

Bruksela, dnia 26.4.2023 r.
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

DOKUMENT ROBOCZY SŁUŻB KOMISJI
STRESZCZENIE SPRAWOZDANIA Z OCENY SKUTKÓW

Streszczenie sprawozdania z oceny skutków

Towarzyszący dokumentom:

Wniosek dotyczący dyrektywy Parlamentu Europejskiego i Rady w sprawie unijnego kodeksu odnoszącego się do produktów leczniczych stosowanych u ludzi oraz uchylającej dyrektywę 2001/83/WE i dyrektywę 2009/35/WE

Wniosek dotyczący rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady ustanawiającego unijne procedury wydawania pozwoleń dla produktów leczniczych stosowanych u ludzi i nadzoru nad nimi oraz ustanawiającego zasady regulujące działalność Europejskiej Agencji Leków, zmieniającego rozporządzenie (WE) nr 1394/2007 i rozporządzenie (UE) nr 536/2014 oraz uchylającego rozporządzenie (WE) nr 726/2004, rozporządzenie (WE) nr 141/2000 i rozporządzenie (WE) nr 1901/2006

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

A. Zasadność działań

Na czym polega problem i dlaczego jest to problem na szczeblu UE?

Ocena prawodawstwa dotyczącego leków stosowanych w pediatrii i w leczeniu chorób rzadkich wykazała, że w ciągu ostatnich 20 lat oba rozporządzenia skutecznie wspierały opracowywanie leków. Od czasu ich przyjęcia odnotowano jednak daleko idące postępy i odkrycia w nauce, a sektor farmaceutyczny stał się sektorem globalnym. Zmiany te zwróciły uwagę na niezaspokojone potrzeby zdrowotne, dostęp pacjentów i wpływ leków na budżet i uzasadniają przegląd interwencji politycznej w obszarze chorób rzadkich i leków stosowanych w pediatrii.

W ocenie obu rozporządzeń, opublikowanej w 2020 r., stwierdzono następujące problemy:

1. potrzeby medyczne dzieci i pacjentów cierpiących na choroby rzadkie nie są zaspokojone w wystarczającym stopniu;
2. cena produktów leczniczych stanowi wyzwanie dla systemów opieki zdrowotnej (przystępność cenowa);
3. pacjenci w UE mają nierówny dostęp do leków;
4. system nie pozwala w wystarczającym stopniu na uwzględnienie innowacji i powoduje niepotrzebne obciążenia.

1) Z ponad 6 000 uznanych chorób rzadkich w przypadku 95 % nadal nie istnieją żadne metody leczenia. Opracowywanie leków stosowanych w pediatrii jest wciąż kształtowane przez opracowywanie leków dla dorosłych. W przypadku gdy potrzeby terapeutyczne dorosłych odbiegają od potrzeb dzieci, liczba dostępnych metod leczenia jest ograniczona.

2) Decyzje w sprawie ustalania cen i refundacji oraz wydatki związane z sektorem farmaceutycznym należą do kompetencji krajowych, wykraczających poza zakres unijnego prawodawstwa farmaceutycznego. Średnia cena katalogowa nowych leków rośnie, zwłaszcza w przypadku leków sierocych. Wysokie ceny wpływają na przystępność cenową i stabilność systemów opieki zdrowotnej. Zachęty przewidziane przez prawodawstwo opóźniają wejście na rynek tańszych wersji produktów (generycznych i biopodobnych), które w przeciwnym przypadku poprawiłyby przystępność cenową dla systemów opieki zdrowotnej.

3) Obecnie jedynie około połowa sierocych produktów leczniczych na rynku jest dostępna dla pacjentów w większości państw członkowskich, a dostęp ogólny różni się znacznie między państwami członkowskimi. Sytuacja jest w tym względzie gorsza niż w przypadku leków standardowych. Dostęp do leków stosowanych w pediatrii jest często związany z wprowadzeniem odpowiadającego im produktu dla dorosłych.

