



Bruxelles, den 26.4.2023  
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

**ARBEJDSDOKUMENT FRA KOMMISSIONENS TJENESTEGRENE**  
**RESUMÉ AF RAPPORTEN OM KONSEKVENSANALYSEN**

**Resumé af rapporten om konsekvensanalysen**

*Ledsagedokument til*

**Forslag til Europa-Parlamentets og Rådets direktiv om en EU-kodeks for humanmedicinske lægemidler og om ophævelse af direktiv 2001/83/EF og 2009/35/EF**

**Forslag til Europa-Parlamentets og Rådets forordning om fastlæggelse af EU-procedurer for godkendelse og overvågning af humanmedicinske lægemidler og om fastsættelse af regler for Det Europæiske Lægemiddelagentur, om ændring af forordning (EF) nr. 1394/2007 og (EU) nr. 536/2014 og om ophævelse af forordning (EF) nr. 726/2004, (EF) nr. 141/2000 og (EF) 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 for handling**

### **Hvad er problemet, og hvorfor er det et problem på EU-plan?**

Evalueringen af lovgivningen om henholdsvis lægemidler til børn og sjældne sygdomme har vist, at de to forordninger effektivt har fremmet udviklingen af lægemidler i de seneste 20 år. Udviklingen og nyskabelserne på det videnskabelige område har imidlertid været omfattende, siden forordningerne blev vedtaget, ligesom vi har oplevet en globalisering af lægemiddelsektoren. Disse ændringer, som især har sat fokus på uopfyldte medicinske behov samt patienternes adgang til og de budgetmæssige virkninger af lægemidler, tilsiger en revision af politiktiltag vedrørende sjældne sygdomme og lægemidler til børn.

Ved evalueringen af de to forordninger, som blev offentliggjort i 2020, identificeredes følgende problemer:

1. De medicinske behov hos børn og patienter med sjældne sygdomme imødekommes ikke i tilstrækkelig grad.
2. Prisen på lægemidler udgør en udfordring for sundhedssystemerne (prismæssig overkommelighed).
3. Patienterne har ikke lige adgang til lægemidler i hele EU.
4. Systemet tager ikke i tilstrækkelig grad højde for innovation og skaber unødvendige byrder.

1) Der findes stadig ikke behandlingsmuligheder for 95 % af de over 6 000 anerkendte sjældne sygdomme. Udviklingen af lægemidler til børn er stadig drevet af udviklingen af lægemidler til voksne. Hvor behandlingsbehov hos voksne afviger fra børns behov, er antallet af tilgængelige behandlinger begrænset.

2) Prissætnings- og refusionsbeslutninger og lægemiddeludgifter henhører under medlemsstaternes nationale kompetence og er ikke omfattet af EU's lægemiddellovgivning. Den gennemsnitlige listeprijs på nye lægemidler er stigende, især for lægemidler til sjældne sygdomme. Høje priser påvirker prisoverkommeligheden i og holdbarheden af sundhedssystemerne. De incitamenter, lovgivningen giver, forsinker markedsadgangen for billigere udgaver af produkter (generiske og biosimilære lægemidler), som ellers kunne forbedre prisoverkommeligheden for sundhedssystemerne.

3) Kun omkring halvdelen af de lægemidler til sjældne sygdomme, der findes på markedet, er i dag tilgængelige for patienter i de fleste medlemsstater, og den generelle adgang varierer betydeligt fra medlemsstat til medlemsstat. Dette er værre end for standardlægemidler. Adgang til lægemidler til børn er ofte knyttet til lanceringen af det tilsvarende voksenlægemiddel.

4) Videnskabelige fremskridt, såsom udvikling af lægemidler til avanceret terapi og persontilpassede lægemidler, har allerede forbedret målbehandlinger af patienter, der lider af sjældne sygdomme. Disse nye lægemidler har skabt en udfordring for det nuværende system for udpegelse af lægemidler til sjældne sygdomme, som præciserer, hvilke kriterier et lægemiddel skal opfylde for at blive udpeget som lægemiddel til sjældne sygdomme. Dertil kommer, at pædiatريفorordningen er baseret på visse procedurer (godkendelse af en pædiatrisk undersøgelsesplan tidligt i udviklingsprocessen), som i nogle tilfælde har vist sig at være besværlige og ineffektive.

