



COMMISSION
EUROPÉENNE

Bruxelles, le 26.4.2023
COM(2023) 190 final

**COMMUNICATION DE LA COMMISSION AU PARLEMENT EUROPÉEN, AU
CONSEIL, AU COMITÉ ÉCONOMIQUE ET SOCIAL EUROPÉEN ET AU COMITÉ
DES RÉGIONS**

**Réforme de la législation pharmaceutique et mesures de lutte contre la résistance aux
antimicrobiens**

1. Introduction

Depuis plus de cinquante ans, la législation pharmaceutique de l'UE fixe les normes les plus rigoureuses en matière de qualité, de sécurité et d'efficacité pour l'autorisation des médicaments, tout en promouvant le fonctionnement du marché intérieur et la compétitivité de l'industrie pharmaceutique. Toutefois, les transformations en cours ainsi que les enseignements tirés de la pandémie de COVID-19 et de l'invasion brutale de l'Ukraine par la Russie imposent d'agir avec détermination pour moderniser le cadre pharmaceutique de l'UE de sorte à le rendre plus résilient, plus équitable et plus compétitif.

Aujourd'hui, les médicaments autorisés dans l'UE ne parviennent pas assez rapidement aux patients, et ceux-ci n'y ont pas accès de la même manière dans tous les États membres. Il existe des lacunes importantes en ce qui concerne la réponse aux besoins médicaux non satisfaits, le traitement des maladies rares et le développement de nouveaux antimicrobiens pour lutter contre le problème, grandissant, de la résistance aux antimicrobiens (RAM). De surcroît, le prix élevé des traitements innovants empêche que les médicaments soient accessibles rapidement et à un prix abordable. Par ailleurs, les pénuries de médicaments constituent une menace de plus en plus sérieuse, qui peut avoir de lourdes conséquences sur les patients.

Pour continuer d'attirer les investissements et tenir sa place, sur la scène mondiale, de chef de file dans le développement des médicaments, l'UE doit adapter le système réglementaire aux évolutions telles que la transformation numérique et les nouvelles technologies d'administration de médicaments aux patients. Il est nécessaire, pour stimuler la compétitivité de l'UE, de réduire la charge administrative et de rationaliser les procédures. Il importe de s'attaquer aux incidences des médicaments sur l'environnement afin d'aligner cette initiative sur les objectifs du pacte vert et de l'économie verte.

En novembre 2020, la Commission a présenté une stratégie pharmaceutique pour l'Europe¹, qui vise à créer un environnement pharmaceutique pérenne et centré sur le patient, dans lequel l'industrie de l'UE puisse innover, prospérer et tenir sa place de chef de file sur la scène mondiale. Un écosystème pharmaceutique de l'UE résistant aux crises et adapté au contexte actuel comme aux défis de demain est l'un des piliers centraux d'une Union européenne de la santé forte² qui profite aux citoyens. Il viendra en complément d'autres initiatives majeures, dont le renforcement du cadre de sécurité sanitaire de l'Union par la nouvelle législation sur les menaces transfrontières pour la santé et le renforcement des mandats des agences de santé de l'UE, la mise en place de l'Autorité européenne de préparation et de réaction en cas d'urgence sanitaire (HERA), le plan européen pour vaincre le cancer ainsi que l'espace européen des données de santé.

La Commission propose une révision ambitieuse de la législation pharmaceutique de l'UE, appelée à être un élément essentiel de la réponse globale de l'UE aux défis précités. Cette révision s'articule autour de cinq objectifs principaux:

1. veiller à ce que tous les patients, partout dans l'UE, aient un accès rapide et équitable à des médicaments sûrs, efficaces et abordables;
2. renforcer la sécurité de l'approvisionnement et veiller à ce que les patients, où qu'ils résident dans l'UE, aient toujours accès aux médicaments;

¹ Communication de la Commission — Stratégie pharmaceutique pour l'Europe, COM(2020) 761 final.

