



Conselho da
União Europeia

Bruxelas, 28 de abril de 2023
(OR. en)

**Dossiê interinstitucional:
2023/0132(COD)**

**8759/23
ADD 7**

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

NOTA DE ENVIO

de: Secretária-geral da Comissão Europeia, com a assinatura de Martine DEPREZ, diretora

data de receção: 26 de abril de 2023

para: Thérèse BLANCHET, secretária-geral do Conselho da União Europeia

n.º doc. Com.: SWD(2023) 193 final - parte 2/2

Assunto: DOCUMENTO DE TRABALHO DOS SERVIÇOS DA COMISSÃO
RESUMO DO RELATÓRIO DA AVALIAÇÃO DE IMPACTO
Resumo do relatório da avaliação de impacto
que acompanha o documento
Proposta de Diretiva do Parlamento Europeu e do Conselho que estabelece um código da União relativo aos medicamentos para uso humano e que revoga a Diretiva 2001/83/CE e a Diretiva 2009/35/CE
Proposta de Regulamento do Parlamento Europeu e do Conselho que estabelece procedimentos da União para a autorização e a supervisão de medicamentos para uso humano e que estabelece regras que regem a Agência Europeia de Medicamentos, que altera o Regulamento (CE) n.º 1394/2007 e o Regulamento (UE) n.º 536/2014 e que revoga o Regulamento (CE) n.º 726/2004, o Regulamento (CE) n.º 141/2000 e o Regulamento (CE) n.º 1901/2006

Envia-se em anexo, à atenção das delegações, o documento SWD(2023) 193 final - parte 2/2.

Anexo: SWD(2023) 193 final - parte 2/2

Bruxelas, 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

DOCUMENTO DE TRABALHO DOS SERVIÇOS DA COMISSÃO
RESUMO DO RELATÓRIO DA AVALIAÇÃO DE IMPACTO

Resumo do relatório da avaliação de impacto

que acompanha o documento

Proposta de Diretiva do Parlamento Europeu e do Conselho que estabelece um código da União relativo aos medicamentos para uso humano e que revoga a Diretiva 2001/83/CE e a Diretiva 2009/35/CE

Proposta de Regulamento do Parlamento Europeu e do Conselho que estabelece procedimentos da União para a autorização e a supervisão de medicamentos para uso humano e que estabelece regras que regem a Agência Europeia de Medicamentos, que altera o Regulamento (CE) n.º 1394/2007 e o Regulamento (UE) n.º 536/2014 e que revoga o Regulamento (CE) n.º 726/2004, o Regulamento (CE) n.º 141/2000 e o Regulamento (CE) n.º 1901/2006

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

A. Necessidade de agir

Qual o problema e por que motivo tem dimensão europeia?

A avaliação da legislação relativa aos medicamentos para crianças e para doenças raras demonstrou que os dois regulamentos promoveram eficazmente o desenvolvimento de medicamentos nos últimos 20 anos. No entanto, desde a sua adoção, registaram-se grandes desenvolvimentos e descobertas científicas e uma globalização do setor farmacêutico. Estas alterações, que centraram a atenção nas necessidades médicas não satisfeitas, no acesso dos doentes e nos impactos orçamentais dos medicamentos, exigem uma revisão da intervenção política no domínio das doenças raras e dos medicamentos para crianças.

A avaliação dos dois regulamentos, publicada em 2020, identificou os seguintes problemas:

1. As necessidades médicas das crianças e dos doentes com doenças raras não estão suficientemente satisfeitas;
2. O preço dos medicamentos constitui um desafio para os sistemas de saúde (comportabilidade dos preços);
3. Os doentes têm um acesso desigual aos medicamentos nos vários países da UE;
4. O sistema não tem suficientemente em conta a inovação e cria encargos desnecessários.

1) Das mais de 6 000 doenças raras reconhecidas, 95 % ainda não têm atualmente opção de tratamento. O desenvolvimento de medicamentos para crianças continua a ser impulsionado pelo desenvolvimento de medicamentos para adultos. Quando as necessidades terapêuticas dos adultos divergem das necessidades das crianças, o número de tratamentos disponíveis é limitado.

