



IL-KUMMISSJONI
EWROPEA

Brussell, 26.10.2017
COM(2017) 626 final

**RAPPORT TAL-KUMMISSJONI LILL-PARLAMENT EWROPEW U LILL-
KUNSILL**

**L-istat tal-Mediċini Pedjatriċi fl-UE - 10 snin mid-dhul fis-sehh tar-Regolament
Pedjatriku tal-UE 'l hawn**

1. INTRODUZZJONI

Illum hemm kunsens ġenerali li t-tfal jisthoqqilhom aċċess għal medicini li ġew żviluppatti u rriċerkati b'mod speċifiku biex jintużaw minn pazjenti ta' età żgħira. Madankollu, sa f'it żmien ilu, l-iżvilupp u l-ittestjar ta' medicini pedjatriċi kienu ferm 'il bogħod milli jkunu sodisfaċenti. Hafna mill-prodotti użati fit-tfal kienu jiġu preskritti u jingħataw fuq il-bażi tal-esperjenza proprja tat-tabib minflok fuq il-bażi tar-riżultati ta' riċerka klinika. Barra minn hekk, il-medicini spiss ma kinux ikunu disponibbli f'forma farmaċewtika xierqa għat-tfal. It-tobba pedjatriċi kien ikollhom jirrikorru għal medicini awtorizzati għall-adulti billi jadattaw id-dożagġ u l-forma. Pereżempju billi jfarrku l-pilloli għall-adulti u jużaw porzjon minnhom biss. Dan l-użu mhux speċifikat fuq it-tikketta jgħib miegħu r-riskju ta' ineffikaċja u/jew ta' reazzjonijiet avversi fit-tfal. Effetti sekondarji li jistgħu ma jaffettwawx lill-adulti jistgħu jkunu importanti u serji fit-tfal.

L-istħarriġijiet jissuġġerixxu li f'hafna oqsma terapewtiċi, l-użu mhux speċifikat fuq it-tikketta kien mifruq, u spiss lahaq cifri ikbar minn 50 %. L-immunizzazzjoni fit-tfulija kienet eżenzjoni notevoli u waħda mill-istejjer ta' suċċess tal-medicina moderna.

Hemm diversi raġunijiet għaliex l-iżvilupp ta' medicini pedjatriċi fil-parti l-kbira kien twarrab. Sat-tmeninijiet ta' spiss ir-raġunament kien ikun li t-tfal jenhtieg li jkunu protetti mir-riċerka klinika għal raġunijiet etiċi. Minn dak iż-żmien kien hemm bidla gradwali lejn il-kunsens attwali li t-tfal jisthoqqilhom l-istess livell ta' kura tas-saħħa bħal kwalunkwe grupp ta' etajiet ieħor inkluża preskrizzjoni bbażata fuq l-evidenza tal-prodotti mediċinali. Xi kunsiderazzjonijiet ekonomiċi ikkontribwixxew ukoll għal-fatt li l-kumpaniji baqgħu lura milli jinvestu b'mod proattiv f'dan is-settur. Il-fatt li t-tfal jikbru u jimmaturaw ifisser li mhumieq subgrupp uniformi. Il-htigijiet u l-karatteristiċi bijoloġiċi u fiżjoloġiċi tat-trabi li jkunu għadhom kif jitwiellu huma ferm differenti meta mqabbla ma' daww tal-adoloxxenti. Għaldaqstant, spiss ikun hemm bżonn ta' riċerka addizzjonali adattata għall-età, li jkompli jikkompjika l-proċess ta' żvilupp ta' medicini pedjatriċi.

Ir-Regolament Pedjatriku¹ ("ir-Regolament") ġie adottat biex jindirizza din il-problema. Kien hemm bżonnu dan l-intervent leġislativ biex jitreggħu lura t-tendenzi preċedenti. Il-bażi tal-leġislazzjoni kienet proċess ta' konsultazzjoni u ta' diskussjoni li dam għaddej diversi snin. Kien ispirat ukoll mill-iżviluppi fl-Istati Uniti, li permezz ta' approċċi leġislativi bdiet tindirizza l-iżvilupp ta' prodotti pedjatriċi tard fis-snin disgħin.

Is-sena 2017 tfakkar l-10 anniversarju tar-Regolament. F'konformità mal-Artikolu 50(3) tiegħu, dan ir-rapport jagħti rendikont tal-kisbiet tiegħu, kemm f'termini tas-saħħa pubblika kif ukoll f'termini ekonomiċi u analiżi dwar safejn intlaħqu l-oġettivi. Filwaqt li 10 snin jipprovdut database rikka ta' esperjenza, dan jibqa' perjodu ta' żmien relattivament qasir fid-dawl taċ-ċikli ta' żvilupp twal tal-prodotti mediċinali, li ta' spiss jiehdu kważi għaxar snin.

Dan ir-rapport jibni fuq rapport ta' 10 snin imhejji mill-Aġenzija Ewropea għall-Medicini (EMA) u mill-Kumitat Pedjatriku tagħha,² fuq studju estern dwar l-impatt tar-

¹ Ir-Regolament (KE) Nru 1901/2006 tal-Parlament Ewropew u tal-Kunsill tat-12 ta' Diċembru 2006 dwar prodotti mediċinali għall-użu pedjatriku, ĠU L 378, 27.12.2006, p. 1.

² 10-year report to the European Commission – General report on the experience acquired as a result of the application of the Paediatric Regulation.

Regolament mitlub mill-Kummissjoni,³ fuq konsultazzjoni u diskussjonijiet pubbliċi mal-Istati Membri, mal-Parlament Ewropew,⁴ ma' pazjenti, ma' kumpaniji, ma' partijiet interessati u ma' shab esterni dwar l-esperjenzi tagħhom bl-impatt tar-Regolament.

2. IR-REGOLAMENT PEDJATRIKU

Ir-Regolament hu strutturat fuq tliet objettivi ewlenin:

- li tithegġeg u tiġi permessa riċerka ta' kwalità għolja fl-iżvilupp ta' mediċini għat-tfal;
- li jiġi żgurat, maż-żmien, li hafna mill-mediċini użati mit-tfal ikunu awtorizzati b'mod speċifiku għat-tali użu b'forom u b'formulazzjonijiet xierqa għall-età; u
- li tizzied id-disponibbiltà ta' informazzjoni ta' kwalità għolja dwar il-mediċini użati mit-tfal.

Biex jissodisfa dawn l-objettivi, ir-Regolament jistabbilixxi sistema ta' obbligi, ta' premji u ta' inċentivi, u jimplimenta miżuri biex jiġi żgurat li l-mediċini jiġu rriċerkati, żviluppati u awtorizzati b'mod regolari halli jiġu ssodisfati l-htigijiet terapewtiċi tat-tfal. Hu bbażat fuq l-idea sempliċi li jenhtieg li kumpanija tkun obbligata tifli kull prodott li tiżviluppa għall-użu potenzjali ta' dan fit-tfal, u b'hekk jiżdied b'mod progressiv in-numru ta' prodotti b'indikazzjonijiet pedjatriċi.

Ir-Regolament jobbliga lill-kumpaniji jiftiehm minn stadju bikri tal-iżvilupp fuq programm ta' Riċerka u Żvilupp pedjatriku ("pjan għall-investigazzjoni pedjatrika") mal-EMA. Ir-Regolament għandu impatt dirett fuq in-nefqa tar-R&Ż tal-kumpaniji, peress li jimponi investiment fir-riċerka pedjatrika. Jekk kumpanija tonqos milli tikkonforma mal-ftehim, l-awtorizzazzjoni rispettiva għall-kummerċjalizzazzjoni (għall-adulti) tista' tiġi mblokkata. Għaldaqstant, ir-Regolament imur lil hinn mill-mekkaniżmi stabbiliti bil-legiżlazzjoni dwar mediċini għal mard rari ("ir-Regolament dwar il-prodotti mediċinali Orfni"),⁵ li jipprevedi inċentivi għall-kumpaniji biss.

L-obbligu stabbilit fir-Regolament huwa kkumplementat minn miżuri oħra, b'mod partikolari:

- sistema ta' rinunzji għal mediċini li probabbilment mhumie x ta' benefiċċju għat-tfal u sistema ta' differimenti b'rabta mat-twaqqit tal-miżuri pedjatriċi li jkunu jridu jitwettqu;

³ Technopolis, Study on the economic impact of the Paediatric Regulation, including its rewards and incentives, 2017.

⁴ Riżoluzzjoni tal-Parlament Ewropew tal-15 ta' Diċembru 2016 dwar ir-Regolament dwar il-Mediċini Pedjatriċi.

⁵ Ir-Regolament (KE) Nru 141/2000 tal-Parlament Ewropew u tal-Kunsill tas-16 ta' Diċembru 1999 dwar il-prodotti mediċinali orfni, ĠU L 18, 22.1.2000, p. 1.

- premju għall-konformità mal-obbligu: estensjoni ta' sitt xhur taċ-ċertifikat ta' protezzjoni supplimentari⁶;
- premju speċifiku għall-prodotti mediċinali orfni: sentejn addizzjonali ta' esklużività tas-suq miżjuda mal-10 snin eżistenti mogħtija permezz tar-Regolament dwar il-prodotti mediċinali Orfni;
- tip ġdid ta' awtorizzazzjoni għall-kummerċjalizzazzjoni, l-awtorizzazzjoni ta' kummerċjalizzazzjoni għal użu pedjatriku (PUMA), biex jiġi inċentivat l-iżvilupp ta' indikazzjonijiet pedjatriċi għal prodotti li skaditilhom il-privattiva;
- kumitat ta' esperti, il-Kumitat Pedjatriku (PDCO), fi hdan l-EMA; u
- sistema ta' pariri xjentifiċi bla hlas għall-industrija, ipprovduta mill-EMA.

Barra minn hekk, ir-Regolament jippromwovi informazzjoni ta' kwalità għolja u riċerka ta' kwalità għolja permezz ta' miżuri oħra, bħal

- netwerk tal-UE ta' networks ta' investigaturi u ta' ċentri ta' provi li jwettqu riċerka pedjatrika (Enpr-EMA);
- inventarju tal-UE ta' htigijiet pedjatriċi;
- database pubblika ta' studji pedjatriċi; u
- rekwizit għall-kumpaniji biex jissottomettu kwalunkwe studju pedjatriku eżistenti dwar prodotti mediċinali awtorizzati għall-iskrutinju minn awtoritajiet regolatorji.

