

Trasparenza alla Food and Drug Administration¹

Nel suo primo giorno lavorativo Barak Obama produsse un memorandum che sollecitava a “creare un livello di trasparenza senza precedenti nel Governo”. Il Dipartimento della Salute (Department of Health and Human Services) accolse l’appello, e nel Giugno 2009 il nuovo commissario della Food and Drug Administration (FDA), la Dottoressa Margaret Hamburg, annunciò un’importante iniziativa di trasparenza. L’obiettivo era spiegare meglio le attività dell’FDA fornendo informazioni che supportassero la medicina clinica, l’innovazione biomedica e la salute pubblica. L’FDA già fornisce sostanziali informazioni sul processo regolatorio dei prodotti medici, come gli estesi report e sommari emessi sia prima che dopo l’approvazione di farmaci e dispositivi medici, ma molti aspetti del lavoro dell’FDA rimangono sconosciuti al pubblico.

Poca gente comprende alcuni aspetti essenziali del lavoro dell’Agenzia, come la maniera in cui, dopo l’approvazione dei prodotti medici, ne viene monitorata la sicurezza, oppure come funziona il processo di approvazione dei dispositivi per prodotti in varie categorie di rischio. Inoltre l’FDA non divulga di solito alcune informazioni, ad esempio se un prodotto o un dispositivo medico è in corso di sviluppo e la richiesta di approvazione viene ritirata dallo sponsor, se l’Agenzia ha sospeso uno studio, se l’Agenzia concorda con rapporti pubblicati da altri che riguardino un prodotto sotto esame dell’FDA ma ancora non approvato, o con quale motivazione non sia stata approvata l’immissione nel mercato di un dato prodotto. Né l’FDA pubblica regolarmente sul suo sito web i dati riguardanti le ispezioni delle strutture e i risultati delle ispezioni.

Attraverso la sua iniziativa di trasparenza l’FDA ha considerato un ampio ventaglio di opzioni per aumentare la trasparenza su questi ed altri aspetti del suo lavoro. Attraverso incontri pubblici, sessioni di ascolto, blog online e pubbliche richieste di collaborazione l’agenzia ha raccolto oltre 1500 commenti ed idee dal pubblico. Questi input sono stati valutati da una task force che comprendeva i leaders più autorevoli dell’Agenzia ed ha discusso la maniera di bilanciare al meglio le importanti - e spesso confliggenti - considerazioni di trasparenza e confidenzialità. Col supporto della Hamburg l’agenzia sta procedendo all’applicazione di una serie di modifiche e a proporre altre al pubblico dialogo.

Come primo passo, nel gennaio 2010 è stata prodotta una risorsa web chiamata “FDA Basics (www.fda.gov/fdabasics)”, che risponde a domande su come l’agenzia opera ad esempio nel campo dell’approvazione dei prodotti, nelle ispezioni o nel riportare gli eventi avversi. Il sito ha avuto finora oltre 165.000 visitatori.

Un secondo passo è stato fatto nell’aprile 2010, come parte dello sforzo di apertura e trasparenza del Dipartimento della salute. L’FDA ha lanciato un programma di pubblicizzazione delle performance che rende pubbliche, per lo più su base mensile, specifiche misure di produttività di più di 100 uffici dell’FDA (“FDA-TRACK” - www.fda.gov/Fdatrack). L’agenzia sta anche monitorando oltre 50 progetti chiave, come lo sviluppo di dispositivi medici che dovrebbero rispondere a bisogni di salute ancora non affrontati o la selezione di nuovi membri nell’advisory committee (comitato consultivo).

Il terzo passo è iniziato nel maggio 2010 con la diffusione di un report della Task Force sulla trasparenza (Transparency Task Force) contenente 21 bozze di proposte per espandere la pubblicizzazione delle informazioni prodotte dall’agenzia mantenendo la confidenzialità dei segreti industriali e dei dati individuali dei pazienti. (vedi box a parte)

Non tutte le proposte verranno necessariamente realizzate. Alcune richiederebbero modifiche di leggi o regolamenti, ed alcune un sostanziale assorbimento di risorse. L’Agenzia sta al momento accettando commenti pubblici riguardo al contenuto delle proposte e a quali dovrebbe essere data priorità. Se le proposte fossero adottate l’FDA renderebbe disponibili al pubblico un numero sostanzialmente maggiore di informazioni sul processo regolatorio. Ad esempio renderebbe pubblico quando un farmaco o un dispositivo viene studiato e per quali indicazioni, quando una richiesta di valutazione da parte dell’FDA è stata sottoposta o ritirata dallo sponsor, se ci siano stati rilevanti sospetti sulla sicurezza di farmaci o dispositivi che abbiano fatto sì che lo sponsor abbia

Esempi di proposte schematiche sottoposte al commento pubblico

Elaborato sulle decisioni dell'FDA

Nel momento in cui l'FDA emette un documento di rifiuto o richiede un supplemento di prove di efficacia in risposta ad una richiesta, l'Agenzia dovrebbe renderlo noto e contemporaneamente rendere noto il documento stesso (che include le motivazioni per tale atto)

Aumentare le possibilità d'accesso a dati rilevanti

L'agenzia dovrebbe rendere noti dei sommari sulla sicurezza e sull'efficacia dei prodotti in corso di valutazione o con richiesta di commercializzazione, in particolare se ritiene che ciò corregga informazioni fuorvianti riguardo al prodotto.

