

Bruselj, 28. april 2023
(OR. en)

Medinstitucionalna zadeva:
2023/0132 (COD)

8759/23
ADD 7

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

SPREMNI DOPIS

Pošiljatelj:	za generalno sekretarko Evropske komisije: direktorica Martine DEPREZ
Datum prejema:	26. april 2023
Prejemnik:	Thérèse BLANCHET, generalna sekretarka Sveta Evropske unije
Št. dok. Kom.:	SWD(2023) 193 final
Zadeva:	DELOVNI DOKUMENT SLUŽB KOMISIJE POVZETEK POROČILA O OCENI UČINKA Povzetek poročila o oceni učinka Spremni dokument k predlogu Direktive Evropskega parlamenta in Sveta o zakoniku Unije o zdravilih za uporabo v humani medicini ter razveljavitvi Direktive 2001/83/ES in Direktive 2009/35/ES predlogu Uredbe Evropskega parlamenta in Sveta o postopkih Unije za odobritev in nadzor zdravil za uporabo v humani medicini in določitvi pravil, ki urejajo Evropsko agencijo za zdravila, ter spremembi uredb (ES) št. 1394/2007 in (EU) št. 536/2014 in razveljavitvi uredb (ES) št. 726/2004, (ES) št. 141/2000 in (ES) št. 1901/2006

Delegacije prejmejo priloženi dokument SWD(2023) 193 final.

Priloga: SWD(2023) 193 final



EVROPSKA
KOMISIJA

Bruselj, 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

DELOVNI DOKUMENT SLUŽB KOMISIJE
POVZETEK POROČILA O OCENI UČINKA

Povzetek poročila o oceni učinka

Spremni dokument k

predlogu Direktive Evropskega parlamenta in Sveta o zakoniku Unije o zdravilih za uporabo v humani medicini ter razveljavitvi Direktive 2001/83/ES in Direktive 2009/35/ES

predlogu Uredbe Evropskega parlamenta in Sveta o postopkih Unije za odobritev in nadzor zdravil za uporabo v humani medicini in določitvi pravil, ki urejajo Evropsko agencijo za zdravila, ter spremembi uredb (ES) št. 1394/2007 in (EU) št. 536/2014 in razveljavitvi uredb (ES) št. 726/2004, (ES) št. 141/2000 in (ES) št. 1901/2006

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

A. Potreba po ukrepanju
V čem je težava in zakaj je to težava na ravni EU?
Ocena zakonodaje o zdravilih za otroke in redke bolezni je pokazala, da sta uredbi v zadnjih 20 letih učinkovito spodbujali razvoj zdravil. Vendar je od njihovega sprejetja prišlo do obsežnega razvoja in odkritij v znanosti ter globalizacije farmacevtskega sektorja. Te spremembe, ki so bile osredotočene na neizpolnjene zdravstvene potrebe, dostop pacientov in proračunske učinke zdravil, zahtevajo pregled ukrepov politike na področju redkih bolezni in zdravil za otroke. V oceni obeh uredb, objavljeni leta 2020, so bile ugotovljene naslednje težave: 1. zdravstvene potrebe otrok in pacientov z redkimi boleznimi niso ustrezno obravnavane; 2. cena zdravil predstavlja izziv za zdravstvene sisteme (cenovna dostopnost); 3. pacienti nimajo enakega dostopa do zdravil po vsej EU; 4. sistem ne upošteva dovolj inovacij in ustvarja nepotrebna bremena. (1) Med več kot 6 000 priznanimi redkimi boleznimi jih 95 % še vedno nima možnosti zdravljenja. Razvoj zdravil za otroke še vedno temelji na razvoju zdravil za odrasle. Kadar se terapevtske potrebe odraslih razlikujejo od potreb otrok, je število razpoložljivih zdravljenj omejeno. (2) Odločitve o določanju cen in povračilih ter izdatki za zdravila so v nacionalni pristojnosti, zunaj področja uporabe farmacevtske zakonodaje EU. Povprečna cena novih zdravil po ceniku se zvišuje, zlasti za zdravila sirote. Visoke cene vplivajo na cenovno dostopnost in vzdržnost zdravstvenih sistemov. Spodbude, ki jih zagotavlja zakonodaja, zadržujejo vstop cenejših različic izdelkov (generičnih in podobnih bioloških zdravil) na trg, kar bi sicer lahko izboljšalo cenovno dostopnost zdravstvenih sistemov. (3) V večini držav članic je pacientom trenutno na voljo le približno polovica zdravil sirot na trgu, splošni dostop pa se med državami članicami zelo razlikuje. Stanje je slabše kot pri standardnih zdravilih. Dostop do zdravil za otroke je pogosto povezan z uvedbo ustreznega zdravila za odrasle. (4) Z napredkom v znanosti, kot so zdravila za napredno zdravljenje in personalizirani medicinski pristopi, se je že izboljšalo ciljno zdravljenje pacientov z redkimi boleznimi. Ti novi izdelki so v nasprotju s sedanjim sistemom določitve kot zdravilo sirota, ki določa merila, ki jih mora izdelek izpolnjevati za določitev kot zdravilo sirota. Poleg tega se uredba o pediatričnih zdravilih opira na nekatere postopke (dogovor o načrtu pediatričnih raziskav v zgodnji fazi razvoja), ki so se včasih izkazali za obremenjujoče in neučinkovite.
Kaj bi bilo treba doseči?
Splošni cilj te pobude je zagotoviti visoko raven varovanja zdravja za vse državljane EU ter otrokom in pacientom z redkimi boleznimi zagotoviti dostop do cenovno dostopnih visokokakovostnih zdravil pa tudi varnih in učinkovitih zdravljenj, da bi se obravnavale njihove zdravstvene potrebe.
Kakšna je dodana vrednost ukrepanja na ravni EU (subsidiarnost)?
Pričakuje se, da bo pobuda znatno povečala učinkovitost, saj bo izboljšala sistem spodbud, nagrad in obveznosti, povezanih z raziskavami in razvojem zdravil sirot in zdravil za otroke, ter pomagala zagotoviti, da bodo ta zdravila cenovno ugodnejša in dostopnejša za vse paciente po vsej EU. Poleg tega bi lahko ta revizija s pregledom drugih ukrepov za olajšanje vstopa generičnih in podobnih bioloških zdravil na trg okrepila konkurenčno delovanje trga. Tako bi se izboljšala dostop pacientov in cenovna dostopnost. Ker je trg zdravil za redke bolezni in