Wahda mill-kisbiet tar-Regolament hi li bla dubju ta' xejn ġibed iktar attenzjoni u investiment finanzjarju lejn l-iżvilupp pedjatriku. Il-kumpaniji kienu bażikament sfurzati jistabbilixxu infrastruttura pedjatrika u jibnu għarfien espert biex jiżguraw kapaċitajiet ta' riċerka pedjatrika xierqa li jsostnu l-iżvilupp tal-prodotti tagħhom.

Fl-2013, il-Kummissjoni ppubblikat l-ewwel rapport dwar l-impatt tar-Regolament u kkonkludiet li hemm xi sinjali promettenti ta' progress⁷. Madankollu, nstab li, minhabba t-tul ta' żmien tal-iżvilupp tal-prodotti mediċinali, hemm bżonn li jgħaddu mill-inqas 10 snin qabel ma jinkiseb fehim sħiħ tas-sitwazzjoni.

L-Artikolu 50(3) tar-Regolament jirrikjedi li l-Kummissjoni tippubblika t-tieni rapport fl-2017. Jenhtieg li t-tieni rapport jikkunsidra wkoll jekk hemmx bżonn li jiġu kkontemplati emendi għar-Regolament.

⁶ Ir-Regolament (KE) Nru 469/2009 tal-Parlament Ewropew u tal-Kunsill tas-6 ta' Mejju 2009 dwar iċ-ċertifikat ta' protezzjoni supplimentari għal prodotti mediċinali, ĠU L 152, 16.6.2009, p. 152.

⁷ Mediċini Aħjar għat-Tfal – Mill-Kunċett għar-Realità, COM(2013) 443.

3. IKTAR MEDIĊINI GHAT-TFAL

Iċ-ċifri juru li r-Regolament kellu impatt sostanzjali fuq l-iżvilupp ta' mediċini pedjatriċi fl-UE. Illum il-kumpaniji farmaċewtiċi jqisu l-iżvilupp pedjatriku bħala parti integrali mill-iżvilupp kumplessiv tal-prodotti mediċinali, anki jekk uħud minnhom għadhom jipperċepixxu r-riċerka pedjatrika bħala waħda xprunata mir-regolamenti minflok mill-kumpaniji.

Fl-2007-2016, gew awtorizzati iktar minn 260 mediċina ġdida għall-użu mit-tfal (awtorizzazzjonijiet ġodda għall-kummerċjalizzazzjoni u indikazzjonijiet ġodda), hafna minnhom marbuta mar-rekwiżiti tar-Regolament. In-numru ta' pjanijiet ta' investigazzjoni pedjatrika (PIP) miftiehma qabeż l-1 000 fl-2017, b'131 minnhom li tlestew sa tmien l-2016. Hemm tendenza ċara ta' żieda fin-numru ta' PIP lesti, b'iktar minn 60 % iffinalizzati fl-aħħar tliet snin. Barra minn hekk, il-valutazzjonijiet tal-awtoritajiet kompetenti ta' studji pedjatriċi mwettqa qabel ir-Regolament (Artikolu 45) għenu biex tiġi kkonsolidata l-evidenza diġà eżistenti u biex tiġi kkomplimentata l-informazzjoni dwar il-prodott b'data pedjatrika.

Tqabbil tas-sitwazzjoni qabel u wara r-Regolament juri effett pożittiv ċar f'termini tal-mediċini awtorizzati ġodda. Dan japplika wkoll għal tqabbiliet f'livell internazzjonali bejn is-sistemi ġuridiċi b'leġiżlazzjoni speċifika għall-pedjatrija u dawk mingħajr: Sistemi ġuridiċi b'dispożizzjonijiet leġiżlattivi fis-seħh għandhom numru ferm oghla ta' mediċini pedjatriċi ġodda.

L-analiżi kwantitattiva ta' hawn fuq turi progress ċar. Dawk iċ-ċifri tal-output huma konformi wkoll mal-aspettattivi b'kunsiderazzjoni tal-fatt li l-inkluzjoni ta' prodott mediċinali fis-suq tista' tiegħu sa 10 snin, xi haġa li tixhet dawl fuq it-tibdil inkrementali li jipprovdi r-Regolament.

Fl-istess hin, il-hruġ ta' awtorizzazzjoni għall-kummerċjalizzazzjoni jew iż-żieda ta' informazzjoni pedjatrika ma' awtorizzazzjonijiet għall-kummerċjalizzazzjoni eżistenti ma jsarrfux b'mod awtomatiku fid-disponibbiltà immedjata tal-prodott għall-pazjenti pedjatriċi kollha fl-UE. Dan jista' jkun dovut għad-deċiżjonijiet ta' rimborż pendenti f'livell nazzjonali jew il-modi kif tinghata riċetta tat-tabib, li minhabba fihom it-tobba jaf ma jaqilbux b'mod dirett għal prodott li jkun għadhom kif gew awtorizzati. Bi twegiba għal sħarriġ li pprova input għal dan ir-rapport,⁸ il-maġġoranza ta' dawk li wiegħbu stmat li ż-żieda fil-mediċini disponibbli kienet fil-medda ta' 5-10 %. Dwar il-modi kif tinghata riċetta tat-tabib, 58 % ta' dawk li wiegħbu indikaw li t-tobba qed jagħtu dejjem iktar riċetti għal mediċini approvati skont l-indikazzjoni liċenzjata tagħhom għat-tfal, bis-saħħa tar-Regolament. Dan juri tendenza pożittiva, iżda jixhet ukoll dawl fuq ċerta inerzja. Finalment, it-tnaqqis tal-użu mhux skont it-tikketta fit-tfal mhuwiex dipendenti biss fuq iktar mediċini pedjatriċi awtorizzati, iżda fuq id-disponibbiltà reali u fuq l-użu fil-prattika medika.

F'dan il-kuntest, hu osservat li spiss il-kumpaniji jibbażaw fuq tnedija mtarrġa ta' prodott ġodda bil-konsegwenza ta' dewmien sakemm il-prodott ikun finalment disponibbli madwar l-UE kollha. Dan ma jistax jiġi evitat għalkollox anki jekk ir-Regolament jinkludi diversi strumenti biex jiżgura li, ladarba PIP jitlesta u l-mediċina pedjatrika tiġi awtorizzata bis-sħiħ, il-prodott jitqiegħed fis-suq. Pereżempju, il-premj

⁸ L-istudju ta' Technopolis, kapitlu 5.

ta' ċertifikat ta' protezzjoni supplimentari skont l-Artikolu 36 isehh biss jekk il-prodott jiġi awtorizzat fl-Istati Membri kollha. L-Artikolu 33 fih ukoll obbligu li l-prodott jitqiegħed fis-suq fi żmien sentejn mid-data li fiha tiġi awtorizzata indikazzjoni pedjatrika ġdida.

Id-disponibbiltà puntwali ta' mediċini pedjatriċi tista' tintlaqat ukoll mit-tlestija ttardjata tal-istudji pedjatriċi meta mqabbla mal-finalizzazzjoni u mal-awtorizzazzjoni tal-prodott korrispondenti għall-adulti. Ir-Regolament jinkludi dispożizzjonijiet għad-differiment tat-tnedija jew tat-tlestija ta' wħud mill-miżuri jew tal-miżuri kollha li jinstabu f'PIP (l-Artikolu 20) biex jiġi żgurat li r-riċerka titwettaq biss meta din tkun sikura u etika. Barra minn hekk, għandu l-għan li jevita mblokkar jew ittardjar tal-awtorizzazzjoni tal-prodotti għall-popolazzjoni adulta.

L-esperjenza turi li d-differiment hi strument użat ta' spiss. Fil-prattika, kwazi l-PIPs kollha għal mediċini ġodda li huma marbuta ma' żvilupp għall-adulti jinkludu differiment ta' miżura waħda jew iktar. Fil-prinċipju, id-differiment hu strument siewi u xieraq u ma hemm ebda evidenza li r-rekwiżiti pedjatriċi setgħu ittardjaw l-ipproċessar ta' applikazzjonijiet għall-adulti. Madankollu, f'xi każijiet il-Kumitat Pedjatriku qabel dwar differimenti twal hafna. Dan jista' jikkawża frustrazzjoni fost diversi kliniċisti u pazjenti, speċjalment jekk ikun ifisser li prodott pedjatriku promettenti se jkun disponibbli biss snin wara li tinkiseb l-awtorizzazzjoni għall-adulti. Barra minn hekk, jekk il-bidu ta' prova pedjatrika jiġi ttardjat sa wara l-awtorizzazzjoni għall-adulti, l-esperjenza turi li r-reklutaġġ ta' pazjenti fi provi pedjatriċi jsir iktar diffiċli. Il-ġenituri jaf ma jarawx il-valur miżjud li jaqblu li t-tifel/tifla tagħhom jieħdu sehem f'riċerka klinika meta l-prodott adult diġà jista' jintuza (mhux skont it-tikketta) fuq it-tfal. F'ċerti każijiet, differimenti kienu marbuta wkoll mas-sottomissjoni tard ta' PIP. Filwaqt li hemm tendenza ta' tnaqqis fis-sottomissjonijiet tard (bħalissa 10-20 %), il-ftehim għad-differiment f'dawk il-każijiet jista' jkun jeħtieġ skruntinju eqreb biex jiġi evitat li dawk is-sottomissjonijiet tard isehhu askapitu ta' progress veloċi f'terapiji pedjatriċi.

F'dan il-kuntest, l-EMA u l-Kumitat Pedjatriku tagħha bħalissa qed jirrevedu l-prattiki mgħoddija biex jiżguraw konsistenza u jevitaw differimenti sinifikanti. Fid-dawl tax-xjenza dejjem tevolvi, jista' jiġi argumentat li l-qbil għal differimenti twal ifisser dubju fuq il-benefiċċju terapewtiku sinifikanti tal-iżvilupp tal-prodott meta mqabbel mat-trattamenti eżistenti għall-pazjenti pedjatriċi. F'dawn il-każijiet, il-valur miżjud tal-istudji pedjatriċi jista' jkun marginali. Barra minn hekk, differimenti twal jistgħu jxekklu l-eżegwibbiltà tar-rekwiżiti pedjatriċi, u d-disponibbiltà ta' kwalunkwe premju, speċjalment jekk id-differiment jintemm wara li jkun skadew il-perjodi ta' protezzjoni għall-prodott.

4. MEDIĊINI AHJAR GĦAT-TFAL

Tul l-aħħar 10 snin sar progress konsiderevoli fid-disponibbiltà tal-mediċini għat-tfal f'ċerti oqsma terapewtiċi bis-saħħa tar-Regolament. Ir-rewmatologija jew il-mard li jittiehed spiss issir referenza għalihom bħala eżempji prinċipali. Iż-żieda sinifikanti ta' trattamenti ġodda għat-tfal b'mard rewmatologiku wara t-tlestija tal-PIP ittrasformat settur, li qabel kien imwarrab.

