



**CONSIGLIO
DELL'UNIONE EUROPEA**

**Bruxelles, 15 luglio 2013
(OR. en)**

**12370/13
ADD 2**

**RECH 357
COMPET 575
IND 213
SAN 272**

NOTA DI TRASMISSIONE

Origine:	Jordi AYET PUIGARNAU, Direttore, per conto del Segretario Generale della Commissione europea
Data:	12 luglio 2013
Destinatario:	Uwe CORSEPIUS, Segretario Generale del Consiglio dell'Unione europea
n. doc. Comm.:	SWD(2013) 246 final
Oggetto:	Documento di lavoro dei servizi della Commissione: Sintesi della valutazione d'impatto che accompagna il documento Proposta di regolamento del Consiglio relativo all'impresa comune per l'iniziativa in materia di medicinali innovativi 2

Si trasmette in allegato, per le delegazioni, il documento SWD(2013) 246 final.

All.: SWD(2013) 246 final

Bruxelles, 10.7.2013
SWD(2013) 246 final

DOCUMENTO DI LAVORO DEI SERVIZI DELLA COMMISSIONE

**Sintesi della valutazione d'impatto
che accompagna il documento
Proposta di
REGOLAMENTO DEL CONSIGLIO
relativo all'impresa comune per l'iniziativa in materia di medicinali innovativi 2**

{COM(2013) 495 final}
{SWD(2013) 245 final}

DOCUMENTO DI LAVORO DEI SERVIZI DELLA COMMISSIONE

SINTESI DELLA VALUTAZIONE D'IMPATTO

che accompagna il documento

Proposta di

REGOLAMENTO DEL CONSIGLIO

relativo all'impresa comune per l'iniziativa in materia di medicinali innovativi 2

Il presente documento sintetizza la valutazione d'impatto relativa all'iniziativa tecnologica congiunta (ITC) sui medicinali innovativi (IMI) istituita come impresa comune nell'ambito del Settimo programma quadro di ricerca. La proposta è stata elaborata nel contesto del quadro finanziario pluriennale dell'Unione (2014-2020) e contribuirà all'attuazione del prossimo programma quadro dell'Unione europea per la ricerca e l'innovazione, Orizzonte 2020.

1. DEFINIZIONE DEL PROBLEMA

1.1. Qual è il problema che richiede un intervento

L'aumento delle malattie croniche e degenerative connesso all'invecchiamento demografico aggrava ulteriormente la pressione esercitata sul sistema previdenziale e sanitario in un momento di difficoltà delle finanze pubbliche. L'adozione di misure efficaci contribuirebbe in buona misura a risolvere questo problema. Tuttavia le attività di ricerca terapeutica nel settore della ricerca e sviluppo (R&S) segnano il passo, per alcune classi di terapia (ad esempio gli antibiotici) non esistono praticamente incentivi e la cooperazione multidisciplinare necessaria per risolvere i complessi problemi scientifici che caratterizzano questo settore è ostacolata da difficoltà strutturali. L'innovazione non è nell'interesse della salute dei cittadini né della competitività dell'Europa.

Lo sviluppo di nuovi farmaci è un processo costoso, che richiede numerosi test prima che ne possa essere autorizzata l'immissione in commercio. Non di rado i test rivelano che il farmaco non è idoneo, per cui l'investimento risulta perduto. Questo spinge i fabbricanti a investire nello sviluppo di terapie che hanno maggiori probabilità di successo, perché assomigliano a terapie esistenti o perché la redditività potenziale è molto elevata. Benché ragionevole dal punto di vista commerciale, questa strategia non è necessariamente nell'interesse generale dei cittadini dell'Unione.

1.2. Principali cause del problema

Il livello relativamente basso degli investimenti nel settore delle biotecnologie (rispetto alle regioni concorrenti), il modello di innovazione chiuso e frammentato che caratterizza lo sviluppo di farmaci in Europa e la complessità del processo disincentivano l'assunzione di rischi da parte delle imprese. La natura stessa delle sfide scientifiche rende necessaria la condivisione dei dati tra le varie parti interessate. In assenza di un quadro che consenta tale condivisione in un ambiente controllato, la cooperazione non potrà avere luogo.

1.3. Necessità dell'intervento pubblico

Un ambiente controllato non potrà svilupparsi naturalmente nell'ambiente commerciale, né potrà essere ottenuto dal solo settore pubblico. Esso può scaturire unicamente da una cooperazione pubblica, in cui i vari attori (università, industria, PMI, medici, autorità di regolamentazione e pazienti) condividano risorse, dati e competenze, garantendo al tempo stesso che i frutti della loro collaborazione siano condivisi, i rischi e gli oneri ridotti e la produttività aumentata. La creazione di tale contesto di condivisione dei rischi consentirà di ridurre il tasso di insuccesso e incoraggerà a testare una gamma più vasta di terapie a beneficio di tutte le parti interessate, sia in termini di promozione della salute pubblica che di legittima tutela degli interessi commerciali.