2) As decisões em termos de fixação de preços e reembolsos e as despesas farmacêuticas são competências nacionais, fora do âmbito de aplicação da legislação farmacêutica da UE. O preço médio dos novos medicamentos está a aumentar, especialmente no caso dos medicamentos órfãos. Os preços elevados têm impacto na comportabilidade dos preços e na sustentabilidade dos sistemas de saúde. Os incentivos previstos na legislação atrasam a entrada no mercado de versões mais baratas de produtos (genéricos e biossimilares) que, de outro modo, poderiam melhorar a comportabilidade dos preços para os sistemas de saúde.

3) Apenas cerca de metade dos medicamentos órfãos no mercado são atualmente acessíveis aos doentes na maioria dos Estados-Membros e o acesso global varia consideravelmente entre os Estados-Membros. Esta situação é pior do que no caso dos medicamentos padrão. O acesso a medicamentos para crianças está frequentemente associado ao lançamento do medicamento para adultos correspondente.

4) Os progressos da ciência, tal como os medicamentos de terapia avançada e as abordagens de medicina personalizada, já melhoraram os tratamentos específicos para os doentes que sofrem de doenças raras. Estes novos medicamentos desafiaram o atual sistema de designação de medicamentos órfãos, que especifica os critérios que um produto deve satisfazer para receber uma designação de medicamento órfão. Além disso, o Regulamento Pediátrico baseia-se em determinados procedimentos (aprovação de um plano de investigação pediátrica numa fase inicial de desenvolvimento) que, por vezes, se revelaram onerosos e ineficientes.

Quais são os resultados esperados?

O objetivo geral desta iniciativa é assegurar um elevado nível de proteção da saúde para todos os cidadãos da UE e garantir que as crianças e os doentes com doenças raras tenham acesso a medicamentos de elevada qualidade a preços comportáveis e a terapias seguras e eficazes para dar resposta às suas necessidades médicas.

Qual o valor acrescentado da ação a nível da UE (subsidiariedade)?

Espera-se que a iniciativa proporcione ganhos de eficiência significativos, melhorando o sistema de incentivos, recompensas e obrigações relacionados com a investigação e o desenvolvimento de medicamentos órfãos e medicamentos para crianças, bem como ajudando a torná-los mais económicos e acessíveis para todos os doentes em toda a UE. Além disso, esta revisão poderia melhorar o funcionamento competitivo do mercado através da revisão de outras medidas destinadas a facilitar a entrada no mercado de medicamentos genéricos e biossimilares. Isto melhoraria o acesso dos doentes e a comportabilidade dos preços. Uma vez que o mercado de medicamentos para doenças raras e crianças é pequeno, mesmo nos maiores Estados-Membros da UE, só uma abordagem harmonizada a nível da UE poderá ter êxito. A intervenção proposta será coerente com outras medidas europeias e nacionais.

B. Soluções

Quais são as várias opções para cumprir os objetivos? Há alguma opção preferida? Em caso negativo, por que razão?

Regulamento Medicamentos Órfãos. Todas as opções são complementadas por um conjunto de elementos comuns que asseguram uma introdução mais rápida dos medicamentos genéricos, medidas para manter os medicamentos órfãos no mercado, medidas que criam a flexibilidade necessária para ter em conta aos progressos tecnológicos e científicos e simplificação dos procedimentos.

Opção A: mantém os 10 anos de exclusividade de mercado e acrescenta um vale para produtos que deem resposta a uma grande necessidade não satisfeita dos doentes. O vale permite uma prorrogação de 1 ano do período de proteção regulamentar e pode ser vendido a outra empresa ou utilizado para um produto da carteira dessa empresa. **Opção B:** suprime o atual período de 10 anos de exclusividade de mercado. **Opção C:** prevê uma duração *variável* de exclusividade de mercado de 10, 9 ou 5 anos, com base no tipo de medicamento órfão (respetivamente, para dar resposta a uma grande necessidade não satisfeita, nova substância ativa, aplicação de utilização bem estabelecida). Se um medicamento que dê resposta a uma grande necessidade não satisfeita ou que contenha uma nova substância ativa for disponibilizado em todos os Estados-Membros relevantes, a exclusividade de mercado é prorrogada por 1 ano para esses produtos.

A opção preferida é a **opção C**.