Fl-istess hin, dawk l-iżviluppi pożittivi ma jseġwux pjan strateġiku, iżda ta' spiss huma marbuta ma' żviluppi fis-swieq tal-adulti. Peress li l-punt tat-tluq għal hafna mill-PIP hu programm ta' riċerka u ta' żvilupp għall-adulti, il-progress f'qasam pedjatriku hu

dipendenti fuq il-pipeline tal-prodotti għall-adulti tal-kumpaniji u hu influwenzat mill-prospetti ta' dħul f'segment speċifiku tas-suq. Meta jkun hemm trikkib tal-htigijiet tal-adulti jew l-aspettattivi tas-suq jaqblu fuq il-htigijiet pedjatriċi, it-tfal jibbenefikaw direttament. Madankollu, hemm numru konsiderevoli ta' mard li hu bijoloġikament differenti fl-adulti u fit-tfal, fejn il-piż tal-marda jvarja, jew li jeżisti biss fit-tfal. Hu f'dak il-mard fejn il-mekkanizmu introdott mir-Regolament kultant ibati minhabba realtajiet xjentifiċi, kliniċi u tas-suq.

Dan jgħodd għaż-żewġ naħat. Eżempju riċenti fejn jista' jkun hemm riskju li l-mewġa ta' żviluppi godda għall-adulti tghabbi s-sistema żzejjed hu d-dijabete tat-tip II; marda li mis-snin tmenin qed issir dejjem iktar prevalenti fost l-adulti. Tul l-aħħar snin, hafna kumpaniji kkoncentraw fuq dan il-qasam terapewtiku li jwassal għall-ogħla livell ta' attivitajiet u għal pipeline li qed jevolvi ta' prodotti godda. B'mod parallel, dawn il-mewġiet iwasslu għal żieda fil-programmi ta' riċerka pedjatrika, anki jekk – meta jitqiesu minn perspettiva ta' htigijiet terapewtiċi – li jkun hemm inqas minnhom seta' kien biżżejjed, peress li d-dijabete tat-tip II għadha relattivament rari fit-tfal. Id-diskrepanza bejn il-piż tal-marda fl-adulti u fit-tfal tista' twassal ukoll għal problemi ta' fattibbiltà fit-twetliq ta' provi pedjatriċi, minhabba s-sempliċi fatt li jista' ma jkunx hemm biżżejjed pazjenti żgħar biex jipparteċipaw fl-istudji tal-PIP. Biex jingħelbu t-tali problemi, għe ssuġġerit li l-kumpaniji jkunu attivi f'riċerka kollaborattiva biex jagħmlu użu aħjar mill-grupp limitat ta' pazjenti. Madankollu, il-kumpaniji jaħsbuha darbtejn, speċjalment meta dan jikkonċerna żviluppi bi status potenzjali ta' suċċess kummerċjali fl-adulti. Fl-istess ħin, il-Kumitat Pedjatriku mhuwiex f'pożizzjoni li jagħti prijorità bejn PIP għall-istess qasam terapewtiku. Ta' spiss tkun sitwazzjoni paradossali, peress li r-riżultati tal-provi kliniċi biss jistgħu jinformat lill-Kumitat Pedjatriċi fl-għażla tiegħu dwar liema komposti jistgħu jipprovd u iktar riżultati promettenti fit-tfal. Madankollu, l-intervent tal-Kumitat Pedjatriku u l-ftehim fuq pjan ta' investigazzjoni pedjatrika normalment jistgħu jsejtnu qabel ma daww ir-riżultati jkunu disponibbli, peress li l-iskop ta' PIP hu li jidentifika u jaqbel fuq l-istudji li jridu jsiru.

Fl-estrem l-ieħor hemm mard li huwa uniku għall-popolazzjoni pedjatrika, fejn l-iżvilupp pedjatriku jiddependi tipikament mid-deċiżjoni strateġika ta' kumpanija li tinvesti f'dan il-qasam indipendentement minn kwalunkwe programm kurrenti għall-adulti. Dan hu partikolarment minnu għal mard rari fit-tfal, bħall-kanċer pedjatriku.

B'mod rassiguranti, analiżi tal-PIP miftiehma turi li dawn ikopru firxa wiesgħa ta' oqsma terapewtiċi, bil-mard li jittiehed (12 %), l-onkoloġija (10 %) u l-mard endokrinoloġiku/metaboliku (9 %) fuq quddiem nett, iżda ebda qasam partikolari ma jiddomina. B'mod ġenerali, dan hu sinjal tajjeb peress li juri attivitajiet pedjatriċi li jkopru firxa wiesgħa ta' mard. Madankollu, numru kbir ta' PIP miftiehma mhux bilfors ifisser numru kbir ta' PIP ffinalizzati. Bhalissa, il-kundizzjonijiet bl-ogħla numru ta' PIP lesti huma l-immunoloġija/ir-rewmatoloġija (14 %), il-mard li jittiehed (14 %), il-mard kardjovaskulari u l-vaċċini (it-tnejn 10 %), bl-onkoloġija u l-mard endokrinoloġiku/metaboliku li jikkorrispondu għal 7 % biss tal-PIP lesti. Barra minn hekk, l-iżvilupp f'termini ta' PIP miftiehma u lesti mhux bilfors jikkorrispondu għall-piż tal-mard pedjatriku, xi haġa li tixhet daww fuq il-fatt li l-iżvilupp ta' mediċini pedjatriċi ta' spiss ikun xprunat mill-iżvilupp għall-adulti. Il-possibbiltajiet tar-Regolament li jidderiegi attivitajiet lejn ċerti oqsma terapewtiċi huma limitati. Huwa faċilitatur importanti, iżda l-impatt kwalitattiv għadu dipendenti fuq il-forzi tas-suq, l-ixprunaturi tat-tkabbir u l-kunsiderazzjonijiet strateġiċi tal-kumpaniji.

Fid-diskussjoni dwar il-htigijiet pedjatriċi, l-onkologija pedjatrika ta' spiss tintuża bħala studju tal-każ għal avvanzi insuffiċjenti f'qasam ta' hteġa pedjatrika kbira mhux issodisfata. Għalkemm il-kanċer fit-tfal hu rari, għadu l-kawża ewlenija ta' mwiet minn mard wara l-infanzja minkejja rati ta' sopravivenza mtejba għal ċerti tipi ta' kanċer fl-aħħar deċennji.

Id-diskussjoni dwar l-onkologija pedjatrika ta' spiss hi marbuta mal-kunċett ta' rinunzja stabbilit fl-Artikolu 11 tar-Regolament, li jipprevedi li r-rekwizit għal PIP jista' jiġi rrinunzjat għal prodotti jew għal klassijiet speċifiċi ta' prodotti f'ċirkustanzi speċifiċi. Dan jiġri jekk prodott aktarx li jkun ineffettiv jew mhux sikur għat-tfal jew ma jkollux benefiċċju terapewtiku sinifikanti fuq it-trattamenti eżistenti. L-obbligu hu rrinunzjat ukoll jekk il-marda jew il-kundizzjoni li għaliha hu maħsub il-prodott isseħħ biss fl-adulti.

Ir-rinunzja għandha l-ghan li tevita riċerka mhux neċessarja jew saħansitra mhux etika u tikkoreġi l-qafas tal-kamp ta' applikazzjoni tal-obbligi u hi kkunsidrata bħala strument xieraq. Fl-2007-2016, l-EMA tat xi rinunzji tal-kategoriji u 486 rinunzja speċifika għall-prodotti għall-użu ta' medicina taht kundizzjoni waħda jew iktar. Madankollu, filwaqt li hu generalment xieraq li jiġi rrinunzjati studji pedjatriċi, jekk il-marda fil-mira ma tkunx teżisti fit-tfal, mhuwiex eskluż li l-kompost jista' jkun għadu ta' benefiċċju għat-tfal, għad li f'kundizzjoni differenti. Pereżempju, filwaqt li ħafna kanċers pedjatriċi jaqsmu similaritajiet bijoloġiċi mal-kanċers fl-adulti, dawn isseħħu f'organi differenti u għalhekk normalment jitqiesu bħala kundizzjonijiet differenti. Konsegwentement, kumpanija tista' tkun intitolata li tirrinunzja anki jekk il-mekkanizmu ta' azzjoni tal-kompost żviluppat għall-adulti u l-mira molekolari tiegħu jistgħu jkunu effettivi wkoll fit-trattament ta' ċerti kanċers pedjatriċi.

L-aħħar ftit snin raw żieda qawwija fil-medicini innovattivi kontra l-kanċer li dahlu fis-suq għall-adulti ma' ċerti prodotti prima klassi, li holqu għażliet ta' trattament aħjar u eżiti tal-pazjenti mtejba u rati ta' sopravvivenza itwal. Bhalissa, it-trattamenti kontra l-kanċer jirrappreżentaw l-ikbar kategorija ta' medicini godda, anki fid-dawl tal-potenzjal ta' dħul tagħhom. U hu mistenni li dawn ser ikompli jittrasformaw il-qasam terapewtiku⁹.

Madwar kwart tal-medicini kollha li bhalissa jinsabu fl-istadju ta' żvilupp avvanzat huma terapiji tal-kanċer. Indikatur minnhom għall-interess għoli kontinwu fl-iżvilupp tal-medicini għall-kanċer hu wkoll ir-Regolament dwar il-prodotti medicinali Orfni, fejn it-terapiji tal-kanċer jappartjenu għall-kundizzjonijiet orfni ddeżinjati ta' spiss, li jiżvela tendenza lejn medicini b'fokus ristrett¹⁰. Madankollu, dan il-pass tal-avvanzi osservat fit-terapiji għall-adulti għadu mhuwiex rifless fil-pazjenti pedjatriċi. F'ċerti kanċers pedjatriċi, l-iktar medicini użati jmorru lura għas-snin disghin, jekk jeżistu affattu.

Fl-istess hin, ir-Regolament kellu impatt u wassal għall-awtorizzazzjoni ta' prodotti godda għal kontra l-kanċer. Tlestew seba' żviluppi fil-PIP, li pprovdew għażliet ta' trattament għal glijoma ta' grad għoli, għal rabdomjosarkoma, għal astroċitoma u għal lewkemija linfoblastika akuta.

⁹ QuintilesIMS Institute, Outlook for global medicines through 2021, Diċembru 2016.

¹⁰ Il-Kummissjoni Ewropea, Inventory of Union and Member States incentives to support research into, and the development and availability of, orphan medicinal products, SWD(2015)13.

