

Bruxelles, 28. travnja 2023.
(OR. hr)

Međuinstitucijski predmet:
2023/0132 (COD)

8759/23
ADD 7

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

POP RATNA BILJEŠKA

Od:	Glavna tajnica Europske komisije, potpisala direktorica Martine DEPREZ
Datum primitka:	26. travnja 2023.
Za:	Thérèse BLANCHET, glavna tajnica Vijeća Europske unije
Br. dok. Kom.:	SWD(2023) 193 final
Predmet:	RADNI DOKUMENT SLUŽBI KOMISIJE SAŽETAK IZVJEŠĆA O PROCJENI UČINKA Sažetak izvješća o procjeni učinka priložen dokumentu Prijedlog direktive Europskog parlamenta i Vijeća o zakoniku Unije o lijekovima za humanu primjenu i o stavljanju izvan snage Direktive 2001/83/EZ i Direktive 2009/35/EZ Prijedlog uredbe Europskog parlamenta i Vijeća o utvrđivanju postupaka Unije za odobravanje i nadzor lijekova za humanu primjenu, o utvrđivanju pravila o Europskoj agenciji za lijekove te o izmjeni Uredbe (EZ) br. 1394/2007 i Uredbe (EU) br. 536/2014 i stavljanju izvan snage Uredbe (EZ) br. 726/2004, Uredbe (EZ) br. 141/2000 i Uredbe (EZ) br. 1901/2006

Za delegacije se u prilogu nalazi dokument SWD(2023) 193 final part 2/2.

Priloženo: SWD(2023) 193 final



EUROPSKA
KOMISIJA

Bruxelles, 26.4.2023.
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

RADNI DOKUMENT SLUŽBI KOMISIJE
SAŽETAK IZVJEŠĆA O PROCJENI UČINKA

Sažetak izvješća o procjeni učinka

priložen dokumentu

Prijedlog direktive Europskog parlamenta i Vijeća o zakoniku Unije o lijekovima za humanu primjenu i o stavljanju izvan snage Direktive 2001/83/EZ i Direktive 2009/35/EZ

Prijedlog uredbe Europskog parlamenta i Vijeća o utvrđivanju postupaka Unije za odobravanje i nadzor lijekova za humanu primjenu, o utvrđivanju pravila o Europskoj agenciji za lijekove te o izmjeni Uredbe (EZ) br. 1394/2007 i Uredbe (EU) br. 536/2014 i stavljanju izvan snage Uredbe (EZ) br. 726/2004, Uredbe (EZ) br. 141/2000 i Uredbe (EZ) br. 1901/2006

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

A. Potreba za djelovanjem
O čemu je riječ? Zašto je to problem na razini EU-a?
Evalvacija zakonodavstva o lijekovima za djecu i lijekovima za rijetke bolesti pokazala je da su dvije predmetne uredbe djelotvorno pridonijele razvoju lijekova u proteklih 20 godina. No od njihova donošenja došlo je do znatnog razvoja i otkrića u znanosti te globalizacije farmaceutskog sektora. Te su promjene usmjerile pozornost na nezadovoljene medicinske potrebe, pristup pacijenata i proračunske učinke lijekova te iziskuju preispitivanje intervencije politike u području rijetkih bolesti i lijekova za djecu. Evalvacijom tih dviju uredbi objavljenih 2020. utvrđeni su sljedeći problemi: 1. medicinske potrebe djece i pacijenata koji boluju od rijetkih bolesti nisu u dovoljnoj mjeri zadovoljene; 2. cijene lijekova izazov su za zdravstvene sustave (cjenovna pristupačnost); 3. pacijenti u EU-u nemaju jednak pristup lijekovima; 4. sustav je nedovoljno prilagođen inovacijama i stvara nepotrebno opterećenje. 1. Za 95 % od više od 6 000 priznatih rijetkih bolesti još ne postoji mogućnost liječenja. Razvoj lijekova za djecu i dalje ovisi o razvoju lijekova za odrasle. Različite terapijske potrebe odraslih i djece znače ograničen broj dostupnih mogućnosti liječenja. 2. Odluke o određivanju cijena i naknadi troškova te rashodi za lijekove u nacionalnoj su nadležnosti, odnosno izvan područja primjene zakonodavstva EU-a o lijekovima. Prosječna cijena novih lijekova iskazana na popisu cijena raste, posebno za lijekove za rijetke bolesti. Visoke cijene utječu na cjenovnu pristupačnost i održivost zdravstvenih sustava. Poticajima predviđenima zakonodavstvom odgađa se ulazak na tržište jeftinijih verzija lijekova (generički i bioslični lijekovi), koji bi inače mogli poboljšati cjenovnu pristupačnost lijekova za zdravstvene sustave. 3. U većini država članica pacijentima je trenutačno na raspolaganju samo otprilike polovina lijekova za rijetke bolesti dostupnih na tržištu, a opći pristup znatno se razlikuje među državama članicama. Situacija je stoga nepovoljnija nego u slučaju standardnih lijekova. Pristup lijekovima za djecu često je povezan sa stavljanjem na tržište odgovarajućeg proizvoda za odrasle. 4. Zahvaljujući znanstvenom napretku, kao što su lijekovi za naprednu terapiju i personalizirani pristupi liječenju, već su poboljšani ciljani načini liječenja pacijenata koji boluju od rijetkih bolesti. Ti novi proizvodi doveli su u pitanje postojeći sustav za dodjeljivanje statusa lijekova za rijetke bolesti, koji sadržava kriterije za dodjeljivanje tog statusa. Nadalje, Uredba o lijekovima za pedijatrijsku upotrebu oslanja se na određene postupke (prihvatanje plana pedijatrijskog istraživanja u ranoj fazi razvoja), koji su se katkad pokazali opterećujućima i neučinkovitima.
Što bi trebalo postići?
Opći je cilj ove inicijative zajamčiti visoku razinu zaštite zdravlja za sve građane EU-a te osigurati da djeca i pacijenti koji boluju od rijetkih bolesti imaju pristup cjenovno pristupačnim i visokokvalitetnim lijekovima i sigurnim i učinkovitim terapijama kako bi zadovoljili svoje medicinske potrebe.
Koja je dodana vrijednost djelovanja na razini EU-a (supsidijarnost)?
Očekuje se da će inicijativa znatno povećati učinkovitost zahvaljujući poboljšanju sustava poticaja, nagrada i obveza u vezi s istraživanjem i razvojem lijekova za rijetke bolesti i lijekova za djecu te pridonijeti njihovoj cjenovnoj pristupačnosti i dostupnosti za sve pacijente