4) Postępy w nauce, między innymi podejścia oparte na produktach leczniczych terapii zaawansowanej i medycynie personalizowanej zapewniły już poprawę w zakresie ukierunkowanego leczenia pacjentów cierpiących na choroby rzadkie. Wspomiane nowe produkty stanowią wyzwanie dla obecnego systemu oznaczania produktów sierocych, w ramach którego określono kryteria, jakie produkt musi spełniać, aby został oznaczony jako sieroczy. Ponadto rozporządzenie w sprawie produktów leczniczych stosowanych w pediatrii opiera się na pewnych procedurach (zatwierdzenie planu badań klinicznych z udziałem populacji pediatrycznej na wczesnym etapie opracowywania), które okazały się niekiedy uciążliwe i nieskuteczne.

Co należy osiągnąć?

Ogólnym celem niniejszej inicjatywy jest zapewnienie wysokiego poziomu ochrony zdrowia wszystkich obywateli UE oraz zagwarantowanie, by dzieci i pacjenci cierpiący na choroby rzadkie mieli dostęp do przystępnych cenowo, wysokiej jakości leków oraz bezpiecznych

i skutecznych terapii zaspokajających ich potrzeby zdrowotne.

Na czym polega wartość dodana podjęcia działań na poziomie UE (zasada pomocniczości)?

Oczekuje się, że inicjatywa przyniesie znaczące korzyści dzięki usprawnieniu systemu zachęt, premii i obowiązków związanych z badaniami i rozwojem leków sierocych i leków stosowanych w pediatrii, a także przyczynieniu się do ich większej przystępności cenowej oraz dostępności dla wszystkich pacjentów w całej UE. Ponadto niniejsza rewizja mogłaby wzmocnić konkurencyjne funkcjonowanie rynku dzięki przeglądowi innych środków z myślą o ułatwieniu wejścia na rynek leków generycznych i biopodobnych. Zapewniłoby to poprawę dostępu pacjentów do leków i ich przystępności cenowej. Biorąc pod uwagę, że rynek leków stosowanych w leczeniu chorób rzadkich i w pediatrii jest niewielki nawet w większych państwach członkowskich UE, realne szanse powodzenia ma wyłącznie zharmonizowane podejście na poziomie UE. Proponowana interwencja będzie spójna z innymi środkami europejskimi i krajowymi.

B. Rozwiązania

Jakie są różne warianty działań służących osiągnięciu celów? Czy wskazano preferowany wariant? Jeżeli nie, dlaczego?

Rozporządzenie w sprawie sierocych produktów leczniczych. Wszystkie warianty uzupełniają zestaw wspólnych elementów zapewniających szybsze wprowadzanie leków generycznych, środki służące utrzymaniu leków sierocych na rynku, środki tworzące niezbędną elastyczność umożliwiającą dostosowanie do postępu technologicznego i naukowego oraz uproszczenie procedur.

Wariant A: przewiduje utrzymanie 10 lat wyłączności rynkowej oraz dodanie bonu w odniesieniu do produktów ukierunkowanych na duże niezaspokojone potrzeby pacjentów. Bon umożliwia przedłużenie o jeden rok okresu obowiązywania ochrony prawnej i może zostać sprzedany innemu przedsiębiorstwu lub wykorzystany w odniesieniu do produktu w ofercie tego przedsiębiorstwa. **Wariant B:** zakłada zniesienie obecnego dziesięcioletniego okresu wyłączności rynkowej. **Wariant C:** przewiduje *zmienny* okres obowiązywania wyłączności rynkowej trwający 10, 9 lub 5 lat w zależności od rodzaju leku sierociego (odpowiednio ukierunkowanego na duże niezaspokojone potrzeby, zawierającego nową substancję czynną, mającego ugruntowane zastosowanie). Jeżeli lek ukierunkowany na duże niezaspokojone potrzeby zdrowotne lub zawierający nową substancję czynną udostępniany jest we wszystkich stosownych państwach członkowskich, wyłączność rynkową w odniesieniu do tych produktów przedłuża się o 1 rok.

