



Euroopan unionin
neuvosto

Bryssel, 28. huhtikuuta 2023
(OR. en)

08759/23
ADD 7

Toimielinten välinen asia:
2023/0132(COD)

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

SAATE

Lähettiläjä:	Euroopan komission pääsihteeri, allekirjoittajana johtaja Martine DEPREZ
Saapunut:	26. huhtikuuta 2023
Vastaanottaja:	Thérèse BLANCHET, Euroopan unionin neuvoston pääsihteeri
Kom:n asiak. nro:	SWD(2023) 193 final
Asia:	KOMISSION YKSIKÖIDEN VALMISTELUASIAKIRJA TIIVISTELMÄ VAIKUTUSTENARVIOINNISTA Tiivistelmä vaikutustenarvioinnista Oheisasiakirja ehdotukseen Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiiviksi ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista unionin säännöistä sekä direktiivin 2001/83/EY ja direktiivin 2009/35/EY kumoamisesta ehdotukseen Euroopan parlamentin ja neuvoston asetukseksi ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista unionin lupa- ja valvontamenettelyistä ja Euroopan lääkevirastoa koskevista säännöistä, asetuksen (EY) N:o 1394/2007 ja asetuksen (EU) N:o 536/2014 muuttamisesta sekä asetuksen (EY) N:o 726/2004, asetuksen (EY) N:o 141/2000 ja asetuksen (EY) N:o 1901/2006 kumoamisesta

Valtuuskunnille toimitetaan oheisena asiakirja SWD(2023) 193 final.

Liite: SWD(2023) 193 final

Bryssel 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

KOMISSION YKSIKÖIDEN VALMISTELUASIAKIRJA
TIIVISTELMÄ VAIKUTUSTENARVIOINNISTA

Tiivistelmä vaikutustenarvioinnista

Oheisasiakirja

ehdotukseen Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiiviksi ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista unionin säännöistä sekä direktiivin 2001/83/EY ja direktiivin 2009/35/EY kumoamisesta

ehdotukseen Euroopan parlamentin ja neuvoston asetukseksi ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista unionin lupa- ja valvontamenettelyistä ja Euroopan lääkevirastoa koskevista säännöistä, asetuksen (EY) N:o 1394/2007 ja asetuksen (EU) N:o 536/2014 muuttamisesta sekä asetuksen (EY) N:o 726/2004, asetuksen (EY) N:o 141/2000 ja asetuksen (EY) N:o 1901/2006 kumoamisesta

