

Bruxelles, 28 aprilie 2023
(OR. en)

Dosar interinstituțional:
2023/0132 (COD)

8759/23
ADD 7

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

NOTĂ DE ÎNȘOȚIRE

Sursă:	Secretara Generală a Comisiei Europene, sub semnătura dnei Martine DEPREZ, Directoare
Data primirii:	26 aprilie 2023
Destinatar:	Dna Thérèse BLANCHET, Secretară Generală a Consiliului Uniunii Europene
Nr. doc. Csie:	SWD(2023) 193 final
Subiect:	DOCUMENT DE LUCRU AL SERVICIILOR COMISIEI REZUMAT AL RAPORTULUI PRIVIND EVALUAREA IMPACTULUI Rezumatul evaluării impactului care însoțește documentele Propunere de directivă a Parlamentului European și a Consiliului de instituire a unui cod al Uniunii cu privire la medicamentele de uz uman și de abrogare a Directivei 2001/83/CE și a Directivei 2009/35/CE Propunere de regulament al Parlamentului European și al Consiliului de stabilire a procedurilor la nivelul Uniunii privind autorizarea și supravegherea medicamentelor de uz uman și de stabilire a normelor care reglementează Agenția Europeană pentru Medicamente, de modificare a Regulamentului (CE) nr. 1394/2007 și a Regulamentului (UE) nr. 536/2014 și de abrogare a Regulamentului (CE) nr. 726/2004, a Regulamentului (CE) nr. 141/2000 și a Regulamentului (CE) nr. 1901/2006

În anexă, se pune la dispoziția delegațiilor documentul SWD(2023) 193 final.

Anexă: SWD(2023) 193 final



COMISIA
EUROPEANĂ

Bruxelles, 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

DOCUMENT DE LUCRU AL SERVICIILOR COMISIEI
REZUMAT AL RAPORTULUI PRIVIND EVALUAREA IMPACTULUI

Rezumatul evaluării impactului

care însoțește documentele

Propunere de directivă a Parlamentului European și a Consiliului de instituire a unui cod al Uniunii cu privire la medicamentele de uz uman și de abrogare a Directivei 2001/83/CE și a Directivei 2009/35/CE

Propunere de regulament al Parlamentului European și al Consiliului de stabilire a procedurilor la nivelul Uniunii privind autorizarea și supravegherea medicamentelor de uz uman și de stabilire a normelor care reglementează Agenția Europeană pentru Medicamente, de modificare a Regulamentului (CE) nr. 1394/2007 și a Regulamentului (UE) nr. 536/2014 și de abrogare a Regulamentului (CE) nr. 726/2004, a Regulamentului (CE) nr. 141/2000 și a Regulamentului (CE) nr. 1901/2006

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

A. Necesitatea de acțiune
Care este problema și de ce este o problemă la nivelul UE?
Evaluarea legislației privind medicamentele pentru copii și pentru bolile rare a arătat că cele două regulamente au încurajat efectiv dezvoltarea de medicamente în ultimii 20 de ani. Cu toate acestea, de la adoptarea lor, s-au înregistrat evoluții și descoperiri ample în domeniul științei și a avut loc o globalizare a sectorului farmaceutic. Aceste schimbări, care au concentrat atenția asupra nevoilor medicale nesatisfăcute, asupra accesului pacienților și asupra impactului bugetar al medicamentelor, necesită o revizuire a intervenției politice în domeniul bolilor rare și al medicamentelor pentru copii. Evaluarea celor două regulamente, publicată în 2020, a identificat următoarele probleme: 1. nevoile medicale ale copiilor și ale pacienților cu boli rare nu sunt satisfăcute în mod suficient; 2. prețul medicamentelor reprezintă o provocare pentru sistemele de sănătate (accesibilitate financiară); 3. accesul pacienților la medicamente este inegal în UE; 4. sistemul nu permite inovarea suficient de bine și creează sarcini inutile. 1) Din cele peste 6 000 de boli rare recunoscute, 95 % nu au încă nicio opțiune de tratament. Dezvoltarea medicamentelor pentru copii este în continuare determinată de dezvoltarea medicamentelor pentru adulți. În cazul în care nevoile terapeutice ale adulților diferă de nevoile copiilor, numărul tratamentelor disponibile este limitat. 2) Deciziile de stabilire a prețurilor și de compensare și cheltuielile farmaceutice sunt competențe naționale, în afara domeniului de aplicare al legislației farmaceutice a UE. Prețul mediu de catalog al medicamentelor noi este în creștere, în special pentru medicamentele orfane. Prețurile ridicate au un impact asupra accesibilității financiare și sustenabilității sistemelor de sănătate. Stimulentele oferite de legislație întârzie intrarea pe piață a unor versiuni mai ieftine ale produselor (medicamente generice și medicamente biosimilare), care, în caz contrar, ar putea îmbunătăți accesibilitatea financiară pentru sistemele de sănătate. 3) Numai aproximativ jumătate dintre medicamentele orfane de pe piață sunt în prezent accesibile pacienților în majoritatea statelor membre, iar accesul general variază considerabil de la un stat membru la altul. Acest lucru este mai problematic decât în cazul medicamentelor standard. Accesul la medicamente pentru copii este adesea legat de lansarea produsului pentru adulți corespunzător. 4) Progresele științifice, cum ar fi medicamentele pentru terapii avansate și abordările medicinei personalizate, au îmbunătățit deja tratamentele-țintă pentru pacienții care suferă de boli rare. Aceste produse noi au pus în discuție sistemul actual de desemnare a medicamentelor orfane, care specifică criteriile pe care trebuie să le îndeplinească un produs pentru a fi desemnat drept medicament orfan. În plus, Regulamentul pediatric se bazează pe anumite proceduri (acordul privind un plan de investigație pediatrică într-un stadiu incipient de dezvoltare) care s-au dovedit uneori a fi împovărătoare și ineficiente.
Care este rezultatul urmărit?
Obiectivul general al prezentei inițiative este de a asigura un nivel ridicat de protecție a sănătății pentru toți cetățenii UE și de a garanta accesul copiilor și al pacienților cu boli rare la medicamente de înaltă calitate la prețuri accesibile și la terapii sigure și eficiente pentru a răspunde nevoilor lor medicale.
Care este valoarea adăugată a acțiunii la nivelul UE (subsidiaritate)?

