



RIFORMA DELLA LEGISLAZIONE FARMACEUTICA UE: LE ASSOCIAZIONI DI PAZIENTI CHIEDONO MAGGIORE ATTENZIONE AI BISOGNI DELLE PERSONE CON MALATTIE CRONICHE

Confederazione Parkinson Italia e altre associazioni si appellano al Governo per una definizione inclusiva di “Bisogno medico insoddisfatto”

Roma, 17 dicembre 2024 – Mentre sono in corso i negoziati interistituzionali sulla riforma della legislazione farmaceutica dell’Unione Europea, **Confederazione Parkinson Italia** chiede al Governo italiano maggiore attenzione ai bisogni dei pazienti in una lettera firmata anche da altre associazioni di pazienti cronici: **Alleanza Cefalalgici (Al.Ce)**, **Associazione Nazionale per le Malattie Infiammatorie Croniche dell’Intestino (AMICI ETS)**, **Associazione Malattie Infiammatorie Croniche Intestinali (ANMAR)**, **Associazione Psoriasi Italiani Amici della Fondazione Corazza (APIAFCO)**, **Associazione Persone con Malattie Reumatologiche e Rare (APMARR)** e **FederASMA e ALLERGIE Federazione Italiana Pazienti ODV**.

Secondo le associazioni, **la definizione di "bisogno medico insoddisfatto" inclusa nella proposta non promuove un’innovazione centrata sul paziente** e ignora fattori importanti come l’impatto sulla qualità della vita. Nella lettera, i rappresentanti invitano infatti il Governo a farsi portavoce di un chiaro messaggio in Europa: definire cosa costituisce un bisogno medico insoddisfatto può essere fatto solo con un **coinvolgimento significativo dei pazienti**, la loro partecipazione al processo decisionale e la consultazione dei rappresentanti per ciascuna specifica area terapeutica.

La riforma UE e la definizione di bisogno medico insoddisfatto

Nel mese di aprile 2023, la Commissione Europea ha adottato una proposta per una nuova Direttiva e un nuovo Regolamento volti a rivedere o sostituire la legislazione generale esistente sui medicinali.

La proposta della Commissione per la nuova Direttiva definisce il cosiddetto bisogno medico insoddisfatto (*Unmet Medical Need - UMN*) all’articolo 83. Secondo la definizione, un medicinale risponde a un’esigenza medica insoddisfatta se almeno una delle sue indicazioni terapeutiche riguarda una malattia potenzialmente letale o gravemente debilitante, se non esiste un medicinale autorizzato nell’UE per tale malattia o se la malattia è associata a una morbilità o mortalità che rimane elevata, se l’impiego del medicinale comporta una riduzione significativa della morbilità o della mortalità della malattia.

Rispondendo a tali criteri, il medicinale approvato dall’EMA ottiene più tempo sul mercato senza competizione: sei mesi per gli *Unmet Medical Needs* e un anno per gli *Highly Unmet Medical Needs*, che corrispondono alle malattie rare.

Se la proposta ha l’obiettivo di incentivare la ricerca nelle aree dove è più necessaria e gli investimenti sono più rischiosi, secondo le associazioni firmatarie, i criteri di definizione di esigenza medica insoddisfatta risultano di non chiara interpretazione e, di conseguenza, di difficile attuazione. Come



anche sottolineato dallo *European Patients Forum* (EPF), a preoccupare la comunità dei pazienti è il possibile impatto distorsivo sulla ricerca e lo sviluppo terapeutico, perché la definizione intende premiare un'area di ricerca che esclude tutta una serie di malattie croniche fortemente invalidanti.

Il fatto che la definizione di *Unmet Medical Need* sia limitata a "malattie pericolose per la vita o gravemente invalidanti" – si legge ancora nella lettera- può significare l'esclusione di molte malattie croniche che hanno un grave impatto sulla vita quotidiana del paziente o sulla qualità della vita, come ad esempio la malattia di Parkinson, la malattia infiammatoria cronica intestinale, il reumatismo infiammatorio, la psoriasi, la dermatite atopica, l'emicrania.

Inoltre, prendendo in considerazione solo la morbilità e la mortalità, la proposta ignora altri aspetti importanti per i pazienti, come l'impatto sulla qualità della vita.

Infine, la definizione richiede una "riduzione significativa" della morbilità o della mortalità, termine che per i pazienti risulta ambiguo e inadeguato. Si ignorerebbe, con questa formulazione, che la scienza ottiene spesso risultati incrementali, migliorando continuamente la vita delle persone malate con innovazioni mediche e farmaceutiche nel tempo. Le persone con malattie croniche, per esempio, dipendono da attività di ricerca continue per poter raggiungere il prossimo livello, ancora migliore, nel trattamento terapeutico della malattia.

L'appello delle associazioni

Il Parlamento europeo ha adottato la relazione sulle proposte della Commissione, sulle quali è ora in corso l'esame del Consiglio. In vista dei prossimi negoziati interistituzionali, Confederazione Parkinson Italia e le altre associazioni firmatarie chiedono al Governo che **la definizione di esigenza medica non soddisfatta sia formulata in modo tale da non lasciare alcuna lacuna nell'assistenza medica, in particolare per le persone con malattie croniche**, e affinché il benessere del paziente rimanga al centro.

Perché ciò avvenga, si legge nella lettera, i criteri per la definizione di un'esigenza medica insoddisfatta dovrebbero prendere in considerazione tutte le malattie croniche (comprese quelle per cui esiste già sul mercato un medicinale), l'impatto della malattia sulla qualità della vita e l'aspettativa di vita, le attuali opzioni terapeutiche (la convenienza del trattamento, l'aderenza, la disponibilità, l'appropriatezza per tutti i pazienti, ecc.).

Il rischio più tangibile, secondo le associazioni, è che in futuro la ricerca, lo sviluppo e la produzione di nuove terapie o farmaci avverranno solo nell'ambito della nuova definizione di bisogno medico insoddisfatto, e tutte le altre aree terapeutiche in cui il bisogno apparentemente non esiste o sono coperte, secondo la proposta della Commissione, rimarranno ignorate.