In-numru ta' PIP miftiehma għal mediċini kontra l-kanċer (68) li jkopru iktar minn 30 mekkaniżmu differenti ta' azzjoni hu impenn ta' titjib ulterjuri fil-gejjieni. Uħud minn dawn il-PIP huma bbażati fuq il-mekkanizmu tal-prinċipju ta' azzjoni, jiġifieri filwaqt li l-kumpanija potenzjalment setgħet tibbaża fuq rinunzja, ħadet impenn favur riċerka pedjatrika fid-dawl tal-benefiċċju potenzjali tal-kompost biex jittratta l-kanċers fit-tfal.

Fattur kontributor għal dawk l-impenji seta' kien l-effetti sekondarji tar-Regolament, li bla dubju ta' xejn heġġeg lill-kumpaniji jsaħħu l-ġarhien esperti tagħhom fl-iżvilupp ta' mediċini pedjatriki. Dan seta' halla impatt fuq id-deċiżjonijiet strateġiċi tal-kumpaniji favur il-kopertura tal-ħtiġijiet pedjatriki, b'mod partikolari permezz tal-użu ta' tifsiliet innovattivi tal-provi, bħal provi kliniċi tat-tip "basket trials", li fihom kompost jiġi ttestjat kontra diversi tipi ta' kanċer biex tiġi informata għażla bikrija tal-iktar żviluppi promettenti. Barra minn hekk, l-UE tipprovdi finanzjament immirat għar-riċerka dwar il-kanċer, inkluż permezz tal-Fond Ewropew tagħha għall-Investimenti Strateġiċi¹¹.

Ir-riżultati ta' hawn fuq huma mħallta, xi haġa li wasslet biex uħud jitolbu reżiljenza ikbar fuq il-prinċipju tal-mekkanizmu ta' azzjoni u tibdiliet legiżlattivi għall-kunċett ta' rinunzja biex il-kumpaniji jiġu mgħiegħla jinvestu iktar fl-iżvilupp ta' mediċini għall-kanċer pedjatriku. Madankollu, dan jista' jhalli impatt fuq il-prevedibbiltà tal-kamp ta' applikazzjoni ta' PIP u jista' jwassal biex il-kumpaniji jerga' jibdielhom dwar l-iżvilupp kumplessiv tal-prodott.

Fl-2015, l-EMA eżaminat mill-ġdid id-deċiżjoni ta' rinunzja tal-kategoriji tagħha fid-dawl tal-prinċipju tal-mekkanizmu ta' azzjoni, u b'hekk illimitat il-kamp ta' applikazzjoni tiegħu. Dan l-approċċ jista' jgħin biex jinvolve rwiehhom kumpaniji li jiżviluppaw mediċini kontra l-kanċer. Jekk dawk il-kumpaniji għadhom iridu jibbażaw fuq rinunzja, huma jridu jiġġustifikawha permezz ta' applikazzjoni diretta mal-Kumitat Pedjatriku (permezz ta' rinunzja speċifika għall-prodott). Il-proċess jippermetti li diskussjoni diretta tixhet dawl fuq il-potenzjal pedjatriku, minkejja dik l-applikazzjoni għal rinunzja. Se jiġiegħel ukoll lill-kumpaniji jikkuntattjaw lill-kumitat fi stadju iktar bikri fl-iżvilupp biex tinkiseb ċertezza dwar ir-rekwiziti skont ir-Regolament. L-effetti ta' dan ir-rieżami ta' rinunzja tal-kategoriji għad iridu jiffaċċaw peress li l-perjodu tranżitorju ta' tliet snin għadu m'għaddiex, iżda l-approċċ jista' jippermetti għal xiri sfrużat aħjar mill-kumpaniji minflok regoli statutorji imposti.

Barra minn hekk, għadu mhuwiex mifhum bis-sħiħ għaliex il-kumpaniji jzommu lura milli jisfruttaw il-benefiċċji tar-Regolament dwar il-prodotti mediċinali Orfni għal kanċers pedjatriki b'mod simili għal kif jagħmlu għall-kanċers fl-adulti. Numru konsiderevoli ta' prodotti godda għall-kanċer fl-adulti jibbenefikaw mill-istimolu pprovdut mir-Regolament dwar il-prodotti mediċinali Orfni, filwaqt li dan mhuwiex l-istess għall-kanċers pedjatriki, għalkemm il-koll jikkwalifikaw bħala rari fis-sens tar-Regolament dwar il-prodotti mediċinali Orfni.

5. AVVANZAR TA' ŻVILUPPI GħALL-UŻU PURAMENT PEDJATRIKU

L-impatt pożittiv tar-Regolament u t-tibdil fil-kultura li stimola huma l-iktar viżibbli fl-integrazzjoni tal-iżvilupp pedjatriku fl-iżvilupp globali ta' mediċini godda. Hu inqas ovvju fi żviluppi għall-użu purament pedjatriku, li mhuwiex derivattiv ta' proġett għall-

¹¹ https://ec.europa.eu/commission/news/investment-plan-europe-eib-grants-financing-apeiron-2017-aug-28_mt.

adulti, iżda fejn kumpanija jkollha l-ghan li tiżviluppa mediċina għat-tfal biss għal marda pedjatrika partikolari.

Id-data disponibbli ma tipprovdi biżżejjed evidenza għal xi konklużjoni assoluta. Iżda whud jargumentaw li għal prodotti għat-tfal biss, il-proċess tal-PIP iżid saff addizzjonali ta' kumplessità għal prodott li kien iddestinat biex jikkura lit-tfal, u potenzjalment itawwal l-iskedi ta' żmien għall-iżvilupp. Filwaqt li l-EMA u l-Kumitat Pedjatriku xorta jistgħu jipprovdu gwida utli u se jiżguraw żvilupp li jkopri s-subsettijiet pedjatriċi rilevanti kollha, l-impatt hu inqas sinifikanti meta mqabbel ma' żviluppi bbażati fuq l-adulti. Minkejja dan, tal-inqas fis-snin inizjali tar-Regolament, il-kumpaniji setgħu taw prijetà lill-proġetti pedjatriċi li huma marbuta mal-iżvilupp għall-adulti fuq proġetti pedjatriċi biss biex jiżguraw it-tlestija puntwali tagħhom. Filwaqt li dan jista' jinbidel maż-żmien, speċjalment għal mard pedjatriku rari, jidher li hemm bżonn li jinftiehem aħjar l-impatt ikkombinat tar-Regolament dwar il-Prodotti Mediċinali Orfni u Pedjatriċi u kif dawn jikkorrelataw biex jiġi vvalutat il-valur miżjud ta' dawk l-istrumenti statutorji f'mard pedjatriku biss.

Hemm kategoriji minnhom ta' żviluppi pedjatriċi biss li fihom ir-Regolament jipprova jiġġenera interess speċifiku, iżda s'issa ma rnexxilux. Dan introduċa l-kunċett ta' awtorizzazzjoni ta' kummerċjalizzazzjoni għal użu pedjatriku (PUMA). L-ghan ewlieni tal-kunċett ta' PUMA (l-Artikolu 30) hu li jstimula r-riċerka f'komposti eżistenti li skaditilhom il-privattiva u/jew li jgħin biex jiġi ttrasformat l-użu mhux skont it-tikketta magħruf f'użu awtorizzat li hu iktar sikur u li għandu qafas aħjar permezz tal-awtorizzazzjoni għall-kummerċjalizzazzjoni. Ladarba tiġi approvata, il-PUMA tipprovdi lill-manifattur b'perjodu ta' għaxar snin ta' protezzjoni tal-kummerċjalizzazzjoni li matulu ma jistgħux jitqiegħdu fis-suq koppi ġeneriċi.

Sal-lum ingħataw tliet PUMAs biss. Jidher ċar li dan hu inqas mil-livelli mistennija, peress li l-finanzjament allokat tal-UE mill-programm FP7 ġie pprovdut għal diversi snin għal mediċini li skaditilhom il-privattiva. Filwaqt li l-EMA qablet dwar iktar minn 20 PIP bl-ghan li tiġi sottomessa PUMA, għadu mhuwiex ċert kemm minnhom fil-fatt se jitlestew u kemm ser iwasslu għall-kummerċjalizzazzjoni ta' prodott ġdid.

Biex jippruvaw johlqu interess addizzjonali, fl-2014 il-Kummissjoni u l-EMA ċċaraw li PIP għal PUMA mhux bilfors li tkopri l-gruppi ta' età kollha, iżda s'issa l-impatt kien wieħed limitat. Filwaqt li dan jista' jippermetti lill-kumpaniji jiffokaw ir-riċerka fuq l-iktar subsetti pedjatriċi prevalenti, dan jirriskja wkoll li jnaqqas il-popolazzjoni fil-mira u d-dhul potenzjali.

Il-kunċett PUMA jbati minn problemi simili bħal kwalunkwe skema li għandha l-ghan li thegġegħ lill-kumpaniji jinvestu f'riċerka addizzjonali għal komposti magħrufa li setgħu kienu fis-suq għal żmien twil (sejbien ta' skop ġdid). L-iżviluppaturi tal-mediċini jibzghu li PUMA mhux bilfors se tipprevjeni lill-ispizjara milli jkomplu jużaw prodotti kompetituri bl-istess ingredjent attiv iżda awtorizzati għal indikazzjonijiet oħra mhux skont it-tikketta, b'inqas spejjeż, u lanqas sostituzzjoni għal forum orħos fil-livell tal-ispizeriji. Minbarra dan, ġeneralment, il-pagaturi nazzjonali għall-kura tas-saħha jaħsbuha darbtejn biex jaqblu fuq prezz primjum għal prodotti bħal dawn.

Fid-dawl tan-numru ta' PUMAs mogħtija li bħalissa hu limitat, la hu possibbli li jiġi vverifikat jekk dawk ir-riskji humiex issostanzjati u lanqas li jiġi vverifikat il-valur ekonomiku tal-premju tal-PUMA. Filwaqt li d-data disponibbli turi li l-prodotti awtorizzati permezz tal-PUMAs irċiew deċiżjonijiet pożittivi ta' rimborż f'diversi Stati

Membri u jirrappreżentaw argumenti għall-vijabbiltà tajbin, din tista' tkun l-eċċezzjoni għar-regola, parzjalment sostnuta mill-ispeċifikitajiet tal-prodotti minflok mill-kunċett PUMA wahdu.

