



Consejo de la
Unión Europea

Bruselas, 28 de abril de 2023
(OR. en)

**Expediente interinstitucional:
2023/0132(COD)**

**8759/23
ADD 7**

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

NOTA DE TRANSMISIÓN

De:	Por la secretaria general de la Comisión Europea, D. ^a Martine DEPREZ, directora
Fecha de recepción:	26 de abril de 2023
A:	D. ^a Thérèse BLANCHET, secretaria general del Consejo de la Unión Europea
N.º doc. Ción.:	SWD(2023) 193 final
Asunto:	DOCUMENTO DE TRABAJO DE LOS SERVICIOS DE LA COMISIÓN RESUMEN DEL INFORME DE LA EVALUACIÓN DE IMPACTO Resumen del informe de la evaluación de impacto que acompaña a los documentos Directiva del Parlamento Europeo y del Consejo por la que se establece un código de la Unión sobre medicamentos para uso humano y por la que se derogan la Directiva 2001/83/CE y la Directiva 2009/35/CE Reglamento del Parlamento Europeo y del Consejo por el que se establecen los procedimientos de la Unión para la autorización y el control de los medicamentos de uso humano, se establecen las normas por las que se rige la Agencia Europea de Medicamentos, se modifican el Reglamento (CE) n.º 1394/2007 y el Reglamento (UE) n.º 536/2014 y se derogan el Reglamento (CE) n.º 726/2004, el Reglamento (CE) n.º 141/2000 y el Reglamento (CE) n.º 1901/2006

Adjunto se remite a las Delegaciones el documento – SWD(2023) 193 final.

Adj.: SWD(2023) 193 final

Bruselas, 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

**DOCUMENTO DE TRABAJO DE LOS SERVICIOS DE LA COMISIÓN
RESUMEN DEL INFORME DE LA EVALUACIÓN DE IMPACTO**

Resumen del informe de la evaluación de impacto

que acompaña a los documentos

Directiva del Parlamento Europeo y del Consejo por la que se establece un código de la Unión sobre medicamentos para uso humano y por la que se derogan la Directiva 2001/83/CE y la Directiva 2009/35/CE

Reglamento del Parlamento Europeo y del Consejo por el que se establecen los procedimientos de la Unión para la autorización y el control de los medicamentos de uso humano, se establecen las normas por las que se rige la Agencia Europea de Medicamentos, se modifican el Reglamento (CE) n.º 1394/2007 y el Reglamento (UE) n.º 536/2014 y se derogan el Reglamento (CE) n.º 726/2004, el Reglamento (CE) n.º 141/2000 y el Reglamento (CE) n.º 1901/2006

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

A. Necesidad de actuar

¿Cuál es el problema y por qué es un problema en la UE?

La evaluación de la legislación sobre medicamentos pediátricos y para enfermedades raras ha puesto de manifiesto que los dos Reglamentos vigentes han fomentado eficazmente el desarrollo de medicamentos en los últimos veinte años. Sin embargo, desde su adopción se han producido avances y descubrimientos de gran alcance en la ciencia y una globalización del sector farmacéutico. Estos cambios, que han centrado la atención en las necesidades médicas no satisfechas, el acceso de los pacientes y las repercusiones presupuestarias de los medicamentos, requieren una revisión de la intervención política en el ámbito de las enfermedades raras y los medicamentos pediátricos.

En la evaluación de los dos Reglamentos, publicada en 2020, se detectaron los siguientes problemas:

1. las necesidades médicas de los niños y los pacientes con enfermedades raras no se satisfacen de forma suficiente;
2. el precio de los medicamentos constituye un desafío para los sistemas sanitarios (asequibilidad);
3. los pacientes tienen un acceso desigual a los medicamentos en la UE;
4. el sistema no acoge adecuadamente las innovaciones y crea cargas innecesarias.

1) De las más de 6 000 enfermedades raras reconocidas, el 95 % aún no disponen de ninguna opción de tratamiento. El desarrollo de medicamentos pediátricos sigue estando impulsado por el desarrollo de medicamentos para adultos. Cuando las necesidades terapéuticas de los adultos difieren de las de los niños, el número de tratamientos disponibles es limitado.

