



Europeiska
unionens råd

Bryssel den 28 april 2023
(OR. en)

8759/23
ADD 7

**Interinstitutionellt ärende:
2023/0132(COD)**

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

FÖLJENOT

från:	Europeiska kommissionens generalsekreterare, undertecknat av Martine DEPREZ, direktör
inkom den:	26 april 2023
till:	Thérèse BLANCHET, generalsekreterare för Europeiska unionens råd
Komm. dok. nr:	SWD(2023) 193 final
Ärende:	ARBETSDOKUMENT FRÅN KOMMISSIONENS AVDELNINGAR SAMMANFATTNING AV KONSEKVENSBEDÖMNINGSRAPPORTEN Sammanfattning av konsekvensbedömningsrapporten Följedokument till Förslag till Europaparlamentets och rådets direktiv om unionsregler för humanläkemedel och om upphävande av direktiv 2001/83/EG och direktiv 2009/35/EG Förslag till Europaparlamentets och rådets förordning om inrättande av unionsförfaranden för godkännande av och tillsyn över humanläkemedel och om fastställande av regler för Europeiska läkemedelsmyndigheten samt om ändring av förordning (EG) nr 1394/2007 och förordning (EU) nr 536/2014 och om upphävande av förordning (EG) nr 726/2004, förordning (EG) nr 141/2000 och förordning (EG) nr 1901/2006

För delegationerna bifogas dokument – SWD(2023) 193 final part 2/2.

Bilaga: SWD(2023) 193 final



EUROPEISKA
KOMMISSIONEN

Bryssel den 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

ARBETSDOKUMENT FRÅN KOMMISSIONENS AVDELNINGAR
SAMMANFATTNING AV KONSEKVENSBEDÖMNINGSRAPPORTEN

Sammanfattning av konsekvensbedömningsrapporten

Följedokument till

**Förslag till Europaparlamentets och rådets direktiv om unionsregler för
humanläkemedel och om upphävande av direktiv 2001/83/EG och direktiv 2009/35/EG**

**Förslag till Europaparlamentets och rådets förordning om inrättande av
unionsförfaranden för godkännande av och tillsyn över humanläkemedel och om
fastställande av regler för Europeiska läkemedelsmyndigheten samt om ändring av
förordning (EG) nr 1394/2007 och förordning (EU) nr 536/2014 och om upphävande av
förordning (EG) nr 726/2004, förordning (EG) nr 141/2000 och förordning (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. Behov av åtgärder
Vad är problemet och varför är det ett problem på EU-nivå?
Utvärderingen av lagstiftningen om läkemedel för barn och om läkemedel mot sällsynta sjukdomar har visat att de två förordningarna på ett effektivt sätt har främjat utvecklingen av läkemedel under de senaste 20 åren. Sedan de antogs har det dock skett en omfattande utveckling, upptäckter har gjorts inom vetenskapen och läkemedelssektorn har globaliserats. Dessa förändringar, som har riktat uppmärksamheten mot icke tillgodosedda medicinska behov, patienternas tillgång till läkemedel och läkemedlens budgetkonsekvenser, kräver en översyn av de politiska insatserna på området sällsynta sjukdomar och läkemedel för barn. I utvärderingen av de två förordningarna, som offentliggjordes 2020, identifierades följande problem: 1. De medicinska behoven hos barn och patienter med sällsynta sjukdomar tillgodoses inte i tillräcklig utsträckning. 2. Priset på läkemedel är en utmaning för hälso- och sjukvårdssystemen (ekonomisk överkomlighet). 3. Patienterna har ojämlik tillgång till läkemedel runt om i EU. 4. Systemet beaktar inte innovation i tillräcklig utsträckning och skapar onödiga bördor. 1) Av de över 6 000 erkända sällsynta sjukdomar som finns har 95 % fortfarande inget behandlingsalternativ. Utvecklingen av läkemedel för barn drivs fortfarande av utvecklingen av läkemedel för vuxna. I de fall vuxnas terapeutiska behov skiljer sig från barns behov är antalet tillgängliga behandlingar begränsat. 2) Prissättnings- och ersättningsbeslut samt läkemedelsutgifter är nationella befogenheter som inte omfattas av EU:s läkemedelslagstiftning. Det genomsnittliga listpriset för nya läkemedel stiger, särskilt för särlekemedel. Höga priser påverkar hälso- och sjukvårdssystemens ekonomiska överkomlighet och hållbarhet. De incitament som lagstiftningen ger fördröjer marknadstillträdet för billigare versioner av läkemedel (generiska läkemedel och biosimilarer), vilket annars skulle kunna förbättra hälso- och sjukvårdssystemens ekonomiska överkomlighet. 3) För närvarande är endast omkring hälften av de särlekemedel som finns på marknaden tillgängliga för patienter i en majoritet av medlemsstaterna, och den totala tillgången varierar avsevärt mellan medlemsstaterna. Detta är värre än när det gäller standardläkemedel. Barns tillgång till läkemedel är ofta kopplad till lanseringen av motsvarande vuxenprodukt. 4) Vetenskapliga framsteg, såsom läkemedel för avancerad terapi och individualiserad behandling, har redan förbättrat målbehandlingen för patienter som lider av sällsynta sjukdomar. Dessa nya läkemedel har utmanat det nuvarande klassificeringssystemet för särlekemedel, som anger de kriterier som ett läkemedel måste uppfylla för att klassificeras som särlekemedel. Vidare bygger förordningen om läkemedel för pediatrik användning på vissa förfaranden (överenskommelse om ett pediatrikt prövningsprogram i ett tidigt utvecklingsskede) som ibland har visat sig vara betungande och ineffektiva.
Vad förväntas initiativet leda till?
Det övergripande målet med detta initiativ är att säkerställa en hög hälsoskyddsnivå för alla EU-medborgare och se till att barn och patienter med sällsynta sjukdomar har tillgång till läkemedel av hög kvalitet till ett överkomligt pris och till säkra och effektiva behandlingar, så att deras medicinska behov tillgodoses.
Vad är mervärdet med åtgärder på EU-nivå (subsidiaritet)?