² https://commission.europa.eu/strategy-and-policy/priorities-2019-2024/promoting-our-european-way-of-life/european-health-union_fr

3. offrir, pour la recherche, le développement et la production de médicaments en Europe, un environnement attractif et propice à l'innovation ainsi qu'à la compétitivité;
4. rendre les médicaments plus durables sur le plan environnemental;
5. lutter contre la résistance aux antimicrobiens (RAM) au moyen d'une approche fondée sur le principe «Une seule santé», englobant la santé humaine, la santé animale et l'environnement.

Pour que ces objectifs puissent être atteints, la Commission propose une réforme de la législation pharmaceutique de l'UE, comprenant une proposition de nouvelle directive et une proposition de nouveau règlement, dans le but de moderniser, de simplifier et de remplacer les actes législatifs existants suivants: la directive 2001/83/CE³ et le règlement (CE) n° 726/2004⁴ (la «législation pharmaceutique générale»), le règlement (CE) n° 1901/2006 relatif aux médicaments à usage pédiatrique⁵ et le règlement (CE) n° 141/2000 concernant les médicaments orphelins (contre les maladies rares)⁶. La Commission propose en outre une recommandation du Conseil sur la RAM, visant à compléter et à renforcer la réponse de l'UE.

La réforme de la législation pharmaceutique est l'occasion de créer un cadre durable, axé sur le patient et tourné vers l'avenir qui bénéficie aux patients, à la société et aux systèmes de soins de santé en Europe, tout en faisant en sorte que l'industrie de l'UE reste compétitive à l'échelle mondiale. Elle nécessitera une coopération des différentes parties prenantes pour entraîner des évolutions positives. L'industrie jouera un rôle fondamental, tant pour répondre aux besoins des patients que pour continuer à stimuler l'innovation et la compétitivité, dans un domaine où l'UE doit tenir sa place de chef de file sur la scène mondiale et renforcer sa résilience. La réforme proposée s'appuie sur des consultations approfondies de toutes les parties intéressées concernées⁷.

La présente communication offre une vue d'ensemble des principaux éléments de la proposition de réforme de la législation pharmaceutique et de la proposition de recommandation du Conseil sur la RAM.

2. Une réforme pour améliorer l'accès aux médicaments et leur caractère abordable au profit des patients dans toute l'UE

Faciliter un accès rapide et équitable des patients aux médicaments

L'un des principaux objectifs de la réforme est que tous les patients, partout dans l'UE, aient un accès rapide et équitable à des médicaments sûrs et efficaces⁸. Ce n'est actuellement pas

³ Directive 2001/83/CE du Parlement européen et du Conseil du 6 novembre 2001 instituant un code communautaire relatif aux médicaments à usage humain.

⁴ Règlement (CE) n° 726/2004 du Parlement européen et du Conseil du 31 mars 2004 établissant des procédures de l'Union pour l'autorisation et la surveillance des médicaments à usage humain et instituant une Agence européenne des médicaments.

⁵ Règlement (CE) n° 1901/2006 du Parlement européen et du Conseil du 12 décembre 2006 relatif aux médicaments à usage pédiatrique, modifiant le règlement (CEE) n° 1768/92, les directives 2001/20/CE et 2001/83/CE ainsi que le règlement (CE) n° 726/2004.

⁶ Règlement (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins.

⁷ Rapport d'analyse d'impact sur la révision de la législation pharmaceutique générale, annexe 2 — Consultation des parties intéressées.

⁸ Conformément au principe 16 du socle européen des droits sociaux (JO C 428 du 13.12.2017, p. 10).

toujours le cas, spécialement pour ce qui est des médicaments innovants, car l'accès des patients varie en fonction de l'État membre dans lequel ils vivent⁹.