u EU-u. Revizijom bi se ujedno moglo poboljšati funkcioniranje tržišta u smislu tržišnog natjecanja zahvaljujući preispitivanju drugih mjera za olakšavanje ulaska na tržište generičkih i biosličnih lijekova. Time bi se poboljšali pristup pacijenata i cjenovna pristupačnost lijekova. Budući da je tržište lijekova za rijetke bolesti i lijekova za djecu malo čak i u većim državama članicama EU-a, uspješan bi mogao biti samo usklađeni pristup na razini EU-a. Predložena intervencija bit će u skladu s drugim europskim i nacionalnim mjerama.

B. Rješenja

Koje su opcije za ostvarenje ciljeva? Postoji li najpoželjnija opcija? Ako ne, zašto?

Uredba o lijekovima za rijetke bolesti. Sve opcije dopunjene su skupom zajedničkih elemenata kojima se osigurava brže uvođenje generičkih lijekova, mjerama za zadržavanje lijekova za rijetke bolesti na tržištu, mjerama za stvaranje potrebne fleksibilnosti kako bi se uzeo u obzir tehnološki i znanstveni napredak te pojednostavnjenjem postupaka.

Opcija A: zadržava se isključivo pravo stavljanja u promet u trajanju od 10 godina i uvodi vaučer za proizvode kojima se odgovara na veliku nezadovoljenu medicinsku potrebu pacijenata. Vaučer omogućuje jednogodišnje produljenje razdoblja regulatorne zaštite i može se prodati drugom poduzeću ili upotrijebiti za proizvod iz portfelja tog poduzeća. **Opcija B:** ukida se trenutačno desetogodišnje razdoblje isključivog prava stavljanja u promet. **Opcija C:** predviđa se *promjenjivo* trajanje isključivog prava stavljanja u promet od 10, 9 ili 5 godina ovisno o vrsti lijeka za rijetke bolesti (odgovor na veliku nezadovoljenu medicinsku potrebu, nova djelatna tvar, provjerena uporaba). Ako se lijek kojim se odgovara na veliku nezadovoljenu medicinsku potrebu ili lijek koji sadržava novu djelatnu tvar stavlja na raspolaganje u svim relevantnim državama članicama, isključivo pravo stavljanja u promet za te proizvode produljuje se za godinu dana.

Najpoželjnija je **opcija C**.

Uredba o lijekovima za pedijatrijsku upotrebu. Sve opcije dopunjene su skupom zajedničkih elemenata kojima se podupire razvoj proizvoda kojima se odgovara na nezadovoljene medicinske potrebe djece, kao i racionalizacija i, prema potrebi, pojednostavnjenje postupaka kojima se utvrđuje koje kliničke studije treba provoditi kod djece. Cilj je bolje se prilagoditi inovacijama u znanosti i ubrzati postupke kako bi proizvodi bili brže dostupni djeci.

