

# Consultation in relation to the Paediatric Report

Ref. PCPM/16 – Paediatric Report

## 1. PART I - GENERAL INFORMATION ABOUT RESPONDENTS

Your name or name of the organisation/company: Peter Pan Onlus

Transparency Register ID number (for organisations): **163164525963-44**

Country: Italy

E-mail address: presidente@peterpanonlus.it

Received contributions may be published on the Commission's website, with the identity of the contributor. Please state your preference:

- My contribution may be published under the name indicated; I declare that none of it is subject to copyright restrictions that prevent publication
- My contribution may be published but should be kept anonymous; I declare that none of it is subject to copyright restrictions that prevent publication
- I do not agree that my contribution will be published at all

**Please indicate whether you are replying as:**

- A citizen
- A business
- A non-governmental organisation (NGO)
- An industry association
- A patient group
- A healthcare professional organisation
- Academia or a research or educational institute
- A public authority
- Other (please specify)

**If you are a business, please indicate the size of your business**

- Self-employed
- Micro-enterprise (under 10 employees)
- Small enterprise (under 50 employees)
- Medium-sized enterprise (under 250 employees)
- Large company (250 employees or more)

**Please indicate the level at which your organisation is active:**

- Local
- National
- Across several countries
- EU
- Global

## 2. PART II – CONSULTATION ITEMS

*(You may choose not to reply to every consultation items)*

### 2.1. More medicines for children

**Consultation item No 1:** Do you agree that specific legislation supporting the development of paediatric medicines is necessary to guarantee evidence-based paediatric medicines?

L'esperienza ci ha dimostrato che il PMR, per quanto riguarda l'oncologia pediatrica, non ha prodotto i risultati sperati ed i bambini continuano ad essere curati con farmaci "off-label".

### 2.2. Mirroring paediatric needs

**Consultation item No 2:** Do you have any comments on the above? To what extent and in which therapeutic areas has the Regulation contributed to the availability of important new treatment options?

Noi riteniamo che norme più efficaci potrebbero incrementare la realizzazione di nuovi farmaci.

### 2.3. Availability of paediatric medicines in the EU

**Consultation item No 3:** In your experience, has the number of new paediatric medicines

available in Member States substantially increased? Have existing treatments been replaced by new licensed treatments?

No, perchè a fronte della possibilità di derogare all'obbligo di sviluppare farmaci esclusivamente dedicati all'infanzia, il 63% dei farmaci non è stato sviluppato né realizzato.

#### **2.4. Reasonable costs**

**Consultation item No 4:** Do you have any comments on the costs for pharmaceutical companies to comply with an agreed paediatric investigation plan?

Riteniamo che per le grandi case farmaceutiche I costi supplementari per lo sviluppo di farmaci ad uso pediatrico sono sostenibili. Ad ogni modo un incremento degli incentivi potrebbe rappresentare uno stimolo allo sviluppo di tali farmaci.

#### **2.5. Functioning reward system**

**Consultation item No 5:** Do you agree that the reward system generally functions well and that early, strategic planning will usually ensure that a company receives a reward?

I ritardi nell'erogazione degli incentivi scoraggiano le imprese che si impegnano nello sviluppo dei farmaci pediatrici.  
Inoltre, gli incentivi erogati per lo sviluppo dei farmaci pediatrici non devono dipendere dai risultati negativi di un farmaco studiato per gli adulti.

## 2.6. The orphan reward

**Consultation item No 6:** How do you judge the importance of the orphan reward compared to the SPC reward?

Non riteniamo che gli incentivi previsti dalla normativa per i farmaci orfani possano incoraggiare le industrie a sviluppare farmaci pediatrici.

## 2.7. Improved implementation

**Consultation item No 7:** Do you agree that the Regulation's implementation has improved over time and that some early problems have been solved?

Non riteniamo che l'implementazione del Regolamento sia migliorata perchè ancora oggi le aziende possono richiedere delle deroghe se la malattia a cui è destinato il farmaco non esiste tra i bambini.

## 2.8. Waivers and the 'mechanism of action' principle

**Consultation item No 8:** Do you have any comments on the above? Can you quantify and qualify missed opportunities in specific therapeutic areas in the last ten years?

Nello sviluppo di un nuovo farmaco il “meccanismo di azione” del farmaco stesso deve avere un ruolo preponderante rispetto alla destinazione della patologia da curare.

## 2.9. Deferrals

**Consultation item No 9:** Do you agree with the above assessment of deferrals?

I ritardi con cui vengono avviati i PIP fanno sì che quando il farmaco per gli adulti è disponibile, esso viene usato “off label” per l'infanzia.

## **2.10. Voluntary paediatric investigation plans**

**Consultation item No 10:** Do you have any comments on the above?

Riteniamo che il sistema dei PIP volontari non ha funzionato. Senza l'obbligo di legge e un incremento degli incentivi non si raggiungeranno gli obiettivi desiderati.

## **2.11. Biosimilars**

**Consultation item No 11:** Do you have any comments on the above?

## 2.12. PUMA — Paediatric-use marketing authorisation

**Consultation item No 12:** Do you share the view that the PUMA concept is a disappointment? What is the advantage of maintaining it? Could the development of off-patent medicines for paediatric use be further stimulated?

## 2.13. Scientifically valid and ethically sound — Clinical trials with children

**Consultation item No 13:** Do you have any comments on developments in clinical trials with children following the adoption of the Regulation and in view of the above discussion?

Poichè la popolazione infantile è particolarmente vulnerabile si deve prevedere la loro partecipazione attiva alle sperimentazioni cliniche, e che si tenga conto dell'opinione sia dei genitori che di enti di controllo appositamente creati.

Genitori e bambini devono avere la certezza che l'offerta di partecipare alle sperimentazioni sia fatta in piena onestà d'intenti e che ci sia quindi una rigorosa valutazione del rischio.

## **2.14. The question of financial sustainability**

**Consultation item No 14:** Do you have any views on the above and the fact that the paediatric investigation plan process is currently exempt from the fee system?

## **2.15. Positive impact on paediatric research in Europe**

**Consultation item No 15:** How do you judge the effects of the Paediatric Regulation on paediatric research?

Riteniamo che il Regolamento Pediatrico abbia favorito la diffusione delle informazioni e l'istituzione di reti di collaborazione.-



## 2.16. “Mirror, mirror on the wall” - Emerging trends and the future of paediatric medicines

**Consultation item No 16:** Are there any emerging trends that may have an impact on the development of paediatric medicines and the relevance of the Paediatric Regulation?

Se la formulazione del Regolamento tiene conto del “meccanismo d’azione” potrebbero esserci interessanti sviluppi.

## 2.17. Other issues to be considered

**Consultation item No 17:** Overall, does the Regulation’s implementation reflect your initial understanding/expectations of this piece of legislation? If not, please explain. Are there any other issues to be considered?

Favorire l’accesso degli adolescenti al sperimentazioni cliniche dedicate. Finanziare la ricerca in maniera più articolata nel tempo.

