



Bruxelles, 10.7.2013
SWD(2013) 254 final

DOCUMENTO DI LAVORO DEI SERVIZI DELLA COMMISSIONE

SINTESI DELLA VALUTAZIONE D'IMPATTO

che accompagna il documento

Proposta di

DECISIONE DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO

**relativa alla partecipazione dell'Unione a un secondo programma di partenariato
Europa-paesi in via di sviluppo per gli studi clinici (EDCTP2) avviato congiuntamente
da più Stati membri**

{ COM(2013) 498 final }
{ SWD(2013) 253 final }

DOCUMENTO DI LAVORO DEI SERVIZI DELLA COMMISSIONE

SINTESI DELLA VALUTAZIONE D'IMPATTO

che accompagna il documento

Proposta di

DECISIONE DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO

relativa alla partecipazione dell'Unione a un secondo programma di partenariato Europa-paesi in via di sviluppo per gli studi clinici (EDCTP2) avviato congiuntamente da più Stati membri

La presente sintesi illustra le principali conclusioni della relazione sulla valutazione d'impatto (VI) che accompagna la proposta della Commissione di decisione sulla partecipazione dell'Unione europea (UE) a un secondo programma di partenariato Europa-paesi in via di sviluppo per gli studi clinici (EDCTP2), come richiesto dagli Stati europei partecipanti e raccomandato nella valutazione indipendente del primo programma (EDCTP1). La partecipazione dell'UE all'esecuzione congiunta di programmi nazionali di ricerca e sviluppo rientra nell'ambito di applicazione dell'articolo 185 del *trattato sul funzionamento dell'Unione europea (TFUE)*, che ne costituisce quindi la base giuridica. La proposta è presentata nel contesto del quadro finanziario pluriennale (*QFP*) 2014-2020 nell'ambito dell'attuazione di *Orizzonte 2020*, il programma quadro di ricerca e innovazione dell'UE. La dotazione di bilancio per l'EDCTP2 è subordinata all'esito della decisione dell'UE relativa al *QFP 2014-2020* e a *Orizzonte 2020*.

1. OBIETTIVI

Il partenariato Europa-paesi in via di sviluppo per gli studi clinici (EDCTP) è stato istituito nel 2003 in risposta alla crisi sanitaria mondiale causata dalle tre principali malattie legate alla povertà (HIV/AIDS, malaria e tubercolosi) e all'impegno dell'UE a conseguire gli obiettivi di sviluppo del millennio delle Nazioni Unite entro il 2015. Il periodo di finanziamento attivo per il primo programma EDCTP (EDCTP1) è terminato. Nonostante i risultati finora conseguiti dal programma, l'onere socioeconomico delle malattie legate alla povertà continua a rappresentare un problema, ostacolando lo sviluppo sostenibile dei paesi in via di sviluppo, in particolare nell'Africa subsahariana.

1.1. Carenza di interventi medici efficaci per le malattie legate alla povertà

Le malattie legate alla povertà hanno effetti negativi enormi su salute, società ed economia e colpiscono nel mondo soprattutto le comunità più povere e più emarginate. Oltre 1 miliardo di persone, tra cui 400 milioni di bambini, soffrono di almeno una delle tre principali malattie legate alla povertà (HIV/AIDS, malaria e tubercolosi) o di malattie infettive dimenticate, come l'ulcera del Buruli, il tracoma, la filariosi linfatica e la malattia del sonno. Si stima che ogni anno la malaria e la tubercolosi insieme mietano 2,1 milioni di vittime. Queste malattie, che compromettono la produttività e accrescono l'insicurezza e l'incidenza dell'infermità, perpetuando in tal modo il ciclo della povertà, colpiscono in misura sproporzionata l'Africa subsahariana, nella quale nel 2010 si è registrato il 90% circa di tutti i decessi per malaria. In

quest'area geografica, inoltre, nel 2008 vivevano oltre i due terzi (il 68%) di tutte le persone affette da HIV e avvenivano quasi i tre quarti (il 72%) dei decessi per AIDS.

Sebbene il generale miglioramento della nutrizione, dell'igiene e delle infrastrutture sanitarie sia importante, un'efficace azione di contrasto a lungo termine delle malattie legate alla povertà richiede anche lo sviluppo di interventi medici nuovi o migliori. Quelli esistenti sono carenti o hanno perso efficacia, mentre la maggior parte dei nuovi farmaci, vaccini e microbicidi è ancora in una fase iniziale di sviluppo clinico.