Dan juri li s-suċċess kummerċjali ta' PUMA hu influwenzat minn fatturi kumplessi li bil-kemm jistgħu jiġu indirizzati fil-livell tal-UE. Dawn jikkonċernaw it-teħid ta' deċizjonijiet downstream f'livell nazzjonali, li jaqa' barra mill-kamp ta' applikazzjoni tad-dritt tal-UE. Inċentivi legiżlattivi ma jistgħux jikkumpensaw għas-suċċess ekonomiku. Saru suggerimetni li PUMA tista' tkun effettiva meta ma tkunx meħtieġa formulazzjoni jew formola ta' dożaġġ speċifika għat-tfal, iżda filwaqt li din l-ipoteżi fit-teorija hi valida, l-esperjenza turi li t-tikketta PUMA ma teskludix bis-shih lit-tobba milli jkomplu jippreskrivu prodotti mhux adattati għat-tfal.

6. L-ISPEJJEŻ TAL-MEDIĊINI PEDJATRIĊI

Ir-Regolament jixhet piż addizzjonali fuq kumpaniji farmaċewtiċi billi jitlobhom iwettqu riċerka pedjatrika, li jaf ma kinux iwettqu mingħajru. Dan jeħtieġ investiment addizzjonali u monitoraġġ tal-konformità. Madankollu, ir-Regolament jorbot dan l-obbligu ma' sistema ta' ppremjar biex il-kumpaniji jithallew jirkupraw l-ispejjeż addizzjonali bil-quddiem imġarrba bħala riżultat ta' dan permezz ta' perjodi ta' protezzjoni estiżi. F'dan ir-rigward, is-sistema tal-UE tvarja mis-sistema tal-Istati Uniti, fejn ir-rekwiżiti pedjatriċi imposti mill-Food and Drug Administration (FDA) tal-Istati Uniti ma jattirawx premju, bl-eċċezzjoni ta' dawk fejn kumpanija tinvolvi ruħha minn jeddha f'riċerka addizzjonali wara "Talba bil-Miktub" korrispondenti mill-FDA tal-Istati Uniti.

Il-premju jsir disponibbli ladarba jitlesta l-PIP u r-riżultati tiegħu jiġu riflessi f'awtorizzazzjoni korrispondenti għall-kummerċjalizzazzjoni. Il-kumpanija hi intitolata għall-premju anki jekk ir-riżultati tal-istudji pedjatriċi finalment jonqsu milli jsostnu użu pedjatriku tal-kompost, peress li għandu l-għan li jikkumpensa għar-riċerka bħala tali, u mhux għal eżitu partikolari. Ir-Regolament jagħmel distinzjoni bejn żewġ premji ewlenin, il-premju tal-SPC u l-premju tal-prodotti mediċinali orfni. Dawn huma esklużivi b'mod reċiproku u jaqdu skopijiet differenti, iżda t-tnejn għandhom l-effett ta' ttardjar tad-dhul fis-suq ta' prodotti kompetituri. B'hekk, id-dhul addizzjonali pprovdut mill-premji hu finalment kopert mill-pagaturi nazzjonali tal-kura tas-saħħa u/jew mill-pazjenti, peress li s-soċjetà ma tibbenefikax minn kompetizzjoni ikbar u minn prezzijiet orħos għad-durata tal-estensjoni tal-esklużività.

Skont l-Artikolu 36 tar-Regolament, il-kumpanija tista' tikseb estensjoni għal sitt xhur tad-durata tal-SPC. L-SPCs huma dritt awtonomu *sui generis* marbut mal-eżistenza ta' privattiva bażika. Dawn jikkumpensaw lil detentur ta' privattiva għall-perjodi twal għall-kisba tal-awtorizzazzjoni għall-kummerċjalizzazzjoni li matulu s-sid tal-privattiva ma jkunx jista' jisfrutta l-privattiva b'mod kummerċjali. Għaldaqstant, l-SPC jipprovdi pożizzjoni bħal dritt ta' privattiva għal durata varjabbli (minn xejn sa massimu ta' ħames snin). Hu dan il-perjodu li se jiġi estiż permezz tal-premju tal-SPC jew li jista' jiddawwar f'pożittiv jekk qabel kien negattiv¹². Ta' min jinnota li l-legiżlatura għażlet sistema ta'

¹² Il-Qorti tal-Ġustizzja Ewropea fil-Kawża C-125/10 Merck Sharp & Dohme vs Deutsches Patent- und Markenamt, ECLI:EU:C:2011:812.

ppremjar esterna marbuta mal-istatus tal-privattiva ta' prodott u mhux is-sistema ta' ppremmjar speċifika għall-prodott farmaċewtiku tal-protezzjoni tad-data regolatorja.

Il-premju tal-prodotti mediċinali orfni (l-Artikolu 37) jikkonsisti f'estensjoni għal sentejn tal-perjodu ta' esklużività tas-suq tal-prodotti mediċinali orfni, jiġifieri sa 12-il sena. Waħda mir-raġunijiet għall-introduzzjoni ta' premju speċifiku għall-prodotti mediċinali orfni kienet li, meta giet diskussa l-proposta legali għar-Regolament, il-maġġoranza tal-prodotti ddeżinjati bħala prodotti mediċinali orfni kienet skaditilhom il-privattiva. Għaldaqstant, inhass xieraq li jiġi prevvist premju alternattiv biex jiġi żgurat li l-manifatturi tal-prodotti mediċinali orfni jkun jista' jkollhom aċċess għal kumpens ukoll.

Is-sistema tar-Regolament hi mibnija fuq is-suppożizzjoni li l-prodotti li jaqgħu fi hdan ir-rekwiżit tal-PIP jenhtieg li jkun eligibbli għall-premju, ladarba jitlesta l-iżvilupp pedjatriku. Madankollu, fir-realtà mhux il-kumpaniji kollha rnexxielhom jiksbu premju. L-ċifri jissuġġerixxu li s'issa 55 % biss tal-PIP ffinalizzati bbenefikaw minn premju. Hfna minnhom hdu l-forma ta' estensjoni tal-SPC. Fi ftit każijiet, ingħata l-perjodu ta' esklużività tas-suq ta' prodott mediċinali orfni. Filwaqt li hu mistenni li, maż-żmien, is-sehem ta' prodotti li jibbenefikaw mill-premju se jizdied, hekk kif il-kumpaniji jibdeu jipplanaw ir-riċerka pedjatrika tagħhom ahjar u minn qabel mhuwiex probabbli li r-rata ta' suċċess qatt tilhaq il-100 %.

6.1. Il-premju taċ-ċertifikat ta' protezzjoni supplimentari

L-estensjoni tal-SPC ta' spiss titqies bħala l-iktar premju prezzjuż. Sa tmiem l-2016, iktar minn 40 mediċina bbenefikaw mill-premju tal-SPC u l-kumpaniji applikaw għaċ-ċertifikati rispettivi fil-livell nazzjonali. In-numru ta' estensjonijiet tal-SPC mogħtija fl-ahħar 10 snin (iktar minn 500) juri li l-kumpaniji regolament jirċievu l-premju mill-uffiċċju nazzjonali tal-privattivi fejn japplikaw għalih. Dan jindika sistema ta' ppremmjar li qieghda taħdem.

Fl-istess hin, l-użu ta' sistema ta' ppremmjar esterna marbuta ma' strument legali iehor iwassal għall-kumplikazzjonijiet u għall-ineffiċjenzi. Perezempju, l-SPCs huma titoli nazzjonali, li jfisser li l-estensjonijiet iridu jinkisbu mingħand l-uffiċċju nazzjonali tal-privattivi f'kull Stat Membru li fih jeżisti SPC, u b'hekk huma kkunsidrati minn uħud bħala proċedura kumplessa wisq.

Barra minn hekk, il-preżentazzjoni għall-estensjoni tal-SPC trid issir sentejn qabel ma jiskadi ċ-ċertifikat. F'xi każijiet, dan irriżulta f'kumpaniji li tilfu l-premju għaliex naqsu milli jlestu l-PIP fil-hin. Min-naħa l-oħra, din l-iskadenza tistimula lill-kumpaniji biex iħaffu t-tlestija tar-riċerka pedjatrika u tiżgura li l-kompetituri jsiru jafu biżżejjed bil-quddiem dwar kwalunkwe estensjoni tal-perjodu ta' protezzjoni li jista' jkollu impatt fuq it-tnedija fis-suq ta' kopji ġeneriċi.

Ir-Regolament tal-SPC bħalissa hu soġġett għal evalwazzjoni mnedija mill-Kummissjoni għall-valutazzjoni tal-utilità tal-istrument¹³. Ir-riżultati u l-konsegwenzi tiegħu għall-gejjieni tas-sistema tal-SPC għadhom mħumiex magħrufa, iżda huma mistennija fix-xhur li ġejjin. Kwalunkwe modernizzazzjoni jew kalibrar mill-ġdid jistgħu jindirizzaw uħud mill-ineffiċjenzi tas-sistema tal-SPC stess, iżda jista' jkollhom ukoll impatt dirett fuq il-funzjonament tas-sistema ta' ppremmjar pedjatriku u b'hekk fuq ir-Regolament innifsu.

¹³ DG GROW, Optimising the Internal Market's industrial property legal framework relating to supplementary protection certificates (SPC) and patent research exemptions, 16.2.2017.

Għaldaqstant hu importanti li jittiehdu f'kunsiderazzjoni r-riżultati ta' dik l-evalwazzjoni fi kwalunkwe deċizzjoni dwar il-politika fuq ir-Regolament.

Il-valur monetarju tal-premji tal-SPC jiddependi l-iktar fuq id-dhul ġenerali li prodott partikolari jgħib matul il-perjodu li fih ikun protett minn SPC. Il-kompetizzjoni ġenerika tiġi ttardjata għall-prodott shih (inkluż l-użu fl-adulti), biex b'hekk id-detentur tal-awtorizzazzjoni għall-kummerċjalizzazzjoni jikseb perjodu addizzjonali ta' dhul minn primjum. Storikament, dan il-perjodu jikkorrispondi mal-ogħla livell ta' bejgħ. Madankollu, tendenzi ġodda tas-suq jistgħu jwasslu għal tnaqqis fiż-żminijiet ta' ritorn tad-dhul. Il-pożizzjoni tas-suq ta' prodott tista' tiċkien maż-żmien minhabba d-dhul fis-suq ta' prodotti innovattivi ġodda fl-istess klassi terapewtika.

Biex jiġi stmat il-benefiċċju ekonomiku għall-kumpaniji li jinkiseb mill-premju, l-ewwel hemm bżonn li jiġu stabbiliti l-kostijiet regolatorji mgarrba mill-kumpaniji biex jikkonformaw ma' PIP. Fuq il-bażi ta' studju estern ordnat mill-Kummissjoni¹⁴, l-ispejjeż totali tar-Regolament għall-industrija shiha huma stmati li jlaħhqu EUR 2.1 biljun fis-sena. Din iċ-ċifra tinkiseb minn estrapolazzjoni bbażata fuq 85 PIP reali. Bħala medja, l-ispejjeż totali tar-R&Ż jammontaw għal EUR 18.9 miljun għal kull PIP, b'kull pjan jinkludi medja ta' tliet studji kliniċi. Minbarra dan, il-kumpaniji jgarrbu spejjeż ġenerali ta' madwar EUR 720 000 b'raba mal-preżentazzjoni tas-sottomissjoni inizjali ta' PIP u għall-modifiki sussegwenti.

