

Linea guida per la partecipazione al progetto pilota *Simultaneous National Scientific Advice* (SNSA)

Le realtà che sviluppano medicinali, dispositivi medici e altre tecnologie possono richiedere uno *scientific advice* allo scopo di ottimizzare il loro programma di sviluppo. Lo *scientific advice* può essere rilasciato sia a livello nazionale dalle autorità nazionali competenti (*National Competent Authorities* - NCA) sia a livello centrale dall'Agencia europea per i medicinali (EMA). Lo *scientific advice* nazionale è spesso richiesto a più di una NCA. Per sfruttare al meglio le risorse da ambo i lati e migliorare il supporto regolatorio, è stato messo a punto un nuovo approccio che consente di richiedere, in un unico passaggio, uno *scientific advice* e/o un *regulatory advice* nazionale a due NCA contemporaneamente. L'obiettivo è definire una procedura più efficiente, basata sui principi e sulle strutture già esistenti, rivolta ai soggetti che necessitano del parere di diverse NCA in risposta a domande e dati specifici. Si tratta, quindi, di un nuovo approccio che si pone quale strumento complementare alle procedure consolidate di *scientific/regulatory advice* nazionale o europeo, e non comporta una duplicazione delle procedure esistenti.

L'SNSA si concentra sugli sviluppi innovativi per identificare l'esigenza dei richiedenti di facilitare l'innovazione e colmare le lacune nel supporto regolatorio precoce. Il progetto pilota intende valutare le opportunità e l'interesse derivanti dal fornire uno *scientific advice* nazionale coordinato, dedicato soprattutto alle realtà che sviluppano nuovi farmaci e terapie.

1. Punti di forza dell'SNSA

- Approccio "2-in-1" = ottenere il parere di due NCA presentando una sola richiesta;
- Processo strutturato e guidato – facilità di partecipazione;
- Ottimizzazione delle risorse umane e finanziarie;
- Possibilità per i richiedenti di avvalersi di un confronto precoce (anche nelle primissime fasi del processo di sviluppo) e simultaneo in un contesto più ampio e in un ambiente multinazionale. I risultati attesi sono i seguenti:
 - scambio di opinioni e interazione degli esperti delle NCA in fase precoce rispetto agli approcci sequenziali;
 - individuazione precoce di opinioni divergenti tra le NCA;
 - potenziale allineamento delle NCA su posizioni e requisiti regolatori inizialmente diversi (ad es. le NCA punteranno a fornire pareri quanto più possibilmente consolidati, anche se la totale armonizzazione non costituisce il principale obiettivo di questa procedura);

- identificazione precoce di aspetti scientifici o regolatori critici che possono necessitare di un formale *scientific advice* da parte dell’Agenzia europea per i medicinali (EMA).

2. Vantaggi

- Opportunità di ottenere un allineamento/chiarimento dalle NCA su specifici aspetti critici prima della presentazione di una richiesta di sperimentazione clinica, autorizzazione all’immissione in commercio o variazione/estensione di linea, particolarmente utile alla luce delle rigide tempistiche;
- Possibilità di potenziare i processi di ricerca traslazionale fornendo un parere strutturato precoce basato sulle esigenze dei richiedenti;
- Supporto alla predisposizione di richieste di *scientific advice* EMA in aggiunta all’assistenza normalmente offerta dall’agenzia europea per i medicinali.

3. Prospettive

- Opportunità di confronto a livello dell’*EU-Innovation Network* (EU-IN) con la partecipazione di quasi tutti gli Stati membri dell’UE;
- Possibilità di condividere le conoscenze e le esperienze maturate in base agli SNSA già conclusi, nell’ambito del network regolatorio europeo tramite un confronto precoce a livello di EU-IN, gruppi di lavoro e comitati scientifici dell’EMA potenzialmente interessati, per prepararsi al meglio alle innovazioni in arrivo e riflettere sulle nuove sfide regolatorie;
- Opportunità di discutere le opinioni divergenti e di identificare i possibili passi da compiere per ottenerne una graduale convergenza;
- Possibilità di conoscere la posizione e l’opinione dei diversi esperti delle NCA, migliorare lo scambio di conoscenze ed esperienze, soprattutto in relazione alle aspettative riguardanti lo sviluppo scientifico e il contesto regolatorio di riferimento per prodotti/soluzioni terapeutiche particolarmente innovativi;
- Strumento pratico per identificare le sfide connesse allo sviluppo di tecnologie innovative;
- Incoraggiamento a richiedere un supporto regolatorio precoce.

4. Destinatari, NCA, ambito di applicazione e procedura

Destinatari

- Non sono previste restrizioni: al progetto pilota SNSA può partecipare ogni tipo di richiedente;
- Assistenza specifica per le realtà accademiche e le piccole e medie imprese (PMI), soprattutto per quanto riguarda la richiesta di un *advice* precoce.

NCA che partecipano all’avvio del progetto

- AGES – Austria (scientificadvice@basg.at)
- FAMHP – Belgium (innovationoffice@fagg-afmps.be)
- SUKL – Czech Republic (innovation@sukl.cz)
- FIMEA – Finland (innovation.office@fimea.fi)
- BfArM – Germany (innovation@bfarm.de)

- PEI – Germany (innovation@pei.de)
- OGYEI – Hungary (tanacsadas@ogyei.gov.hu)
- AIFA – Italy (scientificadvice@aifa.gov.it)
- NOMA – Norway (jan-petter.akselsen@legemiddelverket.no)
- URPL – Poland (magdalena.pajewska@ema.europa.eu)
- AEMPS – Spain (ascina@aemps.es)

La partecipazione al progetto pilota rimane aperta ad ulteriori NCA in modo da coinvolgere un numero maggiore di autorità nazionali competenti e ottenere quante più possibili combinazioni di due NCA.