Opcija A: zadržava se šestomjesečno produljenje prava intelektualnog vlasništva (svjedodžba o dodatnoj zaštiti) za sve lijekove za koje se ispituje primjena kod djece. Za lijekove kojima se odgovara na nezadovoljene medicinske potrebe djece predviđa se dodatna nagrada, i to *ili* u obliku dodatnog šestomjesečnog produljenja svjedodžbe o dodatnoj zaštiti *ili* u obliku vaučera za jednogodišnje produljenje razdoblja regulatorne zaštite, koji se može prodati drugom poduzeću ili upotrijebiti za proizvod iz portfelja tog poduzeća. **Opcija B:** ukida se šestomjesečno produljenje svjedodžbe o dodatnoj zaštiti. **Opcija C:** zadržava se šestomjesečno produljenje svjedodžbe o dodatnoj zaštiti.

Najpoželjnija je **opcija C**.

Koja su stajališta različitih dionika? Tko podržava koju opciju?

Uredba o lijekovima za rijetke bolesti. Svi se dionici slažu da i dalje treba podupirati razvoj lijekova za rijetke bolesti posebnim poticajima jer bi inače moglo ponovno doći do tržišnog neuspjeha. Javna tijela i organizacije pacijenata zalažu se za razlikovanje trenutačnog glavnog poticaja, kako je navedeno u opciji C. Farmaceutska industrija mogla bi poduprijeti prilagodbu poticaja, ali ne i njihovo opće skraćivanje. Industrija predlaže da se, u odnosu na trenutačnu situaciju, uvedu dodatni poticaji ili novi poticaj kao što je prenosivi vaučer za zaštitu podataka.

Industrija je istaknula i da postojeća uredba treba ostati stabilna te da je potrebno osigurati predvidljivost u obliku aktualnih kriterija za dodjeljivanje statusa lijeka za rijetke bolesti jer se odluke o ulaganjima donose mnogo prije nego što se mogu primijeniti poticaji za uspješan razvoj.

Uredba o lijekovima za pedijatrijsku upotrebu. Svi dionici općenito podupiru potrebu za zadržavanjem postojeće obveze ispitivanja svih novih lijekova za primjenu kod djece. Farmaceutska industrija i akademska zajednica u načelu pozdravljaju poboljšanja postupaka. Nijedna skupina dionika ne podupire skraćivanje produljenja svjedodžbe o dodatnoj zaštiti. Industrija daje prednost zadržavanju postojećeg sustava, no ujedno poziva na uvođenje dodatnih nagrada za potporu posebnim aktivnostima u području nezadovoljenih medicinskih potreba kod djece. Javna tijela prepoznaju potrebu za boljim utvrđivanjem nezadovoljenih medicinskih potreba djece. Smatraju da je postojeći sustav obveza i nagrada relativno dobro funkcionirao, ali zabrinjava ih uvođenje novih nagrada i njihov učinak na održivost nacionalnih zdravstvenih sustava.

C. Učinci najpoželjnije opcije

Koje su prednosti najpoželjnije opcije (ako postoji, inače prednosti glavnih opcija)?

Uredba o lijekovima za rijetke bolesti. Najpoželjnijom opcijom C poboljšat će se kvaliteta života pacijenata koji boluju od rijetkih bolesti i kvaliteta života njihovih obitelji jer će pacijenti u prosjeku imati jedan do dva nova lijeka godišnje, posebno u područjima u kojima trenutačno nisu dostupne mogućnosti liječenja. Poduzeća koja proizvode izvorne lijekove ostvarit će koristi zahvaljujući produljenom isključivom pravu stavljanja u promet za lijekove kojima se odgovara na veliku nezadovoljenu medicinsku potrebu. Poduzeća koja proizvode generičke lijekove imat će koristi od ranijeg i predvidljivijeg ulaska na tržište. Usto bi se trebala povećati predvidljivost za proizvođače generičkih lijekova jer će svoj proizvod moći staviti u promet na dan isteka isključivog prava stavljanja u promet. Pacijenti će imati bolji pristup zahvaljujući ranijem ulasku generičkih lijekova na tržište, čime će se ujedno smanjiti troškovi za zdravstvene sustave država članica. Mjere pojednostavnjenja omogućile bi uštedu administrativnih troškova u iznosu od 3,3 milijuna EUR godišnje. Poticajima koji su posebno osmišljeni za lijekove kojima se odgovara na veliku nezadovoljenu medicinsku potrebu promicat će se inovacije te bi se zahvaljujući njima ulaganja u istraživanje trebala preusmjeriti na područja u kojima su najpotrebnija. Tako bi se potaknula konkurentnost.