otroke majhen celo v večjih državah članicah EU, bo verjetno uspešen le usklajen pristop na ravni EU. Predlagani ukrep bo skladen z drugimi evropskimi in nacionalnimi ukrepi.

B. Rešitve

Katere so različne možnosti za doseg ciljev? Ali ima katera od njih prednost? Če ne, zakaj?

Uredba o zdravilih sirotah. Vse možnosti dopolnjujejo sklop skupnih elementov, ki zagotavljajo hitrejšo uvedbo generičnih zdravil, ukrepi za ohranitev zdravil sirot na trgu, ukrepi za zagotavljanje potrebne prožnosti za tehnološki in znanstveni napredek ter poenostavitev postopkov.

Možnost A: ohranja desetletno tržno ekskluzivnost in dodaja kupon za izdelke, ki obravnavajo veliko neizpolnjeno zdravstveno potrebo pacientov. Kupon omogoča enoletno podaljšanje obdobja regulativne zaščite in se lahko proda drugemu podjetju ali uporabi za izdelek iz portfelja tega podjetja. **Možnost B:** ukinja sedanje desetletno obdobje tržne ekskluzivnosti. **Možnost C:** zagotavlja različno trajanje tržne ekskluzivnosti, in sicer 10, 9 ali 5 let, glede na vrsto zdravila sirota (obravnavanje velike neizpolnjene zdravstvene potrebe; nova učinkovina; oziroma dobro uveljavljena uporaba). Če je zdravilo, ki izpolnjuje veliko neizpolnjeno potrebo ali vsebuje novo učinkovino, dostopno v vseh zadevnih državah članicah, se tržna ekskluzivnost za navedena zdravila podaljša za eno leto.

Prednostna možnost je **možnost C**.

Uredba o pediatričnih zdravilih. Vse možnosti dopolnjuje sklop skupnih elementov, ki podpirajo razvoj izdelkov, ki obravnavajo neizpolnjene zdravstvene potrebe otrok, ter racionalizirajo in po potrebi poenostavijo postopke za dogovor o tem, katere klinične študije je treba izvesti pri otrocih. Namen je bolje upoštevati inovacije v znanosti in pospešiti postopke, da bi bili izdelki hitreje dostopni otrokom.

