



Bruxelles, 28 aprile 2023
(OR. en)

**Fascicolo interistituzionale:
2023/0132(COD)**

**8759/23
ADD 7**

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

NOTA DI TRASMISSIONE

Origine:	Segretaria generale della Commissione europea, firmato da Martine DEPREZ, direttrice
Data:	26 aprile 2023
Destinatario:	Thérèse BLANCHET, segretaria generale del Consiglio dell'Unione europea
n. doc. Comm.:	SWD(2023) 193 final PART 2/2
Oggetto:	DOCUMENTO DI LAVORO DEI SERVIZI DELLA COMMISSIONE SINTESI DELLA RELAZIONE SULLA VALUTAZIONE D'IMPATTO Sintesi della relazione sulla valutazione d'impatto che accompagna i documenti Proposta di direttiva del Parlamento europeo e del Consiglio recante un codice dell'Unione relativo ai medicinali per uso umano e che abroga le direttive 2001/83/CE e 2009/35/CE Proposta di regolamento del Parlamento europeo e del Consiglio che stabilisce le procedure dell'Unione per l'autorizzazione e la sorveglianza dei medicinali per uso umano, definisce le norme che disciplinano l'Agenzia europea per i medicinali, modifica i regolamenti (CE) n. 1394/2007 e (UE) n. 536/2014 e abroga i regolamenti (CE) n. 726/2004, (CE) n. 141/2000 e (CE) n. 1901/2006

Si trasmette in allegato, per le delegazioni, il documento SWD(2023) 193 final PART 2/2.

All.: SWD(2023) 193 final PART 2/2

Bruxelles, 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

**DOCUMENTO DI LAVORO DEI SERVIZI DELLA COMMISSIONE
SINTESI DELLA RELAZIONE SULLA VALUTAZIONE D'IMPATTO**

Sintesi della relazione sulla valutazione d'impatto

che accompagna i documenti

Proposta di direttiva del Parlamento europeo e del Consiglio recante un codice dell'Unione relativo ai medicinali per uso umano e che abroga le direttive 2001/83/CE e 2009/35/CE

Proposta di regolamento del Parlamento europeo e del Consiglio che stabilisce le procedure dell'Unione per l'autorizzazione e la sorveglianza dei medicinali per uso umano, definisce le norme che disciplinano l'Agenzia europea per i medicinali, modifica i regolamenti (CE) n. 1394/2007 e (UE) n. 536/2014 e abroga i regolamenti (CE) n. 726/2004, (CE) n. 141/2000 e (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. Necessità di intervenire

Qual è il problema e perché si pone a livello dell'UE?

La valutazione della legislazione sui medicinali per uso pediatrico e per le malattie rare ha dimostrato che i due regolamenti hanno promosso in modo efficace lo sviluppo di medicinali negli ultimi vent'anni. Tuttavia dalla loro adozione si sono registrati sviluppi e scoperte di ampia portata in ambito scientifico nonché una globalizzazione del settore farmaceutico. Tali cambiamenti, che hanno concentrato l'attenzione sulle esigenze mediche insoddisfatte, sull'accesso dei pazienti e sull'incidenza dei medicinali sul bilancio, richiedono un riesame dell'intervento politico nel settore dei medicinali per le malattie rare e per uso pediatrico.

La valutazione dei due regolamenti, pubblicata nel 2020, ha individuato i seguenti problemi:

1. le esigenze mediche di pazienti pediatrici e pazienti affetti da malattie rare non sono sufficientemente soddisfatte;
2. il prezzo dei medicinali rappresenta una sfida per i sistemi sanitari (accessibilità economica);
3. esistono disparità nell'accesso dei pazienti ai medicinali in tutta l'UE;
4. il sistema non tiene sufficientemente conto dell'innovazione e crea oneri inutili.

1) Delle oltre 6 000 malattie rare riconosciute, per il 95 % non esiste alcuna opzione di trattamento. Lo sviluppo di medicinali per uso pediatrico è ancora trainato dallo sviluppo di medicinali per adulti. Quando le esigenze terapeutiche degli adulti divergono da quelle dei pazienti pediatrici, il numero di trattamenti disponibili è limitato;

2) le decisioni in materia di fissazione dei prezzi e di rimborso e la spesa farmaceutica sono di competenza nazionale, al di fuori dell'ambito di applicazione della legislazione farmaceutica dell'UE. Il prezzo medio di listino dei medicinali nuovi è in aumento, soprattutto per i medicinali orfani. I prezzi elevati incidono sull'accessibilità economica e sulla sostenibilità dei sistemi sanitari. Gli incentivi previsti dalla legislazione ritardano l'ingresso sul mercato di versioni meno costose dei prodotti (medicinali generici e biosimilari), una circostanza questa che potrebbe altrimenti migliorare l'accessibilità economica dei sistemi sanitari;

