



Raad van de
Europese Unie

Brussel, 28 april 2023
(OR. en)

Interinstitutioneel dossier:
2023/0132(COD)

8759/23
ADD 7

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

BEGELEIDENDE NOTA

van:	de secretaris-generaal van de Europese Commissie, ondertekend door mevrouw Martine DEPREZ, directeur
ingekomen:	26 april 2023
aan:	mevrouw Thérèse BLANCHET, secretaris-generaal van de Raad van de Europese Unie
nr. Comdoc.:	SWD(2023) 193 final
Betreft:	WERKDOCUMENT VAN DE DIENSTEN VAN DE COMMISSIE SAMENVATTING VAN HET EFFECTBEOORDELINGSVERSLAG bij Voorstel voor een Richtlijn van het Europees Parlement en de Raad tot vaststelling van een code van de Unie betreffende geneesmiddelen voor menselijk gebruik en tot intrekking van Richtlijn 2001/83/EG en Richtlijn 2009/35/EG Voorstel voor een Verordening van het Europees Parlement en de Raad tot vaststelling van procedures van de Unie voor het verlenen van vergunningen en het toezicht met betrekking tot geneesmiddelen voor menselijk gebruik en tot vaststelling van regels voor het Europees Geneesmiddelenbureau, tot wijziging van Verordening (EG) nr. 1394/2007 en Verordening (EU) nr. 536/2014 en tot intrekking van Verordening (EG) nr. 726/2004, Verordening (EG) nr. 141/2000 en Verordening (EG) nr. 1901/2006

Hierbij gaat voor de delegaties document SWD(2023) 193 final part 2/2.

Bijlage: SWD(2023) 193 final

Brussel, 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

WERKDOCUMENT VAN DE DIENSTEN VAN DE COMMISSIE
SAMENVATTING VAN HET EFFECTBEOORDELINGSVERSLAG

Samenvatting van het effectbeoordelingsverslag

bij

Voorstel voor een Richtlijn van het Europees Parlement en de Raad tot vaststelling van een code van de Unie betreffende geneesmiddelen voor menselijk gebruik en tot intrekking van Richtlijn 2001/83/EG en Richtlijn 2009/35/EG

Voorstel voor een Verordening van het Europees Parlement en de Raad tot vaststelling van procedures van de Unie voor het verlenen van vergunningen en het toezicht met betrekking tot geneesmiddelen voor menselijk gebruik en tot vaststelling van regels voor het Europees Geneesmiddelenbureau, tot wijziging van Verordening (EG) nr. 1394/2007 en Verordening (EU) nr. 536/2014 en tot intrekking van Verordening (EG) nr. 726/2004, Verordening (EG) nr. 141/2000 en Verordening (EG) nr. 1901/2006

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

A. Behoeftte aan actie

Wat is het probleem en waarom is het een probleem op EU-niveau?

Uit de evaluatie van de wetgeving inzake geneesmiddelen voor kinderen en geneesmiddelen bij zeldzame ziekten is gebleken dat de twee verordeningen in de afgelopen twintig jaar de ontwikkeling van geneesmiddelen doeltreffend hebben bevorderd. Sinds deze verordeningen zijn vastgesteld, is er echter sprake geweest van grootschalige wetenschappelijke ontdekkingen en ontwikkelingen en van een globalisering van de farmaceutische sector. Deze veranderingen hebben de aandacht gevestigd op on vervulde medische behoeften, de toegankelijkheid van geneesmiddelen voor patiënten en de budgettaire gevolgen van geneesmiddelen en maken het wenselijk om het beleid ten aanzien van zeldzame ziekten en geneesmiddelen voor kinderen te herzien.

Bij de in 2020 gepubliceerde evaluatie van de twee verordeningen zijn de volgende problemen vastgesteld:

1. er wordt onvoldoende voorzien in de behoeften van kinderen en patiënten met zeldzame ziekten;
2. de prijs van geneesmiddelen vormt een uitdaging voor zorgstelsels (betaalbaarheid);
3. de toegankelijkheid van geneesmiddelen voor patiënten is niet overal in de EU gelijk;
4. het systeem biedt onvoldoende ruimte voor innovatie en brengt onnodige lasten met zich mee.