Filwaqt li daww il-medji jibnu fuq daqs ta' kampjun relattivament robust, ir-riskji ta' sopravvalutazzjoni jew ta' sottovalutazzjoni ma jistgħux jiġu esklużi għalkollox. Barra minn hekk, stimi bbażati fuq medji jfisser li hemm devjazzjonijiet, speċjalment fl-ispejjeż għall-provi kliniċi (fażi II u fażi III), li jammontaw għall-ikbar sehem tal-ispejjeż tar-R&Ż¹⁵. Minkejja dan, daww iċ-ċifri jissuggerixxu li l-ispejjeż addizzjonali mgarrba mill-industrija bħala konsegwenza tar-Regolament iwasslu biss għal zieda limitata fl-ispejjeż totali tal-iżvilupp tal-mediċini.

Biex jitqabblu daww l-ispejjeż mal-valur tal-premju tal-SPC ġew analizzati b'mod speċifiku tmien prodotti mediċinali. Din l-għazla tinkludi prodotti li rċievu estensjonijiet tal-SPC u tilfu l-protezzjoni tagħhom qabel tmiem l-2014. Naturalment id-daqs tal-kampjun hu kemxejn żgħir, peress li sehem biss mill-prodotti b'PIP ffinalizzati tilfu d-drittijiet ta' esklużività s'issa u, b'hekk, jipprovdu data dwar l-impatt fuq it-tali telf fid-dhul. Filwaqt li iċ-ċifri għal daww il-prodotti jista' jkollhom bżonn jiġu interpretati b'ċertu galbu, peress li fis-snin bikrin il-kumpaniji setgħu taw prijorità lill-prodotti bl-ikbar redditu stmat ta' investiment li rriżulta mill-estensjoni tal-SPC, dawn jixhtuu ċertu daww interessanti fuq il-valur ekonomiku tal-premju billi jitqabbel id-dhul attwali bl-estensjoni tal-SPC mad-dhul ipotetiku mingħajr tali estensjoni.

Id-data turi li t-tnaqqis fil-prezz tal-prodotti tad-ditta spiss jibda fl-ewwel trimestru wara t-telf tal-esklużività, iżda hu limitat fl-iskala (sa 20 %), qabel ma jonqos iktar. Hemm differenzi sinifikanti bejn prodotti u pajjiżi, marbuta l-iktar mal-kompetittività tas-suq terapewtiku partikolari u/jew mal-politiki nazzjonali biex tiġi stimolata s-sostituzzjoni ġenerika, li twassal għal varjazzjoni għolja tal-valur ekonomiku tal-estensjoni tal-SPC bħala percentwal tad-dhul totali (bejn 10 u 93 %). B'mod ġenerali, il-valur ekonomiku

¹⁴ L-istudju ta' Technopolis, il-kapitolu 2.

¹⁵ L-istudju ta' Technopolis, il-kapitolu 2.2.

aġġustat tal-premju tal-SPC għat-tmien prodotti kkonċernati jammonta għal EUR 926 miljun, bid-dhul speċjalment immirat lejn ċerti prodotti ta' suċċess kummerċjali inklużi fid-daqs tal-kampjun.

Filwaqt li din iċ-ċifra tista' titqabbel mal-ispejjeż medji tar-R&Ż għal kull PIP (18.9 miljun), approċċ iktar dettaljat jista' jiffoka fuq proporzjon kostijiet-benefiċċji bbażat fuq il-prodott tat-tmien żviluppi. Dan ifisser it-tqabbil tal-benefiċċji stmati għas-soċjetà u għas-saħħa tat-tfal li jirrizultaw mill-iżvilupp pedjatriku infurzat mal-ispejjeż għas-soċjetà mill-kirja addizzjonali tal-monopolju miksuba mill-kumpanija permezz tas-sistema tal-premji.

It-tali tqabbil hu ta' xorta esplorattiva, peress li jrid jagħti valur monetarju fuq l-impatt pożittiv f'termini tat-trattament imtejjeb għat-tfal u tnaqqis tal-użu mhux skont it-tikketta u anki l-potenzjal ta' reazzjonijiet avversi tal-medicina. Fuq il-bażi ta' mudell żviluppat bħala parti mill-istudju ekonomiku, tnejn mit-tmien prodotti juru proporzjon benefiċċji-kostijiet ferm favorevoli għas-sistemi tas-saħħa meta kkalkolati tul perjodu ta' 10 snin, jiġifieri l-benefiċċji għas-soċjetà u għas-saħħa f'termini monetarji jisbqu l-ispejjeż addizzjonali minhabba l-kirja żejda tal-monopolju. Il-prodotti l-oħrajn kollha għandhom proporzjon benefiċċji-kostijiet negattivi tul 10 snin, speċjalment dawk li għalihom it-tlestija tal-PIP ma rrizultatx f'indikazzjoni pedjatrika ġdida. Filwaqt li għadu utli li jkun magħruf b'ċertezza li prodott għall-adulti ma għandux jintuza fit-tfal, il-valur ekonomiku tat-tali informazzjoni hu ferm iżgħar meta mqabbel ma' prodotti, li jipprovdu alternattivi għat-trattament għal pazjenti pedjatriċi.

Madankollu, dawk ir-riżultati bbażati fuq il-prodotti jista' jkollhom bżonn jiġu aġġustati ma' dawk il-prodotti, li kellhom jikkonformaw mal-obbligu tal-PIP, iżda ma rnexxielhomx jiksbu premju fil-perjodu rilevanti (madwar 45 %). Dawn irriżultaw biex issir disponibbli informazzjoni pedjatrika siewja mingħajr ma s-soċjetà kkontribwixxiet għall-ispejjeż imġarrba permezz tal-kirjet addizzjonali tal-monopolju. Jekk dawk il-prodotti huma partijiet tal-ekwazzjoni, ir-riżultati jitjiebu iżda l-proporzjon benefiċċji-kostijiet jibqa' negattiv.

Barra minn hekk, ir-Regolament jista' jiġġenera effetti kollaterali ekonomiċi minhabba l-investment addizzjonali tar-R&Ż fuq medicini godda u mtejbja li jiskatta investment ulterjuri u jikkontribwixxi għall-ħolqien ta' impjiegi, ta' tkabbir u ta' attività innovattiva bejn setturi differenti. Rata ta' redditu stmata iktar konservattiva minn investment annwali ta' EUR 2.1 biljun fir-R&Ż pedjatriċi tista' trendi redditu soċjetali totali ta' madwar EUR 6 biljuni wara 10 snin¹⁶. Dan ir-redditu soċjetali stmat hu ferm oghla mill-valur ekonomiku tal-estensjoni tal-SPC, u dan jissuggerixxi li f'termini monetarji, il-benefiċċji tar-Regolament għas-soċjetà jisbqu l-kostijiet tal-kirja tal-monopolju addizzjonali.

6.2. Il-premju tal-prodotti mediċinali orfni

S'issa seba' prodotti kisbu l-premju tal-prodotti mediċinali orfni ta' sentejn addizzjonali ta' esklużività tas-suq, bl-ewwel prodott fl-2014. Madankollu, f'ċerti waqtiet, il-kumpaniji rrinunzjaw b'mod volontarju għad-deżinjazzjoni tal-prodotti mediċinali orfni biex il-prodott ikun eligibbli għall-premju tal-SPC. Dan jista' jiġi spjegat mill-fatt li l-premju tal-SPC jipproteġi lill-familja shiħa tal-prodotti ta' kompost speċifiku fost

¹⁶ L-istudju ta' Technopolis, il-kapitolu 6.

indikazzjonijiet terapewtiċi differenti, filwaqt li l-premju tal-prodotti mediċinali orfni hu limitat għall-protezzjoni tal-użu ta' prodotti mediċinali orfni. Għaldaqstant, meta l-mediċini jkollhom kemm kundizzjonijiet komuni kif ukoll rari, id-dhul minn estensjoni tal-SPC għal 6 xhur jista' jkun ikbar milli minn esklużività tas-suq addizzjonali għal sentejn fil-kundizzjoni orfni.

Fattur kontributur jista' jkun li dejjem iktar prodotti orfni awtorizzati godda għadhom bil-privattiva (bħalissa iktar minn 90 %). Din hi aħbar pożittiva, peress li dan juri li s-sistema pprovduta mir-Regolament dwar il-prodotti mediċinali Orfni tattira prodotti innovattivi fuq il-bażi ta' riċerka ġdida. Min-naħa l-oħra, dan jindika dgħufija fil-premju tal-prodotti mediċinali orfni, li hu ffokat l-iktar lejn prodotti li skaditilhom il-privattiva u ma għandu ebda flessibbiltà inkorporata fih biex il-kumpaniji jithallew iżommu l-istatus orfni tal-prodott, filwaqt li jirrikorru għall-premju tal-SPC.

F'dan l-istadju u mingħajr studji ulterjuri, mhuwiex possibbli li jiġi stmat il-valur ekonomiku tal-premju tal-prodotti mediċinali orfni, fuq il-bażi ta' daqs simili tal-kampjun bħalma jsir għall-premju tal-SPC, peress li hafna mill-prodotti għadhom taħt protezzjoni. Għaldaqstant, mhuwiex possibbli li jiġi analizzat l-impatt potenzjali tat-telf tal-esklużività fuq id-dhul. Pereżempju ma hemm ebda garanzija li l-prodotti ġeneriċi se jidhlu fis-suq bl-istess velocità bħal prodotti li mhuwiex prodotti mediċinali orfni jew li se jidhlu affattu fid-dawl tar-rarità tal-marda u tad-daqs limitat tas-suq rilevanti. Minkejja dan, jista' jintuża mudell ekonomiku simili biex jiġi stmat il-valur ekonomiku bħala l-approċċ użat għall-kalkolu tal-premju tal-SPC, bid-differenza ewlenija li d-dewmien hu ta' sentejn minflok ta' sitt xhur.