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

A. Toimenpiteen tarve
Mikä on ongelma ja miksi se on ongelma EU:n tasolla?
Lastenlääkkeitä ja harvinaisiin sairauksiin tarkoitettuja lääkkeitä koskevan lainsäädännön arviointi on osoittanut, että asianomaiset kaksi asetusta ovat edistäneet tehokkaasti lääkkeiden kehittämistä viimeisten 20 vuoden aikana. Asetusten antamisen jälkeen tieteessä on kuitenkin tapahtunut monenlaista kehitystä, on tehty keksintöjä ja lääkeala on globaalistunut. Nämä muutokset, joiden myötä huomio on kiinnittynyt täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin, saatavuuteen potilaiden kannalta ja lääkkeiden talousarviovaikutuksiin, edellyttävät harvinaisia sairauksia ja lastenlääkkeitä koskevien politiikkatoimien uudelleentarkastelua. Vuonna 2020 julkaistussa kyseisten asetusten arvioinnissa määritettiin seuraavat ongelmat: 1. lasten ja harvinaisia sairauksia sairastavien potilaiden lääketieteellisiä tarpeita ei täytetä riittävällä tavalla; 2. lääkkeiden hinta on haaste terveydenhuoltojärjestelmille (kohtuuhintaisuus); 3. potilaiden mahdollisuudet saada lääkkeitä ovat epätasa-arvoiset eri puolilla EU:ta; 4. järjestelmä ei mukaudu riittävän hyvin innovointiin ja luo tarpeetonta rasitetta. 1) Yli 6 000:sta harvinaissairaudeksi luokitellusta taudista 95 prosenttiin ei ole edelleenkään hoitoa. Lastenlääkkeiden kehittäminen pohjautuu edelleen aikuisille tarkoitettujen lääkkeiden kehittämiseen. Kun lasten hoitotarpeet poikkeavat aikuisten tarpeista, lapsille on saatavilla hoitoja rajallisesti. 2) Hinnoittelu- ja korvattavuuspäätökset sekä lääkemenot kuuluvat jäsenvaltioiden toimivaltaan, joten ne eivät sisälly EU:n lääkelainsäädännön soveltamisalaan. Uusien lääkkeiden, erityisesti harvinaislääkkeiden, keskimääräiset listahinnat ovat nousussa. Lääkkeiden korkeat hinnat nostavat terveydenhuoltojärjestelmien kustannuksia ja heikentävät niiden kestävyyttä. Lainsäädännön tarjoamat kannustimet viivästyttävät halvempien valmisteiden (rinnakkaisvalmisteiden ja biosimilaarien) markkinoille tuloa, vaikka ne voisivat kohtuullistaa terveydenhuoltojärjestelmien kustannuksia. 3) Vain noin puolet markkinoilla olevista harvinaislääkkeistä on tällä hetkellä potilaiden saatavilla useimmissa jäsenvaltioissa, ja saatavuus vaihtelee huomattavasti jäsenvaltiosta toiseen. Tilanne on huonompi kuin tavanomaisten lääkkeiden kohdalla. Lääkkeiden saatavuus lapsille on usein sidoksissa vastaavan aikuisille tarkoitettun valmisteen markkinoille saattamiseen. 4) Tieteelliset edistysaskeleet, kuten pitkälle kehitetyssä terapiassa käytettävät lääkkeet ja yksilöllistetyt lääkehoidot, ovat jo parantaneet harvinaisista sairauksista kärsivien potilaiden kohdennettua hoitoa. Nämä uudet valmisteet ovat kyseenalaistaneet harvinaislääkkeiden nykyisen määrittelyjärjestelmän, jonka mukaan valmisteen on täytettävä tietyt kriteerit, jotta se voidaan määritellä harvinaislääkkeeksi. Sen lisäksi lastenlääkeasetus perustuu tiettyihin menettelyihin (lastenlääkettä koskevan tutkimusohjelman hyväksyttäminen kehitystyön varhaisessa vaiheessa), jotka ovat joiltakin osin osoittautuneet raskaiksi ja tehottomiksi.
Mitä toimenpiteellä on tarkoitus saada aikaan?
Aloitteen yleisenä tavoitteena on varmistaa kaikkien EU:n kansalaisten terveyden suojelun korkea taso ja varmistaa, että lapsilla ja harvinaisia sairauksia sairastavilla on käytettävissään kohtuuhintaisia ja laadukkaita lääkkeitä sekä turvallisia ja tehokkaita hoitoja heidän lääketieteellisiin tarpeisiinsa vastaamiseksi.
Mitä lisäarvoa saadaan toimenpiteen toteuttamisesta EU:n tasolla (toissijaisuusperiaate)?
Aloitteen odotetaan tuovan merkittäviä tehokkuusetuja, koska sillä parannettaisiin

harvinaislääkkeiden ja lastenlääkkeiden tutkimukseen ja kehittämiseen liittyvää kannustin-, palkkio- ja velvoitejärjestelmää. Myös kyseisten lääkkeiden hinnoista saataisiin kohtuullisempia ja niiden saatavuus kaikille potilaille koko EU:ssa paranisi. Lisäksi tällä tarkistuksella voitaisiin parantaa kilpailun toimimista markkinoilla tarkistamalla muita toimenpiteitä, joilla helpotetaan rinnakkaisvalmisteiden ja biosimilaarien markkinoille tuloa. Tämä parantaisi saatavuutta potilaiden kannalta ja kohtuuhintaisuutta. Koska harvinaislääkkeiden ja lastenlääkkeiden markkinat ovat pienet jopa suuremmissa EU:n jäsenvaltioissa, vain EU:n tasolla yhdenmukaistettu menettelytapa voi toimia. Ehdotettu toimenpide on linjassa muiden EU:n ja kansallisten toimenpiteiden kanssa.

B. Ratkaisut

Millä vaihtoehtoilla tavoitteet saavutettaisiin? Onko jokin vaihtoehto arvioitu parhaaksi? Jos ei, miksi?

Harvinaislääkeasetus. Kaikkia vaihtoehtoja täydentävät yhteiset osatekijät, joilla varmistetaan rinnakkaisvalmisteiden nopeampi saaminen markkinoille, toimenpiteet harvinaislääkkeiden pitämiseksi markkinoilla, tarvittavan joustavuuden lisääminen teknologisen ja tieteellisen kehityksen huomioon ottamiseksi sekä menettelyjen yksinkertaistaminen.