1) Voor meer dan 95 % van de 6 000 erkende zeldzame ziekten bestaan nog steeds geen behandelingsopties. De ontwikkeling van geneesmiddelen voor kinderen wordt nog steeds bepaald door de ontwikkeling van geneesmiddelen voor volwassenen. Wanneer de therapeutische behoeften van volwassenen afwijken van de behoeften van kinderen, is het aantal beschikbare behandelingen beperkt.

2) Besluiten over prijsstelling en vergoeding en uitgaven aan geneesmiddelen zijn nationale bevoegdheden en vallen buiten het toepassingsgebied van de farmaceutische wetgeving van de EU. De gemiddelde catalogusprijs van nieuwe geneesmiddelen stijgt, met name de prijs van weesgeneesmiddelen. De hoge prijzen hebben gevolgen voor de betaalbaarheid en duurzaamheid van zorgstelsels. Door de prikkels waarin de wetgeving voorziet, wordt het op de markt brengen van goedkopere versies van geneesmiddelen (generieke geneesmiddelen en biosimilars) vertraagd. Deze producten zouden de betaalbaarheid van zorgstelsels juist kunnen verbeteren.

3) In de meeste lidstaten is momenteel slechts ongeveer de helft van de weesgeneesmiddelen die in de handel zijn, toegankelijk voor patiënten en de algemene toegankelijkheid varieert sterk tussen de lidstaten. Dit is erger dan voor standaardgeneesmiddelen. De toegankelijkheid van geneesmiddelen voor kinderen hangt vaak samen met de introductie van het overeenkomstige geneesmiddel voor volwassenen.

4) Door vooruitgang in de wetenschap, zoals geneesmiddelen voor geavanceerde therapie en gepersonaliseerde geneeskunde, zijn doelgerichte behandelingen voor patiënten met zeldzame ziekten al verbeterd. Door deze nieuwe producten is het huidige systeem van aanwijzing als weesgeneesmiddel in twijfel getrokken. Hierin worden de criteria bepaald waaraan een product moet voldoen om als weesgeneesmiddel te worden aangewezen. Bovendien is de verordening geneesmiddelen voor pediatrisch gebruik gebaseerd op bepaalde procedures (overeenstemming over een plan voor pediatrisch onderzoek in een vroeg ontwikkelingsstadium) die soms omslachtig en inefficiënt zijn gebleken.

Wat is het doel?

De algemene doelstelling van dit initiatief is om een hoog niveau van gezondheidsbescherming voor alle EU-burgers te waarborgen en ervoor te zorgen dat kinderen en patiënten met zeldzame ziekten toegang hebben tot betaalbare geneesmiddelen van hoge kwaliteit en tot veilige en doeltreffende behandelingen om in hun medische behoeften te voorzien.

Wat is de meerwaarde van EU-maatregelen (subsidiariteit)?

Het initiatief zal naar verwachting aanzienlijke efficiëntieverbeteringen opleveren door het systeem van stimulansen, beloningen en verplichtingen in verband met het onderzoek naar en de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen en geneesmiddelen voor kinderen te verbeteren en deze betaalbaarder en toegankelijker te maken voor alle patiënten in de hele EU. Bovendien zou door deze herziening de concurrerende werking van de markt worden verbeterd via een herziening van andere maatregelen waarmee het op de markt brengen van generieke geneesmiddelen en biosimilars wordt vergemakkelijkt. Hierdoor zouden de toegankelijkheid van geneesmiddelen voor patiënten en de betaalbaarheid worden verbeterd. Aangezien de markt voor geneesmiddelen bij zeldzame ziekten en geneesmiddelen voor kinderen zelfs in grotere EU-lidstaten klein is, zal waarschijnlijk alleen een geharmoniseerde aanpak op EU-niveau succesvol zijn. De voorgestelde interventie zal in overeenstemming zijn met andere Europese en nationale maatregelen.

B. Oplossingen

Welke opties dienen zich aan? Is er een voorkeursoptie? Zo nee, waarom niet?