1.2. Persistenza dei problemi, soprattutto a causa di investimenti insufficienti, scarse capacità locali e sostegno pubblico frammentato

La carenza di interventi medici efficaci è dovuta a cinque fattori chiave: (i) investimenti insufficienti (lacune del mercato), (ii) scarse capacità di ricerca clinica nei paesi dell'Africa subsahariana, (iii) sostegno pubblico frammentato, (iv) portata limitata del primo programma EDCTP e (v) mancanza di legami sufficienti con altre iniziative dell'UE.

- In primo luogo, investimenti insufficienti del settore privato e di quello pubblico impediscono lo sviluppo di interventi medici. Questo fattore è legato alle lacune del mercato: le attività di ricerca necessarie sono rischiose e costose, soprattutto le fasi avanzate degli studi clinici sugli esseri umani. Inoltre, i costi della ricerca non possono essere recuperati completamente perché né le persone colpite da queste malattie né il sistema sanitario dei paesi in via di sviluppo possono permettersi di pagare il prezzo di mercato pieno per garantire il rendimento del capitale privato investito.
- In secondo luogo, la maggior parte dei paesi in via di sviluppo, in particolar modo l'Africa subsahariana, non dispone delle infrastrutture di base, delle risorse umane e del know-how necessari per affrontare autonomamente questi problemi e condurre studi clinici nel rispetto delle norme internazionali di buona pratica clinica.
- In terzo luogo, il mancato coordinamento dei progetti, dei programmi e delle politiche di ricerca nazionali degli Stati membri dell'UE compromette la massa critica e l'efficacia dell'azione pubblica europea. A tutto questo si aggiunge il fatto che gli stanziamenti destinati agli aiuti (che rappresentano il 60% circa dei finanziamenti alla ricerca per le malattie legate alla povertà) sono sempre più ridotti a causa della crisi economica e finanziaria che ha colpito l'Europa.
- In quarto luogo, la portata limitata del primo programma EDCTP ha reso difficile affrontare il problema in modo globale, impedendo di fornire sostegno alla lotta contro altre malattie legate alla povertà, come le malattie infettive dimenticate. L'estensione della portata del programma consentirebbe anche di sostenere tutte le fasi dello sviluppo clinico.
- In quinto luogo, il rafforzamento della cooperazione tra l'EDCTP e l'assistenza allo sviluppo dell'UE potrebbe sbloccare importanti sinergie, promuovere l'introduzione di nuovi interventi medici più efficaci e sicuri e favorirne la distribuzione.

1.3. Importanti risultati prodotti dall'EDCTP1

L'EDCTP1 ha permesso di ottenere una serie di risultati importanti:

- finanziamento di 55 progetti di studi clinici, con 88 singoli studi clinici, di cui 8 hanno dato luogo a raccomandazioni per migliorare la cura dei pazienti;

- approvazione da parte della Food and Drug Administration (FDA) statunitense di una nuova formulazione antiretrovirale per bambini affetti da HIV in Africa, testata nell'ambito di un progetto EDCTP;
- rafforzamento delle autorità nazionali di regolamentazione e delle capacità di esame etico in molti paesi africani;
- creazione del registro panafricano delle sperimentazioni cliniche (PACTR) con il sostegno dell'EDCTP1 e riconoscimento ufficiale dello stesso come registro principale dell'OMS;
- contributo dell'EDCTP1 alla strutturazione del settore della ricerca in Africa mediante la creazione di reti di eccellenza africane per gli studi clinici.

L'EDCTP è anche un perfetto esempio di un principio che promuoviamo in Europa: aprire i nostri programmi di ricerca alla collaborazione su scala mondiale. L'EDCTP svolge un ottimo lavoro in questo senso, con progetti che coinvolgono istituzioni europee e africane, con il 75% dei fondi erogati a favore di istituzioni africane e con il 73% dei progetti guidati da ricercatori africani. Oltre a promuovere lo sviluppo clinico e il potenziamento delle capacità in questo settore nell'Africa subsahariana, il programma ha innescato cambiamenti strutturali in termini di migliore coordinamento dei programmi nazionali degli Stati europei partecipanti. Il livello di integrazione dei programmi nazionali nell'EDCTP si attesta attualmente intorno al 30% degli investimenti nazionali complessivi per la ricerca nel settore degli studi clinici relativi a interventi medici contro le tre principali malattie legate alla povertà.