Vaihtoehdossa A säilytetään 10 vuoden kaupallinen yksinoikeus ja otetaan käyttöön yksinoikeusseteli valmisteille, joilla vastataan potilaiden merkittävään täyttämättömään tarpeeseen. Yksinoikeussetelillä voidaan jatkaa sääntelysuoja-aikaa 1 vuodella, ja se voidaan myydä toiselle yritykselle tai käyttää kyseisen yrityksen tuotevalikoimaan kuuluvaan valmisteeseen. **Vaihtoehdossa B** luovutaan nykyisestä 10 vuoden kaupallisesta yksinoikeudesta. **Vaihtoehdossa C** säädetään kaupallisesta yksinoikeudesta, jonka kesto *vaihtelee* riippuen harvinaislääkkeen tyypistä: 10 vuotta merkittävään täyttämättömään tarpeeseen vastaavalle lääkkeelle; 9 vuotta uudelle vaikuttavalle aineelle; 5 vuotta vakiintuneeseen käyttöön perustuvalle hakemukselle). Jos lääke, jolla vastataan merkittävään täyttämättömään tarpeeseen tai joka sisältää uutta vaikuttavaa ainetta, asetetaan saataville kaikissa asianomaisissa jäsenvaltioissa, kaupallista yksinoikeutta jatketaan 1 vuodella kyseisten valmisteiden osalta.

Parhaaksi arvioitiin **vaihtoehto C**.

Lastenlääkeasetus. Kaikkia vaihtoehtoja täydentävät yhteiset osatekijät, joilla tuetaan lasten täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin vastaavien valmisteiden kehittämistä sekä virtaviivaistetaan ja tarvittaessa yksinkertaistetaan menettelyjä, joiden avulla sovitaan siitä, mitä klinisiä tutkimuksia lapsilla on tehtävä. Tarkoituksena on ottaa paremmin huomioon tieteen innovaatiot ja nopeuttaa menettelyjä, jotta valmisteet olisivat nopeammin saatavilla lapsia varten.

Vaihtoehdossa A säilytetään teollis- ja tekijänoikeuksia (lisäsuojatodistusta) koskeva 6 kuukauden jatkoaika kaikille sellaisille lääkkeille, joiden käyttöä lapsilla tutkitaan. Lääkkeille, joilla vastataan lasten täyttämättömiin tarpeisiin, tarjotaan lisäpalkkio, joka on *joko* lisäsuojatodistuksen voimassaolon jatkaminen 6 kuukaudella *tai* yksinoikeusseteli, joka jatkaa sääntelysuojan voimassaoloa 1 vuodella ja joka voidaan myydä toiselle yritykselle tai käyttää kyseisen yrityksen tuotevalikoimaan kuuluvaan valmisteeseen. **Vaihtoehdossa B** luovutaan lisäsuojatodistuksen 6 kuukauden jatkoajasta. **Vaihtoehdossa C** säilytetään lisäsuojatodistuksen 6 kuukauden jatkoaika.

Parhaaksi arvioitiin **vaihtoehto C**.

Mitkä ovat sidosryhmien näkemykset? Mitkä toimijat kannattavat mitäkin vaihtoehtoa?

Harvinaislääkeasetus. Kaikki sidosryhmät ovat yhtä mieltä siitä, että harvinaisiin sairauksiin tarkoitettujen lääkkeiden kehittämistä on tuettava edelleen erityisin kannustimin, sillä muutoin markkinoiden toimimattomuus voisi toistua. Viranomaiset ja potilasjärjestöt pitävät parhaana nykyisen pääasiallisen kannustimen eriyttämistä, kuten vaihtoehdossa C esitetään. Lääketeollisuus voisi tukea kannustimien mukauttamista, mutta ei niiden keston yleistä lyhentämistä. Teollisuus ehdotti lisäkannustimien käyttöönottoa nykytilanteeseen verrattuna tai uuden kannustimen, kuten siirrettävissä olevan yksinoikeussetelin, käyttöönottoa. Teollisuus on myös korostanut, että nykyisen asetuksen on pysyttävä vakaana ja että tarvitaan ennustettavuutta nykyisten harvinaislääkkeeksi määrittämistä koskevien kriteerien osalta, sillä investointipäätökset tehdään kauan ennen kuin onnistuneeseen kehittämiseen perustuvat kannustimet ovat saatavissa.