De verordening weesgeneesmiddelen. Alle opties worden aangevuld met een reeks gemeenschappelijke elementen die zorgen voor een snellere introductie van generieke geneesmiddelen, maatregelen om weesgeneesmiddelen in de handel te houden, maatregelen waarmee de nodige flexibiliteit wordt gecreëerd om in te spelen op technologische en wetenschappelijke vooruitgang en een vereenvoudiging van de procedures.

Bij **optie A**: wordt de tien jaar marktexclusiviteit gehandhaafd en wordt een voucher toegevoegd voor producten die in een grote onervulde behoefte van patiënten voorzien. Met de voucher kan de wettelijke beschermingsperiode met één jaar worden verlengd en de voucher kan ook aan een ander bedrijf worden verkocht of voor een geneesmiddel in de portefeuille van dat bedrijf worden gebruikt. Bij **optie B**: wordt de huidige marktexclusiviteitsperiode van tien jaar afgeschaft. **Optie C**: voorziet, afhankelijk van het soort weesgeneesmiddel (respectievelijk voor grote onervulde behoeften, nieuwe werkzame stoffen en toepassingen die al langdurig in de medische praktijk worden gebruikt) in een *variabele* duur van de marktexclusiviteit van tien, negen of vijf jaar. Indien een geneesmiddel dat in grote onervulde behoeften voorziet of een nieuwe werkzame stof bevat, in alle betrokken lidstaten toegankelijk wordt gemaakt, wordt de marktexclusiviteit voor die producten met één jaar verlengd.

De voorkeur gaat uit naar **optie C**.

De verordening geneesmiddelen voor pediatrisch gebruik. Alle opties worden aangevuld met een reeks gemeenschappelijke elementen ter ondersteuning van de ontwikkeling van producten die tegemoetkomen aan de onervulde medische behoeften van kinderen, door procedures te stroomlijnen en waar nodig te vereenvoudigen om overeenstemming te bereiken over welke klinische studies bij kinderen moeten worden uitgevoerd. Het is de bedoeling om beter in te spelen op de wetenschappelijke innovatie en om de procedures te versnellen zodat producten sneller beschikbaar worden voor kinderen.

Bij **optie A**: wordt de verlenging met zes maanden van het intellectuele-eigendomsrecht (aanvullend beschermingscertificaat) gehandhaafd voor alle geneesmiddelen waarvan het gebruik bij kinderen wordt onderzocht. Voor geneesmiddelen die in onvervulde behoeften van kinderen voorzien, wordt een aanvullende beloning toegekend in de vorm van *of* een extra verlenging met zes maanden van het aanvullende beschermingscertificaat *of* een voucher voor een verlenging van de duur van de wettelijke bescherming met één jaar. Die voucher kan aan een ander bedrijf worden verkocht of voor een product in de portefeuille van dat bedrijf worden gebruikt. Bij **optie B**: wordt de verlenging met zes maanden van het aanvullende beschermingscertificaat afgeschaft. Bij **optie C**: wordt de verlenging met zes maanden van het aanvullende beschermingscertificaat gehandhaafd.

De voorkeur gaat uit naar **optie C**.

Hoe reageren de verschillende belanghebbenden? Wie steunt welke optie?

De verordening weesgeneesmiddelen. Alle belanghebbenden zijn het erover eens dat de ontwikkeling van geneesmiddelen bij zeldzame ziekten met specifieke stimulansen moet worden ondersteund, aangezien er anders opnieuw marktfalen zou kunnen optreden. Overheidsinstanties en patiëntenorganisaties kiezen voor een onderverdeling van de stimulans die momenteel het belangrijkste is, zoals weergegeven in optie C. De farmaceutische industrie zou de modulatie van de stimulansen ondersteunen, maar niet de algemene verkorting ervan. Het bedrijfsleven stelde voor om extra stimulansen ten opzichte van de huidige situatie in te voeren of een nieuwe stimulans zoals een overdraagbare exclusiviteitsvoucher. Aangezien investeringsbeslissingen worden genomen ruim voordat stimulansen voor een succesvolle ontwikkeling worden verkregen, heeft het bedrijfsleven ook benadrukt dat de huidige verordening stabiel moet blijven en dat er voorspelbaarheid moet zijn in de vorm van de huidige criteria voor de aanwijzing als weesgeneesmiddel.

