



Conseil de
l'Union européenne

Bruxelles, le 28 avril 2023
(OR. en)

Dossier interinstitutionnel:
2023/0132(COD)

8759/23
ADD 7

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

NOTE DE TRANSMISSION

Origine:	Pour la secrétaire générale de la Commission européenne, Madame Martine DEPREZ, directrice
Date de réception:	26 avril 2023
Destinataire:	Madame Thérèse BLANCHET, secrétaire générale du Conseil de l'Union européenne
N° doc. Cion:	SWD(2023) 193 final
Objet:	DOCUMENT DE TRAVAIL DES SERVICES DE LA COMMISSION RÉSUMÉ DU RAPPORT D'ANALYSE D'IMPACT Résumé du rapport d'analyse d'impact accompagnant les documents: Proposition de directive du Parlement européen et du Conseil instituant un code de l'Union relatif aux médicaments à usage humain et abrogeant la directive 2001/83/CE et la directive 2009/35/CE Proposition de règlement du Parlement européen et du Conseil établissant des procédures de l'Union pour l'autorisation et la surveillance des médicaments à usage humain et établissant des règles régissant l'Agence européenne des médicaments, modifiant le règlement (CE) n° 1394/2007 et le règlement (UE) n° 536/2014 et abrogeant le règlement (CE) n° 726/2004, le règlement (CE) n° 141/2000 et le règlement (CE) n° 1901/2006

Les délégations trouveront ci-joint le document SWD(2023) 193 final part 2/2.

p.j.: SWD(2023) 193 final



COMMISSION
EUROPÉENNE

Bruxelles, le 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

DOCUMENT DE TRAVAIL DES SERVICES DE LA COMMISSION

RÉSUMÉ DU RAPPORT D'ANALYSE D'IMPACT

Résumé du rapport d'analyse d'impact

accompagnant les documents:

Proposition de directive du Parlement européen et du Conseil instituant un code de l'Union relatif aux médicaments à usage humain et abrogeant la directive 2001/83/CE et la directive 2009/35/CE

Proposition de règlement du Parlement européen et du Conseil établissant des procédures de l'Union pour l'autorisation et la surveillance des médicaments à usage humain et établissant des règles régissant l'Agence européenne des médicaments, modifiant le règlement (CE) n° 1394/2007 et le règlement (UE) n° 536/2014 et abrogeant le règlement (CE) n° 726/2004, le règlement (CE) n° 141/2000 et le règlement (CE) n° 1901/2006

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

A. Nécessité d'une action

Quel est le problème et pourquoi se situe-t-il au niveau de l'Union?

L'évaluation de la législation relative aux médicaments à usage pédiatrique et aux médicaments destinés au traitement des maladies rares a montré que les deux règlements ont efficacement favorisé le développement de médicaments au cours des 20 dernières années. Toutefois, depuis leur adoption, un grand nombre de progrès et de découvertes scientifiques ont été réalisés et le secteur pharmaceutique s'est mondialisé. Ces évolutions, qui ont attiré l'attention sur les besoins médicaux non satisfaits, l'accès des patients et l'incidence budgétaire des médicaments, appellent à une révision de la législation dans le domaine des maladies rares et des médicaments à usage pédiatrique.

L'évaluation des deux règlements, publiée en 2020, a mis en évidence les problèmes suivants:

1. les besoins médicaux des enfants et des patients atteints d'une maladie rare ne sont pas suffisamment satisfaits;
2. le prix des médicaments constitue un défi pour les systèmes de santé (caractère abordable);
3. les patients ont un accès inégal aux médicaments dans l'Union;
4. le système ne tient pas suffisamment compte de l'innovation et crée des charges inutiles.

1) Parmi les plus de 6 000 maladies rares reconnues, 95 % ne peuvent toujours pas être soignées. Le développement de médicaments à usage pédiatrique est toujours mû par le développement de médicaments pour adultes. Lorsque les besoins thérapeutiques des adultes divergent de ceux des enfants, le nombre de traitements disponibles est limité.

2) Les décisions en matière de fixation des prix et du niveau de remboursement, ainsi que les dépenses pharmaceutiques, relèvent de la compétence nationale et n'entrent pas dans le champ d'application de la législation pharmaceutique de l'Union. Le prix moyen des nouveaux médicaments augmente, en particulier celui des médicaments orphelins. Les prix élevés ont une incidence sur le caractère abordable et la viabilité des systèmes de santé. Les mesures d'incitation prévues par la législation retardent l'entrée sur le marché de versions de médicaments moins chères (médicaments génériques et biosimilaires) qui pourraient autrement améliorer le caractère abordable des systèmes de santé.