Možnost A: šestmesečno podaljšanje pravice intelektualne lastnine (dodatni varstveni certifikat) se bo ohranilo za vsa zdravila, za katera se proučuje uporaba pri otrocih. Za zdravila, ki obravnavajo neizpolnjene potrebe otrok, uvaja dodatno nagrado, bodisi v obliki dodatnega šestmesečnega podaljšanja dodatnega varstvenega certifikata ali kupona za enoletno podaljšanje regulativne zaščite, ki se lahko proda drugemu podjetju ali uporabi za izdelek v portfelju navedenega podjetja. **Možnost B:** šestmesečno podaljšanje dodatnega varstvenega certifikata bo odpravljen. **Možnost C:** šestmesečno podaljšanje veljavnosti dodatnega varstvenega certifikata se bo ohranilo.

Prednostna možnost je **možnost C**.

Kakšna so stališča različnih deležnikov? Kdo podpira katero možnost?

Uredba o zdravilih sirotah. Vsi deležniki se strinjajo, da je treba razvoj zdravil za redke bolezni še naprej podpirati s posebnimi spodbudami, sicer bi se lahko ponovilo nedelovanje trga. Javni organi in organizacije pacientov so se odločili za razlikovanje sedanje glavne spodbude, kot je navedeno v možnosti C. Farmacevtska industrija bi lahko podprla prilagajanje spodbud, vendar ne njihovega splošnega skrajšanja. Industrija je predlagala uvedbo dodatnih spodbud v primerjavi s sedanjim stanjem ali nove spodbude, kot je prenosljivi kupon o ekskluzivnosti podatkov. Industrija je poudarila tudi potrebo po ohranitvi sedanje uredbe in predvidljivosti v obliki sedanjih meril za določitev kot zdravilo sirota, saj se odločitve o naložbah sprejmejo veliko preden se lahko pridobijo spodbude za uspešen razvoj.

Uredba o pediatričnih zdravilih. Vsi deležniki na splošno podpirajo potrebo po ohranitvi obstoječe obveznosti proučevanja vseh novih zdravil za uporabo pri otrocih. Farmacevtska industrija in akademski krogi na splošno pozdravljajo izboljšave postopkov. Nobena skupina

deležnikov ne podpira skrajšanja podaljšanja dodatnega varstvenega certifikata. Industrija podpira ohranitev obstoječega sistema, vendar je pozvala tudi k uvedbi dodatnih nagrad v podporo posebnemu razvoju na področjih neizpolnjenih zdravstvenih potreb otrok. Javni organi priznavajo potrebo po boljšem prepoznavanju neizpolnjenih pediatričnih zdravstvenih potreb in priznavajo, da je obstoječi sistem obveznosti in nagrad deloval razmeroma dobro, vendar so zaskrbljeni zaradi uvedbe novih nagrad in njihovega posledičnega vpliva na vzdržnost nacionalnih zdravstvenih sistemov.

C. Učinki prednostne možnosti

Katere so koristi prednostne možnosti (če obstaja, sicer glavnih možnosti)?

Uredba o zdravilih sirotah. Prednostna možnost C bo izboljšala kakovost življenja pacientov s temi boleznimi in njihovih družin, saj bodo pacienti v povprečju imeli koristi od enega do dveh dodatnih novih zdravil na leto, zlasti na področjih, kjer zdravljenje trenutno ni na voljo. Podjetja za originatorska zdravila bodo imela koristi zaradi razširjene tržne ekskluzivnosti za zdravila, ki obravnavajo veliko neizpolnjeno zdravstveno potrebo. Podjetja za generična zdravila imajo koristi od zgodnejšega in predvidljivejšega vstopa na trg. Poleg tega bi se morala povečati predvidljivost za proizvajalce generičnih zdravil, saj lahko dajo svoj izdelek na trg na dan, ko poteče tržna ekskluzivnost. Pacienti bodo imeli večji dostop zaradi zgodnejšega vstopa generičnih zdravil na trg, kar bo zmanjšalo tudi stroške zdravstvenih sistemov držav članic. Z ukrepi za poenostavitev bi se pri upravnih stroških prihranilo 3,3 milijona EUR letno. Spodbude, usmerjene v zdravila, ki obravnavajo veliko neizpolnjeno zdravstveno potrebo, bodo spodbujale inovacije in bi morale preusmeriti naložbe v raziskave na tista področja, kjer so najbolj potrebne, in bodo tako povečale konkurenčnost.