De verordening geneesmiddelen voor pediatrisch gebruik. De noodzaak om de bestaande verplichting tot onderzoek van alle nieuwe geneesmiddelen voor gebruik bij kinderen te handhaven, wordt in het algemeen door alle belanghebbenden gesteund. De farmaceutische industrie en de academische wereld zijn over het algemeen ingenomen met de verbeteringen van de procedures. De inkorting van de verlenging van het aanvullende beschermingscertificaat wordt door geen enkele groep belanghebbenden gesteund. Het bedrijfsleven is voorstander van het behoud van het bestaande systeem, maar heeft ook aangedrongen op de invoering van extra beloningen ter ondersteuning van specifieke ontwikkelingen op het gebied van onvervulde medische behoeften van kinderen. Overheidsinstanties geven toe dat onvervulde medische behoeften van kinderen beter in kaart moeten worden gebracht en dat het huidige systeem van verplichtingen en beloningen betrekkelijk goed heeft gefunctioneerd, maar zijn bezorgd over het invoeren van nieuwe beloningen en over de gevolgen daarvan voor de duurzaamheid van zorgstelsels.

C. Gevolgen van de voorkeursoptie

Wat zijn de voordelen van de voorkeursoptie (als er een voorkeur is, anders van de belangrijkste opties)?

De verordening weesgeneesmiddelen. Voorkeursoptie C zal de levenskwaliteit van patiënten met zeldzame ziekten en hun families verbeteren, aangezien patiënten gemiddeld zullen profiteren van één of twee nieuwe geneesmiddelen per jaar extra, met name bij aandoeningen waarvoor momenteel geen behandeling bestaat. Bedrijven die het oorspronkelijke middel hebben ontwikkeld, zullen profiteren van een verlenging van de marktexclusiviteit voor geneesmiddelen die in grote onvervulde medische behoeften voorzien. Generieke-geneesmiddelenondernemingen profiteren van een snellere en voorspelbaardere toegang tot de

markt. Bovendien zou de voorspelbaarheid voor producenten van generieke geneesmiddelen moeten toenemen, aangezien zij hun product op de markt kunnen brengen op de dag waarop de marktexclusiviteit vervalt. Als gevolg van het eerder op de markt brengen van generieke geneesmiddelen krijgen patiënten een betere toegang tot geneesmiddelen en zullen ook de kosten voor de zorgstelsels van de lidstaten dalen. Dankzij vereenvoudigingsmaatregelen zouden per jaar 3,3 miljoen EUR aan administratieve kosten worden bespaard. Door de specifiek voor geneesmiddelen voor grote onvervulde medische behoeften bestemde stimulansen zal innovatie worden bevorderd en zullen onderzoeksinvesterings worden gericht op gebieden waar ze het hardst nodig zijn en zal zo het concurrentievermogen een impuls krijgen.

De verordening geneesmiddelen voor pediatrisch gebruik. Door optie C zal het aantal geneesmiddelen voor kinderen worden verhoogd waardoor hun kwaliteit van leven en de kwaliteit van leven van hun families zal verbeteren. Bij deze optie zal de ontwikkeling van producten voor de aanpak van onvervulde behoeften bij kinderen worden bevorderd door middel van duidelijke criteria voor het identificeren van dergelijke producten. Bij deze optie wordt ook bepaald dat producten die uitsluitend voor volwassenen zijn ontwikkeld, ook bij kinderen moeten worden onderzocht, wanneer zij op basis van wetenschappelijke gegevens werkzaam zouden kunnen zijn bij de behandeling van een ziekte bij kinderen. Door procedurele vereenvoudigingen en aanpassingen zal het systeem innovatievriendelijker worden, het plan voor pediatrisch onderzoek sneller kunnen worden afgerond en het verlenen van een vergunning voor geneesmiddelen vlotter verlopen. Het zal slechts mogelijk zijn om het onderzoek van het gebruik van een geneesmiddel bij kinderen tot maximaal vijf jaar uit te stellen (er is momenteel geen limiet) zodat producten kinderen sneller zullen bereiken dan momenteel het geval is.