Pour que les médicaments puissent parvenir aux patients, ils doivent faire l'objet d'une autorisation de mise sur le marché et être lancés sur le marché par l'entreprise titulaire de l'autorisation. La plupart des médicaments innovants bénéficient d'une autorisation centralisée de mise sur le marché dans l'UE, qui leur permet d'être mis sur le marché simultanément dans tous les États membres. Cela étant, la décision de lancer un médicament dans un État membre donné est une décision d'ordre commercial, prise par l'entreprise compte tenu de facteurs tels que la taille du marché, les réseaux de promotion et de distribution, ainsi que les politiques nationales en matière de fixation des prix et du niveau de remboursement. Il en découle que, souvent, les produits entrent en nombre limité ou tardivement sur le marché des États membres d'une taille ou d'un niveau de richesse moindres¹⁰.

La réforme proposée a pour objet de faciliter un accès plus rapide des patients aux médicaments innovants dans l'ensemble de l'UE. Les mesures prévues consistent notamment à faciliter l'octroi rapide des autorisations de mise sur le marché (voir point 4), tout en garantissant une évaluation rigoureuse de la qualité, de la sécurité et de l'efficacité des médicaments. Par ailleurs, les entreprises seront incitées à lancer leurs produits dans tous les États membres de l'UE et à mettre au point des produits qui répondent à des besoins médicaux non satisfaits (voir point 4 pour plus d'informations sur les incitations en matière de protection réglementaire et sur le soutien réglementaire).

La réforme proposée facilitera également une entrée sur le marché plus rapide des médicaments génériques ou biosimilaires. Pour les nouveaux médicaments qui ne bénéficient pas des périodes conditionnelles de protection réglementaire proposées (voir point 4), l'entrée sur le marché de génériques et de biosimilaires concurrents interviendra plus tôt que selon les règles actuelles. De plus, les procédures d'autorisation des génériques et des biosimilaires seront simplifiées et, de ce fait, accélérées.

Il existe déjà des dispositions permettant aux développeurs de génériques et de biosimilaires de réaliser des études en vue d'une *autorisation de mise sur le marché* future, alors que le produit princeps est encore protégé par un brevet ou par un certificat complémentaire de protection (CCP)¹¹ («exception Bolar»). La réforme proposée élargira ces dispositions et, en harmonisant leur mise en œuvre à l'échelle de l'UE, les rendra plus prévisibles pour l'industrie des génériques et des biosimilaires. Concrètement, elle permettra la réalisation d'études à l'appui de la *fixation future des prix et du niveau de remboursement*, ainsi que de la fabrication ou de l'achat de substances actives protégées par un brevet afin de demander des autorisations de mise sur le marché au cours de cette période, contribuant ainsi à l'entrée sur le marché de génériques et de biosimilaires dès le jour où expire la protection conférée par un brevet ou par un CCP. En ce qui concerne les médicaments orphelins, la réforme permettra également que les génériques et les biosimilaires entrent sur le marché dès la fin de la période d'exclusivité commerciale¹².

⁹ Rapport d'analyse d'impact sur la révision de la législation pharmaceutique générale, chapitre 2.

¹⁰ Rapport d'analyse d'impact sur la révision de la législation pharmaceutique générale, chapitre 2 et annexe 14.

¹¹ Voir point 4 pour plus d'informations sur les droits de propriété intellectuelle, tels que les brevets et les CCP.

¹² Voir point 4 pour plus d'informations sur les incitations en matière de protection réglementaire, telles que l'exclusivité commerciale.

Améliorer la coopération et la transparence afin de rendre les médicaments plus abordables

Le fait que les médicaments soient abordables est une nécessité persistante pour les systèmes de soins de santé de l'UE et les patients qui doivent en payer le prix. Dans le cas des médicaments remboursés, un prix élevé peut mettre en péril la viabilité financière des systèmes de santé. Dans le cas des médicaments qui ne sont pas entièrement remboursés, un prix élevé peut avoir une incidence importante sur la situation financière des patients et peut entraîner des conséquences négatives directes sur la santé des patients qui n'ont pas les moyens d'acheter le médicament dont ils ont besoin.