1.4. Diritto di intervento dell'UE e applicazione del principio di sussidiarietà

Il diritto dell'UE a intervenire in questo settore è sancito dall'articolo 187 del trattato sul funzionamento dell'Unione europea, in base al quale "l'Unione può creare imprese comuni o qualsiasi altra struttura necessaria alla migliore esecuzione dei programmi di ricerca, sviluppo tecnologico e dimostrazione dell'Unione".

1.4.1. L'intervento pubblico necessario è possibile solo a livello europeo

Le misure previste a livello unionale a sostegno della cooperazione transnazionale e intersettoriale tra le imprese su agende strategiche di ricerca contribuiranno a creare una "massa critica", in particolare mediante la definizione di un'agenda comune, la mobilitazione di fondi supplementari e un maggiore effetto leva sugli investimenti industriali nella R&S.

1.4.2. Investire a livello dell'UE può generare economie in termini di spese sanitarie e di servizi

Il programma di ricerca porterà a una migliore classificazione delle malattie, migliorando in misura significativa le diagnosi e i trattamenti. Si eviterà in questo modo di esporre inutilmente i pazienti agli effetti negativi di trattamenti inefficaci, sia nella fase di sviluppo clinico che nella pratica medica. In questo secondo caso si sono già potuti realizzare risparmi interrompendo i trattamenti inefficaci o inadeguati. Uno studio realizzato in Francia, ad esempio, ha dimostrato i vantaggi finanziari derivanti dalla diagnostica molecolare nei pazienti affetti da cancro. Un investimento di 1,7 milioni di EUR in questo settore ha permesso di risparmiare 34 milioni di EUR, evitando di somministrare l'antitumorale Iressa® ai pazienti per i quali tale farmaco risultava inefficace. Dalla classificazione delle malattie croniche dovrebbero derivare risparmi anche maggiori.

1.5. Realizzazioni dell'attuale IMI

L'impresa comune IMI ha prodotto una serie di importanti risultati:

- un potente effetto leva sugli investimenti industriali nella R&S grazie a un contributo di 1 miliardo di EUR della Commissione europea e a un contributo in natura di 1 miliardo di EUR della Federazione europea delle industrie e delle associazioni farmaceutiche (EFPIA);
- rafforzamento della cooperazione: l'impresa comune IMI raggruppa grandi industrie, PMI e organismi di ricerca di tutta l'Unione europea;

- produzione congiunta di programmi esaustivi di ricerca strategica e coordinamento di altre politiche grazie alla partecipazione di organizzazioni di pazienti e organismi di regolamentazione;
- un modello di innovazione aperta: l'impresa comune IMI ha contribuito alla transizione da un modello di innovazione chiusa a un modello di innovazione aperta nella ricerca biofarmaceutica.

1.6. Insegnamenti tratti dall'IMI

Nonostante questi risultati positivi, l'attuazione dell'IMI e la valutazione intermedia del 2011 hanno rivelato una serie di carenze:

- occorre rendere più flessibili gli strumenti giuridici utilizzati per istituire le iniziative tecnologiche congiunte (ITC), e in particolare il loro status di organismi dell'Unione;
- la complessità dell'iniziativa è ulteriormente aggravata dalle regole di partecipazione applicate alle/dalle imprese comuni ITC, che rispecchiano le esigenze dei vari partner;
- occorre migliorare il monitoraggio e la valutazione del conseguimento degli obiettivi previsti dall'agenda strategica di ricerca e dai piani tecnici di lavoro;
- occorre rafforzare il coordinamento orizzontale delle politiche (ad esempio si dovrebbe sfruttare pienamente il potenziale di consulenza dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA));
- occorre rafforzare la comunicazione interna ed esterna.

Tali carenze, riconducibili alla concezione iniziale, costituiscono un punto di partenza per migliorare la concezione dell'impresa comune IMI nell'ambito del programma Orizzonte 2020.

2. OBIETTIVI

Gli obiettivi generali e specifici identificati si basano sui risultati della consultazione pubblica e tengono conto dei problemi, dei fattori chiave e dei risultati, nonché degli insegnamenti tratti dall'IMI.

