

Brusel 28. dubna 2023
(OR. en)

Interinstitucionální spis:
2023/0132(COD)

8759/23
ADD 7

SAN 217
PHARM 63
MI 340
COMPET 372
ENV 428
PI 51
CODEC 726
IA 84

PRŮVODNÍ POZNÁMKA

Odesílatel:	Martine DEPREZOVÁ, ředitelka, za generální tajemnici Evropské komise
Datum přijetí:	26. dubna 2023
Příjemce:	Thérèse BLANCHETOVÁ, generální tajemnice Rady Evropské unie
Č. dok. Komise:	SWD(2023) 193 final
Předmět:	PRACOVNÍ DOKUMENT ÚTVARŮ KOMISE SOUHRN ZPRÁVY O POSOUZENÍ DOPADŮ Souhrn zprávy o posouzení dopadů Průvodní dokument k návrhu směrnice Evropského parlamentu a Rady o kodexu Unie týkajícím se humánních léčivých přípravků a o zrušení směrnice 2001/83/ES a směrnice 2009/35/ES návrhu nařízení Evropského parlamentu a Rady, kterým se stanoví postupy Unie pro registraci humánních léčivých přípravků a dozor nad nimi a pravidla pro Evropskou agenturu pro léčivé přípravky, mění nařízení (ES) č. 1394/2007 a nařízení (EU) č. 536/2014 a zrušuje nařízení (ES) č. 726/2004, nařízení (ES) č. 141/2000 a nařízení (ES) č. 1901/2006

Delegace naleznou v příloze dokument SWD(2023) 193 final part2/2.

Příloha: SWD(2023) 193 final



EVROPSKÁ
KOMISE

V Bruselu dne 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

PRACOVNÍ DOKUMENT ÚTVARŮ KOMISE
SOUHRN ZPRÁVY O POSOUZENÍ DOPADŮ

Souhrn zprávy o posouzení dopadů

Průvodní dokument k

**návrhu směrnice Evropského parlamentu a Rady o kodexu Unie týkajícím se
humánních léčivých přípravků a o zrušení směrnice 2001/83/ES a směrnice 2009/35/ES**

**návrhu nařízení Evropského parlamentu a Rady, kterým se stanoví postupy Unie pro
registraci humánních léčivých přípravků a dozor nad nimi a pravidla pro Evropskou
agenturu pro léčivé přípravky, mění nařízení (ES) č. 1394/2007 a nařízení (EU)
č. 536/2014 a zrušuje nařízení (ES) č. 726/2004, nařízení (ES) č. 141/2000 a nařízení (ES)
č. 1901/2006**

{COM(2023) 192 final} - {COM(2023) 193 final} - {SEC(2023) 390 final} -
{SWD(2023) 191 final} - {SWD(2023) 192 final}

A. Potřeba opatření
V čem spočívá problém a proč se jedná o problém na úrovni EU?
Hodnocení právních předpisů týkajících se léčivých přípravků pro děti a pro vzácná onemocnění ukázalo, že obě nařízení během posledních 20 let účinně podporovala vývoj léčivých přípravků. Během doby, která uplynula od jejich přijetí, však došlo ke značnému vývoji a mnoha objevům ve vědě a ke globalizaci farmaceutického odvětví. Tyto změny, které nás přiměly zaměřit se na neuspokojené léčebné potřeby, přístup pacientů a rozpočtové dopady léčivých přípravků, vyžadují přezkum politických zásahů v oblasti vzácných onemocnění a léčivých přípravků pro děti. Hodnocení obou nařízení zveřejněné v roce 2020 odhalilo tyto problémy: 1. léčebné potřeby dětí a pacientů se vzácnými onemocněními nejsou dostatečně uspokojeny; 2. cena léčivých přípravků představuje problém pro zdravotnické systémy (cenová dostupnost); 3. pacienti nemají rovný přístup k léčivým přípravkům v celé EU; 4. systém není dostatečně uzpůsoben inovacím a vytváří zbytečnou zátěž. 1) Existuje více než 6 000 uznaných vzácných onemocnění a pro 95 % z nich dosud není žádná možnost léčby. Vývoj léčivých přípravků pro děti se stále řídí vývojem léčivých přípravků pro dospělé. Pokud se léčebné potřeby dospělých liší od potřeb dětí, je počet dostupných léčebných postupů omezený. 2) Rozhodnutí o stanovení cen a úhradách a výdaje na léčiva spadají do pravomoci členských států, tj. mimo oblast působnosti farmaceutických právních předpisů EU. Průměrná katalogová cena nových léčivých přípravků se zvyšuje, zejména u léčivých přípravků pro vzácná onemocnění. Vysoké ceny mají dopad na cenovou dostupnost a udržitelnost zdravotnických systémů. Pobídky poskytované právními předpisy oddalují vstup levnějších verzí přípravků (generických a biologicky podobných) na trh, což by jinak mohlo zlepšit cenovou dostupnost pro zdravotnické systémy. 3) Pouze asi polovina léčivých přípravků pro vzácná onemocnění na trhu je v současné době dostupná pacientům ve většině členských států a celkový přístup se v jednotlivých členských státech značně liší. To je horší situace než u standardních léčivých přípravků. Přístup dětí k léčivým přípravkům je často spojen s uvedením odpovídajícího přípravku pro dospělé na trh. 4) Vědecké pokroky, jako jsou léčivé přípravky pro moderní terapii a přístupy personalizované medicíny, již zlepšily cílenou léčbu pacientů trpících vzácnými onemocněními. Tyto nové přípravky zpochybnily stávající systém stanovení léčivého přípravku pro vzácná onemocnění, který specifikuje kritéria, jež musí přípravek splňovat, aby mohl být stanoven jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění. Nařízení o léčivých přípravcích pro pediatrické použití se navíc opírá o určité postupy (dohoda o plánu pediatrického výzkumu v rané fázi vývoje), které se někdy ukázaly jako zatěžující a neúčinné.
Čeho by mělo být dosaženo?
Obecným cílem této iniciativy je zajistit vysokou úroveň ochrany zdraví pro všechny občany EU a zaručit, aby děti a pacienti se vzácnými onemocněními měli přístup k cenově dostupným a vysoce kvalitním léčivým přípravkům a k bezpečným a účinným terapiím k řešení jejich léčebných potřeb.
Jakou přidanou hodnotu budou mít tato opatření na úrovni EU (subsidiarita)?
Očekává se, že iniciativa přinese významné zefektivnění tím, želepší systém pobídek, odměn