Initiativet förväntas leda till betydande effektivitetsvinster genom att förbättra systemet med incitament, belöningar och skyldigheter i samband med forskning om och utveckling av sär läkemedel och läkemedel för barn samt bidra till att göra dem mer ekonomiskt överkomliga och tillgängliga för alla patienter i hela EU. Översynen skulle dessutom kunna förbättra konkurrensen på marknaden genom att andra åtgärder ses över för att underlätta marknadstillträdet för generiska läkemedel och biosimilarer. Detta skulle förbättra patienttillgången och den ekonomiska överkomligheten. Eftersom marknaden för läkemedel mot sällsynta sjukdomar och läkemedel för barn är liten även i större EU-medlemsstater är det troligt att endast en harmoniserad strategi på EU-nivå kommer att lyckas. Den föreslagna insatsen kommer att vara förenlig med andra europeiska och nationella åtgärder.

B. Lösningar

Vilka alternativ finns för att nå målen? Finns det ett rekommenderat alternativ? Varför?

Förordningen om sär läkemedel. Alla alternativ kompletteras av ett antal gemensamma inslag i form av snabbare lansering av generiska läkemedel, åtgärder för att behålla sär läkemedel på marknaden, åtgärder som skapar den flexibilitet som krävs för att ta hänsyn till tekniska och vetenskapliga framsteg samt förenklade förfaranden.

Alternativ A: Ensamrätten på marknaden på tio år behålls och en voucher för läkemedel som tillgodoser ett betydande icke tillgodosett patientbehov läggs till. Vouchern innebär att det lagstadgade skyddet kan förlängas med ett år, och den kan säljas till ett annat företag eller användas för en produkt i det företags portfölj. **Alternativ B:** Den nuvarande ensamrätten på marknaden på tio år avskaffas. **Alternativ C:** En varierande varaktighet för ensamrätt på marknaden på tio, nio eller fem år föreskrivs, baserat på typen av sär läkemedel (för betydande icke tillgodosedda behov, ny aktiv substans, väletablerad användningstillämpning). Om ett läkemedel som tillgodoser ett betydande icke tillgodosett behov eller som innehåller en ny aktiv substans görs tillgängligt i alla relevanta medlemsstater förlängs ensamrätten på marknaden med ett år för dessa läkemedel.

Det rekommenderade alternativet är **alternativ C**.

Förordningen om läkemedel för pediatrik användning. Alla alternativ kompletteras av ett antal gemensamma inslag som stöder utvecklingen av läkemedel som tillgodoser icke tillgodosedda medicinska behov hos barn, rationaliserar och, vid behov, förenklar förfarandena för att komma överens om vilka kliniska studier som måste utföras på barn. Avsikten är att bättre beakta innovation inom vetenskapen och att påskynda förfarandena, så att läkemedel snabbare blir tillgängliga för barn.