2.1. Obiettivi generali

L'obiettivo generale consiste nel migliorare la salute e il benessere dei cittadini europei grazie a metodi diagnostici e terapeutici innovativi e più efficienti, contribuendo a preservare, sul piano internazionale, la futura competitività dell'industria europea nel settore biofarmaceutico e delle scienze della vita, che comprende la diagnostica, lo sviluppo di vaccini, la biodiagnostica per immagini e le tecnologie informatiche mediche. L'impresa comune consentirà di attuare gli obiettivi di Orizzonte 2020, in particolare quelli definiti nella sfida sociale "Salute, cambiamento demografico e benessere", e di rispondere alle sfide in materia di salute pubblica identificate nel rapporto dell'Organizzazione mondiale della sanità sui farmaci prioritari per l'Europa e per il mondo.

2.2. Obiettivi operativi

Gli obiettivi operativi dell'iniziativa sono i seguenti:

- predisporre strutture che agevolino i partenariati nell'intero ciclo della ricerca e innovazione nel campo delle scienze della vita, dalla scoperta iniziale allo sviluppo del prodotto e alle attività di ricerca e sorveglianza nell'ambito della farmacovigilanza, in un quadro di collaborazione efficace e orientato all'innovazione, che punti a ottimizzare la ricerca e l'innovazione nel settore delle scienze della vita per quanto riguarda la diagnosi, la prevenzione e il trattamento delle malattie (agenti e approcci terapeutici); sostenere l'elaborazione di una regolamentazione basata su dati scientifici;
- creare reti di innovazione aperta nell'intero ciclo di innovazione della ricerca medica e delle nuove tecnologie, cui partecipino istituti pubblici di ricerca, università, industrie del settore delle scienze della vita, PMI, associazioni di pazienti, autorità di regolamentazione, finanziatori, autorità sanitarie e il settore della salute degli animali;
- ridurre la frammentazione della ricerca e innovazione e rafforzare gli investimenti del settore privato in Europa;
- elaborare e applicare un programma strategico nell'ambito di una struttura paneuropea dotata della massa critica e delle risorse necessarie, garantire la continuità e consentire alle industrie delle scienze della vita di elaborare piani d'investimento a lungo termine;
- agevolare le attività di ricerca volte ad ottenere prove in una fase più precoce del processo di sviluppo di medicinali e vaccini grazie a sistemi di condivisione del rischio.

2.3. Obiettivi specifici

Gli obiettivi specifici sono i seguenti:

- innalzare del 30%, entro il 2020, il tasso di successo nei test clinici per le malattie identificate nel rapporto dell'OMS sui farmaci prioritari per l'Europa e per il mondo;
- ridurre a cinque anni il tempo necessario per raggiungere una prova del concetto per le malattie immunologiche, neurologiche, respiratorie e neurodegenerative;
- sviluppare almeno due nuove terapie per le malattie per cui esiste un forte bisogno insoddisfatto e per cui vi sono limitati incentivi di mercato: la resistenza agli antimicrobici (due nuove classi negli ultimi 30 anni) o il morbo di Alzheimer (per il quale sono stati fino ad ora sviluppati soltanto due trattamenti di limitata efficacia);
- sviluppare biomarcatori per la diagnosi di quattro malattie (tra quelle summenzionate), aventi chiara rilevanza clinica e approvati dalle autorità di regolamentazione;
- sviluppare un modello di infrastruttura globale e trasparente per la raccolta di dati sull'incidenza delle malattie e sull'onere sanitario e socioeconomico delle principali malattie infettive;

- sviluppare nuovi biomarcatori testati che consentano di prevedere l'efficacia e la sicurezza dei vaccini nelle fasi iniziali del processo (due marcatori per vaccino), al fine di migliorare lo screening di più vaccini candidati e ridurre del 50% il tasso di insuccesso nei test clinici di fase III ;
- sviluppare due nuovi coadiuvanti per uso umano per aumentare la risposta immunitaria dell'organismo ai vaccini, specie in gruppi specifici come gli anziani e i soggetti che non rispondono ai trattamenti;
- definire, per due delle principali malattie infettive e due tipi di cancro o malattie croniche (ad esempio le malattie autoimmuni), almeno due nuovi modelli predittivi dell'efficacia e due nuovi modelli predittivi della sicurezza;
- rafforzare il collegamento tra le attività di ricerca di vaccini per uso umano e per uso veterinario.

3. OPZIONI STRATEGICHE

La valutazione d'impatto ha esaminato le seguenti quattro opzioni principali.