3) soltanto quasi la metà circa dei medicinali orfani presenti sul mercato è attualmente accessibile ai pazienti nella maggior parte degli Stati membri e l'accesso complessivo varia notevolmente da uno Stato membro all'altro. Tale situazione è peggiore rispetto a quanto si verifica per i medicinali standard. L'accesso ai medicinali per uso pediatrico è spesso legato all'immissione in commercio del corrispondente prodotto per adulti;

4) i progressi scientifici, quali i medicinali per terapie avanzate e gli approcci di medicina personalizzata, hanno già migliorato i trattamenti mirati per i pazienti affetti da malattie rare. Tali prodotti nuovi hanno messo in discussione l'attuale sistema di qualifica di medicinale orfano, che specifica i criteri che un prodotto deve soddisfare per ottenere detta qualifica. Inoltre il regolamento pediatrico fa affidamento su determinate procedure (accordo su un piano di indagine pediatrica in una fase iniziale di sviluppo) che si sono talvolta rivelate onerose e inefficienti.

Quali sono gli obiettivi da conseguire?

L'obiettivo generale di questa iniziativa è garantire un livello elevato di tutela della salute per tutti i cittadini dell'UE e assicurare che i pazienti pediatrici e i pazienti affetti da malattie rare abbiano accesso a medicinali di qualità elevata a prezzi accessibili e a terapie sicure ed efficaci per rispondere alle loro esigenze mediche.

Qual è il valore aggiunto dell'intervento a livello dell'UE (sussidiarietà)?

L'iniziativa dovrebbe apportare significativi incrementi di efficienza migliorando il sistema di incentivi, premi e obblighi relativi alla ricerca e allo sviluppo di medicinali orfani e di medicinali per uso pediatrico, nonché contribuendo a renderli più accessibili, anche economicamente, da parte di tutti i pazienti in tutta l'UE. Inoltre tale revisione potrebbe migliorare il funzionamento competitivo del mercato attraverso il riesame di altre misure volte a facilitare l'ingresso sul mercato di medicinali generici e biosimilari. Ciò migliorerebbe l'accesso e l'accessibilità economica dei pazienti. Poiché il mercato dei medicinali per le malattie rare e per uso pediatrico è esiguo anche negli Stati membri dell'UE di dimensioni maggiori, è probabile che solo un approccio armonizzato a livello di UE abbia successo. L'intervento proposto sarà coerente con altre misure europee e nazionali.

B. Soluzioni

Quali sono le varie opzioni per conseguire gli obiettivi? Ne è stata prescelta una? In caso negativo, indicare i motivi.

Il regolamento sui medicinali orfani. Tutte le opzioni sono integrate da una serie di elementi comuni che garantiscono un'introduzione più rapida dei medicinali generici, misure per mantenere i medicinali orfani sul mercato, misure che creano la flessibilità necessaria per tenere conto dei progressi tecnologici e scientifici, nonché la semplificazione delle procedure.

Opzione A: mantiene i 10 anni di esclusiva di mercato e aggiunge un voucher per i prodotti che rispondono a un'elevata esigenza insoddisfatta dei pazienti. Il voucher consente una proroga di un anno del termine di protezione normativa oppure può essere venduto a un'altra impresa o utilizzato per un prodotto presente nel portafoglio dell'impresa. **Opzione B:** abolisce l'attuale periodo di 10 anni di esclusiva di mercato. **Opzione C:** prevede una durata *variabile* di esclusiva di mercato di 10, nove e cinque anni, in base al tipo di medicinale orfano (rispettivamente: risposta a un'elevata esigenza insoddisfatta; sostanza attiva nuova; domanda per un impiego ben noto). Se un medicinale che risponde ad un'elevata esigenza insoddisfatta o che contiene una sostanza attiva nuova è reso accessibile in tutti gli Stati membri pertinenti, l'esclusiva di mercato è prorogata di un anno per tali prodotti.

L'opzione prescelta è l'**opzione C**.

Il regolamento pediatrico. Tutte le opzioni sono integrate da una serie di elementi comuni a sostegno dello sviluppo di prodotti che rispondono alle esigenze mediche insoddisfatte dei pazienti pediatrici, razionalizzando e, se necessario, semplificando le procedure per concordare quali studi clinici debbano essere condotti sui bambini. L'intento è quello di accogliere meglio l'innovazione scientifica e di accelerare le procedure per rendere i prodotti accessibili ai pazienti pediatrici più rapidamente.