Dans la stratégie pharmaceutique pour l'Europe ont été annoncées des actions en faveur de la coopération des États membres sur les politiques en matière de fixation des prix, de remboursement et de paiement — domaine de compétence nationale —, l'objectif étant de rendre les médicaments plus abordables. La Commission a transformé le groupe des autorités nationales compétentes en matière de fixation des prix et du niveau de remboursement et des caisses d'assurance maladie publiques (NCAPR), qui n'était auparavant qu'une enceinte ad hoc, en une plateforme de coopération volontaire continue. La Commission est déterminée à intensifier cette coopération et à soutenir plus avant l'échange d'informations entre les autorités nationales, notamment sur les marchés publics de médicaments, tout en respectant pleinement les compétences des États membres dans ce domaine.

La passation conjointe de marchés publics de médicaments peut constituer une forme efficace de coopération renforcée pour améliorer le caractère abordable des médicaments ainsi que l'accès aux médicaments et la sécurité de l'approvisionnement. Cela a été démontré par l'achat en commun de traitements contre la COVID-19 et de vaccins contre la variole du singe¹³. Les États membres intéressés par la passation conjointe de marchés publics de médicaments peuvent utiliser les outils réglementaires prévus par les règles actuelles de l'UE, tels que la directive sur la passation des marchés publics¹⁴, l'accord de passation conjointe de marché¹⁵ et le règlement financier en cours de révision¹⁶. La Commission se tient prête à soutenir et faciliter davantage l'accès des patients européens aux médicaments, en particulier aux médicaments contre les maladies rares ou chroniques, si les États membres en font la demande.

La réforme proposée de la législation pharmaceutique comprend différentes mesures qui contribueront à rendre les médicaments plus abordables. Les mesures visant à ce que les médicaments génériques ou biosimilaires entrent plus vite sur le marché accroîtront la concurrence entre les médicaments, feront baisser leur prix et favoriseront leur caractère abordable pour les patients ainsi que la viabilité des systèmes de soins de santé. La production de données cliniques comparatives sera en outre encouragée, l'objectif étant de renforcer encore l'évaluation des médicaments et d'appuyer la prise de décisions, en aval, en matière de fixation des prix et du niveau de remboursement. Par ailleurs, l'amélioration de la

¹³ La Commission a publié une étude sur les marchés publics de médicaments, qui contient des recommandations sur l'optimisation de la passation (conjointe) de marchés. Elle est consultable à l'adresse suivante: <https://op.europa.eu/fr/publication-detail/-/publication/ca856a7f-7c37-11ed-9887-01aa75ed71a1/language-fr>.

¹⁴ Directive 2014/24/UE du Parlement européen et du Conseil du 26 février 2014 sur la passation des marchés publics et abrogeant la directive 2004/18/CE.

¹⁵ Règlement (UE) 2022/2371 du Parlement européen et du Conseil du 23 novembre 2022 concernant les menaces transfrontières graves pour la santé et abrogeant la décision n° 1082/2013/UE.

¹⁶ Proposition de règlement du Parlement européen et du Conseil relatif aux règles financières applicables au budget général de l'Union (refonte), COM(2022) 223 final.

coopération entre les autorités chargées de l'autorisation de mise sur le marché, de l'évaluation des technologies de la santé (ETS)^{17,18} ainsi que de la fixation des prix et du niveau de remboursement favorisera une approche plus cohérente de questions telles que la production de données probantes tout au long du cycle de vie des médicaments (voir point 4).