2) Las decisiones sobre fijación de precios y reembolsos y los gastos farmacéuticos son competencias nacionales, fuera del ámbito de aplicación de la legislación farmacéutica de la UE. El precio medio de catálogo de los nuevos medicamentos está aumentando, especialmente en el caso de los medicamentos huérfanos. Los elevados precios repercuten en la asequibilidad y la sostenibilidad de los sistemas sanitarios. Los incentivos que ofrece la legislación retrasan la entrada en el mercado de versiones más baratas de productos (genéricos y biosimilares) que, de otro modo, podrían mejorar la asequibilidad de los sistemas sanitarios.

3) Solo alrededor de la mitad de los medicamentos huérfanos comercializados son actualmente accesibles para los pacientes en la mayoría de los Estados miembros y el acceso global varía considerablemente de un Estado miembro a otro. La situación es peor en este aspecto que en el caso de los medicamentos estándar. El acceso de los niños a los medicamentos suele estar vinculado al lanzamiento del producto correspondiente para adultos.

4) Los avances científicos, como los medicamentos de terapia avanzada y los enfoques de medicina personalizada, ya han mejorado los tratamientos específicos para pacientes que padecen enfermedades raras. Estos nuevos productos han puesto en tela de juicio el actual sistema de declaración de medicamentos huérfanos, que especifica los criterios que debe cumplir un producto para recibir una declaración de medicamento huérfano. Además, el Reglamento sobre medicamentos pediátricos se basa en determinados procedimientos (aprobación de un plan de investigación pediátrica en una fase temprana de desarrollo) que, en ocasiones, han resultado ser onerosos e ineficientes.

¿Qué se pretende conseguir?

El objetivo general de esta iniciativa es garantizar un elevado nivel de protección de la salud de todos los ciudadanos de la UE y garantizar que los niños y los pacientes con enfermedades raras tengan acceso a medicamentos asequibles de alta calidad y a terapias seguras y eficaces

para satisfacer sus necesidades médicas.

¿Cuál es el valor añadido de la actuación a nivel de la UE (subsidiariedad)?

Se espera que la iniciativa aporte una eficiencia significativa al mejorar el sistema de incentivos, recompensas y obligaciones relacionados con la investigación y el desarrollo de medicamentos huérfanos y pediátricos, y al ayudar a hacerlos más asequibles y accesibles para todos los pacientes en la UE. Además, esta revisión podría mejorar el funcionamiento competitivo del mercado mediante la revisión de otras medidas para facilitar la entrada en el mercado de medicamentos genéricos y biosimilares. Esto mejoraría el acceso de los pacientes y la asequibilidad. Dado que el mercado de medicamentos para enfermedades raras y para niños es pequeño incluso en los Estados miembros más grandes de la UE, lo más probable es que solo tenga éxito un enfoque armonizado a escala de la UE. La intervención propuesta será coherente con otras medidas europeas y nacionales.

B. Soluciones

¿Cuáles son las distintas opciones posibles para alcanzar los objetivos? ¿Existe o no una opción preferida? En caso negativo, ¿por qué?

El Reglamento sobre medicamentos huérfanos. Todas las opciones se complementan con un conjunto de elementos comunes que garantizan una introducción más rápida de los medicamentos genéricos, medidas para mantener los medicamentos huérfanos en el mercado, medidas que crean la flexibilidad necesaria para responder a los avances tecnológicos y científicos y la simplificación de los procedimientos.

Opción A: mantiene los diez años de exclusividad en el mercado y añade un bono para los productos que abordan una necesidad médica no satisfecha importante. El bono permite prorrogar por un año el período de protección normativa y puede venderse a otra empresa o utilizarse para un producto de su cartera. **Opción B:** suprime el actual período de exclusividad en el mercado de diez años. **Opción C:** prevé una duración *variable* del período de exclusividad en el mercado de diez, nueve o cinco años, basada en el tipo de medicamento huérfano (para necesidades médicas no satisfechas importantes, nuevas sustancias activas y aplicaciones de uso bien establecido, respectivamente). Si en todos los Estados miembros pertinentes se hace accesible un medicamento para necesidades médicas no satisfechas importantes o que contiene una nueva sustancia activa, la exclusividad en el mercado se prorroga un año para esos productos.

La opción preferida es la **opción C**.

El Reglamento sobre medicamentos pediátricos. Todas las opciones se complementan con un conjunto de elementos comunes que promueven el desarrollo de productos que abordan las necesidades médicas no satisfechas de los niños, al racionalizar y, en caso necesario, simplificar los procedimientos para acordar qué estudios clínicos deben realizarse en niños. La intención es incorporar mejor las innovaciones científicas y acelerar los procedimientos, a fin de que los productos sean accesibles a los niños con mayor rapidez.