1.4. Integrazione degli insegnamenti tratti dall'EDCTP1 nell'elaborazione dell'EDCTP2

Nonostante i risultati conseguiti, l'attuazione dell'EDCTP ha evidenziato diverse carenze.

- i) L'attuale portata dell'EDCTP è troppo limitata per dare una risposta esauriente al problema delle malattie legate alla povertà: il programma dovrebbe essere esteso a un maggior numero di malattie e a tutte le fasi dello sviluppo clinico.
- ii) Le potenzialità di coordinamento e integrazione dei programmi nazionali europei nel quadro dell'EDCTP non sono ancora state pienamente sfruttate: è attualmente in corso la realizzazione di attività allineate e coordinate tra gli Stati europei partecipanti (le cosiddette attività avviate dagli Stati partecipanti) e la semplificazione delle procedure.
- iii) È necessario intensificare il monitoraggio e la valutazione di obiettivi specifici: a tale scopo, sono stati sviluppati anticipatamente per l'EDCTP2 indicatori sistematici di efficacia e impatto.
- iv) Non sono stati ancora instaurati rapporti di lavoro stabili con grandi finanziatori delle attività di ricerca e con il settore farmaceutico: sono in corso discussioni strategiche con altri finanziatori, ad esempio la fondazione Bill & Melinda Gates e l'industria farmaceutica.
- v) Il coordinamento con l'assistenza allo sviluppo e la politica estera dell'UE non è stato ancora sviluppato a sufficienza: per ovviare a questa carenza, sono in corso attività di coordinamento con altre iniziative dell'UE che hanno rilevanza per l'EDCTP.

1.5. Forte impatto dell'iniziativa sulle persone e sui portatori di interessi

Combattere il problema e i fattori scatenanti avrebbe un forte impatto positivo sulla salute, sul benessere e sullo sviluppo economico di milioni di persone che vivono nell'Africa subsahariana, in particolar modo delle donne e dei bambini che sono colpiti in misura

sproporzionata dalle malattie legate alla povertà. Il sostegno alla lotta contro queste malattie contribuirebbe inoltre a proteggere i cittadini europei da sfide nuove o recrudenze connesse alle malattie infettive, alle quali l'Europa sarà esposta a causa della crescente mobilità su scala mondiale, imputabile anche al turismo, e della migrazione. Il riscaldamento globale potrebbe amplificare i rischi in Europa, aumentando l'incidenza di queste malattie e modificandone la distribuzione geografica. Anche i ricercatori europei e africani trarrebbero beneficio da attività e programmi meglio coordinati e strutturati per la ricerca sulle malattie legate alla povertà a livello europeo e internazionale.

1.6. Giustificazione piena dell'intervento pubblico a livello unionale

Le lacune del mercato e il conseguente deficit di investimenti descritti in precedenza giustificano pienamente l'intervento pubblico. L'intervento a livello unionale è necessario per riunire programmi di ricerca nazionali compartimentati, contribuire a elaborare strategie di ricerca e finanziamento comuni in grado di superare le frontiere nazionali e raggiungere la massa critica di attori e investimenti indispensabile per affrontare le grandi sfide sanitarie mondiali di fronte alle quali i singoli Stati sono impotenti. Tale intervento contribuirà inoltre ad aumentare l'incisività e a migliorare il rapporto costo/efficacia delle attività e degli investimenti europei in questo settore.

L'intervento dell'UE è in linea con il *trattato sul funzionamento dell'Unione europea* e con le politiche unionali e contribuisce al mantenimento degli impegni assunti dall'Unione di promuovere l'efficacia degli aiuti, la crescita inclusiva e i progressi verso il conseguimento degli obiettivi di sviluppo del millennio

Obiettivo dell'iniziativa è allineare meglio i programmi di ricerca unionali e nazionali sulle malattie legate alla povertà. L'iniziativa rientra quindi negli obiettivi del trattato intesi a rafforzare le basi scientifiche e tecnologiche dell'UE (articolo 179, paragrafo 1, del TFUE) e a sviluppare uno spazio europeo della ricerca basato sulla cooperazione transfrontaliera fra ricercatori (articolo 179, paragrafo 2, del TFUE), anche mediante la partecipazione dell'Unione a programmi di ricerca e sviluppo avviati da più Stati membri (articolo 185 del TFUE). L'iniziativa contribuisce inoltre allo sviluppo delle competenze nuove e più ampie attribuite all'UE dal *trattato di Lisbona* (TUE) per il perseguimento di azioni comuni nel campo della cooperazione e delle relazioni internazionali (articolo 21 del TUE) e, di conseguenza, alla creazione di un'Europa globale.