La transparence du financement public pourrait aussi contribuer à une réduction du prix des médicaments. Aujourd'hui, la clarté fait défaut quant à l'ampleur du financement public qui a contribué à la recherche et au développement des médicaments. Ce manque de transparence sur les risques supportés par le secteur public et non par l'investisseur crée une inégalité de situation lors des négociations entre l'industrie et les autorités chargées de la fixation des prix et du remboursement. À la suite des appels pressants des organisations de patients et d'autres parties intéressées, la réforme proposée comporte des mesures tendant à accroître la transparence sur le financement public du développement de médicaments. Dans le cadre de la réforme proposée, les entreprises pharmaceutiques seront tenues de publier des informations sur tout soutien financier direct reçu de toute autorité publique, ou de tout organisme financé par des fonds publics, en faveur d'activités ayant trait à la recherche et au développement de médicaments. Ces informations seront facilement accessibles au public sur une page web, prévue à cet effet, de l'entreprise et via la base de données des médicaments à usage humain autorisés dans l'Union. Cette transparence devrait quant à elle aider les États membres dans leurs négociations avec les entreprises pharmaceutiques, ce qui aurait pour effet, au bout du compte, de rendre les médicaments plus abordables.

Contribuer à rendre les médicaments plus abordables

- Faire en sorte que les génériques et les médicaments biosimilaires puissent entrer plus vite sur le marché, pour accroître la concurrence et ainsi faire baisser les prix.
- Encourager la production de données cliniques comparatives, afin d'aider les États membres à prendre des décisions en matière de fixation des prix et du niveau de remboursement plus rapides et fondées sur des données probantes.
- Accroître la transparence sur le financement public du développement des médicaments, afin d'aider les États membres dans leurs négociations sur les prix avec les entreprises pharmaceutiques.
- Soutenir, par des mesures non législatives, la coopération entre les autorités nationales compétentes en matière de fixation des prix et du niveau de remboursement, par l'échange d'informations et de bonnes pratiques sur les politiques nationales de fixation des prix et de passation de marchés publics.

3. Renforcer la sécurité de l'approvisionnement en médicaments et remédier aux pénuries

Les pénuries de médicaments sont devenues une préoccupation grandissante en matière de santé publique dans de nombreux pays de l'UE¹⁹, mais aussi dans le reste du monde. Elles font courir des risques graves pour la santé des patients dans l'UE et portent atteinte au droit

¹⁷ Les évaluations des technologies de la santé portent sur la valeur ajoutée des nouveaux médicaments par rapport aux médicaments existants.

¹⁸ Règlement (UE) 2021/2282 du Parlement européen et du Conseil du 15 décembre 2021 concernant l'évaluation des technologies de la santé et modifiant la directive 2011/24/UE.

¹⁹ Voir par exemple Parlement européen, commission de l'environnement, de la santé publique et de la sécurité alimentaire, rapport sur la pénurie de médicaments — comment faire face à un problème émergent, 2020/2071 (INI), 22 juillet 2020.

des patients d'accéder à un traitement médical adapté. Le Parlement, dans ses résolutions²⁰, le Conseil, dans ses conclusions²¹, les États membres et les parties intéressées ont signalé une augmentation des pénuries de médicaments ces dernières années.

Le dialogue structuré sur la sécurité de l'approvisionnement en médicaments²² ainsi que plusieurs événements récents, parmi lesquels la pandémie de COVID-19, l'agression militaire russe en Ukraine et l'accélération de l'inflation, ont mis sur le devant de la scène les questions relatives à la sécurité de l'approvisionnement en médicaments dans l'UE. Comme indiqué dans l'étude de la Commission sur les pénuries de médicaments, les causes profondes des pénuries sont multifactorielles: des difficultés se manifestent tout au long de la chaîne de valeur pharmaceutique, entre autres concernant la fabrication²³. Les pénuries de médicaments peuvent notamment résulter du fait que les chaînes d'approvisionnement sont de plus en plus complexes et spécialisées, du manque de diversification géographique pour l'approvisionnement en certains ingrédients et médicaments essentiels, ou encore de la complexité réglementaire perçue. La dépendance de l'UE²⁴ à l'égard d'un nombre limité de pays tiers pour la production d'ingrédients et de médicaments s'accroît, ce qui peut induire des vulnérabilités de la chaîne d'approvisionnement.