a povinností souvisejících s výzkumem a vývojem léčivých přípravků pro vzácná onemocnění a léčivých přípravků pro děti a pomůže zajistit, aby byly cenově dostupnější a přístupnější pro všechny pacienty v celé EU. Kromě toho by tato revize mohla posílit konkurenční fungování trhu prostřednictvím přezkumu dalších opatření k usnadnění vstupu generických a biologicky podobných léčivých přípravků na trh. To by zlepšilo přístup ze strany pacientů a cenovou dostupnost přípravků. Vzhledem k tomu, že trh s léčivými přípravky pro vzácná onemocnění a pro děti je malý i ve větších členských státech EU, úspěch bude mít pravděpodobně pouze harmonizovaný přístup na úrovni EU. Navrhovaná intervence bude v souladu s ostatními evropskými a vnitrostátními opatřeními.

B. Řešení

Prostřednictvím kterých možností lze cílů dosáhnout? Je některá možnost upřednostňována? Pokud ne, proč?

Nařízení o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění. Všechny možnosti jsou doplněny o soubor společných prvků zajišťujících rychlejší zavádění generických léčivých přípravků, opatření k udržení léčivých přípravků pro vzácná onemocnění na trhu, opatření vytvářejících nezbytnou flexibilitu pro zohlednění technologického a vědeckého pokroku a zjednodušení postupů.

Možnost A: zachovává desetileté výhradní postavení na trhu a doplňuje poukazy na přípravky, které řeší vysokou neuspokojenou potřebu pacientů. Tento poukaz umožňuje prodloužení období regulační ochrany o jeden rok a může být prodán jiné společnosti nebo použit na přípravek v portfoliu této společnosti. **Možnost B:** ruší stávající desetileté období výhradního postavení na trhu. **Možnost C:** stanoví *proměnlivou* dobu trvání výhradního postavení na trhu v délce 10, 9 nebo 5 let v závislosti na typu léčivého přípravku pro vzácná onemocnění (řešení vysoké neuspokojené potřeby, nová účinná látka, dobře zavedené použití). Pokud je léčivý přípravek, který řeší vysokou neuspokojenou potřebu nebo obsahuje novou účinnou látku, zpřístupněn ve všech příslušných členských státech, je výhradní postavení na trhu pro tyto přípravky prodlouženo o jeden rok.

Upřednostňovanou možností je **možnost C**.

Nařízení o léčivých přípravcích pro pediatrické použití. Všechny možnosti jsou doplněny o soubor společných prvků, které podporují vývoj přípravků k řešení neuspokojených léčebných potřeb dětí a racionalizují a v případě potřeby zjednodušují postupy pro dohodu o tom, které klinické studie musí být u dětí provedeny. Záměrem je lépe se přizpůsobit inovacím ve vědě a urychlit postupy, aby byly přípravky pro děti dostupné rychleji.

