



17 dicembre 2024

Egregio Presidente,

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 (Direttiva del Parlamento europeo e del Consiglio relativa al Codice dell'Unione sui medicinali per uso umano, e abrogazione della Direttiva 2001/83/CE e della Direttiva 2009/35/CE).

La proposta della Commissione per la nuova Direttiva definisce il cosiddetto bisogno medico insoddisfatto (*Unmet Medical Need* - UMN) all'articolo 83. Un medicinale risponde a un'esigenza medica insoddisfatta se:

- Almeno una delle sue indicazioni terapeutiche riguarda una malattia potenzialmente letale o gravemente debilitante;
- Non esiste un medicinale autorizzato nell'UE per tale malattia e se, nonostante esistano medicinali autorizzati, la malattia è associata a una morbilità o mortalità che rimane elevata;
- L'impiego del medicinale comporta una riduzione significativa della morbilità o della mortalità della malattia.

Se il medicinale approvato dall'EMA risponde a tali criteri, 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, è pur vero che 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.

Tornando all'articolo 83 della proposta di Direttiva della Commissione UE, il fatto che la definizione di *Unmet Medical Need* sia limitata a "malattie pericolose per la vita o gravemente



invalidanti" 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, l'emicrania e le malattie respiratorie, allergiche e atopiche.

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 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.

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, come Confederazione Parkinson Italia, assieme alle altre associazioni di pazienti che hanno aderito all'iniziativa, **facciamo quindi appello affinché 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, 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, infatti, è che in futuro la ricerca, lo sviluppo e la produzione di nuove terapie o farmaci avverranno solo in questo ambito definito in modo ristretto, e tutte le altre aree terapeutiche in cui il bisogno apparentemente non esiste o sono coperte, secondo la proposta della Commissione, rimarranno ignorate.



La ringraziamo molto per il Suo impegno e rimaniamo a disposizione.

**Confederazione Parkinson Italia**

**Alleanza Cefalalgici (Al.Ce)**

**Associazione Nazionale per le Malattie Infiammatorie Croniche dell'Intestino (AMICIETS)**

**Associazione Malattie Infiammatorie Croniche Intestinali (ANMAR)**

**Associazione Psoriasi Italiani Amici della Fondazione Corazza (APIAFCO)**

**Associazione Persone con Malattie Reumatologiche e Rare (APMARR)**

**FederASMA e ALLERGIE Federazione Italiana Pazienti ODV**