3) Seule la moitié environ des médicaments orphelins présents sur le marché sont actuellement accessibles aux patients dans une majorité d'États membres et l'accès global varie considérablement d'un État membre à l'autre. Cette situation est pire que pour les médicaments classiques. L'accès aux médicaments à usage pédiatrique est souvent lié au lancement du médicament correspondant pour adultes.

4) Les progrès de la science, tels que les médicaments de thérapie innovante et les approches de médecine personnalisée, ont déjà permis d'améliorer les traitements ciblés pour les patients souffrant d'une maladie rare. Ces nouveaux médicaments ont remis en question le système actuel de désignation d'un médicament comme médicament orphelin, qui spécifie les critères auxquels un médicament doit répondre pour être désigné comme tel. En outre, le règlement relatif aux médicaments à usage pédiatrique repose sur certaines procédures (accord sur un plan d'investigation pédiatrique à un stade précoce du développement) qui se sont parfois révélées lourdes et inefficaces.

Quels sont les objectifs à atteindre?

L'objectif global de cette initiative est d'assurer un niveau élevé de protection de la santé pour tous les citoyens de l'Union et de veiller à ce que les enfants et les patients atteints d'une

maladie rare aient accès à des médicaments abordables et de qualité ainsi qu'à des thérapies sûres et efficaces pour répondre à leurs besoins médicaux.

Quelle est la valeur ajoutée de l'action à l'échelle de l'Union (subsidiarité)?

Cette initiative devrait permettre de réaliser d'importants gains d'efficacité en améliorant le système de mesures d'incitation, de récompenses et d'obligations liées à la recherche et au développement de médicaments orphelins et de médicaments à usage pédiatrique, tout en contribuant à les rendre plus abordables et accessibles à l'ensemble des patients de l'Union. En outre, cette révision pourrait améliorer le fonctionnement concurrentiel du marché grâce à l'examen d'autres mesures visant à faciliter l'entrée sur le marché des médicaments génériques et biosimilaires. Cela permettrait d'améliorer l'accès des patients aux médicaments et de rendre ceux-ci plus abordables. Étant donné que le marché des médicaments destinés au traitement des maladies rares et des médicaments à usage pédiatrique est restreint, même dans les grands États membres de l'Union, seule une approche harmonisée au niveau de l'Union a des chances de réussir. L'intervention proposée sera cohérente avec d'autres mesures européennes et nationales.

B. Solutions

Quelles sont les différentes options pour atteindre les objectifs? Y a-t-il une option privilégiée? Si tel n'est pas le cas, pourquoi?

Le règlement concernant les médicaments orphelins Toutes les options sont complétées par un ensemble d'éléments communs garantissant une introduction plus rapide des médicaments génériques, des mesures visant à maintenir les médicaments orphelins sur le marché, des mesures créant la flexibilité nécessaire pour tenir compte des progrès technologiques et scientifiques et la simplification des procédures.

Option A: elle maintient les 10 années d'exclusivité commerciale et ajoute un titre de protection réglementaire transférable pour les médicaments répondant à un besoin médical non satisfait important des patients. Ce titre permet de prolonger d'un an la période de protection réglementaire. Il peut être vendu à une autre entreprise ou être utilisé pour un médicament de son portefeuille. **Option B:** elle supprime la période actuelle d'exclusivité commerciale de 10 ans. **Option C:** elle prévoit une durée d'exclusivité commerciale *variable* (dix ans, neuf ans ou cinq ans), en fonction du type de médicament orphelin (répond à un besoin médical non satisfait important; contient une nouvelle substance active; ou concerne un médicament à usage bien établi). Si un médicament répondant à un besoin médical non satisfait important ou contenant une nouvelle substance active est rendu accessible dans tous les États membres concernés, l'exclusivité commerciale est prolongée d'un an pour ces médicaments.

L'option privilégiée est l'**option C**.

Le règlement relatif aux médicaments à usage pédiatrique Toutes les options sont complétées par un ensemble d'éléments communs soutenant le développement de médicaments répondant aux besoins médicaux non satisfaits des enfants, en rationalisant et, le cas échéant, en simplifiant les procédures pour convenir des études cliniques à mener chez les enfants. L'objectif est de mieux prendre en compte l'innovation scientifique et d'accélérer les procédures, afin de rendre les médicaments accessibles aux enfants plus rapidement.