Se preconizează că inițiativa va aduce îmbunătățiri semnificative ale eficienței prin îmbunătățirea sistemului de stimulente, recompense și obligații legate de cercetarea și dezvoltarea de medicamente orfane și de medicamente pentru copii, precum și prin contribuția la îmbunătățirea prețurilor și a accesibilității acestora pentru toți pacienții din întreaga UE. În plus, prezenta revizuire ar putea îmbunătăți funcționarea concurențială a pieței prin revizuirea altor măsuri de facilitare a intrării pe piață a medicamentelor generice și biosimilare. Acest lucru ar îmbunătăți accesul pacienților și accesibilitatea financiară pentru aceștia. Întrucât piața medicamentelor pentru boli rare și copii este mică, chiar și în statele membre mai mari ale UE, este probabil ca doar o abordare armonizată la nivelul UE să aibă succes. Intervenția propusă va fi în concordanță cu alte măsuri europene și naționale.

B. Soluții

Care sunt diferitele opțiuni disponibile pentru atingerea obiectivelor? Există o opțiune preferată? Dacă nu, de ce?

Regulamentul privind medicamentele orfane. Toate opțiunile sunt completate de un set de elemente comune care asigură introducerea mai rapidă a medicamentelor generice, de măsuri de menținere a medicamentelor orfane pe piață, de măsuri de creare a flexibilității necesare pentru a ține seama de progresele tehnologice și științifice și de simplificarea procedurilor.

Opțiunea A: păstrează cei 10 ani de exclusivitate pe piață și adaugă un voucher pentru produsele care răspund unei nevoi mari nesatisfăcute a pacienților. Voucherul permite o prelungire cu un an a perioadei de protecție normativă și poate fi vândut unei alte întreprinderi sau utilizat pentru un produs din portofoliul întreprinderii respective. **Opțiunea B:** elimină perioada actuală de 10 ani de exclusivitate pe piață. **Opțiunea C:** prevede o durată *variabilă* a exclusivității pe piață de 10, 9 sau 5 ani, în funcție de tipul de medicament orfan (dacă răspunde nevoilor mari nesatisfăcute; substanță activă nouă; respectiv, utilizare bine stabilită). În cazul în care un medicament care răspunde unei nevoi mari nesatisfăcute sau care conține o substanță activă nouă devine accesibil în toate statele membre relevante, exclusivitatea pe piață se prelungește cu 1 an pentru produsele respective.

Opțiunea preferată este **Opțiunea C**.

Regulamentul pediatric. Toate opțiunile sunt completate de un set de elemente comune care sprijină dezvoltarea de produse care răspund nevoilor medicale nesatisfăcute ale copiilor, raționalizând și, după caz, simplificând procedurile pentru a conveni asupra studiilor clinice care trebuie efectuate la copii. Intenția este de a integra mai bine inovarea în știință și de a accelera procedurile, astfel încât produsele să devină accesibile copiilor mai rapid.