Regulamento Pediátrico. Todas as opções são complementadas por um conjunto de elementos comuns que apoiam o desenvolvimento de produtos que dão resposta às necessidades médicas não satisfeitas das crianças, racionalizando e, se necessário, simplificando os procedimentos para chegar a acordo sobre os estudos clínicos que têm de ser realizados em crianças. O objetivo é integrar melhor a inovação na ciência e acelerar os procedimentos, a fim de tornar os produtos mais acessíveis às crianças.

Opção A: a prorrogação de 6 meses do direito de propriedade intelectual (certificado complementar de proteção) será mantida para todos os medicamentos para os quais é estudada a utilização em crianças. Para os medicamentos que dão resposta a necessidades não satisfeitas das crianças, uma recompensa adicional sob a forma de *quer* uma prorrogação adicional de 6 meses do certificado complementar de proteção *quer* de um vale para uma prorrogação de 1 ano da duração da proteção regulamentar, que pode ser vendido a outra empresa ou utilizado para um produto da carteira dessa empresa. **Opção B:** a prorrogação de 6 meses do certificado complementar de proteção será suprimida. **Opção C:** a prorrogação de 6 meses do certificado complementar de proteção será mantida.

A opção preferida é a **opção C**.

Quais são as perspetivas dos vários intervenientes? Quem apoia cada uma das opções?

Regulamento Medicamentos Órfãos. Todas as partes interessadas concordam quanto à necessidade de continuar a apoiar o desenvolvimento de medicamentos para doenças raras com incentivos específicos, pois de outra forma poderiam ocorrer outras falhas de mercado. As autoridades públicas e as organizações de doentes optam por uma diferenciação do principal incentivo atual, tal como refletido na opção C. A indústria farmacêutica poderia apoiar a modulação dos incentivos, mas não a sua redução generalizada. A indústria propôs a introdução de incentivos adicionais em comparação com a situação atual ou de um novo incentivo, como um vale transferível de exclusividade. A indústria salientou igualmente a necessidade de o atual regulamento permanecer estável, e também de previsibilidade quanto à forma dos atuais critérios de designação de medicamentos órfãos, uma vez que as decisões de investimento são tomadas muito antes de se poderem adquirir incentivos para um desenvolvimento bem sucedido.

Regulamento Pediátrico. A necessidade de manter a atual obrigação de estudar todos os novos medicamentos para uso pediátrico é geralmente apoiada por todas as partes interessadas. A indústria farmacêutica e o meio académico acolhem favoravelmente, de um modo geral, as melhorias introduzidas nos procedimentos. A redução da prorrogação do certificado complementar de proteção não é apoiada por nenhum grupo de partes interessadas. A indústria é a favor da manutenção do sistema existente, mas apelou igualmente à introdução de recompensas adicionais para apoiar desenvolvimentos específicos em áreas de necessidades médicas não satisfeitas das crianças. As autoridades públicas reconhecem a necessidade de identificar melhor as necessidades médicas pediátricas não satisfeitas e reconhecem que o atual sistema de obrigações e recompensas funcionou relativamente bem, mas mostraram-se preocupadas com a introdução de novas recompensas e o seu impacto subsequente na sustentabilidade dos sistemas nacionais de saúde.

C. Impactos da opção preferida

Quais as vantagens da opção preferida (se existirem; caso contrário, das principais opções)?

Regulamento Medicamentos Órfãos. A opção preferida C melhorará a qualidade de vida dos doentes que sofrem destas doenças e das suas famílias, uma vez que os doentes beneficiarão, em média, de 1 a 2 novos medicamentos por ano, em especial em áreas onde não existe atualmente qualquer tratamento disponível. As empresas de medicamentos originais obterão lucros devido ao alargamento da exclusividade de mercado dos medicamentos que dão resposta a uma grande necessidade médica não satisfeita. As empresas de genéricos beneficiam de uma entrada no mercado mais precoce e mais previsível. Além disso, a previsibilidade para os produtores de genéricos deverá aumentar, uma vez que podem colocar o seu produto no mercado no dia em que expira a exclusividade de mercado. Os doentes terão um maior acesso devido a uma entrada mais precoce de medicamentos genéricos no mercado, o que também reduzirá os custos para os sistemas de saúde dos Estados-Membros. As medidas de simplificação poupariam 3,3 milhões de EUR por ano em custos administrativos. Os incentivos específicos para medicamentos que deem resposta a uma grande necessidade médica não satisfeita promoverão a inovação e deverão reorientar o investimento em investigação para os domínios em que é mais necessário, impulsionando assim a competitividade.