Možnost A: šestiměsíční prodloužení platnosti práva duševního vlastnictví (dodatkové ochranné osvědčení) bude zachováno pro všechny léčivé přípravky, u nichž se zkoumá možnost použití u dětí. V případě léčivých přípravků, které řeší neuspokojené potřeby dětí, dodatečná odměna ve formě *bud'* dalšího prodloužení platnosti dodatkového ochranného osvědčení o šest měsíců, *nebo* poukaz na prodloužení doby regulační ochrany o jeden rok, který lze prodat jiné společnosti nebo použít na přípravek v portfoliu této společnosti. **Možnost B:** prodloužení platnosti dodatkového ochranného osvědčení o šest měsíců bude zrušeno. **Možnost C:** prodloužení platnosti dodatkového ochranného osvědčení o šest měsíců zůstane zachováno.

Upřednostňovanou možností je **možnost C**.

Jaké jsou názory jednotlivých zúčastněných stran? Kdo podporuje kterou možnost?

Nařízení o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění. Všechny zúčastněné strany souhlasí s

tím, že je třeba i nadále podporovat vývoj léčivých přípravků pro vzácná onemocnění zvláštními pobídkami, neboť jinak by mohlo dojít k opětovnému selhání trhu. Veřejné orgány a organizace pacientů se rozhodly pro diferenciaci stávajících hlavních pobídek, jak je uvedeno v možnosti C. Farmaceutické odvětví by mohlo podpořit úpravu pobídek, nikoli však jejich celkové zkrácení. Odvětví navrhuje zavést dodatečné pobídky ve srovnání se současnou situací nebo pobídky nové, jako je převoditelný poukaz na exkluzivitu. Odvětví rovněž zdůraznilo, že je třeba, aby stávající nařízení zůstalo stabilní a aby byla zajištěna předvídatelnost v podobě stávajících kritérií pro stanovení léčivého přípravku pro vzácná onemocnění, jelikož investiční rozhodnutí jsou přijímána dlouho předtím, než bude možné získat pobídky na úspěšný vývoj.

Nařízení o léčivých přípravcích pro pediatrické použití. Všechny zúčastněné strany obecně podporují potřebu zachovat stávající povinnost zkoumat u všech nových léčivých přípravků možnost jejich použití u dětí. Farmaceutické odvětví a akademická obec obecně vítají zlepšení postupů. Prodloužení platnosti dodatkového ochranného osvědčení o kratší dobu nepodporuje žádná skupina zúčastněných stran. Odvětví upřednostňuje zachování stávajícího systému, ale rovněž vyzvalo k zavedení dodatečných odměn na podporu specifického vývoje v oblastech neuspokojených léčebných potřeb dětí. Veřejné orgány uznávají potřebu lépe identifikovat neuspokojené léčebné potřeby u dětí a uznávají, že stávající systém povinností a odměn funguje poměrně dobře, ale byly znepokojeny zavedením nových odměn a jejich následným dopadem na udržitelnost vnitrostátních zdravotnických systémů.

C. Dopady upřednostňované možnosti

Jaké jsou výhody upřednostňované možnosti (je-li nějaká doporučena, jinak uveďte výhody hlavních možností)?

Nařízení o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění. Upřednostňovaná možnost C zlepšuje kvalitu života pacientů trpících těmito onemocněními a jejich rodin, jelikož pacienti budou mít v průměru k dispozici další 1–2 nové léčivé přípravky ročně, zejména v oblastech, kde v současné době není dostupná žádná léčba. Společnosti vyvíjející originální léčivé přípravky budou profitovat díky prodloužení výhradního postavení na trhu, pokud jde o léčivé přípravky, které řeší vysokou neuspokojenou léčebnou potřebu. Společnosti vyvíjející generické léčivé přípravky budou těžit z dřívějšího a předvídatelnějšího vstupu na trh. Kromě toho by se měla zvýšit předvídatelnost pro výrobce generických léčivých přípravků, jelikož budou moci uvést svůj přípravek na trh v den, kdy vyprší výhradní postavení na trhu. Pacienti budou mít lepší přístup díky dřívějšímu vstupu generických léčivých přípravků na trh, což rovněž sníží náklady zdravotnických systémů členských států. Zjednodušující opatření by ušetřila 3,3 milionu EUR ročně na administrativních nákladech. Konkrétní pobídky pro léčivé přípravky, které řeší vysokou neuspokojenou léčebnou potřebu, podpoří inovace a měly by přesměrovat investice určené na výzkum do těch oblastí, kde je jich nejvíce zapotřebí, a tím posílí konkurenceschopnost.

