



Az Európai Unió
Tanácsa

Brüsszel, 2023. április 28.
(OR. en)

Intézményközi referenciaszám:
2023/0132(COD)

8759/23
ADD 7

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

FEDŐLAP

Küldi:	az Európai Bizottság főtitkára részéről Martine DEPREZ igazgató
Az átvétel dátuma:	2023. április 26.
Címzett:	Thérèse BLANCHET, az Európai Unió Tanácsának főtitkára
Biz. dok. sz.:	SWD(2023) 193 final
Tárgy:	BIZOTTSÁGI SZOLGÁLATI MUNKADOKUMENTUM A HATÁSVIZSGÁLATI JELENTÉS VEZETŐI ÖSSZEFOGLALÓJA A hatásvizsgálati jelentés vezetői összefoglalója amely a következő dokumentumot kíséri: AZ EURÓPAI PARLAMENT ÉS A TANÁCS IRÁNYELVE az emberi alkalmazásra szánt gyógyszerek uniós kódexéről, valamint a 2001/83/EK irányelv és a 2009/35/EK irányelv hatályon kívül helyezéséről AZ EURÓPAI PARLAMENT ÉS A TANÁCS RENDELETE az emberi alkalmazásra szánt gyógyszerek uniós szintű engedélyezésére és felügyeletére vonatkozó uniós eljárások meghatározásáról és az Európai Gyógyszerügynökségre irányadó szabályok megállapításáról, az 1394/2007/EK rendelet és az 536/2014/EU rendelet módosításáról, valamint a 726/2004/EK rendelet, a 141/2000/EK rendelet és az 1901/2006/EK rendelet hatályon kívül helyezéséről

Mellékelten továbbítjuk a delegációknak az SWD(2023) 193 final számú dokumentum 2/2. részét.

Melléklet: SWD(2023) 193 final

Brüsszel, 2023.4.26.
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

BIZOTTSÁGI SZOLGÁLATI MUNKADOKUMENTUM
A HATÁSVIZSGÁLATI JELENTÉS VEZETŐI ÖSSZEFOGLALÓJA

A hatásvizsgálati jelentés vezetői összefoglalója

amely a következő dokumentumot kíséri:

AZ EURÓPAI PARLAMENT ÉS A TANÁCS IRÁNYELVE

az emberi alkalmazásra szánt gyógyszerek uniós kódexéről, valamint a 2001/83/EK irányelv és a 2009/35/EK irányelv hatályon kívül helyezéséről

AZ EURÓPAI PARLAMENT ÉS A TANÁCS RENDELETE

az emberi alkalmazásra szánt gyógyszerek uniós szintű engedélyezésére és felügyeletére vonatkozó uniós eljárások meghatározásáról és az Európai Gyógyszerügynökségre irányadó szabályok megállapításáról, az 1394/2007/EK rendelet és az 536/2014/EU rendelet módosításáról, valamint a 726/2004/EK rendelet, a 141/2000/EK rendelet és az 1901/2006/EK rendelet hatályon kívül helyezéséről