Per maggiori informazioni consultare il seguente link

<https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/eu-partners/eu-member-states/national-competent-authorities-human>

Ambito di applicazione

Identico alle procedure di *scientific advice* e *regulatory advice* nazionali attualmente in vigore presso le NCA:

- Domande su qualità, sicurezza ed efficacia:
 - dei medicinali per uso umano,
 - in qualsiasi fase dello sviluppo del prodotto senza restrizioni,
 - comprese, ma non solo, le domande di sperimentazione clinica o la progettazione iniziale della stessa (ad es. domande sul disegno dello studio e sugli aspetti statistici)
 - esclusi aspetti di HTA e rimborso;
- È possibile includere nell'ambito di applicazione dell'SNSA le richieste di *scientific advice* per prodotti per uso umano che combinano medicinali e dispositivi, se tale tipo di prodotti rientra nelle competenze delle NCA partecipanti;
- Ciascun SNSA sarà limitato all'ambito di applicazione e alle domande indicati nei *briefing document*;
- Inizialmente il progetto pilota prevede l'adesione di due NCA per ciascuna procedura;
- Le informazioni sulle NCA che aderiscono al progetto saranno disponibili sul sito web di ciascuna NCA partecipante, nonché sui siti web dell'EMA e dell'*Heads of Medicines Agencies* (HMA).

Procedura

- È possibile partecipare all'SNSA inviando una lettera di intenti informale ad una sola delle due NCA selezionate oppure inviando il modulo di domanda in uso per la procedura di *scientific advice* o *regulatory advice* nazionale. Il richiedente indica contestualmente le due NCA a cui intende richiedere un parere (sulla base dell'elenco di NCA che hanno aderito al progetto pilota). Le NCA scelte devono accettare la richiesta di parere. Nel caso in cui una NCA non sia in grado di partecipare al progetto, il richiedente potrà indicare una NCA alternativa, proseguire con la richiesta standard di *scientific advice* nazionale o ritirare la domanda;
- I dettagli della procedura saranno comunicati al richiedente dell'SNSA in fase di richiesta di *advice*;

- Previo accordo reciproco tra le NCA partecipanti, una delle due NCA gestirà la procedura in qualità di coordinatore, organizzando i lavori e fungendo da principale punto di contatto per il richiedente e la NCA co-partecipante;
- Le tempistiche dell'SNSA saranno stabilite di comune accordo tra le NCA nel rispetto, per quanto possibile, delle date indicate dal richiedente;
- I *briefing document* e l'elenco delle domande devono essere inviati ad entrambe le NCA separatamente, tenendo conto dei requisiti specifici di ciascuna NCA in termini di tempi di presentazione, modello, ambito di applicazione, contenuto e lunghezza dei documenti; l'assistenza sarà fornita dall'NCA coordinatrice;
- Ciascuna NCA si occuperà altresì della convalida formale dei *briefing document* per quanto riguarda, ad esempio, l'ambito di applicazione e l'oggetto delle domande e delle relative posizioni. In caso di dubbi (ad es. Domande di convalida sollevate da una delle NCA nei confronti del richiedente), l'NCA coordinatrice si metterà in contatto con il richiedente;
- Nel corso della procedura di SNSA il richiedente non è autorizzato ad aggiungere nuove domande o a modificare domande o dati;
- L'SNSA prevederà un incontro per favorire un confronto aperto tra l'NCA coordinatrice (a cui spetta il compito di organizzare e condurre la riunione formale di SA) e il richiedente, mentre l'altra NCA vi parteciperà tramite collegamento telefonico o videoconferenza. Entrambe le NCA saranno rappresentate dai rispettivi esperti nazionali, come avviene nelle procedure nazionali;
- Le minute della riunione saranno redatte dal richiedente sulla base del modello comune fornito, e saranno inviate a ciascuna NCA per revisione e commenti. Il documento finale rifletterà i pareri formali di entrambe le NCA sull'SNSA in base al reciproco accordo tra di esse;
- Il pagamento del compenso si baserà sui costi e sulla procedura stabiliti da ciascuna NCA coinvolta. Questi aspetti saranno comunicati al richiedente al momento della presentazione della domanda di SNSA;
- Dopo aver completato l'SNSA, al richiedente sarà chiesto di fornire un riscontro tramite la compilazione di un breve questionario;
- Eventuali richieste di chiarimenti da parte del richiedente (ad esempio sui pareri forniti nel contesto dell'SNSA formale) potrebbero essere accettate e gestite in accordo tra le due NCA e nel rispetto delle relative procedure, mentre le domande nuove poste dal richiedente saranno trattate nell'ambito di una richiesta di *follow-up advice*.

5. Realizzazione e partecipazione

- Il progetto pilota avrà inizio il **1° febbraio 2020**.
- Poiché il progetto rappresenta la base di partenza per mettere a punto un modello di *best practice* e far sì che questa soluzione diventi un nuovo format di *advice*, una diffusa partecipazione favorirebbe il successo di questo modello.
- Una prima valutazione del progetto pilota SNSA è prevista a livello di EU-IN ed EMA/HMA all'incirca alla fine del 2020 in modo da analizzare i risultati e le esperienze acquisite in seguito alla conclusione degli SNSA, sia dal punto di vista delle NCA sia da quello del richiedente.
- Se dal progetto pilota emerge che vi è sufficiente richiesta di SNSA, che la soluzione è gestibile, efficace e rappresenta un valore aggiunto sia per il richiedente sia per le NCA, saranno intrapresi ulteriori sforzi per potenziare l'attuale processo pilota e

ampliare l'SNSA in una fase successiva del progetto per garantire la partecipazione di più di due NCA alla procedura di *scientific advice*.