

V Bruseli 28. apríla 2023
(OR. en)

Medziinštitucionálny spis:
2023/0132(COD)

8759/23
ADD 7

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

SPRIEVODNÁ POZNÁMKA

Od:	Martine DEPREZOVÁ, riaditeľka, v zastúpení generálnej tajomníčky Európskej komisie
Dátum doručenia:	26. apríla 2023
Komu:	Thérèse BLANCHETOVÁ, generálna tajomníčka Rady Európskej únie
Č. dok. Kom.:	SWD(2023) 193 final part 2/2
Predmet:	PRACOVNÝ DOKUMENT ÚTVAROV KOMISIE ZHRNUTIE SPRÁVY O POSÚDENÍ VPLYVU Zhrnutie správy o posúdení vplyvu Sprievodný dokument k návrhu smernice Európskeho parlamentu a Rady o kódexe Únie o liekoch na humánne použitie a o zrušení smernice 2001/83/ES a smernice 2009/35/ES k návrhu nariadenia Európskeho parlamentu a Rady, ktorým sa stanovujú postupy Únie pri povoľovaní liekov na humánne použitie a vykonávaní dozoru nad nimi a určujú pravidlá platné pre Európsku agentúru pre lieky a ktorým sa mení nariadenie (ES) č. 1394/2007 a nariadenie (EÚ) č. 536/2014 a zrušuje nariadenie (ES) č. 726/2004, nariadenie (ES) č. 141/2000 a nariadenie (ES) č. 1901/2006

Delegáciám v prílohe zasielame dokument SWD(2023) 193 final part 2/2.

Príloha: SWD(2023) 193 final part 2/2



EURÓPSKA
KOMISIA

V Bruseli 26. 4. 2023
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

PRACOVNÝ DOKUMENT ÚTVAROV KOMISIE
ZHRNUTIE SPRÁVY O POSÚDENÍ VPLYVU

Zhrnutie správy o posúdení vplyvu

Sprievodný dokument

**k návrhu smernice Európskeho parlamentu a Rady o kódexe Únie o liekoch na
humánne použitie a o zrušení smernice 2001/83/ES a smernice 2009/35/ES**

**k návrhu nariadenia Európskeho parlamentu a Rady, ktorým sa stanovujú postupy
Únie pri povoľovaní liekov na humánne použitie a vykonávaní dozoru nad nimi a určujú
pravidlá platné pre Európsku agentúru pre lieky a ktorým sa mení nariadenie (ES)
č. 1394/2007 a nariadenie (EÚ) č. 536/2014 a zrušuje nariadenie (ES) č. 726/2004,
nariadenie (ES) č. 141/2000 a nariadenie (ES) č. 1901/2006**