### **Hvilke resultater skal der opnås?**

Den overordnede målsætning med dette initiativ er at sikre et højt sundhedsbeskyttelsesniveau for alle EU-borgere og sikre, at børn og patienter med sjældne sygdomme har adgang til økonomisk overkommelige lægemidler af høj kvalitet og til sikre og effektive behandlinger, som imødekommer deres medicinske behov.

### Hvad er merværdien ved at handle på EU-plan (nærhedsprincippet)?

Initiativet forventes at ville medføre en betydelig effektivisering ved at forbedre systemet med incitamenter, belønninger og forpligtelser i forbindelse med forskning i og udvikling af lægemidler til sjældne sygdomme og lægemidler til børn samt ved at bidrage til at gøre lægemidlerne billigere og tilgængelige for alle patienter i hele EU. Revisionen af lovgivningen vil desuden kunne forbedre markedets konkurrencemæssige funktion via revisionen af diverse andre foranstaltninger, der skal lette markedets adgang for generiske og biosimilære lægemidler. Dette ville forbedre patienternes adgang til lægemidler og prismæssig overkommelighed. Da markedet for lægemidler til sjældne sygdomme og børn er lille, selv i større EU-medlemsstater, vil kun en harmoniseret tilgang på EU-plan kunne forventes at ville give de ønskede resultater. Det foreslåede initiativ vil være i overensstemmelse med andre europæiske og nationale foranstaltninger.

### B. Løsninger

Hvilke løsninger er overvejet for at nå målene? Foretrakkes en bestemt løsning frem for andre? Hvis ikke, hvorfor ikke?

*Forordningen om sjældne sygdomme* — De mulige løsninger suppleres alle af en række fælles elementer, der sikrer hurtigere lancering af generiske lægemidler, foranstaltninger til at holde lægemidler til sjældne sygdomme på markedet, foranstaltninger, der skaber den nødvendige fleksibilitet til at tage hensyn til teknologiske og videnskabelige fremskridt, samt forenkling af diverse procedurer.

**Løsning A:** De 10 års eneret til markedsføring bibeholdes, og der indføres en voucher for produkter, der imødekommer et stort uopfyldt patientbehov. Denne voucher giver mulighed for at få forlænget varigheden af den lovgivningsmæssige beskyttelse med et år eller kan alternativt sælges til en anden virksomhed eller anvendes for et produkt i denne virksomheds portefølje. **Løsning B:** Det nuværende system med 10 års eneret til markedsføring afskaffes. **Løsning C:** Der indføres et system med eneret til markedsføring af *varierende varighed* — nemlig 10, 9 eller 5 år — afhængigt af, hvilken type lægemiddel til sjældne sygdomme der er tale om (imødekommelse af et stort uopfyldt medicinsk behov/nyt virksomt stof/almindelig anerkendt anvendelse). Hvis et lægemiddel, der imødekommer et stort uopfyldt medicinsk behov eller indeholder et nyt virksomt stof, gøres tilgængeligt i alle relevante medlemsstater, forlænges eneretten til markedsføring med 1 år for det pågældende lægemiddel.

Den foretrukne løsning er **løsning C**.

*Pædiatريفorordningen* — De mulige løsninger suppleres alle af en række fælles elementer til befordring af udvikling af produkter, der imødekommer uopfyldte medicinske behov hos børn, med strømlining og som fornødent forenkling af procedurerne for at nå til enighed om, hvilke kliniske undersøgelser der skal gennemføres hos børn. Hensigten er at give bedre plads til innovation inden for videnskab og at fremskynde procedurerne for hurtigere at gøre produkter tilgængelige for børn.

**Løsning A:** Forlængelsen på 6 måneder af intellektuelle ejendomsrettigheder (supplerende beskyttelsescertifikat) vil blive bibeholdt for alle lægemidler, for hvilke anvendelsen hos børn undersøges. Der vil for lægemidler, der imødekommer uopfyldte behov hos børn, være en yderligere belønning i form af *enten* en yderligere forlængelse på 6 måneder af det supplerende beskyttelsescertifikat *eller* en voucher med en forlængelse på 1 år af varigheden af den lovgivningsmæssige beskyttelse, som kan sælges til en anden virksomhed eller anvendes for et produkt i denne virksomheds portefølje. **Løsning B:** Den seks måneders forlængelse af

det supplerende beskyttelsescertifikat afskaffes. **Løsning C:** Den seks måneders forlængelse af det supplerende beskyttelsescertifikat bibeholdes.