Si les principaux éléments exposés dans le document de travail des services de la Commission sur les vulnérabilités des chaînes mondiales d'approvisionnement en médicaments²⁵ ont été intégrés dans la proposition de réforme, des mesures supplémentaires ont également été engagées ou prévues pour relever les défis recensés pendant ce processus. Comme indiqué dans le document de travail des services de la Commission, les stratégies industrielles^{26,27} constituent déjà une base solide pour les actions visant à améliorer la sécurité de l'approvisionnement en médicaments. Les travaux futurs seront également axés sur la promotion de l'innovation verte et de l'innovation numérique ainsi que sur le renforcement de la coopération entre les grands acteurs, tant au sein de l'UE qu'à l'échelle mondiale. La Commission soutient aussi les efforts déployés par les États membres pour mettre en commun leurs ressources publiques au moyen de projets importants d'intérêt européen commun (PIIEC) dans le domaine de la santé afin de favoriser le développement de technologies innovantes, économiquement et écologiquement durables, allant au-delà de l'état actuel de la technique dans le secteur et permettant de remédier aux défaillances du marché.

Dans le cadre des éléments constitutifs de l'Union européenne de la santé et compte tenu de certaines des faiblesses apparues au grand jour pendant la pandémie de COVID-19, le mandat

²⁰ Par exemple la résolution du Parlement européen du 17 septembre 2020 sur la pénurie de médicaments — comment faire face à un problème émergent [2020/2071 (INI)], considérant G.

²¹ Par exemple les conclusions du Conseil sur l'accès aux médicaments et aux dispositifs médicaux pour une UE plus forte et résiliente (2021/C 269 I/02), considérant 5.

²² https://health.ec.europa.eu/medicinal-products/pharmaceutical-strategy-europe/structured-dialogue-security-medicines-supply_en

²³ <https://op.europa.eu/fr/publication-detail/-/publication/1f8185d5-5325-11ec-91ac-01aa75ed71a1/language-en/format-PDF/source-245338952>

²⁴ La Chine et l'Inde, en particulier, deviennent de très grands producteurs d'intrants pharmaceutiques, constituant le centre de la production en Asie. En plus d'être concentrée à l'échelon régional, la production est — pour de nombreux ingrédients — assurée par seulement quelques fabricants dans ces pays.

²⁵ https://health.ec.europa.eu/system/files/2022-10/mp_vulnerabilities_global-supply_sw_d_en.pdf.

²⁶ Communication de la Commission — Une nouvelle stratégie industrielle pour l'Europe, COM(2020) 102 final.

²⁷ Communication de la Commission — Mise à jour de la nouvelle stratégie industrielle de 2020: construire un marché unique plus solide pour soutenir la reprise en Europe, COM(2021) 350 final.

de l'Agence européenne des médicaments (EMA) a été étendu²⁸ à la coordination et à la gestion de certaines pénuries de médicaments en cas de crise. En outre, l'Autorité européenne de préparation et de réaction en cas d'urgence sanitaire (HERA)²⁹ a été créée et a reçu pour mission de garantir la disponibilité des contre-mesures médicales nécessaires face aux urgences de santé publique et de remédier aux difficultés du marché, par des mesures telles que la surveillance de la chaîne d'approvisionnement, la constitution de stocks³⁰ ou la passation de marchés publics. En tant qu'élément relatif aux chaînes d'approvisionnement, la proposition de règlement sur les matières premières critiques³¹ garantira la disponibilité de certains matériaux importants pour la production de médicaments.

Bien que des processus efficaces aient été mis en place dans ce cadre, il est manifestement nécessaire de renforcer la coordination à l'échelle de l'Union et de prendre des mesures appropriées afin de garantir l'approvisionnement en médicaments et leur disponibilité pour les citoyens de l'Union en cas de crise de santé publique comme en temps normal.