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

A. Potreba konať
V čom spočíva problém a prečo ide o problém na úrovni EÚ?
Z hodnotenia právnych predpisov o liekoch pre deti a na zriedkavé choroby vyplynulo, že za posledných 20 rokov obe nariadenia účinne posilnili vývoj liekov. Od ich prijatia však došlo k rozsiahlemu vývoju, k vedeckým objavom a ku globalizácii farmaceutického sektora. Tieto zmeny, ktoré upriamili pozornosť na nenaplnené liečebné potreby, prístup pacientov k liekom a rozpočtové vplyvy liekov, si vyžadujú preskúmanie politickej intervencie v oblasti zriedkavých chorôb a liekov pre deti. Z hodnotenia oboch nariadení uverejneného v roku 2020 vyplynuli tieto problémy: 1. liečebné potreby detí a pacientov so zriedkavými chorobami nie sú dostatočne uspokojené; 2. cena liekov predstavuje výzvu pre systémy zdravotnej starostlivosti (cenová dostupnosť); 3. pacienti nemajú rovnaký prístup k liekom v celej EÚ; 4. systém dostatočne nevyužíva inováciu a vytvára zbytočné zaťaženia. 1. Na 95 % z viac ako 6 000 uznaných zriedkavých chorôb nie je stále k dispozícii žiadna liečba. Vývoj liekov pre deti je stále motivovaný vývojom liekov pre dospelých. Ak sa liečebné potreby dospelých líšia od potrieb detí, dostupné možnosti liečby sú stále obmedzené. 2. Rozhodnutia o určovaní cien a úhrad a farmaceutické výdavky patria do vnútroštátnej právomoci, pričom nepatria do rozsahu pôsobnosti farmaceutických právnych predpisov EÚ. Priemerná odporúčaná cena nových liekov sa zvyšuje, a to najmä v prípade liekov na zriedkavé choroby. Vysoké ceny ovplyvňujú cenovú dostupnosť a udržateľnosť systémov zdravotnej starostlivosti. Stimuly poskytované právnymi predpismi oddiaľujú vstup lacnejších verzií liekov (generických a biologicky podobných liekov) na trh, pričom práve tie by mohli zlepšiť cenovú dostupnosť systémov zdravotnej starostlivosti. 3. Vo väčšine členských štátov majú pacienti v súčasnosti prístup iba približne k polovici liekov na zriedkavé choroby dostupných na trhu, pričom celkový prístup k nim sa v rámci jednotlivých členských štátov značne líši. Je to horšia situácia ako v prípade bežných liekov. Prístup k liekom pre deti je často spojený s uvedením zodpovedajúceho lieku pre dospelých. 4. Vedecký pokrok, ako napríklad prístupy v podobe liekov na inovatívnu liečbu a personalizovaných liekov, už priniesol zlepšenie cielej liečby pacientov, ktorí trpia zriedkavými chorobami. Tieto nové lieky spochybnili súčasný systém označenia lieku ako liek na zriedkavú chorobu, v ktorom sa stanovujú kritériá, ktoré musí liek spĺňať na získanie označenia lieku ako liek na zriedkavú chorobu. Okrem toho nariadenie o liekoch na pediatrické použitie vychádza z určitých postupov (dohoda o výskumnom pediatrickom pláne v počiatočnej fáze vývoja), ktoré sa v niektorých prípadoch ukázali ako zaťažujúce a neefektívne.
Čo by sa malo dosiahnuť?
Celkovým cieľom tejto iniciatívy je zabezpečiť vysokú úroveň ochrany zdravia všetkých občanov EÚ a prístup detí a pacientov so zriedkavými chorobami k cenovo dostupným vysokokvalitným liekom a k bezpečným a účinným terapiám na riešenie ich liečebných potrieb.
Aká je pridaná hodnota opatrenia na úrovni EÚ (subsidiarita)?
Iniciatíva by mala prostredníctvom významného zefektívnenia zlepšiť systém stimulov, odmien a povinností súvisiacich s výskumom a vývojom liekov na zriedkavé choroby a liekov

pre deti, ako aj prispieť k ich lepšej cenovej dostupnosti a prístupnosti pre všetkých pacientov v celej EÚ. Okrem toho by sa touto revíziou mohlo posilniť konkurenčné fungovanie trhu prostredníctvom preskúmania ďalších opatrení na uľahčenie vstupu generických a biologicky podobných liekov na trh. Zlepšil by sa tým prístup pacientov a cenová dostupnosť. Keďže trh s liekmi na zriedkavé choroby a s liekmi pre deti je malý aj vo väčších členských štátoch EÚ, uspieť môže iba harmonizovaný prístup na úrovni EÚ. Navrhovaná intervencia bude v súlade s ostatnými európskymi a vnútroštátnymi opatreniami.

B. Riešenia

Aké sú rôzne možnosti na dosiahnutie týchto cieľov? Je niektorá z možností uprednostňovaná? Ak nie, prečo?

Nariadenie o liekoch na zriedkavé choroby. Všetky možnosti sú doplnené súborom spoločných prvkov, ktorými sa zabezpečuje rýchlejšie uvedenie generických liekov na trh, zavedenie opatrení na zachovanie liekov na zriedkavé choroby na trhu a zavedenie opatrení na zabezpečenie potrebnej flexibility na využívanie technologického a vedeckého pokroku a zjednodušenie postupov.