Nařízení o léčivých přípravcích pro pediatrické použití. Upřednostňovaná možnost C zvýší počet léčivých přípravků pro děti, což zlepšuje kvalitu života dětí i jejich rodin. Tato možnost podpoří vývoj přípravků, které řeší neuspokojené potřeby dětí, prostřednictvím jasných kritérií pro identifikaci těchto přípravků. Zavádí rovněž požadavek, aby u přípravků vyvinutých pouze pro dospělé byly zkoumány i možnosti jejich použití u dětí, pokud by na základě vědeckých důkazů mohly být účinné proti onemocnění u dětí. Díky procedurálním zjednodušením a úpravám bude systém vstřícnější k inovacím a povede k rychlejšímu dokončení plánu pediatrického výzkumu a registrace léčivých přípravků. Zkoumání použití určitého léčivého přípravku u dětí bude možné odložit pouze o maximálně pět let (v současné době neexistuje

žádný limit), a proto se přípravky dostanou k dětem rychleji než dnes.
Jaké jsou náklady na upřednostňovanou možnost (je-li nějaká doporučena, jinak uveďte náklady na hlavní možnosti)?
Rychlejší vstup generických léčivých přípravků na trh povede k určitým ztrátám pro společnost vyvíjející originální léčivé přípravky. Celkově však bude systém vyváženější, zajistí lepší přístup k cenově dostupnějším léčivým přípravkům a zároveň bude směřovat pobídky tam, kde jsou nejvíce zapotřebí, a podpoří tak inovace.
Jaké budou dopady na malé a střední podniky?
Procedurální zlepšení (např. zjednodušení a zvýšená podpora ze strany Evropské agentury pro léčivé přípravky) a snížení administrativní zátěže budou obzvláště důležité pro malé a střední podniky vzhledem k malému rozsahu jejich podnikání. Kromě toho budou mít malé a střední podniky i nadále prospěch ze snížení poplatků za postupy agentury. Vzhledem k tomu, že malé a střední podniky v oblasti vzácných onemocnění často začínají zavádět inovativní koncepty (stanovení léčivých přípravků pro vzácná onemocnění), měly by mít prospěch z úpravy doby platnosti výhradního postavení na trhu, která odměňuje přípravky, jež řeší vysokou neuspokojenou léčebnou potřebu.
Očekávají se významné dopady na vnitrostátní rozpočty a správní orgány?
Neočekávají se žádné významné náklady pro vnitrostátní zdravotnické systémy. Vzhledem k tomu, že se vyvíjí více přípravků, očekává se, že vnitrostátním zdravotnickým systémům vzniknou dodatečné náklady spojené s úhradami, což však bude vyváжено úsporami plynoucími z rychlejšího vstupu generických léčivých přípravků na trh.
Očekávají se jiné významné dopady?
Očekává se, že tato iniciativa bude mít pozitivní dopad na veřejné zdraví a společnost jako celek. Měla by zajistit, aby pacienti měli prostřednictvím zvýšeného počtu přípravků pro vzácná onemocnění a pro děti k dispozici nová terapeutická řešení, zejména v oblastech, kde léčba dosud neexistuje. V rámci Farmaceutické strategie pro Evropu bude mít revize právních předpisů týkajících se léčivých přípravků pro vzácná onemocnění a pro pediatrické použití a obecných farmaceutických právních předpisů kumulativní pozitivní dopad na přístup k léčivým přípravkům a jejich cenovou dostupnost pro všechny pacienty a na udržitelnost zdravotnických systémů.
Proporционаlita
Žádná z možností revize nařízení o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění nebo pro pediatrické použití nepřekračuje rámec toho, co je nezbytné pro dosažení cílů. Iniciativa je omezena na aspekty, jichž nemohou členské státy dosáhnout uspokojivě samy a jimiž se může lépe zabývat EU. Upřednostňované možnosti jsou přiměřené vzhledem k tomu, že vycházejí z pilířů zavedeného systému a udržují je a navrhuji cílené úpravy, a vzhledem k očekávaným přínosům pro pacienty, zdravotnické systémy a farmaceutické odvětví.
D. Návazná opatření
Kdy bude tato politika přezkoumána?
Vývoj nových léčivých přípravků pro vzácná onemocnění může být dlouhý proces a dokončení plánu klinického vývoje léčivých přípravků pro děti může trvat až 10–15 let. Pobídky a odměny proto plní svůj účinek řadu let po datu registrace. Přínos pro pacienty je rovněž třeba měřit po dobu nejméně 5–10 let od registrace léčivého přípravku. Komise má v úmyslu iniciativu pravidelně přezkoumávat. Smysluplné hodnocení výsledků revidovaných

právních předpisů však bude možné provést nejdříve 15 let po jejich vstupu v platnost.