Option A: l'extension de six mois du droit de propriété intellectuelle (certificat complémentaire de protection) sera conservée pour tous les médicaments dont l'utilisation chez l'enfant est étudiée. Pour les médicaments répondant à des besoins non satisfaits chez l'enfant, une récompense supplémentaire sous la forme d'une prolongation de six mois du

certificat complémentaire de protection *ou* d'un titre permettant de prolonger d'un an la durée de la protection réglementaire, qui peut être vendu à une autre entreprise ou être utilisé pour un médicament de son portefeuille. **Option B:** la prolongation de six mois du certificat complémentaire de protection est supprimée. **Option C:** la prolongation de six mois du certificat complémentaire de protection est maintenue.

L'option privilégiée est l'**option C**.

Quelles sont les positions des différentes parties intéressées? Qui soutient quelle option?

Le règlement concernant les médicaments orphelins Toutes les parties intéressées s'accordent sur la nécessité de continuer à soutenir, au moyen de mesures d'incitation spécifiques, le développement de médicaments destinés au traitement des maladies rares, faute de quoi la défaillance du marché pourrait se reproduire. Les autorités publiques et les organisations de patients optent pour une différenciation de la principale mesure d'incitation actuelle, comme le prévoit l'option C. L'industrie pharmaceutique pourrait être favorable à la modulation des mesures d'incitation, mais pas à leur raccourcissement global. L'industrie a proposé d'introduire des mesures d'incitation supplémentaires par rapport à la situation actuelle ou une nouvelle mesure d'incitation telle qu'un titre d'exclusivité transférable. L'industrie a également insisté sur la nécessité d'un maintien de la stabilité du règlement actuel et d'une prévisibilité sous la forme des critères actuels de désignation des médicaments comme médicaments orphelins, car les décisions d'investissement sont prises bien avant que les mesures d'incitation à un développement réussi puissent être acquises.

Le règlement relatif aux médicaments à usage pédiatrique La nécessité de maintenir l'obligation actuelle d'étudier tous les nouveaux médicaments à usage pédiatrique est généralement soutenue par toutes les parties intéressées. L'industrie pharmaceutique et le monde universitaire se félicitent généralement des améliorations apportées aux procédures. Le raccourcissement de la prolongation de la durée de validité du certificat complémentaire de protection n'est soutenu par aucun groupe de parties intéressées. L'industrie est favorable au maintien du système actuel, mais a également demandé l'introduction de récompenses supplémentaires pour soutenir des développements spécifiques dans des domaines où les besoins médicaux des enfants ne sont pas satisfaits. Les autorités publiques reconnaissent la nécessité de mieux cerner les besoins médicaux pédiatriques non satisfaits et reconnaissent que le système actuel d'obligations et de récompenses a relativement bien fonctionné, mais elles sont préoccupées par l'introduction de nouvelles récompenses et leur incidence ultérieure sur la viabilité des systèmes de santé nationaux.

C. Incidences de l'option privilégiée

Quels sont les avantages de l'option privilégiée (ou, à défaut, des options principales)?

Le règlement concernant les médicaments orphelins L'option privilégiée C permettra d'améliorer la qualité de vie des patients souffrant de ces maladies et de leurs familles, car les patients bénéficieront en moyenne d'un à deux nouveaux médicaments supplémentaires par an, en particulier dans les domaines où aucun traitement n'est actuellement disponible. Les laboratoires de princeps profiteront de l'extension de l'exclusivité commerciale pour les médicaments répondant à des besoins médicaux non satisfaits importants. Les fabricants de médicaments génériques profiteront d'une entrée plus précoce et plus prévisible sur le marché. En outre, la prévisibilité pour les fabricants de médicaments génériques devrait s'accroître, car ils pourront mettre leur médicament sur le marché le jour où l'exclusivité commerciale expire. Les patients bénéficieront d'un meilleur accès grâce à l'entrée plus rapide des médicaments génériques sur le marché, ce qui permettra également de réduire les coûts pour les systèmes de santé des États membres. Les mesures de simplification permettraient d'économiser

3,3 millions d'EUR par an en frais administratifs. Les mesures d'incitation spécifiques aux médicaments répondant à des besoins médicaux non satisfaits importants favoriseront l'innovation et devraient réorienter les investissements dans la recherche vers les domaines où ils sont le plus nécessaires, ce qui renforcera la compétitivité.