Preferowanym wariantem jest **wariant C**.

Rozporządzenie w sprawie produktów leczniczych stosowanych w pediatrii. Wszystkie warianty uzupełniają zestaw wspólnych elementów, które wspierają opracowywanie produktów ukierunkowanych na niezaspokojone potrzeby zdrowotne dzieci, usprawniają i – w stosownych przypadkach – upraszczają procedury w celu uzgodnienia, jakie badania biomedyczne trzeba przeprowadzić wśród dzieci. Celem jest lepsze uwzględnienie innowacji w sektorze naukowym i przyspieszenie procedur, aby szybciej udostępniać produkty potrzebne dzieciom.

Wariant A: sześciomiesięczne przedłużenie prawa własności intelektualnej (dodatkowe świadectwo ochronne) zostanie utrzymane w odniesieniu do wszystkich leków, w przypadku których bada się stosowanie u dzieci. W odniesieniu do leków ukierunkowanych na niezaspokojone potrzeby u dzieci, dodatkowa premia w formie dodatkowego

sześciomiesięcznego przedłużenia dodatkowego świadectwa ochronnego *albo* bonu na przedłużenie o jeden rok okresu obowiązywania ochrony prawnej, który może zostać sprzedany innemu przedsiębiorstwu lub wykorzystany w odniesieniu do produktu w ofercie tego przedsiębiorstwa. **Wariant B:** sześciomiesięczne przedłużenie okresu ważności dodatkowego świadectwa ochronnego zostanie zniesione. **Wariant C:** sześciomiesięczne przedłużenie okresu ważności dodatkowego świadectwa ochronnego zostanie utrzymane.

Preferowanym wariantem jest **wariant C**.

Jakie są opinie poszczególnych zainteresowanych stron? Jak kształtuje się poparcie dla poszczególnych wariantów?

Rozporządzenie w sprawie sierocych produktów leczniczych. Wszystkie zainteresowane strony zgadzają się co do potrzeby dalszego wspierania opracowywania leków stosowanych w leczeniu chorób rzadkich w drodze szczególnych zachęt, ponieważ w przeciwnym przypadku mogłoby dojść do niedoskonałości rynku. Organy publiczne i organizacje pacjentów opowiadają się za zróżnicowaniem obecnej głównej zachęty, co odzwierciedlono w wariantcie C. Przemysł farmaceutyczny mógłby poprzeć zróżnicowanie zachęt, ale nie ich skrócenie. Przemysł zaproponował wprowadzenie dodatkowych zachęt w porównaniu z obecną sytuacją lub nowatorskiej zachęty, np. bonu na transferowalną wyłączność danych. Podkreślił również, że należy utrzymać stabilność obecnego rozporządzenia oraz przewidywalność, jaką zapewniają obecne kryteria oznaczania jako produktów sierocych, gdyż decyzje inwestycyjne podejmowane są na długo przed możliwym uzyskaniem zachęt na rzecz skutecznego opracowania.

Rozporządzenie w sprawie produktów leczniczych stosowanych w pediatrii. Potrzebę zachowania istniejącego obowiązku badania wszystkich nowych leków stosowanych w pediatrii popierają zasadniczo wszystkie zainteresowane strony. Przemysł farmaceutyczny i środowiska akademickie ogólnie przyjmują usprawnienia procedur z zadowoleniem. Żadna z grup zainteresowanych stron nie popiera skrócenia okresu przedłużenia dodatkowego świadectwa ochronnego. Przemysł popiera utrzymanie istniejącego systemu, ale wzywa również do wprowadzenia dodatkowych premii w celu wsparcia szczególnych osiągnięć w obszarze niezaspokojonych potrzeb zdrowotnych u dzieci. Organy publiczne uznają konieczność lepszego identyfikowania niezaspokojonych potrzeb zdrowotnych u dzieci oraz są zdania, że istniejący system obowiązków i premii sprawdził się stosunkowo dobrze. Wyraziły natomiast obawy dotyczące wprowadzenia nowatorskich premii i ich późniejszego wpływu na stabilność krajowych systemów opieki zdrowotnej.