7. IMPLIMENTAZZJONI MTEJBA

Ir-Regolament jagħti lill-EMA u lill-Kumitat Pedjatriku tagħha responsabbiltà primarja għall-immaniġġjar tal-PIPs, tad-differimenti u tar-rinunzi. B'hekk, l-EMA taqdi rwol importanti fl-implimentazzjoni tar-Regolament. Saru sforzi biex jinkisbu tagħlimiet mill-ewwel snin tal-implimentazzjoni u biex jiġu ssimplifikati l-opinjoni tal-PIPs biex jitnaqqas il-bżonn ta' modifika jekk ikun hemm tibdiliet mhux sinifikanti fil-programm. Dawn l-isforzi għenu biex jonqos il-proporzjon ġenerali tat-tibdiliet, anki jekk iċ-ċifri juru li bħala medja PIP gie mmodifikat tal-inqas darba. L-iktar kawżi komuni huma fuq l-iskedi ta' żmien (43 %) jew fuq in-numru ta' tfal irreġistrati fi studju (14 %).

Barra minn hekk, ir-reviżjoni tal-linji gwida tal-Kummissjoni dwar il-format u l-kontenut tal-pjanijiet ta' investigazzjoni pedjatrika fl-2014¹⁷ introduċiet miżuri għas-simplifikazzjoni tal-proċess ta' ftehim dwar il-pjanijiet. Barra minn hekk, fl-2015 l-EMA ppilotat laqgħat ta' interazzjoni bikrija ma' kumpaniji biex ikunu jistgħu jiġu integrati l-htigijiet pedjatriċi fil-fażijiet bikrin tal-iżvilupp tal-mediċina. Fuq il-bażi ta' din l-esperjenza, il-kunċett ta' involviment f'diskussjoni dwar l-iżvilupp iffokat fuq il-proġetti bħalissa qiegħed jiġi rieżaminat biex tkun tista' ssir diskussjoni dwar it-twaqqit xieraq, u l-integrazzjoni tal-miżuri pedjatriċi fil-kuntest tal-iżvilupp ġenerali.

L-iżgurar ta' diskussjoni dwar il-prodotti u tal-iskambju ta' għarfien bejn id-diversi kumitati u gruppi ta' hidma fi hdan il-mandati rispettivi tagħhom hu parti essenzjali mill-funzjoni ta' koordinazzjoni tal-EMA. Fil-qasam tal-iżvilupp pedjatriku, dan jikkonċerna

¹⁷ Linja ta' Gwida dwar il-format u l-kontenut ta' applikazzjonijiet għall-approvazzjoni jew għall-emenda ta' pjan ta' investigazzjoni pedjatrika, ĠU C 338, 27.9.2014, p. 1.

b'mod partikolari l-involvement tal-Kumitat Pedjatriku ma' kumitati xjentifiċi oħra jew ma' gruppi ta' ħidma konsultattivi. Għaddejnin attivitajiet kontinwi ta' titjib biex tkun tista' ssehh it-tali kollaborazzjoni.

Biex tiżdied il-kooperazzjoni bejn ir-regjuni, fl-2007 twaqqaf forum ta' diskussjoni għall-iskambju ta' informazzjoni regolari l-iktar permezz ta' telekonferenzi ("raggruppament pedjatriku"), inklużi membri tal-FDA tal-Istati Uniti u tal-EMA. Minn dak iż-żmien, fir-raggruppament issieħbu l-Agenzija tal-Farmaċewtiċi u tal-Apparati Mediċi (PMDA) tal-Ġappun, Health Canada, u Therapeutic Goods Administration (TGA) tal-Awstralja bħala osservatur. Fl-2013, l-EMA u l-kontroparti tagħha mill-Istati Uniti nedew l-hekk imsejha "kummentarji komuni" dwar il-pjanijiet ta' żvilupp pedjatriku li ġew sottomessi lill-EMA kif ukoll lill-FDA u li għalhekk qed jiġu rieżaminati miż-żewġ aġenziji. Filwaqt li huma informali u mhux vinkolanti, dawn il-kummentarji u d-diskussjonijiet bejn iż-żewġ aġenziji għenu biex jiġu allinjati l-fehmiet u jiġu evitati r-rekwiżiti kontradittorji dwar il-programm ta' żvilupp pedjatriku.

Madankollu, għadha sfida għall-EMA u għall-Kumitat Pedjatriku tagħha, kif ukoll għall-kumpaniji, li jikkunsidraw aspetti importanti tal-iżvilupp tal-mediċini meta ċerta informazzjoni ma tkunx għadha magħrufa u meta d-diskussjonijiet ikunu għadhom ibbażati fuq suppożizzjonijiet u data skarsa. Dan hu minnu speċjalment peress li wiehed mill-oġettivi tal-pjanijiet ta' żvilupp pedjatriku hu li johlqu ċertezza tad-dritt dwar l-aspettattivi tal-awtoritajiet regolatorji lejn il-kumpaniji. Min-naħa l-oħra, l-ippjanar bikri biss jippermetti li l-iżvilupp pedjatriku jiġi integrat mingħajr intoppi fl-iżvilupp kumplessiv tal-prodotti minflok ma jkun xi haġa li tiġi kkunsidrata iktar tard. B'mod partikolari, jenhtieg li jwassal għal R&Ż iktar (kost)effiċjenti, peress li pereżempju dan jippermetti li tiġi kkunsidrata l-integrazzjoni ta' pazjenti pedjatriċi (eż. adoloxxenti) fi provi tal-adulti u fl-ippjanar tal-iżvilupp tal-formulazzjoni bikrija, u b'hekk jitnaqqsu l-kostijiet kumplessivi tal-iżvilupp.

8. IKTAR PROVI KLINIĊI BIT-TFAL

Ir-Regolament għandu l-għan li jiżgura li l-evidenza tal-kwalità, tas-sikurezza u tal-effikaċja tal-prodotti mediċinali tiġi ġġenerata qabel ma t-tfal jużaw prodott. Dan ifisser iktar riċerka klinika mwettqa fit-tfal qabel l-awtorizzazzjoni tal-mediċini. Iċ-ċifri disponibbli juru zieda notevoli. Il-proporzjon ta' provi kliniċi fid-database Ewropea tal-provi kliniċi EudraCT li jinkludu tfal kiber b'50 % fl-2007-2016 minn 8.25 % għal 12.4 %. Barra minn hekk, ir-riċerka b'subpopolazzjonijiet pedjatriċi li qabel kienu injorati żdiedet b'mod konsiderevoli. Qabel ir-Regolament, ir-riċerka fi trabi li għadhom jitwiieldu kienet kwazi inezistenti fl-iżvilupp tal-mediċini.

B'mod ġenerali, il-legiżlazzjoni tal-UE hi mġammra sew biex tiżgura li r-riċerka pedjatrika tkun xjentifikament valida u etikament solida. Dawn l-aspetti mhumie x ikkunsidrati biss mill-Kumitat Pedjatriku tal-EMA fil-valutazzjoni tiegħu tal-PIP, iżda anki minn kumitati etiċi nazzjonali u minn awtoritajiet regolatorji li huma responsabbli għall-awtorizzazzjoni ta' provi kliniċi individwali.

Ir-Regolament rawwem diskussjoni bejn l-esperti dwar id-disinn ottimali tal-provi pedjatriċi. Dan jinkludi inizjattivi relatati mal-iskambju ta' prattiki tajba, u l-iżvilupp ta' linji gwida xjentifiċi godda. Fattur kontributur kien il-ħolqien ta' netwerk ta' networks ta'

riċerka fl-EMA (Enpr-EMA),¹⁸ li minhabba l-hidma ta' suċċess tiegħu issa espanda lil hinn mill-Ewropa, bir-reġistrazzjoni ta' networks ta' diversi speċjalitajiet nazzjonali fl-Amerika, fil-Kanada u fil-Ġappun.

L-iżvilupp ulterjuri ta' kunċetti ta' prova innovattivi kif ukoll l-istrategiji ta' mmudellar u ta' simulazzjoni għat-tnaqqis tan-numru ta' parteċipanti neċessarji fl-istudji ġew stimolati wkoll. Barra minn hekk, ir-Regolament attira l-attenzjoni lejn id-dibattitu dwar ir-rwol li jenhtieg li jaqdu t-tfal fid-deċiżjonijiet dwar ir-riċerka. L-inizjattivi jvarjaw mill-holqien ta' gruppi konsultattivi għaż-żgħażaġh għal diskussjoni dwar informazzjoni xierqa dwar studji kliniċi għal pazjenti u għall-ġenituri, sa kwistjonijiet prattiċi, bħall-formoli ta' kunsens.

Minkejja dan, il-provi pedjatriċi jgħibu magħhom sfidi partikolari. Pereżempju, diffikultajiet fir-reklutaġġ spiss iwasslu għal dewmien fit-twettiq u fit-tlestija tagħhom. Il-provi kliniċi għandhom ukoll it-tendenza li jkunu provi b'diversi ċentri, kultant bi ftit pazjenti biss għal kull sit, li jistgħu jgħolqu sfidi operazzjonali, inkluż fiż-żamma tal-persunal u tal-għarfien espert neċessarji fuq il-post. Biex tkompli tiġi sostnuta l-infrastruttura tal-provi kliniċi pedjatriċi, is-sħubija privata-pubblika ffinanzjata mill-UE l-"inizjattiva dwar il-mediċini innovattivi" fi tmiem l-2016 nediet proġett biex tohloq netwerk Pan-Ewropew sostenibbli ta' provi kliniċi pedjatriċi¹⁹.

Barra minn hekk, bl-inizjattiva riċenti tagħha biex tistabbilixxi Networks ta' Referenza Ewropej,²⁰ il-Kummissjoni ssostni networks virtwali li jinvolvu lil fornituri tal-kura tas-saħħa minn madwar l-Ewropa biex jindirizzaw mard u kundizzjonijiet kumplessi jew rari li jeħtieġu trattament ferm speċjalizzat u konċentrazzjoni ta' għarfien u ta' riżorsi. Uħud min-networks tematiċi inklużi fil-proġett jiffokaw b'mod speċifiku fuq mard pedjatriku rari. Dawn ser irawmu kooperazzjoni u jwittu t-triq għal riċerka klinika addizzjonali li qabel setgħet ma kinitx fattibbli.

B'mod ġenerali, ir-Regolament saħħaħ ir-riċerka pedjatrika. Madankollu, hu rikonoxxut li t-tali riċerka hi ffokata lejn l-iżvilupp tal-prodotti. Għal ċertu mard jew oqsma terapewtiċi, għad hemm nuqqas ta' fehim tajjeb tal-marda sottostanti. Għaldaqstant, riċerka bażika addizzjonali dwar il-mard innifsu tkun ta' benefiċċju biex ikun jista' jsir u jiġi informat żvilupp xieraq tal-prodotti. Dan ma jistax jiġi ggarantit permezz tar-Regolament, iżda jeħtieġ sforzi u finanzjament addizzjonali minn sorsi pubbliċi u privati.