Možnosť A: zachováva sa desaťročná trhová exkluzivita a pridáva sa poukaz pre lieky, ktorými sa riešia vysoké nenaplnené liečebné potreby pacientov. Tento poukaz umožňuje predĺženie obdobia regulačnej ochrany o jeden rok a môže sa predat' inej spoločnosti alebo použiť na liek v jej portfóliu. **Možnosť B:** zrušuje sa súčasná desaťročná trhová exkluzivita. **Možnosť C:** zabezpečuje sa rôzne trvanie trhovej exkluzivity na desať, deväť alebo päť rokov podľa druhu lieku na zriedkavú chorobu (riešiaci vysoké nenaplnené liečebné potreby; obsahujúci novú účinnú látku; žiadosť o osvedčené použitie). Ak sa liek riešiaci vysoké nenaplnené liečebné potreby alebo obsahujúci novú účinnú látku sprístupní vo všetkých členských štátoch, jeho trhová exkluzivita sa predĺži o jeden rok.

Uprednostňovanou možnosťou je **možnosť C**.

Nariadenie o liekoch na pediatrické použitie. Všetky možnosti sú doplnené súborom spoločných prvkov, ktorými sa podporuje vývoj liekov na riešenie nenaplnených liečebných potrieb detí a uľahčujú, prípadne zjednodušujú postupy schvaľovania klinických štúdií, ktoré sa majú vykonať na deťoch. Zámerom je lepšie využívať vedecké inovácie a zrýchliť postupy, aby sa lieky deťom sprístupňovali rýchlejšie.

Možnosť A: zachováva sa predĺženie práva na duševné vlastníctvo o šesť mesiacov (dodatkové ochranné osvedčenie) pri všetkých liekoch, v prípade ktorých sa skúma ich podávanie deťom. V prípade liekov na riešenie nenaplnených liečebných potrieb detí sa udeľuje ďalšia odmena *bud'* v podobe dodatočného predĺženia dodatkového ochranného osvedčenia o šesť mesiacov, *alebo* poukazu umožňujúceho predĺženie obdobia regulačnej ochrany o jeden rok, ktorý sa môže predat' inej spoločnosti alebo použiť na liek v jej portfóliu. **Možnosť B:** zrušuje sa predĺženie dodatkového ochranného osvedčenia o šesť mesiacov. **Možnosť C:** zachováva sa predĺženie dodatkového ochranného osvedčenia o šesť mesiacov.

Uprednostňovanou možnosťou je **možnosť C**.

Aké sú názory jednotlivých zainteresovaných strán? Kto podporuje ktorú možnosť?

Nariadenie o liekoch na zriedkavé choroby. Všetky zainteresované strany uznávajú potrebu naďalej podporovať vývoj liekov na zriedkavé choroby osobitnými stimulmi, keďže inak by mohlo znovu dôjsť k zlyhaniu trhu. Subjekty verejného sektora a organizácie pacientov uprednostňujú diferenciáciu súčasného hlavného stimulu, ako sa uvádza v možnosti C. Farmaceutický priemysel by mohol podporiť moduláciu stimulov, ale nie ich celkové

skrátene. Subjekty odvetvia navrhli zaviesť ďalšie stimuly k súčasným stimulom alebo zaviesť nový stimul, akým je prevoditeľný poukaz na exkluzivitu. Subjekty odvetvia takisto upozornili na to, že je potrebné, aby súčasné nariadenie zostalo nezmenené, a že je potrebná predvídateľnosť podoby súčasných kritérií pre označenie lieku ako liek na zriedkavú chorobu, keďže investičné rozhodnutia sa prijímajú dlho predtým, ako je možné získať stimuly na úspešný vývoj.