Le règlement relatif aux médicaments à usage pédiatrique L'option privilégiée C permettra d'augmenter le nombre de médicaments à usage pédiatrique et d'améliorer ainsi leur qualité de vie et celle de leurs familles. Cette option favorisera le développement de médicaments répondant à des besoins non satisfaits chez l'enfant grâce à des critères clairs d'identification de ces produits. Elle introduit l'obligation d'étudier également chez l'enfant les médicaments développés uniquement pour les adultes lorsque, sur la base de données scientifiques, ils pourraient être efficaces contre une maladie chez l'enfant. Les simplifications et ajustements procéduraux rendront le système plus propice à l'innovation et permettront d'accélérer l'établissement du plan d'investigation pédiatrique et l'autorisation des médicaments. Il ne sera possible de différer l'étude de l'utilisation d'un médicament chez l'enfant que jusqu'à cinq ans (il n'y a actuellement aucune limite), de sorte que les médicaments parviendront aux enfants plus rapidement qu'aujourd'hui.

Quels sont les coûts de l'option privilégiée (ou, à défaut, des options principales)?

L'entrée plus rapide des médicaments génériques sur le marché se traduira par des pertes pour les laboratoires de princeps. Dans l'ensemble, cependant, le système sera plus équilibré, garantissant un meilleur accès à des médicaments plus abordables tout en orientant les mesures d'incitation là où elles sont le plus nécessaires et en promouvant ainsi l'innovation.

Quelles sont les incidences sur les petites et moyennes entreprises (PME)?

Les améliorations procédurales (telles que la simplification et le soutien accru de l'Agence européenne des médicaments) et la réduction de la charge administrative seront particulièrement importantes pour les PME, en raison de la taille réduite de leurs activités. En outre, les PME continueront à bénéficier de réductions de redevances pour les procédures de l'Agence. Étant donné que les PME dans le domaine des maladies rares lancent souvent des concepts innovants (désignations de médicaments comme médicaments orphelins), elles devraient bénéficier de la modulation de la durée d'exclusivité commerciale, récompensant les médicaments répondant à des besoins médicaux non satisfaits importants.

Y aura-t-il une incidence notable sur les budgets nationaux et les administrations nationales?

Aucun coût significatif n'est attendu pour les systèmes de santé nationaux. Avec le développement de nouveaux médicaments, les systèmes de santé nationaux devraient supporter des coûts supplémentaires liés aux remboursements, mais ceux-ci seront compensés par les économies réalisées grâce à l'arrivée plus rapide des médicaments génériques sur le marché.

Y aura-t-il d'autres incidences notables?

Cette initiative devrait avoir une incidence positive sur la santé publique et la société dans son ensemble. Elle devrait permettre que de nouvelles solutions thérapeutiques soient accessibles aux patients grâce à l'augmentation du nombre de médicaments destinés au traitement des maladies rares et de médicaments à usage pédiatrique, en particulier dans les domaines où il n'existe aucun traitement. Dans le cadre de la stratégie pharmaceutique pour l'Europe, la révision de la législation relative aux médicaments orphelins et aux médicaments à usage pédiatrique et de la législation pharmaceutique générale aura une incidence positive cumulative sur l'accès de tous les patients aux médicaments et le caractère abordable de ceux-

ci pour tous les patients, ainsi que sur la viabilité des systèmes de santé.

Proportionnalité

Aucune des options de révision des règlements susmentionnés ne va au-delà de ce qui est nécessaire pour atteindre les objectifs. L'initiative est limitée aux aspects que les États membres ne peuvent régler de manière satisfaisante par leurs propres moyens et où l'Union peut obtenir des résultats plus probants. Les options privilégiées sont proportionnées, étant donné qu'elles s'appuient sur les piliers d'un système établi et les maintiennent, et qu'elles proposent des ajustements ciblés, et compte tenu des avantages attendus pour les patients, les systèmes de santé et l'industrie.

D. Suivi

Quand la législation sera-t-elle réexaminée?

Le développement de nouveaux médicaments orphelins peut être un processus de longue haleine et la réalisation d'un plan de développement clinique pour les médicaments à usage pédiatrique peut prendre jusqu'à 10, voire 15 ans. En conséquence, les mesures d'incitation et les récompenses ont une influence de nombreuses années après la date d'autorisation de mise sur le marché. Le bénéfice pour les patients doit également être mesuré sur une période d'au moins cinq à dix ans après l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament. La Commission a l'intention de réexaminer périodiquement l'initiative. Une évaluation significative des résultats de la législation révisée ne sera toutefois possible que 15 ans au moins après son entrée en vigueur.