Alternativ A: Förlängningen av den immateriella rättigheten med sex månader (tillägsskydd) behålls för alla läkemedel som studeras för behandling av barn. För läkemedel som tillgodoser icke tillgodosedda behov hos barn föreskrivs en ytterligare belöning i form av antingen en ytterligare förlängning av tillägsskyddet med sex månader eller en voucher för en förlängning med ett år av det lagstadgade skyddet, som kan säljas till ett annat företag eller användas för en produkt i det företags portfölj. **Alternativ B:** Förlängningen av tillägsskyddet med sex månader avskaffas. **Alternativ C:** Förlängningen av tillägsskyddet med sex månader behålls.

Det rekommenderade alternativet är **alternativ C**.

Vad anser de berörda parterna? Vem stöder vilka alternativ?

Förordningen om sär läkemedel. Alla berörda parter är överens om behovet av att fortsätta stödja utvecklingen av läkemedel mot sällsynta sjukdomar med särskilda incitament, eftersom marknadsmisslyckanden annars kan inträffa igen. Myndigheter och patientorganisationer

förespråkar en differentiering av det nuvarande huvudincitamentet, vilket återspeglas i alternativ C. Läkemedelsindustrin skulle kunna stödja en anpassning av incitamenten, men inte att de överlag förkortas. Industrin föreslog att ytterligare incitament skulle införas jämfört med den nuvarande situationen eller ett nytt incitament, som en överförbar voucher för dataexklusivitet. Industrin har också betonat behovet av att den nuvarande förordningen förblir stabil och av förutsägbarhet i form av de nuvarande kriterierna för klassificering som sär-läkemedel, eftersom investeringsbeslut fattas långt innan incitamenten för en framgångsrik utveckling kan erhållas.

Förordningen om läkemedel för pediatrik användning. Behovet av att behålla den befintliga skyldigheten att studera alla nya läkemedel för behandling av barn stöds i allmänhet av alla berörda parter. Läkemedelsindustrin och den akademiska världen välkomnar i allmänhet de förbättrade förfarandena. En kortare förlängning av tilläggsskyddet stöds inte av någon grupp av berörda parter. Industrin förespråkar att det befintliga systemet bibehålls, men har också krävt att ytterligare belöningar införs för att stödja specifik utveckling inom områden där det finns medicinska behov hos barn som inte tillgodosetts. Myndigheterna inser behovet av att bättre identifiera icke tillgodosedda pediatrika medicinska behov och inser att det befintliga systemet med skyldigheter och belöningar har fungerat relativt väl, men är oroade över införandet av nya belöningar och hur detta kan påverka de nationella hälso- och sjukvårdssystemens hållbarhet.

C. Det rekommenderade alternativets konsekvenser

Vad är nyttan med det rekommenderade alternativet (om det finns ett sådant alternativ, annars anges nyttan med de huvudsakliga alternativen)?

Förordningen om sär-läkemedel. Det rekommenderade alternativet C kommer att förbättra livskvaliteten för patienter som lider av dessa sjukdomar och för deras familjer, eftersom patienterna i genomsnitt kommer att få tillgång till ytterligare ett till två nya läkemedel per år, särskilt inom områden där det för närvarande saknas behandling. Upphovsföretag kommer att dra nytta av den förlängda ensamrätten på marknaden för läkemedel som tillgodoser betydande icke tillgodosedda medicinska behov. Generiska företag drar nytta av tidigare och mer förutsägbart marknadstillträde. Förutsägbarheten bör också öka för tillverkare av generiska läkemedel, eftersom de kan släppa ut sina produkter på marknaden den dag då ensamrätten på marknaden löper ut. Patienttillgången kommer att öka tack vare att generiska läkemedel kommer ut på marknaden tidigare, vilket också kommer att minska kostnaderna för medlemsstaternas hälso- och sjukvårdssystem. Genom förenklingsåtgärderna kan man spara 3,3 miljoner euro per år i administrativa kostnader. De särskilda incitamenten för läkemedel som tillgodoser betydande icke tillgodosedda medicinska behov kommer att främja innovation och bör omdirigera forskningsinvesteringar till de områden där de behövs mest och kommer därför att öka konkurrenskraften.