Opción A: la prórroga de seis meses del derecho de propiedad intelectual e industrial (certificado complementario de protección) se mantendrá para todos los medicamentos para los que se estudia su uso en niños. En el caso de los medicamentos destinados a satisfacer necesidades infantiles no satisfechas, una recompensa adicional en forma de una prórroga adicional de seis meses del certificado complementario de protección o de un bono para una prórroga de un año del período de protección normativa, que puede venderse a otra empresa o utilizarse para un producto de su cartera. **Opción B:** se suprimirá la prórroga de seis meses del

certificado complementario de protección. **Opción C:** se mantendrá la prórroga de seis meses del certificado complementario de protección.

La opción preferida es la **opción C**.

¿Cuáles son las opiniones de las distintas partes interesadas? ¿Quién apoya cada opción?

El Reglamento sobre medicamentos huérfanos. Todas las partes interesadas coinciden en la necesidad de seguir apoyando el desarrollo de medicamentos para enfermedades raras con incentivos específicos, ya que, de lo contrario, podría volver a producirse un fallo del mercado. Las autoridades públicas y las organizaciones de pacientes optan por una diferenciación del principal incentivo actual, como se refleja en la opción C. La industria farmacéutica podría apoyar la modulación de los incentivos, pero no su reducción general. La industria propuso la introducción de incentivos adicionales en comparación con la situación actual o de un incentivo novedoso como un bono transferible de exclusividad de datos. La industria también ha destacado la necesidad de que el Reglamento actual se mantenga estable y, en aras de la previsibilidad, con los actuales criterios de declaración de medicamentos huérfanos, ya que las decisiones de inversión se toman mucho antes de que puedan adquirirse los incentivos para un desarrollo satisfactorio.

El Reglamento sobre medicamentos pediátricos. En general, todas las partes interesadas apoyan la necesidad de mantener la obligación existente de estudiar todos los nuevos medicamentos para uso pediátrico. En general, la industria farmacéutica y el mundo académico acogen favorablemente las mejoras de los procedimientos. La reducción de la prórroga del certificado complementario de protección no cuenta con el apoyo de ningún grupo de partes interesadas. La industria es partidaria del mantenimiento del sistema existente, pero también ha pedido que se introduzcan recompensas adicionales para apoyar avances específicos en ámbitos en los que no se satisfacen las necesidades médicas de los niños. Las autoridades públicas reconocen la necesidad de determinar mejor las necesidades médicas pediátricas no satisfechas y reconocen que el actual sistema de obligaciones y recompensas ha funcionado relativamente bien, pero se mostraron preocupadas por la introducción de recompensas novedosas y su consiguiente impacto en la sostenibilidad de los sistemas sanitarios nacionales.

C. Repercusiones de la opción preferida

¿Cuáles son las ventajas de la opción preferida (o, en su defecto, de las opciones principales)?

El Reglamento sobre medicamentos huérfanos. La opción C preferida mejorará la calidad de vida de los pacientes que padecen estas enfermedades y de sus familias, ya que los pacientes se beneficiarán, por término medio, de uno o dos nuevos medicamentos adicionales al año, en particular en ámbitos en los que actualmente no se dispone de tratamiento. Las empresas originadoras se beneficiarán de la ampliación de la exclusividad en el mercado de los medicamentos que abordan una necesidad médica no satisfecha importante. Las empresas de medicamentos genéricos se benefician de una entrada en el mercado más temprana y previsible. Además, la previsibilidad para los productores de medicamentos genéricos debería aumentar, al poder comercializar su producto en la fecha en que expira la exclusividad en el mercado. Los pacientes tendrán un mayor acceso debido a la entrada más temprana en el mercado de medicamentos genéricos, lo que también reducirá los costes para los sistemas sanitarios de los Estados miembros. Las medidas de simplificación ahorrarían 3,3 millones EUR al año en costes administrativos. Los incentivos específicos para los medicamentos que abordan una necesidad médica no satisfecha importante promoverán la innovación y deberían reorientar la inversión en investigación hacia los ámbitos en los que más se necesita y, por lo

tanto, impulsarán la competitividad.