Opțiunea A: prelungirea cu 6 luni a dreptului de proprietate intelectuală (certificat suplimentar de protecție) va fi păstrată pentru toate medicamentele pentru care se studiază utilizarea la copii. Pentru medicamentele care răspund nevoilor nesatisfăcute ale copiilor, o recompensă suplimentară sub forma *fie* a unei prelungiri suplimentare cu 6 luni a certificatului suplimentar de protecție, *fie* a unui voucher pentru o prelungire cu 1 an a duratei protecției normative, care poate fi vândut unei alte întreprinderi sau utilizat pentru un produs din portofoliul întreprinderii respective. **Opțiunea B:** va fi eliminată prelungirea cu 6 luni a certificatului suplimentar de protecție. **Opțiunea C:** va fi menținută prelungirea cu 6 luni a certificatului suplimentar de protecție.

Opțiunea preferată este **Opțiunea C**.

Care sunt punctele de vedere ale diferitelor părți interesate? Cine sunt susținătorii fiecărei opțiuni?

Regulamentul privind medicamentele orfane. Toate părțile interesate sunt de acord cu privire la necesitatea de a sprijini în continuare dezvoltarea de medicamente pentru boli rare cu stimulente specifice, deoarece, în caz contrar, ar putea reapărea disfuncționalități ale pieței. Autoritățile publice și organizațiile de pacienți optează pentru o diferențiere a stimulentei principale actual, astfel cum se reflectă în opțiunea C. Industria farmaceutică ar putea sprijini modularea stimulentei, dar nu și reducerea lor generală. Industria a propus introducerea unor stimulente suplimentare în comparație cu situația actuală sau a unui stimulent nou, cum ar fi un voucher de exclusivitate transferabil. Industria a subliniat, de asemenea, necesitatea ca regulamentul actual să rămână stabil și să se asigure previzibilitatea sub forma criteriilor actuale de desemnare a medicamentelor orfane, întrucât deciziile de investiții sunt luate cu mult timp înainte de dobândirea stimulentei pentru o dezvoltare reușită.

Regulamentul pediatric. Necesitatea de a menține obligația existentă de a studia toate medicamentele noi destinate utilizării la copii și adolescenți este, în general, susținută de toate părțile interesate. Industria farmaceutică și mediul academic salută, în general, îmbunătățirile aduse procedurilor. Reducerea prelungirii certificatului suplimentar de protecție nu este susținută de niciun grup de părți interesate. Industria s-a exprimat în favoarea menținerii sistemului existent, dar a solicitat, de asemenea, introducerea unor recompense suplimentare pentru a sprijini evoluțiile specifice în domeniile privind nevoile medicale nesatisfăcute ale copiilor. Autoritățile publice recunosc necesitatea de a identifica mai bine nevoile medicale pediatrice nesatisfăcute și recunosc că sistemul existent de obligații și recompense a funcționat relativ bine, dar au fost preocupate de introducerea unor recompense noi și de impactul lor ulterior asupra sustenabilității sistemelor naționale de sănătate.

C. Impactul opțiunii preferate

Care sunt avantajele opțiunii preferate (sau ale opțiunilor principale, în cazul în care nu există o opțiune preferată)?

Regulamentul privind medicamentele orfane. Opțiunea C preferată va îmbunătăți calitatea vieții pacienților care suferă de aceste boli și a familiilor lor, deoarece pacienții vor beneficia, în medie, de 1-2 medicamente noi în plus pe an, în special în zonele în care în prezent nu este disponibil niciun tratament. Companiile farmaceutice producătoare de medicamente originale vor profita de exclusivitatea extinsă pe piață pentru medicamentele care răspund unei nevoi medicale nesatisfăcute ridicate. Companiile farmaceutice producătoare de medicamente generice profită de intrarea pe piață mai rapidă și mai previzibilă. În plus, previzibilitatea pentru producătorii de medicamente generice ar trebui să crească, deoarece aceștia își pot introduce produsul pe piață în ziua în care expiră exclusivitatea pe piață. Pacienții vor avea un acces sporit datorită intrării mai rapide pe piață a medicamentelor generice, ceea ce va reduce, de asemenea, costurile pentru sistemele de sănătate ale statelor membre. Măsurile de simplificare ar duce la economii de 3,3 milioane EUR pe an în ceea ce privește costurile administrative. Stimulentele specifice pentru medicamentele care răspund unei nevoi medicale nesatisfăcute ridicate vor promova inovarea și ar trebui să redirecționeze investițiile în cercetare către acele domenii în care este cea mai mare nevoie de ele și, prin urmare, vor stimula competitivitatea.