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

A. A fellépés szükségessége
Mi a probléma lényege, és miért jelent problémát uniós szinten?
A gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerekről és a ritka betegségek gyógyszereiről szóló jogszabályok értékelése szerint a két rendelet az elmúlt 20 évben hatékonyan előmozdította a gyógyszerek fejlesztését. Elfogadásuk óta azonban számos fejlesztés és felfedezés történt a tudomány területén, és globalizálódott a gyógyszeripari ágazat. Ezek a változások, amelyek középpontjában a kielégítetlen egészségügyi szükségletek, a betegek hozzáférése és a gyógyszerek költségvetési hatásai állnak, szükségessé teszik a ritka betegségek és a gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerek területére irányuló szakpolitikai beavatkozás felülvizsgálatát. A két rendelet 2020-ban közzétett értékelése során a következő problémákat tárták fel: 1. a gyermekek és a ritka betegségben szenvedő betegek egészségügyi szükségleteit nem elégítik ki megfelelően; 2. a gyógyszerek ára problémát jelent az egészségügyi rendszerek számára (megfizethetőség); 3. a betegek nem jutnak hozzá az egész Unióban egyenlően a gyógyszerekhez; 4. a rendszer nem ad elég teret az innovációnak, és felesleges terheket teremt. 1. A több mint 6 000 elismert ritka betegség 95 %-ára még mindig nem létezik kezelési lehetőség. A gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerek fejlesztése még mindig a felnőtt gyógyszerek fejlesztésén alapul. Mivel a felnőttek terápiás szükségletei eltérnek a gyermekek szükségleteitől, a rendelkezésre álló kezelések száma korlátozott. 2. Az árképzéssel és a társadalombiztosítási támogatásba vétellel kapcsolatos döntések, valamint a gyógyszerkiadások nemzeti hatáskörbe tartoznak, és kívül esnek az uniós gyógyszerészeti jogszabályok hatályán. Az új gyógyszerek átlagos listaára növekszik, különösen a ritka betegségek kezelésére gyógyszerek esetében. A magas árak hatással vannak a megfizethetőségre és az egészségügyi rendszerek fenntarthatóságára. A jogszabály által biztosított ösztönzők késleltetik a termékek olcsóbb (generikus és biohasonló) változatainak piacra lépését, amelyek egyébként javíthatnák a megfizethetőséget az egészségügyi rendszerek számára. 3. Jelenleg a tagállamok többségében a ritka betegségek gyógyszereinek csupán mintegy a fele elérhető a betegek számára, és az általános hozzáférés tagállamonként jelentős eltéréseket mutat. Ez rosszabb, mint a hagyományos gyógyszerek esetében. A gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerekhez való hozzáférés gyakran az azoknak megfelelő, felnőtteknek szánt gyógyszerek bevezetésének függvénye. 4. A tudományos előrelépések, például a fejlett terápiás gyógyszerek és a személyre szabott orvoslásra irányuló megközelítések eredményeképp már javultak a ritka betegségekben szenvedő betegek számára rendelkezésre álló célzott kezelések. Ezek az új termékek próbára teszik a ritka betegségek gyógyszereként történő minősítés jelenlegi rendszerét, amely meghatározza azokat a kritériumokat, amelyeknek egy terméknek meg kell felelnie a ritka betegségek gyógyszere minősítés megszerzéséhez. Ezenfelül a gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerekről szóló rendelet olyan eljárásokra hagyatkozik (gyermekgyógyászati vizsgálati tervről való megállapodás a fejlesztés korai szakaszában), amelyek olykor nehézkesnek és eredménytelennek bizonyulnak.
Mit kellene elérni?
E kezdeményezés általános célja az egészségvédelem magas szintjének biztosítása valamennyi uniós polgár számára, valamint annak biztosítása, hogy a gyermekek és a ritka betegségekben

szenvedők hozzájussanak megfizethető, jó minőségű gyógyszerekhez, valamint biztonságos és hatásos terápiákhoz egészségügyi szükségleteik kielégítése érdekében.

Milyen többletértéket képvisel az uniós szintű fellépés (szubszidiaritás)?

A kezdeményezés várhatóan jelentős hatékonyságnövekedést eredményez azáltal, hogy javítja a ritka betegségek gyógyszereire és a gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerekre irányuló kutatáshoz és fejlesztéshez kapcsolódó ösztönzők, jutalmak és kötelezettségek rendszerét, valamint hozzájárul ahhoz, hogy ezek a gyógyszerek megfizethetőbbé és hozzáférhetőbbé váljanak minden beteg számára, szerte az EU-ban. Emellett ez a felülvizsgálat javíthatja a piac versenyképes működését a generikus és biohasonló gyógyszerek piacra lépését megkönnyítő egyéb intézkedések felülvizsgálata révén. Ez javítaná a betegek hozzáférését és a megfizethetőséget. Mivel a ritka betegségek gyógyszereinek és a gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszereknek a piaca még a nagyobb uniós tagállamokban is kicsi, vélhetően csak uniós szintű harmonizált megközelítéssel érhető el siker. A javasolt beavatkozás következetesen illeszkedik más európai és nemzeti intézkedésekhez.

B. Megoldások

Milyen alternatívák kínálóznak a célok elérésére? Van-e előnyben részesített alternatíva? Amennyiben nincs, miért nincs?

A ritka betegségek gyógyszereiről szóló rendelet. Mindegyik lehetőség kiegészül olyan közös elemekkel, amelyek biztosítják a generikus gyógyszerek gyorsabb bevezetését, a ritka betegségek gyógyszereinek a piacon tartására irányuló intézkedéseket, a technológiai és tudományos fejlemények támogatásához szükséges rugalmasságot megteremtő intézkedéseket, valamint az eljárások egyszerűsítését.