Uredba o pediatričnih zdravilih. Prednostna možnost C bo povečala število zdravil za otroke, kar bo izboljšalo kakovost življenja otrok in njihovih družin. Ta možnost bo z jasnimi merili za opredelitev izdelkov, ki obravnavajo neizpolnjene potrebe otrok, spodbudila razvoj takih izdelkov. Uvaja tudi zahtevo, da se zdravila, ki so bila razvita samo za odrasle, raziskujejo tudi pri otrocih, kadar bi lahko bila na podlagi znanstvenih dokazov učinkovita proti boleznim pri otrocih. S poenostavitvijo in prilagoditvami postopkov bo sistem bolj prijazen inovacijam, kar bo omogočilo hitrejšo dokončanje načrta pediatričnih raziskav in izdajo dovoljenj za zdravila. Proučevanje uporabe zdravila pri otrocih bo mogoče odložiti za največ pet let (trenutno ni omejitev), zato bodo zdravila dosegla otroke hitreje kot danes.

Kakšni so stroški prednostne možnosti (če obstaja, sicer glavnih možnosti)?

Hitrejši vstop generičnih zdravil na trg bo povzročil nekaj izgub za podjetja, ki proizvajajo originatorska zdravila. Vendar bo sistem na splošno bolj uravnotežen, saj bo zagotavljal boljši dostop do cenovno dostopnejših zdravil, hkrati pa bo usmerjal spodbude tja, kjer so najbolj potrebne, in tako spodbujal inovacije.

Kakšen bo vpliv na mala in srednja podjetja (MSP)?

Postopkovne izboljšave (kot sta poenostavitev in večja podpora Evropske agencije za zdravila) in zmanjšanje upravnega bremena bodo zlasti pomembni za MSP, saj je obseg njihovih dejavnosti majhen. Poleg tega bodo mala in srednja podjetja še naprej imela koristi od znižanja pristojbin za postopke agencije. Glede na to, da MSP na področju redkih bolezni pogosto uvajajo inovativne koncepte (določitev kot zdravilo sirota), bi morala imeti koristi od prilagoditve trajanja tržne ekskluzivnosti, ki nagraduje izdelke, ki obravnavajo visoko neizpolnjeno zdravstveno potrebo.

Ali bo to pomembno vplivalo na nacionalne proračune in uprave?
Za nacionalne zdravstvene sisteme ni pričakovati znatnih stroškov. Ker se razvija več izdelkov, je pričakovati, da bodo nacionalni zdravstveni sistemi imeli dodatne stroške, povezane s povračili, vendar bodo to izravnali prihranki zaradi hitrejšega vstopa generičnih zdravil na trg.
Bo imela pobuda druge pomembne učinke?
Pričakuje se, da bo ta pobuda pozitivno vplivala na javno zdravje in družbo kot celoto. Zagotoviti bi morala, da bodo z večjim številom zdravil za redke bolezni in otroke, zlasti na področjih, kjer zdravljenja ni, pacientom dostopne nove terapijske rešitve. V okviru farmacevtske strategije za Evropo bo revizija zakonodaje o zdravilih sirotah in pediatričnih zdravilih ter splošne farmacevtske zakonodaje kumulativno pozitivno vplivala na dostop do zdravil in njihovo cenovno dostopnost za vse paciente ter na vzdržnost zdravstvenih sistemov.
Sorazmernost?
Nobena od možnosti za revizijo uredbe o zdravilih sirotah ali uredbe o pediatričnih zdravilih ne presega tistega, kar je potrebno za doseganje ciljev. Pobuda je omejena na tista vprašanja, ki jih države članice same ne morejo zadovoljivo rešiti in pri katerih je EU lahko uspešnejša. Prednostne možnosti so sorazmerne, saj nadgrajujejo in ohranjajo stebre vzpostavljenega sistema in predlagajo ciljno usmerjene prilagoditve ter zagotavljajo pričakovane koristi za paciente, zdravstvene sisteme in industrijo.
D. Nadaljnje spremljanje
Kdaj bo politika pregledana?
Razvoj novih zdravil sirot je lahko dolgotrajen proces, dokončanje načrta za klinični razvoj zdravil za otroke pa lahko traja do 10–15 let. Spodbude in nagrade torej učinkujejo veliko let po datumu izdaje dovoljenja za promet z zdravilom. Poleg tega je treba koristi za paciente meriti v obdobju najmanj 5–10 let po izdaji dovoljenja za promet z zdravilom. Komisija namerava pobudo redno pregledovati. Vendar bo smiselno vrednotenje rezultatov revidirane zakonodaje mogoče šele 15 let po začetku njene veljavnosti.