Regulamentul pediatric. Opțiunea preferată C va crește numărul de medicamente pentru copii, ceea ce va îmbunătăți calitatea vieții acestora și a familiilor lor. Această opțiune va încuraja dezvoltarea de produse care să răspundă nevoilor nesatisfăcute ale copiilor cu ajutorul unor criterii clare de identificare a unor astfel de produse. De asemenea, aceasta introduce cerința ca produsele dezvoltate numai pentru adulți să fie studiate și la copii, în cazul în care, pe baza dovezilor științifice, acestea ar putea fi eficiente împotriva unei boli la copii. Simplificările și

ajustările procedurale vor face sistemul mai favorabil inovării și vor conduce la o finalizare mai rapidă a planului de investigație pediatrică și la autorizarea medicamentelor. Va fi posibil să se amâne studiul utilizării unui medicament la copii pentru o perioadă de până la 5 ani (în prezent, nu există nicio limită), astfel încât medicamentele vor ajunge la copii mai repede decât în prezent.

Care sunt costurile opțiunii preferate (sau ale opțiunilor principale, dacă nu există o opțiune preferată)?

Intrarea mai rapidă pe piață a medicamentelor generice va duce la unele pierderi pentru companiile farmaceutice producătoare de medicamente originale. Cu toate acestea, în ansamblu, sistemul va fi mai echilibrat, asigurând un acces mai bun la medicamente la prețuri mai accesibile, direcționând în același timp stimulentele acolo unde este cea mai mare nevoie de acestea și promovând astfel inovarea.

Care sunt efectele asupra întreprinderilor mici și mijlocii (IMM-uri)?

Îmbunătățirile procedurale (cum ar fi simplificarea și sprijinul sporit din partea Agenției Europene pentru Medicamente) și reducerea sarcinii administrative vor fi deosebit de importante pentru IMM-uri, având în vedere dimensiunea redusă a activității lor. În plus, IMM-urile vor beneficia în continuare de reduceri de taxe pentru procedurile agenției. Având în vedere că IMM-urile din domeniul bolilor rare încep adesea concepte inovatoare (medicamente desemnate ca medicamente orfane), ele ar trebui să beneficieze de modularea duratei exclusivității pe piață, recompensând produsele care răspund unei nevoi medicale nesatisfăcute ridicate.

Va exista un impact semnificativ asupra bugetelor și a administrațiilor naționale?

Nu se preconizează costuri semnificative pentru sistemele naționale de sănătate. Pe măsură ce se dezvoltă mai multe produse, se preconizează că sistemele naționale de sănătate vor suporta costuri suplimentare legate de compensări, dar acest lucru va fi contrabalansat de economiile generate de intrarea mai rapidă pe piață a medicamentelor generice.

Vor exista alte efecte semnificative?

Se preconizează că prezenta inițiativă va avea un impact pozitiv asupra sănătății publice și asupra societății în ansamblu. Aceasta ar trebui să garanteze că noile soluții terapeutice devin accesibile pacienților printr-un număr mai mare de produse pentru boli rare și pentru copii, în special în domeniile în care nu există tratament. Sub egida strategiei farmaceutice pentru Europa, revizuirea legislației privind medicamentele orfane și pediatrice și a legislației farmaceutice generale va avea un impact pozitiv cumulativ asupra accesului la medicamente și asupra accesibilității financiare a acestora pentru toți pacienții, precum și asupra sustenabilității sistemelor de sănătate.

Proporționalitate?

Niciuna dintre opțiunile de revizuire a Regulamentului privind medicamentele orfane sau a Regulamentului pediatric nu depășește ceea ce este necesar pentru atingerea obiectivelor. Inițiativa este limitată la acele aspecte pe care statele membre nu le pot realiza individual în mod satisfăcător și cu privire la care Uniunea Europeană poate aduce o contribuție pozitivă. Opțiunile preferate sunt proporționale, având în vedere că se bazează pe pilonii unui sistem stabilit și îi mențin și propun ajustări specifice, precum și având în vedere beneficiile preconizate pentru pacienți, pentru sistemele de sănătate și pentru industrie.

D. Acțiuni ulterioare

Când va fi reexaminată politica?
Dezvoltarea de noi medicamente orfane poate fi un proces îndelungat, iar finalizarea unui plan de dezvoltare clinică pentru medicamente pentru copii poate dura până la 10-15 ani. Prin urmare, stimulentele și recompensele își exercită efectul după mulți ani de la data autorizăției de introducere pe piață. De asemenea, beneficiile pentru pacienți trebuie măsurate pe o perioadă de cel puțin 5-10 ani de la autorizarea unui medicament. Comisia intenționează să revizuiască periodic inițiativa. Cu toate acestea, o evaluare semnificativă a rezultatelor legislației revizuite va fi posibilă numai după cel puțin 15 ani de la intrarea sa în vigoare.