard più elevati nelle sue raccomandazioni scientifiche.

L'EMA riunisce esperti scientifici di tutta Europa collaborando strettamente con le autorità di regolamentazione nazionali negli Stati membri dell'Unione europea (UE), nell'ambito della cosiddetta rete europea di regolamentazione dei medicinali (per maggiori informazioni, vedere il capitolo 5).

La rete **aggrega risorse e conoscenze specialistiche** nell'UE e permette all'EMA di avere accesso a migliaia di [esperti scientifici europei](#) che prendono parte alla regolamentazione dei medicinali.

Garantire l'**indipendenza** delle sue valutazioni scientifiche è una priorità assoluta per l'EMA. L'Agenzia si adopera per assicurare che gli esperti scientifici, il personale e il consiglio di amministrazione non abbiano [interessi finanziari o di altro tipo](#) che possano comprometterne l'imparzialità.

L'EMA si impegna affinché il processo che porta alla formulazione delle sue conclusioni scientifiche sia quanto più **aperto e trasparente** possibile. Le [relazioni pubbliche europee di valutazione](#) descrivono le basi scientifiche delle raccomandazioni dell'EMA riguardanti tutti i medicinali autorizzati a livello centrale.

L'EMA pubblica anche molte informazioni sulle proprie attività e sui medicinali con un **linguaggio divulgativo**. Per ulteriori informazioni, vedere [trasparenza](#).

L'Agenzia si impegna altresì per pubblicare informazioni chiare e aggiornate sul modo in cui opera, tra cui documenti di **pianificazione e relazioni** nonché informazioni sul finanziamento, sulla gestione finanziaria e relazioni di bilancio.

8. La rete europea di regolamentazione dei medicinali

Il sistema di regolamentazione dei medicinali in Europa è unico al mondo. Si basa su una rete di regolamentazione strettamente coordinata, formata dalle autorità nazionali competenti degli Stati membri del SEE, dall'EMA e dalla Commissione europea.

La rete europea di regolamentazione dei medicinali è il pilastro su cui si fondano il lavoro e il successo dell'EMA. L'Agenzia rappresenta il cuore della rete e opera coordinando e sostenendo le interazioni tra oltre cinquanta [autorità nazionali competenti](#) per i medicinali sia umani, sia veterinari.

Le autorità nazionali mettono a disposizione migliaia di [esperti europei](#) che prendono parte ai [comitati scientifici, ai gruppi di lavoro e ad altri gruppi](#) dell'EMA.

La rete di regolamentazione comprende anche la [Commissione europea](#), il cui ruolo principale nel sistema europeo è assumere decisioni vincolanti basate sulle raccomandazioni scientifiche formulate dall'EMA.

Lavorando in stretta collaborazione, questa rete assicura l'autorizzazione di medicinali sicuri, efficaci e di alta qualità in tutta l'Unione europea (UE) e la disponibilità di informazioni adeguate e coerenti sui medicinali per i pazienti, gli operatori sanitari e i cittadini.

Benefici della rete per i cittadini dell'UE

- Permette agli Stati membri di mettere in comune risorse e coordinare le proprie attività per regolamentare i medicinali in modo efficiente ed efficace;
- offre certezza ai pazienti, agli operatori sanitari, all'industria e ai governi, garantendo standard coerenti e l'uso delle migliori competenze disponibili;
- riduce l'onere amministrativo attraverso la procedura centralizzata di autorizzazione, contribuendo ad abbreviare il tempo necessario affinché i pazienti possano avere accesso ai medicinali;
- accelera lo scambio di informazioni su questioni importanti, quali la sicurezza dei medicinali.

Aggregazione delle competenze

La rete europea di regolamentazione dei medicinali permette all'EMA di avere accesso a esperti provenienti da tutta l'UE e di riunire le migliori competenze scientifiche disponibili nell'UE per la regolamentazione dei medicinali.

L'ampio ventaglio di esperti coinvolti nella regolamentazione dei medicinali nell'UE incoraggia lo scambio di conoscenze, idee e migliori pratiche tra scienziati che si prefiggono di assicurare gli standard più elevati per la regolamentazione dei medicinali.

Questi esperti europei partecipano in qualità di membri ai [comitati scientifici e gruppi di lavoro](#) dell'Agenzia o ai gruppi di valutazione che operano a sostegno dei loro membri. Possono essere nominati dagli Stati membri o dalla stessa Agenzia e sono messi a disposizione dalle [autorità nazionali competenti](#).

L'Agenzia conserva un [elenco di esperti europei](#) con i dati di tutti gli esperti che possono essere coinvolti nel lavoro dell'EMA. Il coinvolgimento degli esperti è possibile solo dopo che l'Agenzia ha valutato la relativa [dichiarazione di interessi](#).