2. OBIETTIVI

2.1. Obiettivi generali

In linea con la strategia *Europa 2020*, l'iniziativa *Unione dell'innovazione*, il programma quadro *Orizzonte 2020*, il partenariato strategico UE-Africa e l'impegno dell'Unione rispetto alle conclusioni della Conferenza Rio+20 del 2012 sulla definizione e il conseguimento degli obiettivi di sviluppo sostenibile concordati a livello internazionale, compresi gli obiettivi di sviluppo del millennio, l'obiettivo generale di questa iniziativa è **contribuire a ridurre le conseguenze socioeconomiche delle malattie legate alla povertà nei paesi in via di sviluppo, soprattutto nell'Africa subsahariana, accelerando lo sviluppo clinico di interventi medici efficaci, sicuri e a prezzi accessibili per tali malattie.**

2.2. Obiettivi specifici

Al fine di raggiungere l'obiettivo generale di cui sopra, il programma EDCTP2 intende realizzare gli obiettivi specifici elencati di seguito:

- **aumentare il numero di interventi medici nuovi o migliorati per HIV/AIDS, tubercolosi, malaria e altre malattie legate alla povertà** e fornire, entro la fine del periodo di riferimento del programma, almeno un nuovo prodotto medico, ad esempio un nuovo farmaco o vaccino contro la tubercolosi o altra malattia legata alla povertà; elaborare almeno 30 orientamenti intesi a migliorare o estendere l'uso dei farmaci esistenti; progredire nello sviluppo clinico di almeno 20 prodotti;
- **rafforzare la cooperazione con i paesi dell'Africa subsahariana, in particolare per svilupparne le capacità di condurre studi clinici** nel pieno rispetto dei principi etici fondamentali e della pertinente normativa nazionale, unionale e internazionale, ivi comprese la Carta dei diritti fondamentali dell'Unione europea, la Convenzione europea dei diritti dell'uomo e relativi protocolli aggiuntivi, la Dichiarazione di Helsinki dell'Associazione medica mondiale del 2008 e le norme in materia di buona pratica clinica della Conferenza internazionale sull'armonizzazione (ICH);
- **migliorare il coordinamento, l'allineamento e l'integrazione dei programmi nazionali pertinenti** per migliorare il rapporto costo/efficacia degli investimenti pubblici europei;
- **estendere la cooperazione internazionale e accrescere l'effetto leva degli investimenti** di altri finanziatori pubblici e privati;
- **accrescere l'impatto del partenariato grazie a una cooperazione efficace con le pertinenti iniziative dell'UE**, ad esempio l'assistenza allo sviluppo.

3. OPZIONI STRATEGICHE

Nella valutazione d'impatto sono state prese in esame varie opzioni e subopzioni differenti dal punto di vista della base giuridica, dell'ambito, della durata, della dotazione di bilancio e del contributo dell'UE.

L'opzione 1 ("nessun intervento da parte dell'UE") non prevede un programma EDCTP2 e non contempla l'inserimento di disposizioni in politiche, programmi o azioni finanziate dall'UE per sostenere gli obiettivi dell'EDCTP, né per quanto riguarda gli studi clinici né in merito all'integrazione dei programmi di ricerca nazionali degli Stati membri volti a combattere le malattie legate alla povertà. Il sostegno europeo agli studi clinici e allo sviluppo di capacità in questo ambito sarebbe limitato ai programmi nazionali degli Stati membri.

L'opzione 2 ("basata sui programmi") non prevede un programma EDCTP2 ma contempla l'inserimento di disposizioni a sostegno degli obiettivi dell'EDCTP in politiche, programmi o azioni finanziate dall'UE. Il sostegno agli studi clinici e allo sviluppo di capacità in questo ambito sarebbe affidato pertanto ai programmi nazionali degli Stati membri e a quelli dell'UE.

L'opzione 3 ("status quo", scenario di riferimento) prevede la prosecuzione del programma EDCTP1 senza variazioni: orientamento tematico, attività e strategia di finanziamento, stanziamento e durata (500 milioni di EUR per un periodo di 5 anni) resterebbero invariati.

