

Interrogazione con richiesta di risposta scritta E-002234/2024

alla Commissione

Articolo 144 del regolamento

Chiara Gemma (ECR), Sergio Berlato (ECR), Stefano Cavedagna (ECR), Alessandro Ciriani (ECR), Giovanni Crosetto (ECR), Elena Donazzan (ECR), Carlo Fidanza (ECR), Pietro Fiocchi (ECR), Alberico Gambino (ECR), Paolo Inselvini (ECR), Lara Magoni (ECR), Mario Mantovani (ECR), Giuseppe Milazzo (ECR), Denis Nesci (ECR), Michele Picaro (ECR), Daniele Polato (ECR), Nicola Procaccini (ECR), Ruggero Razza (ECR), Antonella Sberna (ECR), Marco Squarta (ECR), Francesco Torselli (ECR), Francesco Ventola (ECR), Mariateresa Vivaldini (ECR)

Oggetto: Commercializzazione farmaco Ryplazym in Europa

L'ipoplasminogenemia grave (HPG), o deficit di plasminogeno di tipo 1 (PLGD-1) è una malattia sistemica rara caratterizzata da un'anomala fibrinolisi extracellulare, con un'incidenza di 0,02 casi su 10 000 nell'UE, che si manifesta solitamente nella prima infanzia.

L'unico trattamento efficace è oggi possibile solo grazie al Ryplazim, un farmaco sperimentale già approvato nel 2019 dalla Food and Drug Administration americana e disponibile sul mercato americano da maggio 2024.

Il farmaco ha avuto un tale successo da permettere al produttore Kedrion di ricevere il prestigioso "Industry Innovation Award" dell'Organizzazione nazionale americana per le malattie rare (NORD).

Ciononostante l'adozione del Ryplazim non è stata ancora autorizzata dall'Agenzia europea per i medicinali (EMA) che, invece, nel 2015 ha concesso la designazione di medicinale orfano alla ProMetic BioTherapeutics Ltd per il plasminogeno umano, con parere EU/3/15/1511.

Il Ryplazim non potrà più essere utilizzato nelle strutture sanitarie nazionali, sostituito da terapie obsolete.

Alla luce di quanto esposto, può la Commissione rispondere ai seguenti quesiti:

1. Era a conoscenza di tale situazione?
2. Quali iniziative concrete ha intenzione di portare avanti nei confronti dell'EMA per permettere agli affetti da ipoplasminogenemia grave di accedere in piena sicurezza ai farmaci salvavita nella posologia necessaria alla terapia, anche quando sperimentale?

Presentazione: 23.10.2024