C. Skutki wdrożenia preferowanego wariantu

Jakie korzyści przyniesie wdrożenie preferowanego wariantu lub – jeśli go nie wskazano – głównych wariantów?

Rozporządzenie w sprawie sierocych produktów leczniczych. Preferowany wariant C zapewni poprawę jakości życia pacjentów cierpiących na dane choroby oraz ich rodzin, ponieważ pacjenci będą średnio korzystać z dodatkowych 1–2 nowych leków rocznie, w szczególności w obszarach, w których leczenie nie jest obecnie dostępne. Przedsiębiorstwa zajmujące się wytwarzaniem leków oryginalnych zyskają dzięki przedłużonej wyłączności rynkowej w odniesieniu do leków ukierunkowanych na duże niezaspokojone potrzeby zdrowotne. Przedsiębiorstwa produkujące leki generyczne skorzystają z wcześniejszego i bardziej przewidywalnego wejścia na rynek. Ponadto powinna wzrosnąć przewidywalność dla producentów leków generycznych, jako że będą mogli wprowadzić swój produkt na rynek w dniu wygaśnięcia wyłączności rynkowej. Dostęp pacjentów ulegnie zwiększeniu dzięki wcześniejszemu wejściu na rynek leków generycznych, co ograniczy również koszty dla

systemów opieki zdrowotnej państw członkowskich. Środki upraszczające mogą zapewnić oszczędności kosztów administracyjnych w wysokości 3,3 mln EUR rocznie. Zachęty dotyczące konkretnie leków ukierunkowanych na duże niezaspokojone potrzeby zdrowotne będą działać na rzecz innowacji i powinny doprowadzić do przekierowania inwestycji w badania do obszarów, w których są najbardziej potrzebne, w związku z czym pobudzą też konkurencyjność.

Rozporządzenie w sprawie produktów leczniczych stosowanych w pediatrii. W ramach preferowanego wariantu C zwiększy się liczba leków stosowanych w pediatrii, co poprawi jakość życia zarówno dzieci, jak i ich rodzin. Wariant ten będzie sprzyjać opracowywaniu produktów ukierunkowanych na niezaspokojone potrzeby u dzieci dzięki jasnym kryteriom identyfikacji takich produktów. Zakłada on również wprowadzenie wymogu, zgodnie z którym produkty opracowywane wyłącznie do stosowania u dorosłych muszą zostać przebadane również wśród dzieci, jeżeli z dowodów naukowych wynika, że mogłyby być skuteczne w leczeniu chorób u dzieci. Uproszczenia i dostosowania proceduralne sprawią, że system stanie się bardziej przyjazny dla innowacji, oraz doprowadzą do sprawniejszej realizacji planu badań klinicznych z udziałem populacji pediatrycznej oraz udzielania pozwoleń w odniesieniu do leków. Badania dotyczące stosowania leków u dzieci będzie można odłożyć maksymalnie na pięć lat (obecnie granica nie istnieje), w związku z czym produkty będą docierać do dzieci szybciej niż obecnie.

Jakie są koszty wdrożenia preferowanego wariantu lub – jeśli go nie wskazano – głównych wariantów?

Szybsze wejście na rynek leków generycznych spowoduje pewne straty dla przedsiębiorstw wytwarzających leki oryginalne. W ujęciu ogólnym system będzie jednak lepiej zrównoważony, co zapewni łatwiejszy dostęp do bardziej przystępnych cenowo leków, przy jednoczesnym przekierowaniu zachęt do obszarów, w których są one najbardziej potrzebne, a zatem propagowaniu innowacji.