Den foretrukne løsning er **løsning C**.

#### **Hvad er de forskellige interessenters synspunkter? Hvem støtter hvilken løsning?**

*Forordningen om sjældne sygdomme* — Alle interessenter er enige om, at det er nødvendigt fortsat at støtte udviklingen af lægemidler til sjældne sygdomme med specifikke incitamenter, da der ellers igen vil kunne opleves markedssvigt. Offentlige myndigheder og patientorganisationer går ind for en graduering af det vigtigste nuværende incitament som afspejlet i løsning C. Medicinalindustrien ville kunne tilslutte sig gradueringen af incitamenterne, men ikke en generel afkortning af dem. Industrien har foreslået, at der indføres yderligere incitamenter i forhold til den nuværende situation eller et helt nyt incitament som f.eks. en overdragelig eksklusivitetsvoucher. Industrien har også fremhævet behovet for, at den nuværende retlige ramme i henhold til forordningen forbliver stabil, og for forudsigelighed med hensyn til de nuværende kriterier for udpegelse af lægemidler til sjældne sygdomme, da investeringsbeslutninger træffes, længe inden der kan drages fordel af incitamenterne til et vellykket udviklingsarbejde.

*Pædiatrorfordningen* — Der er bred enighed blandt alle interessenter om behovet for at bevare den eksisterende forpligtelse til at undersøge alle nye lægemidler til anvendelse hos børn. Medicinalindustrien og den akademiske verden hilser generelt forbedringerne af procedurerne velkommen. Ingen af interessentgrupperne går ind for at afkorte forlængelsen af det supplerende beskyttelsescertifikat. Industrien går ind for at opretholde det eksisterende system, men har også opfordret til, at der indføres yderligere belønninger for at støtte udvikling specifikt inden for områder med uopfyldte medicinske behov hos børn. De offentlige myndigheder anerkender behovet for mere præcist at identificere, hvornår der er tale om uopfyldte medicinske behov hos børn, og anerkender, at det eksisterende system med forpligtelser og belønninger har fungeret ganske godt, men har givet udtryk for bekymring over indførelsen af nye belønninger og deres efterfølgende indvirkning på de nationale sundhedssystemers holdbarhed.

#### **C. Den foretrukne løsnings virkninger**

##### **Hvilke fordele er der ved den foretrukne løsning (hvis en bestemt løsning foretrækkes – ellers fordelene ved de vigtigste af de mulige løsninger)?**

*Forordningen om sjældne sygdomme* — Med den foretrukne løsning — løsning C — vil livskvaliteten blive forbedret for patienter, der lider af disse sygdomme, og for deres familier, da patienterne i gennemsnit vil få gavn af yderligere 1-2 nye lægemidler om året, navnlig inden for områder, hvor der i dag ikke findes nogen behandlingsmuligheder. Originalproducenterne vil drage fordel af den udvidede eneret til markedsføring for lægemidler, der imødekommer et stort uopfyldt medicinsk behov. De generiske virksomheder tilgodeses med hurtigere og mere forudsigelig markedsadgang. Også det, at generikaproducenterne vil kunne markedsføre deres produkt, det øjeblik eneretten til markedsføring udløber, burde sikre større forudsigelighed for dem. Adgangen for patienterne vil blive forbedret som følge af hurtigere markedsadgang for generiske lægemidler, hvilket også vil reducere omkostningerne for medlemsstaternes sundhedssystemer. Forenklingsforanstaltningerne vil give årlige besparelser på 3,3 mio. EUR i reducerede administrationsomkostninger. De specifikke incitamenter til udvikling af lægemidler, der imødekommer store uopfyldte medicinske behov, vil fremme innovation og kan forventes at ville omdirigere investeringerne i forskning til de områder, hvor der er størst behov for dem,

og dermed styrke konkurrenceevnen.

*Pædiatريفorordningen* — Den foretrukne løsning — løsning C — vil øge antallet af lægemidler til børn, hvilket vil forbedre deres og deres familiers livskvalitet. Denne løsning vil befordre udvikling af produkter, der imødekommer uopfyldte behov hos børn, via klare kriterier for identifikation af sådanne produkter. Den indebærer desuden indførelse af et krav om, at et produkt, der er udviklet udelukkende til voksne, også skal undersøges hos børn, såfremt det — vurderet på grundlag af videnskabelig evidens — kunne være effektivt mod en sygdom, der rammer børn. Proceduremæssige forenklinger og tilpasninger vil gøre systemet mere innovationsvenligt og føre til hurtigere færdiggørelse af pædiatriske undersøgelsesplaner og godkendelse af lægemidler. Undersøgelse af brugen af et lægemiddel til børn vil højst kunne udskydes i 5 år (i dag er der ingen grænse), og produkterne vil dermed nå ud til børn hurtigere end i dag.