9. L-ISFIDI TAL-FUTUR

Il-mod li bih huma żviluppanti l-prodotti farmaċewtiċi jista' jinbidel maż-żmien minhabba avvanzi xjentifiċi, żviluppi teknoloġiċi u mudelli kummerċjali li jinbidlu. Tendenzi riċenti jinkludu l-iżvilupp stratifikat ta' mediċini jew il-kunċett ta' mediċina personalizzata, li għandu l-għan li jottimizza l-użu tal-mediċini billi jimmirahom għall-ġeni individwali tal-pazjenti biex jiġi żgurat li dawn ikunu tassew responsivi għat-

¹⁸ In-Network Ewropew ta' Riċerka Pedjatrika fl-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini.

¹⁹ <https://www.imi.europa.eu/>.

²⁰ Mahluqa permezz tal-Artikolu 12 tad-Direttiva 2011/24/UE dwar l-applikazzjoni tad-drittijiet tal-pazjenti fil-qasam tal-kura tas-saħħa transkonfinali, https://ec.europa.eu/health/cross_border_care/policy_mt.

trattamenti. Dawn jistgħu jaraw ukoll dhul miżjud fis-suq ta' kumpaniji tat-teknoloġija biex isostnu terapiji permezz ta' appoġġ u ta' servizzi għall-pazjenti li jaħdmu bit-teknoloġija.

Filwaqt li hafna minn dawn il-paradigmi godda tal-iżvilupp jidhru perfettament kompatibbli mal-mekkanizmu introdott mir-Regolament, dawn jistgħu jinfluwenzaw il-mod li bih il-kumpaniji jiddeċiedu dwar il-prijoritajiet ta' investiment u jfasslu l-provi kliniċi. Fuq perjodu ta' żmien qasir, hu improbabbli li daww it-tendenzi jaffettwaw ir-Regolament peress li n-numru ta' mediċini godda fil-pipeline fi stadju avvanzat hu storikament kbir, b'45 sustanza attiva għda mistennija li għandhom jitnedew sal-2021. Madankollu, il-proċess tal-PIP irid jipprovdi l-flessibbiltà neċessarja biex jakkomoda daww it-tendenzi, filwaqt li fl-istess hin jiżgura li t-tfal jibbenefikaw bis-sħiħ minn daww il-kunċetti emergenti bħall-mediċina personalizzata.

Fuq livell iktar dettaljat, irid jiġi kkunsidrat ukoll li l-implimentazzjoni tar-Regolament jippresupponi investiment sinifikanti ta' riżorsi mhux biss mill-EMA,²¹ iżda anki mill-Istati Membri, billi jaħtru membri għall-PDCO u jikkontribwixxu għall-valutazzjoni tal-pjanijiet ta' investigazzjoni pedjatrika jew għar-riżultati tal-provi pedjatriċi l-godda sottomessi mill-kumpaniji. Ir-Regolament jiddikjara li l-applikanti jistgħu jisfruttaw dawn il-proċeduri bla ma jgarrbu tariffi, xi haġa li hi parti mill-inċentivi biex ikun jista' jsir l-iżvilupp pedjatriku. Filwaqt li ma hemm ebda evidenza li n-nuqqas ta' tariffi s'issa kellu impatt negattiv fuq il-kwalità tal-valutazzjoni, l-impatt fit-tul fuq il-funzjonament xieraq tas-sistema għadu mhux magħruf. Fl-evalwazzjoni kontinwa tagħha tas-sistema tat-tariffi tal-EMA, il-Kummissjoni se tivverifika l-ispejjeż tal-valutazzjoni tal-PIPs ukoll.

10. KONKLUŻJONI

Ir-Regolament Pedjatriku kellu impatt konsiderevoli fuq l-iżvilupp tal-mediċini pedjatriċi fl-UE. Hu żgura li l-iżvilupp tal-mediċina pedjatrika jsir parti integrali mill-iżvilupp generali tal-mediċini. Dan ir-riżultat ma kienx jinkiseb mingħajr leġiżlazzjoni speċifika u jenfasizza r-rilevanza kontinwa tagħha. Barra minn hekk, miżuri meħuda biex titjieb l-implimentazzjoni tiegħu saħħew l-effikaċja tiegħu ma-ż-żmien.

F'termini ekonomiċi, ir-Regolament jipprovdi riżultati pożittivi b'mod kumplessiv minn perspettiva soċjoekonomika li juru l-idoneità ta' dan l-investiment dirett biex titjieb id-disponibbiltà tal-mediċini pedjatriċi. It-taħlita ta' obbligi u ta' premji tidher li hi effettiva biex tmexxi l-enfasi fuq l-iżvilupp ta' prodotti pedjatriċi. Minkejja dan, l-użu tal-premji kien limitat għal 55 % tal-PIP lesti u hemm każijiet ta' kumpens eċċessiv jew nieqes li jindikaw ċerti limitazzjonijiet fis-sistema attwali. Barra minn hekk, il-kunċett PUMA bil-premju speċifiku tiegħu ma rnexxilux jilhaq l-għan tiegħu.

Iż-żieda fir-riċerka pedjatrika u n-numru ta' prodotti godda b'indikazzjonijiet pedjatriċi speċifiċi hu inkoraġġanti u se jiżgura li ma-ż-żmien l-użu mhux skont it-tikketta tal-mediċini għall-adulti fil-popolazzjoni pedjatrika se jonqos. Madankollu, daww ir-riżultati pożittivi mhumex mifruxa b'mod indaqs fl-oqsma terapewtiċi kollha, iżda jikkonċentraw fuq uħud, spiss marbuta ma' prioritajiet ta' riċerka fuq l-adulti minflok fuq it-tfal.

²¹ F'konformità mal-Artikolu 48 tar-Regolament, il-kontribuzzjoni għall-baġit tal-UE mħallsa lill-EMA ssostni l-operazzjoni tal-attivitàjiet pedjatriċi tagħha.

Dan juri li r-Regolament jahdem l-aħjar f'oqsmha fejn ikun hemm trikkib tal-htigijiet għall-pazjenti adulti u għal daww pedjatriċi. B'mod partikolari, f'mard li huwa rari u/jew uniku għat-tfal u li f'hafna każijiet huwa sostnut bl-istess mod permezz tal-leġiżlazzjoni dwar il-prodotti mediċinali orfni, s'issa għadu ma mmaterjalizza ebda avvanz terapewtiku qawwi. Ir-raġuni għaliex dan hu l-każ u għaliex il-premjura tal-prodotti mediċinali orfni f'ċerti każijiet mhuwiex kapaċi jixpruna l-iżvilupp pedjatriku b'mod simili għall-iżvilupp ta' prodotti mediċinali orfni għall-adulti jeħtieġ li tiġi skrutinizzata iktar.

Għaldaqstant, qabel ma tipproponi kwalunkwe emenda, il-Kummissjoni bihsiebha tħares iktar mill-qrib lejn l-effetti kkombinati tar-Regolament dwar il-Prodotti Mediċinali Orfni u Pedjatriċi permezz ta' evalwazzjoni kongunta ta' daww iż-żewġ strumenti legali li għandhom l-għan li jsostnu l-iżvilupp ta' mediċini f'subpopolazzjonijiet ta' bżonn partikolari. Minhabba li d-dgħufijiet identifikati f'dan ir-rapport spiss ikunu relatati ma' mard pedjatriku li jikkwalifika bħala kundizzjoni medikali orfni, sforz ikkombinat bħal dan biss se jiggarrantixxi l-aġġustament tal-parametri t-tajba, jekk ikun hemm bżonn.

Dan ir-rapport ma jimmarkax tmiem, iżda pass intermedju essenzjali fid-dibattitu dwar vizjoni kongunta dwar il-parametri futuri għall-mediċini pedjatriċi u orfni. L-evalwazzjoni ulterjuri li ssostni dan il-proċess għandha l-għan li tipprovi riżultati sal-2019 biex il-Kummissjoni li jmiss tkun tista' tiehu deċiżjoni informata dwar l-għażliet politiċi possibbli. Se tippermetti wkoll li jiġu kkunsidrati r-riżultati li ġejjin tal-evalwazzjoni tal-SPC għall-futur tar-Regolament Pedjatriku.

Sadanittant, il-Kummissjoni hadet impenn favur aġenda pożittiva ta' azzjonijiet konkreti biex tissimplifika l-applikazzjoni u l-implimentazzjoni attwali flimkien mal-EMA²² kull fejn hemm bżonn. Dan jinkludi:

- il-forniment ta' trasparenza addizzjonali ta' prodotti ġodda awtorizzati b'indikazzjonijiet pedjatriċi;
- l-analizi tal-esperjenza bl-użu ta' differimenti u l-kunsiderazzjoni ta' tibdiliet fil-prattika biex tiġi żgurata tlestija iktar veloċi tal-PIP;
- ir-rieżaminazzjoni ta' proċessi u ta' aspettattivi fil-kuntest ta' mmanigġjar tal-applikazzjonijiet għal PIP u jekk ikun hemm bżonn l-adattament tal-linja gwida korrispondenti tal-Kummissjoni;
- l-esplorazzjoni tal-opportunitajiet għad-diskussjoni tal-htigijiet pedjatriċi fi djalogu miftuħ u trasparenti li jinvolvi lill-partijiet ikkonċernati rilevanti kollha bħall-akkademiċi, il-fornituri tal-kura tas-saħħa, il-pazjenti/il-persuni li jindokraw, in-netwerks ta' provi kliniċi pedjatriċi, l-industrija u r-regolaturi;
- il-forniment ta' aġġornamenti regolari dwar l-iżvilupp u t-tendenzi fil-kuntest tal-mediċini pedjatriċi fl-UE; u
- it-trawwim ta' kooperazzjoni u ta' armonizzazzjoni internazzjonali.

Barra minn hekk, ser issostni wkoll kura tas-saħħa u riċerka ta' kwalità għolja għat-tfal permezz ta' proġetti bħan-Networks Ewropej ta' Referenza, li jikkollegaw lill-fornituri tal-kura tas-saħħa u liċ-ċentri ta' għarfien espert flimkien. Daww in-netwerks għandhom il-potenzjal li b'mod sinifikanti jtejbju l-aċċess għad-dijanjożi u għat-trattament fuq perjodu ta' żmien qasir u li jagħmlu differenza f'termini tas-saħħa tat-tfal.

²² F'dan il-kuntest, il-prijoritajiet ta' kontinwità tal-operat jista' jkun hemm bżonn li jittieħdu f'kunsiderazzjoni minhabba r-rilokazzjoni tal-EMA.