Rendere note le attività di controllo sul rispetto delle norme regolatorie

Per le ispezioni condotte su investigatori di trials clinici, commissioni di revisione, strutture che producano, processino, confezionino o detengano prodotti sottoposti al controllo FDA, l'agenzia dovrebbe rendere noti il nome dell'entità ispezionata, la data di ispezione, il tipo di prodotti interessati dall'ispezione, il risultato dell'ispezione (se è stata richiesta un'azione ufficiale, un'azione volontaria, o nessuna azione).

La diffusione di tali informazioni dovrebbe avere una tempistica tale da non interferire con le azioni previste per assicurare il rispetto delle norme regolatorie.

Sostenere l'innovazione

Se viene ritirata o non più sostenuta la richiesta di approvazione per un farmaco "orfano" o di uso "minore" (umano o veterinario), l'Agenzia dovrebbe render noto, se questo è il risultato della sua valutazione, che la richiesta non è stata ritirata per motivi di sicurezza e che il prodotto, se approvato, potrebbe rappresentare un progresso significativo per la terapia di una malattia rara o per la cura di una specie animale minore. L'Agenzia dovrebbe in questo caso precisare che la diffusione di tali valutazioni non significa necessariamente che una eventuale successiva richiesta di approvazione riguardante il prodotto verrà accettata o che il farmaco verrà approvato dall'FDA.

ritirato una richiesta, o perché l'Agenzia non abbia approvato una richiesta. Se un report pubblicato dallo sponsor fosse incompleto sulla sicurezza o efficacia di un prodotto, l'FDA sarebbe in grado di fornire la sua analisi per contribuire alla discussione.

La Task Force ritiene che realizzare alcune delle proposte accelererebbe lo sviluppo di prodotti medici consentendo alle Ditte di imparare dai successi e dai fallimenti degli altri prodotti. Una delle proposte consentirebbe ad esempio all'FDA di spiegare che una farmaco "orfano" del quale lo sponsor ha abbandonato o ritirato la richiesta per motivi commerciali, potrebbe rappresentare nondimeno un importante progresso terapeutico per una malattia rara. Questa informazione sarebbe di interesse sostanziale per le persone con tale malattia, i loro parenti ed i loro medici. Potrebbe anche incoraggiare nuovi investimenti per lo sviluppo di quel farmaco o incentivare un'altra ditta ad acquistare e sostenere a sua volta l'approvazione del farmaco da

parte dell'FDA. La Task Force sta anche proponendo un'ulteriore discussione pubblica sull'appropriata diffusione di alcuni dati grezzi (evitando l'identificazione dei pazienti) per consentire nuovi studi o nuovi approfondimenti sulla sicurezza ed efficacia di farmaci e dispositivi medici. Altre proposte richiedono che l'FDA diffonda i risultati di ogni ispezione che svolge nelle strutture, che riflettono, per ogni stabilimento, il grado di violazione delle leggi e regolamenti garantiscono la sicurezza dei prodotti regolati dall'FDA; oppure che l'FDA generi e condivida col pubblico informazioni sulle più comuni condizioni o pratiche deplorable trovate dallo staff dell'agenzia durante le ispezioni. Queste informazioni sarebbero utilissime ai consumatori e venditori di prodotti medici e alimenti. Più di 30 anni fa il commissario FDA Donald Kennedy dichiarò che "un principio di base del nostro sistema politico [è] che le persone interessate da decisioni governative hanno il diritto di conoscere le basi sulle quali sono state prese quelle decisioni". Dato che la pratica medica è quotidianamente interessata da decisioni dell'FDA, la comunità medica avrebbe grandi vantaggi dalla trasparenza dell'agenzia. L'intero set delle proposte è disponibile su www.fda.gov/transparency L'agenzia ha accettato suggerimenti sino al luglio 2010.

traduzione di

Luigi Lai

Cardiologo, Cagliari

1) Asamoah AK, Sharfstein JM. Transparency at the Food and Drug Administration. N Engl J Med 2010; 362:2341-2343. accessibile online <http://www.nejm.org/doi/pdf/10.1056/NEJMp1005202>