L'opzione 4 ("estensione della portata") prevede di estendere il programma EDCTP1, mantenendo l'attenzione sulla stessa area geografica (Africa subsahariana) ma prolungando la durata e ampliando il campo di applicazione tematico: (i) estensione della durata del programma a 10 anni (il doppio rispetto a prima), (ii) copertura di altre malattie legate alla povertà (oltre alle "tre grandi" HIV/AIDS, malaria e tubercolosi) e (iii) sostegno a tutte le fasi dello sviluppo clinico.

Per quanto riguarda la dotazione di bilancio totale e il contributo dell'UE, sono stati considerati tre sottoscenari. La **subopzione 4A** prevede una dotazione di bilancio complessiva

per l'EDCTP2 pari a 0,85 miliardi di EUR, con un contributo dell'UE fino a un massimo di 350 milioni di EUR a integrazione di quello degli Stati europei partecipanti, pari ad almeno 500 milioni di EUR. La **subopzione 4B** prevede una dotazione di bilancio complessiva per l'EDCTP2 pari a 1 miliardo di EUR, con un contributo dell'UE fino a un massimo di 500 milioni di EUR a integrazione di quello degli Stati europei partecipanti, pari ad almeno 500 milioni di EUR. La **subopzione 4C** prevede una dotazione di bilancio complessiva pari a 2 miliardi di EUR, con un contributo dell'UE fino a un massimo di 1 miliardo di EUR a integrazione di quello degli Stati europei partecipanti, pari ad almeno 1 miliardo di EUR.

4. VALUTAZIONE DELL'IMPATTO E CONFRONTO DELLE OPZIONI

Le opzioni strategiche sono state messe a confronto per valutarne l'impatto in termini di efficacia, efficienza e coerenza nel conseguimento degli obiettivi generali e specifici.

L'**opzione 4C**, che prevede di mantenere l'interesse sulla stessa area geografica ma di estendere la durata, l'orientamento tematico e la dotazione di bilancio del programma, è quella **preferita**.

L'opzione **4C** garantirebbe il massimo livello di efficacia, efficienza e coerenza. Sebbene richieda i maggiori stanziamenti da parte dell'UE, ha le potenzialità per conferire all'EDCTP un ruolo di primo piano nello sviluppo di prodotti per il settore sanitario su scala globale. Il programma disporrebbe di risorse finanziarie sufficienti per svolgere una funzione di guida nello sviluppo di nuovi interventi medici efficaci e sicuri contro le tre principali malattie legate alla povertà e altre malattie dimenticate, ad esempio nello sviluppo di un vaccino contro la tubercolosi. L'opzione 4C trasformerebbe l'EDCTP da semplice programma di ricerca collaborativo tra Europa e Africa subsahariana in programma in grado di contribuire allo sviluppo sostenibile a lungo termine dell'Africa subsahariana.

Questa opzione consentirebbe inoltre di:

- avviare tramite l'EDCTP le costose fasi avanzate degli studi clinici, che richiedono tra i 50 e i 400 milioni di EUR;
- potenziare l'effetto leva della spesa pubblica dell'UE destinata alla lotta contro le malattie legate alla povertà;
- mantenere la leadership dell'UE nell'innovazione e nella ricerca sulle malattie legate alla povertà.

5. MONITORAGGIO E VALUTAZIONE

È importante ideare un sistema di monitoraggio e valutazione a livello di programma e di progetto che permetta di misurare adeguatamente i progressi compiuti dall'EDCTP2 verso il raggiungimento degli obiettivi prefissi. Il quadro di valutazione sarebbe composto come segue:

- pubblicazione annuale degli aggiornamenti degli indicatori dell'EDCTP2;
- relazioni annuali sull'attuazione dell'EDCTP2, contenenti informazioni sulle prestazioni e sui progressi verso il conseguimento degli obiettivi e dei traguardi;
- valutazione intermedia indipendente per esaminare le prestazioni e la qualità dell'attuazione del programma EDCTP2 e delle attività finanziate, effettuata entro il 31 dicembre 2017, e valutazione finale del programma, non oltre il 31 dicembre 2023;
- valutazione finale ex post indipendente effettuata entro il 31 dicembre 2026.

La Commissione garantirà che tutte le azioni intraprese nel contesto del programma EDCTP2 siano condotte nel rispetto della Carta dei diritti fondamentali dell'Unione europea e delle norme internazionali in materia di buona pratica clinica.