1. Statu quo: proseguimento dell'attuale ITC IMI nell'ambito di Orizzonte 2020, gestita dall'impresa comune. In base a questa opzione, l'IMI rimarrebbe incentrata sulla creazione di un sistema collaborativo di ricerca e sviluppo nel settore biomedico in Europa e sulla formulazione di medicinali sicuri e più efficaci per i pazienti.
2. Nessun partenariato pubblico-privato (PPP) o "opzione zero": ricorso unicamente a progetti collaborativi Orizzonte 2020. Questa opzione favorirebbe la formulazione di obiettivi comuni a livello di progetto ma non l'esecuzione trasversale di programmi strategici tra i vari progetti. La partecipazione dell'industria riguarderebbe singoli progetti.
3. PPP contrattuale per l'attuazione delle azioni di Orizzonte 2020 che rientrano nella sfida sociale "Salute, cambiamento demografico e benessere". Questa opzione prevede la conclusione di un accordo di partenariato con l'industria, che propone una strategia e fornisce consulenza sui programmi di lavoro. L'impegno e il contributo dell'UE sono definiti all'avvio del PPP, mentre l'ammontare dei finanziamenti e le tematiche devono essere approvati nell'ambito di un programma di lavoro annuale.
4. ITC modernizzata: amplia gli obiettivi e le attività dell'impresa comune IMI in linea con gli obiettivi di Orizzonte 2020; estende il campo di applicazione dell'attuale programma e ne migliora la governance.

4. VALUTAZIONE DELL'IMPATTO E CONFRONTO TRA LE OPZIONI

Le quattro opzioni strategiche sono state confrontate in base a una serie di parametri fondamentali per valutare l'intervento pubblico nel settore della ricerca e innovazione in materia di scienze della vita.

L'ITC modernizzata risulta essere l'opzione privilegiata. Essa consente infatti di raggiungere la massa critica a livello di programma e di progetto, promuove l'eccellenza scientifica nella ricerca biofarmaceutica e delle scienze della vita, cosa che incide sull'innovazione ed è ulteriormente rafforzata dal sostegno finanziario (dalla formulazione scientifica al mercato), e favorisce un maggiore orientamento ai risultati e una migliore diffusione dei risultati della ricerca. Genera un maggiore impatto scientifico e innovativo, che si traduce a sua volta in impatti più marcati sull'economia, la competitività, la società e la salute pubblica. Consente di aumentare la flessibilità e di ridurre i costi amministrativi per i candidati e i partecipanti e permette alle entità finanziate con fondi pubblici, quali università e PMI, di beneficiare della semplificazione amministrativa. Questa opzione massimizza inoltre il rapporto costo-efficacia.

L'opzione zero rende difficile l'esecuzione trasversale di programmi strategici tra i vari progetti, non assicura il raggiungimento della massa critica e comporta un minore livello di flessibilità, accessibilità e coordinamento orizzontale delle politiche rispetto all'opzione dell'ITC modernizzata. Ciò comporterebbe effetti meno marcati sull'economia, la competitività, la società e la salute pubblica.

L'opzione del "PPP contrattuale" consentirebbe l'esecuzione trasversale di programmi strategici tra i vari progetti; si tratta tuttavia di un partenariato pubblico-privato meno incisivo, che conterebbe su un bilancio solo indicativo e su un impegno relativamente limitato dell'industria.

Confronto sintetico tra le opzioni (impatto rispetto allo scenario "business as usual")

	Nessun PPP	PPP	ITC modernizzata
Impatto sulla salute pubblica	--	-	+++
Impatto sociale	--	-	+++
Impatto sull'economia e la competitività	-	-	+++
Impatto sull'innovazione	--	-	+++
Massa critica di risorse	--	-	+
Effetto leva (mobilitazione globale delle risorse a favore della R&S)	--	-	=
Partecipazione dell'industria e delle PMI	--	-	+++
Agenda strategica	--	-	+
Riduzione della frammentazione	-	-	+++
Costi amministrativi e efficienza della gestione	-	--	=
Coerenza	=	=	+++
Efficienza	--	=	+++
Efficacia	--	=	+++

5. MONITORAGGIO E VALUTAZIONE

Un sistema adeguato di controllo e valutazione a livello di programma e di progetto, dotato di una serie di indicatori chiave di prestazione, permetterà di valutare il grado di conseguimento degli obiettivi dell'impresa comune IMI2, mentre il consiglio di direzione sorveglierà l'operato del direttore esecutivo e dell'ufficio del programma.

La valutazione esterna dell'intero programma sarà organizzata dalla Commissione. Una valutazione intermedia e una valutazione finale saranno realizzate rispettivamente entro la fine del 2017 e alla conclusione di programma nel 2024.