Gruppi di valutazione multinazionali

L'EMA e i suoi partner di rete in ambito normativo gestiscono un programma per consentire ai gruppi multinazionali di valutare le domande riguardanti i medicinali per uso umano e veterinario. L'obiettivo è **mobilitare le migliori competenze** per la valutazione dei medicinali, indipendentemente dalla sede degli esperti.

L'EMA incoraggia la formazione di gruppi di valutazione multinazionali dal 2013 per le domande **iniziali di autorizzazione all'immissione in commercio**.

Ciò consente ai relatori e co-relatori dei comitati scientifici dell'EMA di includere esperti di altri Stati membri nei gruppi di valutazione. In tal modo, viene incentivato l'uso ottimale delle risorse attraverso la rete di regolamentazione e incoraggiato l'interscambio transfrontaliero delle competenze scientifiche.

Il sistema è stato avviato con i gruppi di valutazione dei co-relatori per i medicinali per uso umano (CHMP e CAT) e, in seguito, è stato esteso ai gruppi di valutazione dei relatori, i medicinali veterinari (CVMP) e le procedure di consulenza scientifica.

Dall'aprile 2017 i gruppi multinazionali possono inoltre valutare talune domande **successive all'autorizzazione** per l'estensione delle autorizzazioni all'immissione in commercio esistenti.

Condivisione delle informazioni

L'EMA e le autorità nazionali dipendono da norme, processi e sistemi informatici che permettono di condividere informazioni importanti tra i paesi europei e di analizzarle insieme.

Alcuni dei dati sono forniti dagli Stati membri e gestiti a livello centrale dall'EMA. Ciò rende possibile uno scambio di informazioni su varie questioni, tra cui:

- possibili effetti indesiderati segnalati per i medicinali;
- supervisione delle [sperimentazioni cliniche](#);
- ispezioni per accertare il rispetto della buona pratica nello [sviluppo clinico](#), nella [produzione e distribuzione](#) e nel [monitoraggio della sicurezza dei medicinali](#).

In questo modo è possibile ridurre la duplicazione di attività e favorire una regolamentazione efficiente ed efficace dei medicinali in tutta l'UE.

Per maggiori informazioni sui sistemi informatici gestiti dall'EMA insieme agli Stati membri, vedere [telematica UE](#).

9. Gestione degli interessi concorrenti

L'Agenzia europea per i medicinali (EMA) assicura che gli esperti scientifici, il personale e il consiglio di amministrazione dell'Agenzia non abbiano interessi finanziari o di altro tipo che

possano comprometterne l'imparzialità. L'Agenzia applica politiche distinte per questi gruppi.

Esperti scientifici

L'Agenzia [ha una politica sulla gestione degli interessi concorrenti per i suoi esperti scientifici](#), compresi i membri dei comitati, che le consente di individuare i casi in cui il potenziale coinvolgimento di un esperto in qualità di membro di un comitato, di un gruppo di lavoro o di un altro gruppo o in qualsiasi altra attività dell'Agenzia debba essere **limitato o escluso** a causa degli interessi di quest'ultimo nell'industria farmaceutica.

L'Agenzia vaglia la dichiarazione di interessi di ciascun esperto assegnandole un livello sulla base di eventuali interessi dell'esperto distinti tra interessi diretti e indiretti.

Una volta assegnato un livello di interessi, l'Agenzia utilizza le informazioni fornite per stabilire se il coinvolgimento di un esperto nelle attività specifiche dell'Agenzia, ad esempio nella valutazione di un particolare medicinale, debba essere limitato o escluso. L'Agenzia basa le proprie decisioni sui seguenti elementi:

- natura degli interessi dichiarati;
- collocazione temporale degli interessi;
- tipo di attività che dovrà essere svolta dall'esperto.

L'attuale politica riveduta riflette un approccio equilibrato alla gestione degli interessi concorrenti che mira a limitare efficacemente il coinvolgimento di esperti con possibili interessi in competizione con il lavoro dell'Agenzia, mantenendo tuttavia inalterata la capacità dell'EMA di accedere alle migliori competenze disponibili.

Tale politica comprende una serie di **misure** che permettono di tenere conto della natura degli interessi dichiarati prima di stabilire la durata applicabile a eventuali restrizioni:

- un ruolo esecutivo o un ruolo di primo piano nello sviluppo di un medicinale in un impiego precedente presso un'azienda farmaceutica comporta il **non coinvolgimento**, ovvero l'inconferibilità di incarichi aventi attinenza con l'azienda farmaceutica o il prodotto in questione durante il periodo del mandato;
- per la maggior parte degli interessi dichiarati è previsto un **periodo d'incompatibilità di tre anni**. Le restrizioni che limitano il coinvolgimento si riducono con il tempo e distinguono tra interessi in essere e interessi degli ultimi tre anni;
- per alcuni interessi, quali gli interessi finanziari, continua a non essere previsto alcun **periodo d'incompatibilità** quando l'interesse non sussiste più.