Nariadenie o liekoch na pediatrické použitie. Potrebu zachovať existujúcu povinnosť skúmať všetky nové lieky na podávanie deťom vo všeobecnosti podporujú všetky zainteresované strany. Farmaceutický priemysel a akademická obec vo všeobecnosti vítajú zlepšenia postupov. Skrátene predĺženie platnosti dodatkového ochranného osvedčenia nepodporuje žiadna skupina zainteresovaných strán. Subjekty odvetvia uprednostňujú zachovanie existujúceho systému, ale vyzvali aj na zavedenie ďalších odmien na podporu osobitného vývoja v oblastiach nenaplnených liečebných potrieb detí. Subjekty verejného sektora uznávajú potrebu lepšieho určenia nenaplnených pediatrických liečebných potrieb, ako aj to, že existujúci systém povinností a odmien funguje relatívne dobre, ale znepokojila ich možnosť zavedenia nových odmien a ich následný vplyv na udržateľnosť vnútroštátnych systémov zdravotnej starostlivosti.

C. Vplyvy uprednostňovanej možnosti

Aké sú výhody uprednostňovanej možnosti (prípadne hlavných možností, ak sa žiadna konkrétna možnosť neuprednostňuje)?

Nariadenie o liekoch na zriedkavé choroby. Uprednostňovanou možnosťou C sa zlepši kvalita života pacientov trpiacich na tieto choroby, ako aj ich rodín, keďže pacienti budú môcť využívať priemerne jeden až dva nové lieky ročne, a to najmä v oblastiach, v ktorých v súčasnosti nie je k dispozícii žiadna liečba. Spoločnosti vyrábajúce originálne lieky budú využívať výhody predĺženej trhovej exkluzivity pre lieky, ktorými sa riešia vysoké nenaplnené liečebné potreby. Spoločnosti vyrábajúce generické lieky využívajú výhody skoršieho a predvídateľnejšieho vstupu na trh. Ďalej by sa mala zlepšiť predvídateľnosť pre výrobcov generických liekov, keďže môžu svoje lieky uvádzať na trh odo dňa uplynutia obdobia trhovej exkluzivity. Pacienti budú mať lepší prístup z dôvodu skoršieho vstupu generických liekov na trh, čím sa takisto znížia náklady na systémy zdravotnej starostlivosti v členských štátoch. Opatrenia na zjednodušenie by viedli k úsporám administratívnych nákladov vo výške 3,3 milióna EUR ročne. Stimulmi osobitne zameranými na lieky, ktorými sa riešia vysoké nenaplnené liečebné potreby, sa podporí inovácia a zároveň by sa malo zabezpečiť presmerovanie investícií do výskumu do tých oblastí, v ktorých sú najpotrebnejšie, čím sa zvýši konkurencieschopnosť.

Nariadenie o liekoch na pediatrické použitie. Uprednostňovanou možnosťou C sa zvýši počet liekov pre deti, čím sa zlepši kvalita života detí aj ich rodín. Touto možnosťou sa podporí vývoj liekov riešiacich nenaplnené liečebné potreby detí prostredníctvom jednoznačných kritérií na určenie takýchto liekov. Takisto sa ňou zavádza požiadavka, aby sa skúmalo, či je možné podávať lieky vyvinuté iba pre dospelých aj deťom, ak by tieto lieky mohli byť na základe vedeckých dôkazov účinné aj na choroby detí. Procesné zjednodušenia a úpravy zabezpečia, že systém bude priaznivejší pre inovácie, a budú viesť k rýchlejšiemu vypracovaniu výskumného pediatrického plánu a povoľovaniu liekov. Odložiť bude možné iba skúmanie použitia lieku v prípade detí vo veku do päť rokov (v súčasnosti žiadne obmedzenie neexistuje), čím sa lieky dostanú k deťom rýchlejšie ako dnes.