Wat zijn de kosten van de voorkeursoptie (als er een voorkeursoptie is; anders van de belangrijkste opties)?

Het sneller op de markt brengen van generieke geneesmiddelen zal enige verliezen met zich meebrengen voor bedrijven die het oorspronkelijke geneesmiddel hebben ontwikkeld. Over het geheel genomen zal het systeem echter evenwichtiger zijn, waardoor de toegankelijkheid van betaalbare geneesmiddelen wordt verbeterd en tegelijkertijd stimulansen worden gericht op gebieden waar ze het hardst nodig zijn en dus innovatie wordt bevorderd.

Wat zijn de gevolgen voor kleine en middelgrote ondernemingen (kmo's)?

Gezien de kleine omvang van kmo's zullen de procedurele verbeteringen (zoals vereenvoudiging en meer steun van het Europees Geneesmiddelenbureau) en de vermindering van de administratieve lasten bijzonder belangrijk voor hen zijn. Bovendien zullen kmo's blijven profiteren van verlagingen van de vergoedingen voor de procedures van het Bureau. Aangezien het vaak kmo's zijn die innovatieve concepten op het gebied van zeldzame ziekten (aanwijzingen als weesgeneesmiddel) beginnen, zouden zij moeten profiteren van de modulatie van de duur van de marktexclusiviteit voor geneesmiddelen voor grote onvervulde medische behoeften.

Zijn er significante gevolgen voor de nationale begrotingen en overheden?

Er worden geen aanzienlijke kosten verwacht voor de nationale zorgstelsels. Naarmate er meer producten worden ontwikkeld, zullen de nationale zorgstelsels naar verwachting extra kosten maken in verband met terugbetalingen, maar dit zal worden gecompenseerd door de besparingen als gevolg van het sneller op de markt brengen van generieke geneesmiddelen.

Zijn er nog andere significante gevolgen?

Dit initiatief zal naar verwachting gunstige gevolgen hebben voor de volksgezondheid en de samenleving als geheel. Het zou ervoor moeten zorgen dat er nieuwe behandelingsopties beschikbaar komen voor patiënten door de toename van producten bij zeldzame ziekten en producten voor kinderen, met name bij aandoeningen waarvoor nu nog geen behandeling bestaat. In het kader van de farmaceutische strategie voor Europa zal de herziening van de wetgeving voor weesgeneesmiddelen en die voor geneesmiddelen voor pediatrisch gebruik een cumulatief positief effect hebben op de toegankelijkheid en betaalbaarheid van geneesmiddelen voor alle patiënten en op de duurzaamheid van de zorgstelsels.

Evenredigheid?

Geen van de opties voor de herziening van de verordeningen voor weesgeneesmiddelen of geneesmiddelen voor pediatrisch gebruik gaat verder dan wat nodig is om de doelstellingen te verwezenlijken. Het initiatief is beperkt tot de aspecten die de lidstaten niet op bevredigende wijze alleen kunnen bereiken en waar de EU betere resultaten kan behalen. Aangezien bij de voorkeursopties wordt voortgebouwd op de pijlers van het bestaande systeem en deze worden behouden en er gerichte aanpassingen worden voorgesteld, en gezien de verwachte voordelen ervan voor patiënten, zorgstelsels en het bedrijfsleven, zijn de voorkeursopties evenredig.

D. Follow-up

Wanneer wordt het beleid geëvalueerd?

De ontwikkeling van nieuwe weesgeneesmiddelen kan een langdurig proces zijn en het voltooiën van een klinisch ontwikkelingsplan voor geneesmiddelen voor kinderen kan 10 tot 15 jaar in beslag nemen. Daarom hebben stimulansen en beloningen nog vele jaren na de datum van de vergunning voor het in de handel brengen effect. Ook het voordeel voor patiënten moet gedurende een periode van ten minste vijf tot tien jaar nadat een vergunning voor een geneesmiddel is verleend, worden gemeten. De Commissie is van plan het initiatief periodiek te evalueren. Een zinvolle evaluatie van de resultaten van de herziene wetgeving zal pas ten minste 15 jaar na de inwerkingtreding ervan mogelijk zijn.