I requisiti per gli esperti che sono membri di comitati scientifici sono più rigorosi di quelli previsti per gli esperti che partecipano agli organi consultivi e ai gruppi di esperti ad hoc. Allo stesso modo, i requisiti previsti per i presidenti e per i membri che ricoprono un ruolo di primo piano, ad esempio i relatori, sono più rigorosi dei requisiti previsti per gli altri membri dei comitati.

La politica riveduta è entrata in vigore il 30 gennaio 2015. L'EMA ha aggiornato la sua politica di conseguenza:

- per **limitare il coinvolgimento** di esperti nella valutazione di medicinali nel caso in cui gli esperti intendano accettare un impiego nell'industria farmaceutica, l'Agenzia ha aggiornato la sua politica nel maggio 2015. Tale restrizione trova riscontro in un [documento orientativo](#).
- per **chiarire le restrizioni** qualora un esperto accetti un impiego nell'industria farmaceutica e per armonizzare le norme in materia di interessi di familiari stretti per i comitati e i membri dei gruppi di lavoro con quelle riguardanti i membri del consiglio di amministrazione, l'Agenzia ha aggiornato la sua politica nell'ottobre 2016.

La politica riveduta tiene conto dei **contributi formulati dalle parti interessate** in occasione del workshop pubblico organizzato dall'Agenzia nel settembre 2013 sul tema [Migliori competenze e conflitti di interessi: trovare il giusto equilibrio](#).

Procedura per l'abuso di fiducia

L'EMA ha in atto una [procedura per l'abuso di fiducia](#), che stabilisce le modalità di gestione, da parte dell'Agenzia, delle dichiarazioni di interessi inesatte o incomplete rese dagli esperti e dai membri dei comitati.

L'Agenzia ha aggiornato la procedura nell'aprile 2015 per armonizzarla con la versione attuale della politica sulla gestione degli interessi concorrenti e per tenere conto dell'esperienza acquisita da quando tale politica è stata approvata per la prima volta dal consiglio di amministrazione dell'EMA nel 2012.

Membri del personale

Il codice di condotta dell'Agenzia prevede che gli obblighi di imparzialità e la presentazione della dichiarazione di interessi annuale si applichino a tutti i membri del personale che lavorano per l'Agenzia.

I nuovi membri del personale devono **liberarsi di eventuali interessi** prima di iniziare a lavorare per l'Agenzia.

Le dichiarazioni di interessi complete rese dal personale direttivo sono disponibili sul sito dell'EMA nella sezione [Chi siamo](#). Tutte le altre dichiarazioni di interessi sono disponibili su richiesta.

Nell'ottobre 2016 il consiglio di amministrazione ha condotto una revisione delle norme in base alle quali l'Agenzia gestisce i potenziali interessi concorrenti dei membri del personale. Le norme riviste sono simili ai principi adottati per i membri dei comitati e gli esperti: illustrano gli interessi ammissibili e non ammissibili per il personale e prevedono controlli sulla nomina di singole persone responsabili di gestire la valutazione dei medicinali.

Membri del consiglio di amministrazione

La [politica in materia di gestione degli interessi concorrenti per i membri del consiglio di amministrazione](#) e la [procedura per l'abuso di fiducia](#) sono state armonizzate con la politica in materia di gestione degli interessi concorrenti e con la procedura per l'abuso di fiducia per i membri dei comitati scientifici e gli esperti.

Nel dicembre 2015 il consiglio di amministrazione dell'EMA ha approvato la versione attuale della politica e della procedura per l'abuso di fiducia. Tale politica è entrata in vigore il 1° maggio 2016 ed è stata successivamente aggiornata nell'ottobre 2016 per **chiarire le restrizioni** per le posizioni in un organo direttivo di un'organizzazione professionale e per armonizzare le norme in materia di sovvenzioni o di altri finanziamenti con quelle in vigore per i membri dei comitati e gli esperti.

Tutti i membri del consiglio di amministrazione devono presentare ogni anno una dichiarazione di interessi. Tali dichiarazioni sono disponibili sul sito web dell'EMA alla sezione [Chi siamo](#).

Revisione annuale delle politiche in materia di indipendenza

Dal 2015 l'EMA conduce su base annuale una revisione di tutte le sue politiche in materia di indipendenza, delle norme per la gestione degli interessi concorrenti e della loro attuazione e pubblica una relazione annuale. La relazione include i risultati delle procedure per l'abuso di fiducia, i controlli effettuati, le iniziative in programma per l'anno successivo e le raccomandazioni per il miglioramento.