Regulamento Pediátrico. A opção preferida C aumentará o número de medicamentos para crianças, o que melhorará a qualidade de vida das crianças e das suas famílias. Esta opção promoverá o desenvolvimento de produtos que respondam a necessidades não satisfeitas das

crianças, através de critérios claros para a identificação desses produtos. Introduce igualmente o requisito de que os produtos desenvolvidos apenas para adultos sejam estudados também em crianças quando, com base em dados científicos, possam ser eficazes contra uma doença infantil. As simplificações e ajustamentos processuais tornarão o sistema mais propício à inovação e conduzirão a uma conclusão mais rápida do plano de investigação pediátrica e da autorização de medicamentos. Só será possível adiar o estudo da utilização de um medicamento em crianças por um período máximo de 5 anos (atualmente não existe limite), pelo que os medicamentos chegarão às crianças mais rapidamente do que atualmente.

Quais os custos da opção preferida (se existir; caso contrário, das principais opções)?

Uma entrada mais rápida no mercado dos genéricos resultará em algumas perdas para as empresas de medicamentos originais. No entanto, de um modo geral, o sistema será mais equilibrado, garantindo um melhor acesso a medicamentos a preços mais comportáveis e, ao mesmo tempo, orientando os incentivos para onde são mais necessários, promovendo assim a inovação.

Quais são os impactos nas pequenas e médias empresas (PME)?

As melhorias processuais (como a simplificação e o apoio acrescido da Agência Europeia de Medicamentos) e a redução dos encargos administrativos serão particularmente importantes para as PME, dada a pequena dimensão dos seus negócios. Além disso, as PME continuarão a beneficiar de reduções de taxas para os procedimentos da Agência. Tendo em conta que as PME no domínio das doenças raras lançam frequentemente conceitos inovadores (designações de medicamentos órfãos), devem beneficiar da modulação da duração da exclusividade de mercado, recompensando os produtos que dão resposta a grandes necessidades médicas não satisfeitas.

Haverá impactos significativos nos orçamentos e nas administrações públicas nacionais?

Não se prevêem custos significativos para os sistemas nacionais de saúde. À medida que forem desenvolvidos mais produtos, prevê-se que os sistemas nacionais de saúde incorram em custos adicionais associados aos reembolsos, mas tal será compensado por poupanças resultantes de uma entrada mais rápida no mercado dos medicamentos genéricos.

Haverá outros impactos significativos?

Espera-se que esta iniciativa tenha um impacto positivo na saúde pública e na sociedade em geral. Deverá assegurar que as novas soluções terapêuticas se tornem acessíveis aos doentes através de um maior número de produtos para doenças raras e para crianças, em especial em áreas onde não existe tratamento. No âmbito da estratégia farmacêutica para a Europa, a revisão da legislação sobre medicamentos órfãos e pediátricos e da legislação farmacêutica geral terá um impacto positivo cumulativo no acesso aos medicamentos e na comportabilidade dos preços para todos os doentes, bem como na sustentabilidade dos sistemas de saúde.

Proporcionalidade?

Nenhuma das opções para a revisão do Regulamento Medicamentos Órfãos ou do Regulamento Pediátrico excede o necessário para alcançar os objetivos. A iniciativa limita-se aos aspetos que os Estados-Membros não podem, por si só, alcançar de forma satisfatória e em que a UE pode ter melhores resultados. As opções preferidas são proporcionadas, uma vez que têm por base e mantêm os pilares de um sistema estabelecido e propõem ajustamentos específicos, e tendo em conta os benefícios esperados para os doentes, os sistemas de saúde e a indústria.

D. Acompanhamento

Quando será revista a política?

O desenvolvimento de novos medicamentos órfãos pode ser um processo longo e a conclusão de um plano de desenvolvimentos clínico para medicamentos para crianças pode demorar até 10-15 anos. Os incentivos e as recompensas exercem o seu efeito muitos anos após a data da autorização de introdução no mercado. O benefício para os doentes também tem de ser medido durante um período de pelo menos 5-10 anos após a autorização de um medicamento. A Comissão tenciona rever a iniciativa periodicamente. No entanto, uma avaliação significativa dos resultados da legislação revista só será possível pelo menos 15 anos após a sua entrada em vigor.