A. lehetőség: fenntartja a 10 éves piaci kizárólagosságot, és utalványt vezet be azokra a termékekre, amelyek a betegek nagymértékben kielégítetlen egészségügyi szükségleteinek kezelésére szolgálnak. Ez az utalvány lehetővé teszi a szabályozási védelmi időszak 1 évvel történő meghosszabbítását, és eladható egy másik vállalatnak, vagy felhasználható az adott vállalat portfóliójában szereplő termék vonatkozásában. **B. lehetőség:** megszünteti a jelenlegi 10 éves piaci kizárólagosságot. **C. lehetőség:** változó időtartamú, 10, 9, illetve 5 évre szóló piaci kizárólagosságot irányoz elő a ritka betegségek kezelésére alkalmazott gyógyszerek típusa alapján (nagymértékben kielégítetlen egészségügyi szükséglet kezelése; új hatóanyag; illetve jól bevált használaton alapuló alkalmazás). Ha egy olyan gyógyszert, amely nagymértékben kielégítetlen egészségügyi szükséglet kezelésére szolgál, vagy amely új hatóanyagot tartalmaz, az összes érintett tagállamban elérhetővé tesznek, az ilyen termék esetében a piaci kizárólagosság egy évvel meghosszabbodik.

Az előnyben részesített lehetőség a **C. lehetőség**.

A gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerekről szóló rendelet. Mindegyik lehetőség kiegészül olyan közös elemekkel, amelyek támogatják a gyermekek kielégítetlen egészségügyi szükségletei kezelésére szolgáló termékek kifejlesztését, valamint azoknak az eljárásoknak az egyszerűsítését és – szükség szerinti – egyszerűsítését, amelyek során megállapodás születik arról, hogy mely klinikai kutatásokat kell elvégezni gyermekeken. Ennek célja az, hogy nagyobb teret adjanak a tudományos innovációnak, valamint hogy felgyorsítsák az eljárásokat annak érdekében, hogy a termékek gyorsabban hozzáférhetővé váljanak a gyermekek számára.

A. lehetőség: a szellemitulajdon-jog 6 hónappal történő meghosszabbítása (kiegészítő oltalmi tanúsítvány) megmarad minden olyan gyógyszer esetében, amelynek vizsgálják a

gyermeknekél történő alkalmazását. Gyermek kielégítetlen szükségleteinek kezelésére szolgáló gyógyszerek esetében további jutalom jár vagy a kiegészítő oltalmi tanúsítvány további 6 hónappal történő meghosszabbítása formájában, vagy pedig a szabályozási védelmi időszak 1 évvel történő meghosszabbítását lehetővé tevő utalvány formájában, amely eladható egy másik vállalatnak, vagy felhasználható az adott vállalat portfóliójában szereplő termék vonatkozásában. **B. lehetőség:** a kiegészítő oltalmi tanúsítvány 6 hónappal történő meghosszabbítása megszűnik. **C. lehetőség:** a kiegészítő oltalmi tanúsítvány 6 hónappal történő meghosszabbítása megmarad.

Az előnyben részesített lehetőség a **C. lehetőség**.

Mi az egyes érdekelt felek álláspontja? Ki melyik alternatívát támogatja?

A ritka betegségek gyógyszereiről szóló rendelet. Valamennyi érdekelt fél egyetért abban, hogy konkrét ösztönzőkkel továbbra is támogatni kell a ritka betegségek gyógyszereinek fejlesztését, mivel ellenkező esetben a piaci hiányosságok megismétlődhetnek. A hatóságok és a betegképviselői szervezetek a jelenlegi fő ösztönző C. lehetőségben foglalt differenciálását választják. A gyógyszeripar támogatná az ösztönzők modulációját, de azok általános lerövidítését nem. Az iparág a jelenlegi helyzethez képest további ösztönzők bevezetését, illetve egy olyan új ösztönző bevezetését javasolta, mint az átruházható kizárólagossági utalvány. Az ágazat azt is kiemelte, hogy a jelenlegi rendeletnek stabilnak kell maradnia, és biztosítani kell a kiszámíthatóságot a ritka betegségek gyógyszereként történő minősítés jelenlegi kritériumai formájában, mivel a beruházási döntéseket jóval azelőtt hozzák meg, hogy a sikeres fejlesztéshez nyújtott ösztönzők megszerezhetők lennének.

A gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerekről szóló rendelet. Általában véve az összes érdekelt fél támogatja azt, hogy továbbra is fenn kell tartani azt a már meglévő kötelezettséget, hogy meg kell vizsgálni minden új gyógyszert a gyermekeknek való alkalmazás tekintetében. A gyógyszeripar és a tudományos körök általában véve helyeslik az eljárásokban eszközölt javításokat. A kiegészítő oltalmi tanúsítvány kiterjesztésének lerövidítését egyetlen érdekképviselői csoport sem támogatja. Az ágazat a meglévő rendszer fenntartása mellett van, ugyanakkor azonban sürgette további jutalmak bevezetését a gyermekek kielégítetlen egészségügyi szükségletei terén végzett konkrét fejlesztések támogatása érdekében. A hatóságok elismerik, hogy szükség van a kielégítetlen gyermekgyógyászati szükségletek jobb meghatározására, továbbá elismerik, hogy a kötelezettségek és jutalmak meglévő rendszere mindeddig viszonylag jól működött, viszont aggodalmukat fejezték ki az új jutalmak bevezetésével és azoknak a későbbiekben a nemzeti egészségügyi rendszerek fenntarthatóságára gyakorolt hatásával kapcsolatban.

C. Az előnyben részesített alternatíva hatásai

Melyek az előnyben részesített alternatíva (ha nincs ilyen, akkor a főbb alternatívák) előnyei?

A ritka betegségek gyógyszereiről szóló rendelet. Az előnyben részesített C. lehetőség javítani fogja az ilyen betegségekben szenvedők és családjaik életminőségét, mivel évente átlagosan további 1–2 új gyógyszer válik majd elérhetővé a betegek számára, különösen azokon a területeken, ahol jelenleg nem áll rendelkezésre kezelés. Az innovatív gyógyszergyártók hasznát veszik a jelentős kielégítetlen egészségügyi szükségletek kezelésére szolgáló gyógyszerek tekintetében biztosított kiterjesztett piaci kizárólagosságnak. A generikus gyógyszergyártók pedig hasznát veszik a hamarabbi és kiszámíthatóbb piacra lépésnek. Emellett a generikus gyógyszergyártók számára fokozódik a kiszámíthatóság, mivel termékeiket forgalomba hozhatják a piaci kizárólagosság lejártának a napján. Javulni fog a betegek gyógyszerekhez való hozzáférése a generikus gyógyszerek hamarabbi piacra lépése miatt, ami a tagállamok egészségügyi rendszereinek költségeit is csökkenteni fogja. Az

egyszerűsítési intézkedések évente 3,3 millió EUR megtakarítást eredményeznének az adminisztratív költségek terén. A kifejezetten a jelentős kielégítetlen egészségügyi szükségletek kezelésére szolgáló gyógyszerekhez nyújtott ösztönzők előmozdítják az innovációt, és a kutatási beruházásokat azokra a területekre irányítják át, ahol azokra a legnagyobb szükség van, fokozva ezáltal a versenyképességet is.

A gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerekről szóló rendelet. Az előnyben részesített C. lehetőség növelni fogja a gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerek számát, javítva ezáltal a gyermekek és családjaik életminőségét. Ez a lehetőség az ilyen termékek azonosítására szolgáló egyértelmű kritériumok révén elősegíti majd a gyermekek kielégítetlen szükségleteinek kezelésére szolgáló termékek kifejlesztését. Bevezeti továbbá azt a követelményt, hogy a kizárólag felnőttek számára kifejlesztett termékeket gyermekek vonatkozásában is meg kell vizsgálni, amennyiben tudományos bizonyítékok alapján hatásosak lehetnek gyermekeknél előforduló betegségek ellen. Az eljárások egyszerűsítésével és kiigazításával a rendszer az innovációra nyitottabbá válik, és lehetőség nyílik a gyermekgyógyászati vizsgálati terv gyorsabb végrehajtására és a gyógyszerek gyorsabb engedélyezésére. Valamely gyógyszer gyermekeknél történő alkalmazásának a vizsgálatát legfeljebb csupán 5 évvel lehet majd elhalasztani (jelenleg nincs korlát), így a termékek a jelenleginél hamarabb eljutnak a gyermekekhez.