Lastenlääkeasetus. Kaikki sidosryhmät hyväksyvät yleisesti tarpeen säilyttää nykyinen velvoite, jonka mukaan kaikkien lääkkeiden osalta on tutkittava myös niiden käyttöä lapsilla. Lääketeollisuus ja tiedeyhteisö suhtautuvat yleisesti ottaen myönteisesti menettelyjen parannuksiin. Mikään sidosryhmä ei kannata lisäsuojatodistuksen jatkoajan voimassaolon lyhentämistä. Teollisuus kannattaa nykyisen järjestelmän säilyttämistä, mutta on myös kehottanut ottamaan käyttöön lisäpalkkioita, joilla tuetaan erityistä kehitystyötä aloilla, joilla lasten lääketieteelliset tarpeet jäävät täyttämättä. Viranomaiset tunnustavat tarpeen tunnistaa paremmin lasten hoitoon liittyvät täyttämättömät tarpeet sekä sen, että nykyinen velvoite- ja palkkiojärjestelmä on toiminut suhteellisen hyvin. Ne ovat kuitenkin huolissaan uusien palkkioiden käyttöönotosta ja niiden vaikutuksesta kansallisten terveydenhuoltojärjestelmien kestävyYTEEN.

C. Parhaaksi arvioidun vaihtoehdon vaikutukset

Mitkä ovat parhaaksi arvioidun vaihtoehdon hyödyt (jos parhaaksi arvioitua vaihtoehtoa ei ole, päävaihtoehtojen hyödyt)?

Harvinaislääkeasetus. Parhaaksi arvioidulla vaihtoehdolla C parannetaan asianomaisista sairauksista kärsivien potilaiden ja heidän perheidensä elämänlaatua, sillä potilaiden hyödyksi saadaan keskimäärin 1–2 uutta lääketta vuodessa erityisesti aloilla, joilla ei tällä hetkellä ole saatavilla hoitoa. Alkuperäislääkkeiden valmistajayritykset hyötyvät laajennetusta kaupallisesta yksinoikeudesta lääkkeisiin, joilla vastataan merkittävään täyttämättömään lääketieteelliseen tarpeeseen. Rinnakkaisvalmisteita valmistavat yritykset hyötyvät aikaisemmasta ja ennakoitavammasta pääsystä markkinoille. Ennustettavuus lisääntyy rinnakkaisvalmisteiden tuottajien kannalta, koska ne voivat saattaa valmisteensa markkinoille jo kaupallisen yksinoikeuden päättymispäivänä. Potilaat saavat käyttöönsä enemmän lääkkeitä rinnakkaisvalmisteiden aiennetun markkinoille pääsyn ansiosta, mikä vähentää myös jäsenvaltioiden terveydenhuoltojärjestelmien kustannuksia. Yksinkertaistamistoimenpiteillä säästettäisiin 3,3 miljoonaa euroa vuodessa hallintokustannuksissa. Kannustimilla erityisesti sellaisten lääkkeiden kehittämiseen, jotka vastaavat merkittäviin täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin, edistetään innovointia, ja niiden odotetaan suuntaavan tutkimusinvestointeja aloille, joilla niitä eniten tarvitaan, mikä parantaa kilpailukykyä.

Lastenlääkeasetus. Parhaaksi arvioidulla vaihtoehdolla C lisätään lastenlääkkeiden määrää, mikä parantaa lasten ja heidän perheidensä elämänlaatua. Tällä vaihtoehdolla edistetään sellaisten valmisteiden kehittämistä, joilla vastataan lasten täyttämättömiin tarpeisiin, vahvistamalla selkeät kriteerit tällaisten valmisteiden tunnistamista varten. Siinä säädetään myös vaatimuksesta, jonka mukaan ainoastaan aikuisille kehitettyjä valmisteita on tutkittava myös lapsilla, jos ne tieteellisen näytön perusteella voivat olla tehokkaita jotakin lasten sairautta vastaan. Menettelyjen yksinkertaistaminen ja mukautukset tekevät järjestelmästä