El Reglamento sobre medicamentos pediátricos. La opción C preferida aumentará el número de medicamentos pediátricos, lo que mejorará la calidad de vida de los niños y de sus familias. Esta opción fomentará el desarrollo de productos que abordan necesidades médicas no satisfechas de los niños a través de criterios claros para identificar dichos productos. También introduce el requisito de que los productos desarrollados únicamente para adultos se estudien también en niños cuando, sobre la base de pruebas científicas, puedan ser eficaces contra una enfermedad infantil. Las simplificaciones y ajustes de procedimiento harán que el sistema sea más favorable a la innovación y conducirán a una finalización más rápida del plan de investigación pediátrica y la autorización de medicamentos. Solo será posible aplazar el estudio del uso de un medicamento en niños hasta cinco años (actualmente no hay límite), por lo que los productos llegarán a los niños más rápidamente que en la actualidad.

¿Cuáles son los costes de la opción preferida (o, en su defecto, de las opciones principales)?

Una entrada más rápida en el mercado de los medicamentos genéricos dará lugar a algunas pérdidas para las empresas originadoras. En general, sin embargo, el sistema será más equilibrado, garantizando un mejor acceso a medicamentos más asequibles, dirigiendo al mismo tiempo los incentivos allí donde sean más necesarios y promoviendo así la innovación.

¿Cuáles son las repercusiones para las pequeñas y medianas empresas (pymes)?

Las mejoras de procedimiento (como la simplificación y el mayor apoyo de la Agencia Europea de Medicamentos) y la reducción de la carga administrativa serán especialmente importantes para las pymes, dado el pequeño tamaño de sus empresas. Además, las pymes seguirán beneficiándose de la reducción de las tasas relativas a los procedimientos de la Agencia. Teniendo en cuenta que las pymes activas en el ámbito de las enfermedades raras a menudo inician conceptos innovadores (declaraciones de medicamento huérfano), deben beneficiarse de la modulación de la duración de la exclusividad en el mercado, para recompensar los productos que responden a una necesidad médica no satisfecha importante.

¿Habrá repercusiones significativas en los presupuestos y las administraciones nacionales?

No se esperan costes significativos para los sistemas sanitarios nacionales. A medida que se desarrollen más productos, se espera que los sistemas sanitarios nacionales incurran en costes adicionales relacionados con los reembolsos, pero esto se verá compensado por el ahorro derivado de una entrada más rápida en el mercado de medicamentos genéricos.

¿Habrá otras repercusiones significativas?

Se espera que esta iniciativa tenga repercusiones positivas para la salud pública y para la sociedad en su conjunto. Debe garantizar que las nuevas soluciones terapéuticas sean accesibles a los pacientes a través de un mayor número de productos para enfermedades raras y para niños, en particular en ámbitos en los que no existe tratamiento. En el marco de la Estrategia Farmacéutica para Europa, la revisión de la legislación sobre medicamentos huérfanos y pediátricos y de la legislación farmacéutica general tendrá repercusiones positivas acumulativas para el acceso y la asequibilidad de los medicamentos para todos los pacientes y para la sostenibilidad de los sistemas sanitarios.

¿Proporcionalidad?

Ninguna de las opciones para la revisión del Reglamento sobre medicamentos huérfanos o el Reglamento para medicamentos pediátricos va más allá de lo necesario para alcanzar los objetivos. La iniciativa se limita a aquellos aspectos que los Estados miembros no pueden

alcanzar satisfactoriamente por sí solos y en los que la UE lo puede hacer mejor. Las opciones preferidas son proporcionadas, ya que se basan en los pilares de un sistema establecido y los mantienen, y proponen ajustes específicos, y habida cuenta de los beneficios previstos para los pacientes, los sistemas sanitarios y la industria.

D. Seguimiento

¿Cuándo se revisará la política?

El desarrollo de nuevos medicamentos huérfanos puede ser un proceso largo y la finalización de un plan de desarrollo clínico para medicamentos pediátricos puede durar hasta entre diez y quince años. Por lo tanto, los incentivos y las recompensas ejercen su efecto muchos años después de la fecha de autorización de comercialización. El beneficio para los pacientes también debe medirse a lo largo de un período de al menos entre cinco y diez años después de la autorización de un medicamento. La Comisión tiene la intención de revisar periódicamente la iniciativa. Sin embargo, solo será posible realizar una evaluación significativa de los resultados de la legislación revisada después de al menos quince años a partir de la fecha de su entrada en vigor.