Uredba o lijekovima za pedijatrijsku upotrebu. Najpoželjnijom opcijom C povećat će se broj lijekova za djecu i time poboljšati kvaliteta života djece i njihovih obitelji. Ta će opcija potaknuti razvoj proizvoda kojima se odgovara na nezadovoljene medicinske potrebe djece zahvaljujući jasnim kriterijima za utvrđivanje takvih proizvoda. Njome se uvodi i zahtjev da se proizvodi razvijeni samo za odrasle moraju ispitati i kod djece ako postoje znanstveni dokazi da bi ti proizvodi mogli biti učinkoviti protiv bolesti kod djece. Zahvaljujući pojednostavnjenju i prilagodbi postupaka sustav će biti bolje prilagođen inovacijama te će se ubrzati završetak plana pedijatrijskog istraživanja i odobravanje lijekova. Ispitivanje primjene lijeka kod djece moći će se odgoditi na najviše pet godina (trenutačno nema ograničenja), pa će lijekovi biti dostupni djeci brže nego danas.

Koji su troškovi najpoželjnije opcije (ako postoji, inače troškovi glavnih opcija)?

Brži ulazak generičkih lijekova na tržište dovest će do određenih gubitaka za poduzeća koja proizvode izvorne lijekove. Međutim, sustav će općenito biti uravnoteženiji i omogućiti bolji pristup cjenovno pristupačnijim lijekovima, a poticaji će se usmjeravati tamo gdje su

najpotrebniji, čime će se poticati inovacije.

Koji su učinci na mala i srednja poduzeća (MSP-ovi)?

Postupovna poboljšanja (kao što su pojednostavnjenje i veća potpora Europske agencije za lijekove) i smanjenje administrativnog opterećenja bit će posebno važni za MSP-ove s obzirom na mali razmjer njihova poslovanja. Osim toga, MSP-ovi će i dalje imati pravo na smanjenja naknada za postupke Agencije. Budući da MSP-ovi u području rijetkih bolesti često uvode inovativne koncepte (status lijeka za rijetke bolesti), trebali bi ostvariti koristi od prilagođenog trajanja isključivog prava stavljanja u promet jer bi se nagrađivali proizvodi kojima se odgovara na veliku nezadovoljenu medicinsku potrebu.

Hoće li to bitno utjecati na državne proračune i uprave?

Ne očekuju se znatni troškovi za nacionalne zdravstvene sustave. Budući da se razvija više proizvoda, očekuju se dodatni troškovi za nacionalne zdravstvene sustave povezani s naknadom troškova, no oni će se nadoknaditi uštedama zahvaljujući bržem ulasku generičkih lijekova na tržište.

Hoće li biti drugih bitnih učinaka?

Očekuje se da će ova inicijativa imati pozitivan učinak na javno zdravlje i društvo u cjelini. Ona bi trebala omogućiti nova terapijska rješenja za pacijente zahvaljujući većem broju proizvoda za rijetke bolesti i proizvoda za djecu, osobito u područjima u kojima ne postoje mogućnosti liječenja. U okviru farmaceutske strategije za Europu revizija zakonodavstva o lijekovima za rijetke bolesti i lijekovima za pedijatrijsku upotrebu te općeg zakonodavstva o lijekovima imat će kumulativni pozitivan učinak na pristup lijekovima i njihovu cjenovnu pristupačnost za sve pacijente, kao i na održivost zdravstvenih sustava.

Proporcionalnost?

Nijedna opcija za reviziju Uredbe o lijekovima za rijetke bolesti ili Uredbe o lijekovima za pedijatrijsku upotrebu ne prelazi ono što je potrebno za ostvarivanje ciljeva. Inicijativa je ograničena na aspekte koje države članice ne mogu same zadovoljavajuće ostvariti, već ih bolje može ostvariti EU. Najpoželjnije su opcije proporcionalne s obzirom na očekivane koristi za pacijente, zdravstvene sustave i industriju i jer se temelje na stupovima uređenog sustava i zadržavaju ih te uvode ciljane prilagodbe.

D. Daljnje mjere

Kad će se predložene mjere preispitati?

Razvoj novih lijekova za rijetke bolesti može biti dugotrajan proces, a završetak plana kliničkog razvoja za lijekove za djecu može trajati i 10 – 15 godina. To znači da poticaji i nagrade proizvode učinak mnogo godina nakon datuma izdavanja odobrenja za stavljanje u promet. Korist za pacijente također treba ocijeniti u razdoblju od najmanje 5 do 10 godina nakon odobravanja lijeka. Komisija namjerava redovito preispitivati inicijativu. Međutim, smislena evaluacija rezultata revidiranog zakonodavstva bit će moguća barem 15 godina nakon njegova stupanja na snagu.