Opzione A: la proroga di sei mesi del diritto di proprietà intellettuale (certificato protettivo complementare) sarà mantenuta per tutti i medicinali il cui uso sia oggetto di studio nei pazienti pediatrici. Per i medicinali che rispondono alle esigenze non soddisfatte dei pazienti pediatrici, è previsto un premio supplementare sotto forma di un'ulteriore proroga di sei mesi del certificato protettivo complementare *oppure* un voucher per una proroga di un anno della durata della protezione normativa, che può essere venduto a un'altra impresa o utilizzato per un prodotto nel portafoglio dell'impresa in questione. **Opzione B:** la proroga di sei mesi del certificato protettivo complementare sarà abolita. **Opzione C:** la proroga di sei mesi del certificato protettivo complementare sarà mantenuta.

L'opzione prescelta è l'**opzione C**.

Quali sono le opinioni dei diversi portatori di interessi? Chi sono i sostenitori delle varie opzioni?

Il regolamento sui medicinali orfani. Tutti i portatori di interessi concordano sulla necessità di continuare a sostenere lo sviluppo di medicinali per le malattie rare con incentivi specifici, poiché altrimenti si verificherebbe nuovamente un fallimento del mercato. Le autorità pubbliche e le organizzazioni di pazienti optano per una differenziazione dell'attuale incentivo principale, come indicato nell'opzione C. L'industria farmaceutica potrebbe sostenere la modulazione degli incentivi ma non la loro riduzione complessiva. L'industria ha proposto l'introduzione di incentivi supplementari rispetto alla situazione attuale o di un incentivo nuovo quale un voucher trasferibile di esclusiva. L'industria ha inoltre sottolineato la necessità di mantenere stabile il regolamento attuale e di garantire la prevedibilità sotto forma degli attuali criteri di qualifica di medicinale orfano, dal momento che le decisioni di investimento sono prese molto prima che possano essere acquisiti gli incentivi per uno sviluppo di esito positivo.

Il regolamento pediatrico. La necessità di mantenere l'obbligo esistente di studiare tutti i nuovi medicinali per uso pediatrico è generalmente sostenuta da tutti i portatori di interessi. L'industria farmaceutica e il mondo accademico accolgono in generale con favore i miglioramenti apportati alle procedure. La riduzione della proroga del certificato protettivo complementare non è sostenuta da alcun gruppo di portatori di interessi. L'industria è favorevole al mantenimento del sistema esistente, ma ha chiesto altresì l'introduzione di premi supplementari per sostenere sviluppi specifici nei settori in cui si registrano esigenze mediche insoddisfatte nei pazienti pediatrici. Le autorità pubbliche riconoscono la necessità di individuare meglio le esigenze mediche pediatriche insoddisfatte e riconoscono che il sistema esistente di obblighi e premi ha funzionato relativamente bene, ma si sono dette preoccupate per l'introduzione di nuovi premi e per il loro conseguente impatto sulla sostenibilità dei sistemi sanitari nazionali.

C. Impatto dell'opzione prescelta

Quali sono i vantaggi dell'opzione prescelta (o in mancanza di quest'ultima, delle opzioni principali)?

Il regolamento sui medicinali orfani. L'opzione C prescelta migliorerà la qualità della vita dei pazienti affetti da tali malattie e delle loro famiglie, in quanto i pazienti beneficeranno in media di altri 1-2 medicinali nuovi l'anno, in particolare nei settori nei quali attualmente non sono disponibili trattamenti. Le imprese produttrici di medicinali originatori trarranno profitto dall'estensione dell'esclusiva di mercato per i medicinali che rispondono a un'elevata esigenza medica insoddisfatta. Le imprese produttrici di medicinali generici traggono vantaggio da un ingresso sul mercato più rapido e prevedibile. Inoltre la prevedibilità per i produttori di medicinali generici dovrebbe aumentare in quanto possono immettere il loro prodotto sul mercato il giorno in cui scade l'esclusiva di mercato. I pazienti avranno un maggiore accesso grazie a un ingresso anticipato sul mercato dei medicinali generici, il che ridurrà anche i costi per i sistemi sanitari degli Stati membri. Le misure di semplificazione consentirebbero di risparmiare 3,3 milioni di EUR l'anno in termini di costi amministrativi. Gli incentivi specifici per i medicinali che rispondono a un'elevata esigenza medica insoddisfatta promuoveranno l'innovazione e dovrebbero riorientare gli investimenti nella ricerca verso i settori in cui sono più necessari, stimolando così la competitività.