**Hvilke omkostninger er der ved den foretrukne løsning (hvis en bestemt løsning foretrækkes – ellers omkostningerne ved de vigtigste af de mulige løsninger)?**

Hurtigere markedsadgang for generiske lægemidler vil i et vist omfang medføre tab for originalproducenterne. Overordnet set vil systemet imidlertid være mere afbalanceret og sikre bedre adgang til billigere lægemidler, samtidig med at incitamenterne kanaliseres derhen, hvor der er størst behov for dem, hvilket vil fremme innovation.

**Hvordan indvirker den foretrukne løsning på små og mellemstore virksomheder (SMV'er)?**

De proceduremæssige forbedringer (såsom forenkling og øget støtte fra Det Europæiske Lægemiddelagentur) og mindskelsen af den administrative byrde vil være af særlig stor betydning for SMV'er på grund af disse virksomheders beskedne størrelse. SMV'er vil desuden fortsat drage fordel af lavere gebyrer i forbindelse med agenturets procedurer. I betragtning af at SMV'er, der beskæftiger sig med sjældne sygdomme, ofte udvikler innovative koncepter (udpegede lægemidler til sjældne sygdomme), kan de forventes at ville drage fordel af gradueringen af varigheden af eneret til markedsføring, som belønner produkter, der imødekommer store uopfyldte medicinske behov.

**Vil den foretrukne løsning få væsentlige virkninger for de nationale budgetter og myndigheder?**

Der forventes ingen væsentlige omkostninger for de nationale sundhedssystemer. Det, at der vil blive udviklet flere produkter, forventes at ville give de nationale sundhedssystemer refusionsrelaterede ekstraomkostninger, men dette vil blive opvejet af besparelser som følge af hurtigere markedsadgang for generiske lægemidler.

**Vil den foretrukne løsning få andre væsentlige virkninger?**

Dette initiativ forventes ville indvirke positivt på folkesundheden og gavne samfundet som helhed. Initiativet burde sikre, at nye behandlingsløsninger bliver tilgængelige for patienterne via et øget antal lægemidler til sjældne sygdomme og til børn, navnlig inden for områder, hvor der ikke findes nogen behandlingsmuligheder. Revisionen af lovgivningen om sjældne sygdomme og pædiatriske lægemidler og af den overordnede lægemiddellovgivning inden for rammerne af lægemiddelstrategien for Europa vil have en kumulativ positiv indvirkning på adgangen til lægemidler til overkommelige priser for alle patienter og på sundhedssystemernes holdbarhed.

**Proportionalitetsprincippet**

Ingen af løsningerne til revisionen af forordningen om sjældne sygdomme og pædiatريفorordningen går videre, end hvad der er nødvendigt for at nå målene. Initiativet er begrænset til de aspekter, som medlemsstaterne ikke selv kan klare på tilfredsstillende vis, og hvor EU kan gøre det bedre. De foretrukne løsninger står i et rimeligt forhold til målene, idet de bygger på og bevarer søjlerne i et allerede etableret system, med foreslåede målrettede tilpasninger, og i betragtning af de forventede fordele for patienter, sundhedssystemer og industrien.

#### **D. Opfølgning**

##### **Hvornår vil foranstaltningen blive taget op til fornyet overvejelse?**

Udvikling af nye lægemidler til sjældne sygdomme kan være en langvarig proces, og det kan tage op til 10-15 år at udarbejde en klinisk udviklingsplan for lægemidler til børn. Incitament og belønning er derfor af betydning mange år efter datoen for udstedelse af en markedsføringstilladelse. Fordelene for patienterne skal også måles over en periode på mindst 5-10 år, efter at et lægemiddel er blevet godkendt. Kommissionen agter at tage initiativet op til fornyet overvejelse med jævne mellemrum. En evaluering af resultaterne af den ændrede lovgivning vil imidlertid først give mening som minimum 15 år efter dens ikrafttræden.