innovointia paremmin tukevan ja nopeuttavat lastenlääkettä koskevan tutkimusohjelman toteuttamista ja lääkkeiden myyntilupien myöntämistä. Lääkkeen käyttöä lapsilla koskevaa tutkimusta voidaan lykätä enintään 5 vuodella (tällä hetkellä aikarajaa ei ole), joten lääkkeitä saadaan lasten käyttöön nykyistä nopeammin.
Mitkä ovat parhaaksi arvioidun vaihtoehdon kustannukset (jos parhaaksi arvioitua vaihtoehtoa ei ole, päävaihtoehtojen hyödyt)?
Rinnakkaisvalmisteiden nopeampi markkinoille tulo aiheuttaa joitakin tappioita alkuperäislääkkeiden valmistajille. Järjestelmä on kuitenkin kaiken kaikkiaan tasapainoisempi, sillä se parantaa kohtuuhintaisten lääkkeiden saatavuutta ja ohjaa kannustimia sinne, missä niitä eniten tarvitaan, ja edistää siten innovointia.
Mitkä ovat vaikutukset pieniin ja keskisuuriin yrityksiin (pk-yrityksiin)?
Menettelyjen parantaminen (kuten yksinkertaistaminen ja Euroopan lääkeviraston antaman tuen lisääminen) ja hallinnollisen rasitteen keventäminen ovat erityisen tärkeitä pk-yrityksille, kun otetaan huomioon niiden liiketoiminnan pienuus. Lisäksi pk-yritykset hyötyvät edelleen lääkeviraston menettelyjen maksualennuksista. Kun otetaan huomioon, että harvinaisten sairauksien alalla toimivat pk-yritykset ovat usein innovatiivisten ratkaisujen (harvinaislääkkeeksi määritellyt lääkkeet) alullepanijoita, niiden olisi voitava hyötyä kaupallisen yksinoikeuden keston mukauttamisesta, jolla palkitaan merkittäviin täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin vastaavista valmisteista.
Kohdistuuko jäsenvaltioiden budjettiin ja julkishallintoon merkittäviä vaikutuksia?
Kansallisille terveydenhuoltojärjestelmille ei odoteta aiheutuvan merkittäviä kustannuksia. Kun uusia valmisteita kehitetään, kansallisille terveydenhuoltojärjestelmille odotetaan aiheutuvan korvauksiin liittyviä lisäkustannuksia, mutta tätä tasapainottavat rinnakkaisvalmisteiden nopeammasta markkinoille tulosta saatavat säästöt.
Onko toimenpiteellä muita merkittäviä vaikutuksia?
Tällä aloitteella odotetaan olevan myönteinen vaikutus kansanterveyteen ja koko yhteiskuntaan. Sen odotetaan varmistavan, että potilaiden saataville tulee uusia hoitoratkaisuja, kun harvinaisiin sairauksiin ja lapsia varten kehitetään enemmän lääkkeitä erityisesti aloilla, joilla ei ole olemassa hoitoja. Euroopan lääkestrategian puitteissa toteutettavalla harvinaislääkkeitä ja lastenlääkkeitä koskevan lainsäädännön ja yleisen lääkelainsäädännön tarkistamisella on kumulatiivinen myönteinen vaikutus lääkkeiden saatavuuteen ja kohtuuhintaisuuteen kaikkien potilaiden kannalta ja terveydenhuoltojärjestelmien kestävyys.
Suhteellisuusperiaate
Yhdessäkään harvinaislääkeasetuksen tai lastenlääkeasetuksen tarkistusvaihtoehdossa ei ylitetä sitä, mikä on tarpeen tavoitteiden saavuttamiseksi. Aloite rajoittuu niihin näkökohtiin, joita jäsenvaltiot eivät voi saavuttaa tyydyttävästi itse ja jotka EU voi saavuttaa paremmin. Parhaaksi arvioidut vaihtoehdot ovat oikeasuhteisia, kun otetaan huomioon, että ne perustuvat vakiintuneen järjestelmän pilareihin ja ylläpitävät niitä ja että niissä ehdotetaan kohdennettuja mukautuksia ja koska niistä odotetaan koituvan hyötyjä potilaille, terveydenhuoltojärjestelmille ja teollisuudelle.
D. Seuranta
Milloin asiaa tarkastellaan uudelleen?

Uusien harvinaislääkkeiden kehittäminen voi olla pitkä prosessi, ja lapsille tarkoitettujen lääkkeiden kliinisen kehityssuunnitelman toteuttaminen saattaa kestää jopa 10–15 vuotta. Kannustimet ja palkkiot vaikuttavat näin ollen vasta useita vuosia myyntiluvan myöntämisen jälkeen. Myös potilaille koituvaa hyötyä on tarpeen mitata vähintään 5–10 vuoden ajan sen jälkeen, kun lääkkeelle on myönnetty myyntilupa. Komissio aikoo tarkastella aloitetta uudelleen säännöllisin väliajoin. Tarkistetun lainsäädännön tulosten merkityksellinen arviointi on kuitenkin mahdollista vasta vähintään 15 vuoden kuluttua sen voimaantulosta.