Milyen költségekkel jár az előnyben részesített alternatíva (ha nincs ilyen, akkor milyen költségekkel járnak a főbb alternatívák)?

A generikus gyógyszerek gyorsabb piacra lépése valamilyen mértékű veszteséget fog okozni az innovatív gyógyszergyártók számára. Összességében azonban a rendszer kiegyensúlyozottabb lesz, jobb hozzáférést biztosít a megfizethetőbb gyógyszerekhez, miközben az ösztönzőket oda irányítja, ahol azokra a legnagyobb szükség van, és így előmozdítja az innovációt.

Milyen hatást gyakorol a fellépés a kis- és középvállalkozásokra (kkv-kra)?

Az eljárások fejlesztése (például egyszerűsítés és az Európai Gyógyszerügynökség által nyújtott fokozott támogatás), valamint az adminisztratív terhek csökkentése különösen fontos lesz a kkv-k számára, tekintettel a vállalkozások kis méretére. Ezen túlmenően a kkv-k továbbra is díjcsökkentésben részesülnek az Ügynökség eljárásaiért fizetendő díjak tekintetében. Tekintettel arra, hogy a ritka betegségek területén tevékenykedő kkv-k gyakran indítanak el innovatív koncepciókat (ritka betegségek gyógyszereként történő minősítéseket), hasznukra válik majd a piaci kizárólagosság időtartamának a jelentős kielégítetlen egészségügyi szükségletek kezelésére szolgáló termékeket jutalmazó modulációja.

Jelentős lesz-e a tagállamok költségvetésére és közigazgatására gyakorolt hatás?

Várhatóan nem hárulnak jelentős költségek a nemzeti egészségügyi rendszerekre. Amint egyre több termék kifejlesztésére kerül sor, a nemzeti egészségügyi rendszereknek várhatóan többletköltségekkel kell számolniuk a társadalombiztosítási támogatásba vételhez kapcsolódóan, de ezt ellensúlyozzák majd a generikus gyógyszerek gyorsabb piacra lépéséből származó megtakarítások.

Lesznek-e egyéb jelentős hatások?

Ez a kezdeményezés várhatóan pozitív hatással jár a közegészségügyre és a társadalom egészére nézve. Biztosítani fogja, hogy a ritka betegségek kezelésére és a gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt termékek számának növekedésével új terápiás megoldások váljanak elérhetővé a betegek számára, különösen azokon a területeken, ahol jelenleg nem áll rendelkezésre kezelés. Az uniós gyógyszerstratégia keretében a ritka betegségek gyógyszereire

és a gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerekre vonatkozó jogszabályok, valamint az általános gyógyszerészeti jogszabályok felülvizsgálata halmozottan kedvező hatással lesz a gyógyszerekhez való hozzáférésre és azok megfizethetőségére minden beteg számára, továbbá az egészségügyi rendszerek fenntarthatóságára.

Arányosság?

A ritka betegségek gyógyszereiről és a gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerekről szóló rendeletek felülvizsgálatára előirányzott lehetőségek egyike sem lépi túl a célkitűzések eléréséhez szükséges mértéket. A kezdeményezés azokra a szempontokra korlátozódik, amelyeket a tagállamok önmaguk nem tudnak kielégítően megvalósítani, az EU viszont igen. Az előnyben részesített lehetőségek arányosak, tekintettel arra, hogy egy már létező rendszer pilléreire épülnek és megtartják azokat, továbbá kiigazításokat javasolnak, valamint tekintettel a betegek, az egészségügyi rendszerek és az ágazat számára várható előnyökre.

D. További lépések

Mikor kerül sor szakpolitikai felülvizsgálatra?

A ritka betegségek új gyógyszereinek kifejlesztése hosszú folyamat lehet, a gyermekgyógyászati alkalmazásra szánt gyógyszerek klinikai fejlesztési tervének végrehajtása pedig akár 10–15 évig is eltarthat. Az ösztönzők és jutalmak hatása ezért hosszú évekkel a forgalombahozatali engedély időpontja után jelentkezik. A betegek számára jelentett előnyöket is legalább 5–10 éves időszakon át kell mérni a gyógyszer engedélyezését követően. A Bizottság szándékában áll rendszeres időközönként felülvizsgálni a kezdeményezést. A felülvizsgált jogszabály eredményeinek érdemi értékelésére azonban csak legalább 15 évvel annak hatálybalépése után lesz lehetőség.