Jakie są skutki dla małych i średnich przedsiębiorstw (MŚP)?

Zmiany proceduralne (między innymi uproszczenie i większe wsparcie ze strony Europejskiej Agencji Leków) oraz zmniejszenie obciążenia administracyjnego będą szczególnie ważne dla MŚP ze względu na ich niewielkie rozmiary. Ponadto MŚP będą nadal korzystać z obniżek opłat w ramach procedur Agencji. Biorąc pod uwagę, że w obszarze chorób rzadkich MŚP często rozpoczynają prace nad innowacyjnymi koncepcjami (produkty oznaczone jako produkty sieroce), powinny one odnieść korzyść ze zróżnicowania okresu obowiązywania wyłączności rynkowej, co będzie zarazem korzystne z punktu widzenia produktów ukierunkowanych na duże niezaspokojone potrzeby zdrowotne.

Czy przewiduje się znaczące skutki dla budżetów i administracji krajowych?

Nie oczekuje się żadnych znaczących kosztów dla krajowych systemów opieki zdrowotnej. Oczekuje się, że w miarę opracowywania większej liczby produktów krajowe systemy opieki zdrowotnej poniosą dodatkowe koszty związane z refundacją, ale nad tymi kosztami będą przeważać oszczędności wynikające z szybszego wejścia na rynek leków generycznych.

Czy wystąpią inne znaczące skutki?

Oczekuje się, że niniejsza inicjatywa będzie miała pozytywny wpływ na zdrowie publiczne i całe społeczeństwo. Powinna ona zapewnić dostępność dla pacjentów nowych rozwiązań terapeutycznych w postaci większej liczby produktów stosowanych w leczeniu chorób rzadkich i w pediatrii, w szczególności w obszarach, w których nie istnieje żadna metoda

leczenia. W ramach strategii farmaceutycznej dla Europy rewizja przepisów dotyczących leków sierocych i stosowanych w pediatrii oraz ogólnego prawodawstwa farmaceutycznego wywrze łączny pozytywny wpływ na dostęp do leków i ich przystępność cenową dla wszystkich pacjentów oraz na stabilność systemów opieki zdrowotnej.

Proporcjonalność

Żaden z wariantów dotyczących zmiany rozporządzenia w sprawie sierocych produktów leczniczych lub rozporządzenia w sprawie produktów leczniczych stosowanych w pediatrii nie wykracza poza to, co jest konieczne do osiągnięcia celów. Inicjatywa ogranicza się do aspektów, których państwa członkowskie nie są w stanie samodzielnie zrealizować w zadowalającym stopniu, a które mogą zostać skuteczniej zrealizowane na szczeblu UE. Preferowane warianty są proporcjonalne, biorąc pod uwagę, że opierają się na filarach istniejącego systemu i przewidują ich utrzymanie oraz zakładają ukierunkowane dostosowania, oraz ze względu na oczekiwane korzyści dla pacjentów, systemów opieki zdrowotnej i przemysłu.

D. Działania następne

Kiedy nastąpi przegląd przyjętej polityki?

Opracowywanie nowych leków sierocych może być długim procesem, a zakończenie planu rozwoju w warunkach klinicznych w przypadku leków stosowanych w pediatrii może trwać nawet 10–15 lat. W związku z tym wpływ zachęt i premii uwidacznia się wiele lat po terminie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu. Korzyść dla pacjentów również należy mierzyć w okresie co najmniej 5–10 lat po uzyskaniu przez lek pozwolenia na dopuszczenie do obrotu. Komisja zamierza przeprowadzać okresowy przegląd inicjatywy. Merytoryczna ocena wyników zmienionych przepisów będzie jednak możliwa dopiero po co najmniej 15 latach od ich wejścia w życie.