Förordningen om läkemedel för pediatrik användning Det rekommenderade alternativet C kommer att leda till fler läkemedel för barn, vilket kommer att förbättra livskvaliteten för barn och deras familjer. Detta alternativ kommer att främja utvecklingen av läkemedel som tillgodoser icke tillgodosedda behov hos barn genom tydliga kriterier för identifiering av sådana läkemedel. Det införs också ett krav på att läkemedel som endast utvecklats för vuxna också ska studeras hos barn om de, på grundval av vetenskaplig evidens, skulle kunna vara effektiva mot en barnsjukdom. Genom att förfarandena förenklas och justeras kommer systemet att bli mer innovationsvänligt och leda till att det pediatrika prövningsprogrammet och godkännandet av läkemedel kan slutföras snabbare. Det kommer endast att vara möjligt att skjuta upp studier av ett läkemedel på barn i upp till fem år (för närvarande finns det ingen

gräns), vilket innebär att läkemedlen kommer att nå barn snabbare än i dag.
Vad är kostnaderna för det rekommenderade alternativet (om det finns ett sådant alternativ, annars anges kostnaderna för de huvudsakliga alternativen)?
Det snabbare marknadstillträdet för generiska läkemedel kommer att ge upphov till vissa förluster för upphovsföretagen. På det hela taget kommer systemet dock att vara mer balanserat, vilket kommer att säkerställa bättre tillgång till ekonomiskt överkomliga läkemedel och samtidigt styra incitamenten dit de behövs mest och på så sätt främja innovation.
Hur påverkas små och medelstora företag?
Att förfarandena förbättras (t.ex. genom förenklingar och ökat stöd från Europeiska läkemedelsmyndigheten) och den administrativa bördan minskar kommer att vara särskilt viktigt för små och medelstora företag, med tanke på deras småskaliga verksamhet. Små och medelstora företag kommer dessutom att fortsätta att dra nytta av avgiftssänkningar för läkemedelsmyndighetens förfaranden. Med tanke på att små och medelstora företag inom området sällsynta sjukdomar ofta lanserar innovativa koncept (klassificerade som säräkemedel) bör de dra nytta av anpassningen av varaktigheten för ensamrätten på marknaden, som belönar läkemedel som tillgodoser betydande icke tillgodosedda medicinska behov.
Påverkas medlemsstaternas budgetar och förvaltningar i betydande grad?
Inga betydande kostnader förväntas för de nationella hälso- och sjukvårdssystemen. I takt med att fler läkemedel utvecklas förväntas de nationella hälso- och sjukvårdssystemen ådra sig ytterligare kostnader i samband med ersättningar, men detta kommer att uppvägas av besparingar till följd av snabbare marknadstillträde för generiska läkemedel.
Uppstår andra betydande konsekvenser?
Detta initiativ förväntas ha en positiv inverkan på folkhälsan och samhället som helhet. Det bör säkerställa att nya terapeutiska lösningar görs tillgängliga för patienterna genom ett ökat antal läkemedel mot sällsynta sjukdomar och för barn, särskilt inom områden där det saknas behandlingar. Inom ramen för läkemedelsstrategin för Europa kommer översynen av lagstiftningen om säräkemedel och om läkemedel för pediatrik användning samt den allmänna läkemedelslagstiftningen att ha en kumulativ positiv inverkan på tillgången till ekonomiskt överkomliga läkemedel för alla patienter och på hälso- och sjukvårdssystemens hållbarhet.
Proportionalitet?
Inget av alternativen för översyn av förordningen om säräkemedel eller förordningen om läkemedel för pediatrik användning går utöver vad som är nödvändigt för att uppnå målen. Initiativet är begränsat till de aspekter som medlemsstaterna inte själva kan uppnå på ett tillfredsställande sätt utan som bättre uppnås på EU-nivå. De rekommenderade alternativen är proportionerliga, eftersom de bygger på och upprätthåller pelarna i ett etablerat system och medför riktade justeringar, och med tanke på de förväntade fördelarna för patienterna, hälso- och sjukvårdssystemen och industrin.
D. Uppföljning
När kommer åtgärderna att ses över?
Utvecklingen av nya säräkemedel kan vara en lång process och slutförandet av en klinisk utvecklingsplan för läkemedel för barn kan ta upp till 10–15 år. Incitament och belöningar har därför en inverkan många år efter datumet för godkännande för försäljning. Nyttan för

patienter behöver också mätas över en period på minst 5–10 år efter att ett läkemedel har godkänts. Kommissionen har för avsikt att regelbundet se över initiativet. En meningsfull utvärdering av resultaten av den reviderade lagstiftningen kommer dock att kunna genomföras tidigast 15 år efter det att den har trätt i kraft.