Il regolamento pediatrico. L'opzione C prescelta aumenterà il numero di medicinali per uso pediatrico, migliorando così la qualità di vita dei pazienti pediatrici e delle loro famiglie. Questa opzione promuoverà lo sviluppo di prodotti che rispondono alle esigenze insoddisfatte dei pazienti pediatrici attraverso criteri chiari per l'identificazione di tali prodotti. Introduce inoltre l'obbligo secondo cui i prodotti sviluppati esclusivamente per gli adulti devono essere

oggetto di studio anche per i bambini nei casi in cui, sulla base di evidenze scientifiche, potrebbero essere efficaci contro una malattia in pazienti pediatriche. Semplificazioni e adeguamenti procedurali renderanno il sistema più favorevole all'innovazione e accelereranno il completamento del piano di indagine pediatrica e l'autorizzazione dei medicinali. Sarà possibile differire lo studio dell'uso di un medicinale nella popolazione pediatrica soltanto per un termine massimo di cinque anni (attualmente non esiste alcun limite); di conseguenza i prodotti raggiungeranno i pazienti pediatriche più rapidamente di oggi.

Quali sono i costi dell'opzione prescelta (o in mancanza di quest'ultima, delle opzioni principali)?

Un più rapido ingresso sul mercato dei medicinali generici comporterà alcune perdite per le imprese produttrici di medicinali originatori. Nel complesso, tuttavia, il sistema sarà più equilibrato, garantendo un migliore accesso ai medicinali a prezzi più accessibili, orientando nel contempo gli incentivi là dove sono più necessari, promuovendo in tal modo l'innovazione.

Quali sono le ricadute sulle piccole e medie imprese (PMI)?

I miglioramenti procedurali (quali la semplificazione e un maggiore sostegno da parte dell'Agenzia europea per i medicinali) e la riduzione degli oneri amministrativi saranno particolarmente importanti per le PMI, date le dimensioni ridotte delle loro imprese. Inoltre le PMI continueranno a beneficiare di riduzioni delle tariffe per le procedure dell'Agenzia. Considerando che nel settore delle malattie rare spesso avviano concetti innovativi (qualifiche di medicinali orfani), le PMI dovrebbero beneficiare della modulazione della durata dell'esclusiva di mercato, premiando i prodotti che rispondono a un'elevata esigenza medica insoddisfatta.

L'impatto sui bilanci e sulle amministrazioni nazionali sarà significativo?

Non si prevedono costi significativi per i sistemi sanitari nazionali. Con lo sviluppo di un maggior numero di prodotti, i sistemi sanitari nazionali dovrebbero sostenere costi aggiuntivi legati ai rimborsi, ma ciò sarà controbilanciato dai risparmi derivanti da un più rapido ingresso sul mercato dei medicinali generici.

Sono previsti altri impatti significativi?

Si prevede che questa iniziativa avrà un impatto positivo sulla sanità pubblica e sulla società nel suo complesso. Dovrebbe garantire che le soluzioni terapeutiche nuove diventino accessibili ai pazienti attraverso un maggior numero di prodotti per le malattie rare e per uso pediatrico, in particolare nei settori in cui non esiste un trattamento. Nel quadro della strategia farmaceutica per l'Europa, la revisione della legislazione sui medicinali orfani e pediatriche e della legislazione farmaceutica generale avrà ripercussioni positive cumulative sull'accesso ai medicinali e sulla loro accessibilità economica per tutti i pazienti nonché sulla sostenibilità dei sistemi sanitari.

Proporzionalità?

Nessuna delle opzioni per la revisione del regolamento sui medicinali orfani o del regolamento pediatrico va al di là di quanto necessario per conseguire gli obiettivi. L'iniziativa si limita agli aspetti che gli Stati membri non possono conseguire in maniera soddisfacente da soli e in relazione ai quali l'UE può fare meglio. Le opzioni prescelte sono proporzionate, dato che si basano sui pilastri di un sistema consolidato e li mantengono e propongono adeguamenti mirati, nonché in considerazione dei benefici attesi per i pazienti, i sistemi sanitari e l'industria.

D. Tappe successive

Quando saranno riesaminate le misure proposte?

Lo sviluppo di medicinali orfani nuovi può essere un processo lungo e il completamento di un piano di sviluppo clinico per i medicinali per uso pediatrico può richiedere fino a 10-15 anni. Gli incentivi e i premi esercitano pertanto i loro effetti numerosi anni dopo la data dell'autorizzazione all'immissione in commercio. Anche i benefici per i pazienti devono essere misurati su un periodo di almeno cinque-dieci anni dopo l'autorizzazione di un medicinale. La Commissione intende riesaminare periodicamente l'iniziativa. Tuttavia una valutazione significativa dei risultati della legislazione riveduta sarà possibile soltanto dopo almeno 15 anni dalla sua entrata in vigore.