Aké sú náklady na uprednostňovanú možnosť (prípadne na hlavné možnosti, ak sa žiadna konkrétna možnosť neuprednostňuje)?
Rýchlejší vstup generických liekov na trh spôsobí určité straty spoločnostiam vyrábajúcim originálne lieky. Celkovo bude však systém vyváženejší, čím sa zabezpečí lepší prístup k cenovo dostupnejším liekom, pričom stimuly sa presmerujú tam, kde sú najpotrebnejšie, a tým sa podporí inovácia.
Aký je vplyv na malé a stredné podniky (MSP)?
Procesné zlepšenia (ako napríklad zjednodušenie a zvýšená podpora poskytovaná Európskou agentúrou pre lieky) a zníženie administratívneho zaťaženia budú osobitne dôležité pre MSP vzhľadom na malú veľkosť týchto podnikov. Okrem toho budú MSP naďalej využívať výhody zníženia poplatkov za postupy agentúry. Vzhľadom na to, že MSP v oblasti zriedkavých chorôb často začínajú inovatívne koncepcie (označenia liekov ako lieky na zriedkavé choroby), mali by využívať výhody modulácie trvania trhovej exkluzivity, ktorou sa odmeňujú lieky na riešenie vysokých nenaplnených liečebných potrieb.
Očakáva sa významný vplyv na štátne rozpočty a verejnú správu?
Neočakávajú sa žiadne významné náklady pre vnútroštátne systémy zdravotnej starostlivosti. S vyšším počtom vyvíjaných liekov sa očakáva, že vnútroštátnym systémom zdravotnej starostlivosti vzniknú dodatočné náklady spojené s úhradami, ale tie prevážia úspory vyplývajúce z rýchlejšieho vstupu generických liekov na trh.
Očakávajú sa iné významné vplyvy?
Očakáva sa, že táto iniciatíva bude mať pozitívny vplyv na verejné zdravie a spoločnosť ako celok. Mala by sa ňou zabezpečiť prístupnosť nových terapeutických riešení pre pacientov prostredníctvom väčšieho počtu liekov na zriedkavé choroby a liekov pre deti, a to najmä v oblastiach, v ktorých žiadna liečba neexistuje. Revízia právnych predpisov o liekoch na zriedkavé choroby, liekoch na pediatrické použitie a všeobecných farmaceutických právnych predpisov zastrešená farmaceutickou stratégiou pre Európu bude mať kumulatívny pozitívny vplyv na prístup všetkých pacientov k liekom, na ich cenovú dostupnosť pre všetkých pacientov, ako aj na udržateľnosť systémov zdravotnej starostlivosti.
Proporcionálnosť?
Žiadna z možností revízie nariadenia o liekoch na zriedkavé choroby alebo nariadenia o liekoch na pediatrické použitie neprekračuje rámec toho, čo je nevyhnutné na dosiahnutie jej cieľov. Iniciatíva sa obmedzuje na aspekty, ktoré členské štáty nemôžu uspokojivo dosiahnuť samy a ktoré EÚ zvládne lepšie. Uprednostňované možnosti sú primerané, keďže vychádzajú z pilierov zavedeného systému, ktoré zároveň zachovávajú, a navrhujú sa v nich ciele úpravy, pričom by mali byť prínosom pre pacientov, systémy zdravotnej starostlivosti a subjekty odvetvia.
D. Nadväzná opatrenia
Kedy sa táto politika preskúma?
Vývoj nových liekov na zriedkavé choroby môže predstavovať dlhý proces, pričom vypracovanie plánu klinického vývoja liekov pre deti môže trvať 10 až 15 rokov. Účinok stimulov a odmien sa preto prejaví až po rokoch odo dňa udelenia povolenia na uvedenie na trh. Prínos pre pacientov je takisto potrebné merať v horizonte aspoň piatich až desiatich rokov od povolenia na uvedenie lieku na trh. Komisia má v úmysle iniciatívu pravidelne

skúmať. Zmysluplné hodnotenie výsledkov revidovaných právnych predpisov však bude možné až po uplynutí aspoň 15 rokov od nadobudnutia účinnosti uvedených predpisov.