La proposition de réforme comporte des mesures destinées à remédier à des problèmes d'approvisionnement et de disponibilité allant au-delà de ceux qui relèvent du mandat élargi de l'EMA et du rôle de l'HERA, lesquels se limitent à la préparation et à la réaction aux crises. Elle permettra de remédier aux pénuries systémiques et d'améliorer la sécurité de l'approvisionnement en médicaments critiques de manière permanente, en instaurant des obligations plus strictes en matière d'approvisionnement, une notification plus précoce des pénuries et des retraits, ainsi qu'un rôle renforcé de l'EMA dans la coordination des mesures de lutte contre les pénuries. En outre, dans le cadre de la réforme proposée, les médicaments considérés comme les plus critiques pour les systèmes de santé de l'UE seront répertoriés dans une liste de l'UE. Cela permettra une analyse des vulnérabilités de la chaîne d'approvisionnement de ces médicaments, puis la formulation de recommandations sur les mesures en faveur de la sécurité de l'approvisionnement (par exemple le maintien de stocks d'urgence) à prendre par les titulaires d'autorisations de mise sur le marché, par les États membres ou par d'autres entités. Dans ce contexte, les États membres devront également signaler à l'EMA les mesures qu'ils ont prises pour renforcer l'approvisionnement en tel ou tel médicament.

De cette manière, l'UE pourra prévenir efficacement les problèmes d'approvisionnement et assurer la continuité de l'approvisionnement en médicaments critiques au profit des citoyens de l'UE.

Remédier de manière permanente aux pénuries de médicaments et aux difficultés liées à la chaîne d'approvisionnement

- La réforme proposée introduit des exigences en matière de surveillance continue des pénuries de médicaments par les autorités compétentes à l'échelon national et par l'EMA. Les obligations des titulaires d'autorisations de mise sur le marché seront renforcées:

²⁸ https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?toc=OJ:L:2022:020:TOC&uri=uriserv:OJ.L_.2022.020.01.0001.01.ENG

²⁹ [https://eur-lex.europa.eu/legal-content/FR/TXT/PDF/?uri=CELEX:32021D0929\(02\)&from=EN](https://eur-lex.europa.eu/legal-content/FR/TXT/PDF/?uri=CELEX:32021D0929(02)&from=EN)

³⁰ L'HERA dispose d'un budget de 1 200 000 000 EUR pour constituer des stocks de contre-mesures médicales au titre de rescEU. Une partie de ce budget servira à constituer des stocks d'antibiotiques, en prenant garde à ne pas accentuer les pénuries existantes. Les antibiotiques stockés pourront, en cas de besoin, être déployés dans les États membres, par l'intermédiaire du mécanisme de protection civile de l'Union.

³¹ Proposition de règlement du Parlement européen et du Conseil établissant un cadre pour un approvisionnement sûr et durable en matières premières critiques et modifiant les règlements (UE) 168/2013, (UE) 2018/858, 2018/1724 et (UE) 2019/1020, COM/2023/160 final.

ainsi, les plans de prévention des pénuries devront être tenus à jour, et les pénuries de médicaments devront être notifiées plus tôt et de façon harmonisée.

- L'EMA sera investie d'un rôle de coordination renforcé, qui lui permettra de surveiller et de gérer à tout moment les pénuries critiques de médicaments au niveau de l'UE, en collaboration avec le groupe de pilotage exécutif sur les pénuries et l'innocuité des médicaments. Dans ce contexte, les États membres devront également signaler à l'EMA toute mesure prévue ou prise à l'échelon national pour atténuer ou combler les pénuries de tel ou tel médicament. La transparence sur les pénuries passera par la publication d'informations sur les pénuries de médicaments à l'échelon national et au niveau de l'UE.
- La Commission établira une liste à l'échelle de l'UE des médicaments critiques, et les vulnérabilités de la chaîne d'approvisionnement seront évaluées pour ces médicaments.
- Les titulaires d'autorisations de mise sur le marché de médicaments devront s'employer à remédier aux pénuries critiques — en prenant en considération les recommandations — et rendre compte des résultats des mesures prises. Il pourrait par exemple être recommandé d'augmenter ou de réorganiser les capacités de fabrication, ou d'adapter la distribution pour améliorer l'approvisionnement.

4. Une réforme stimulant l'innovation et la compétitivité de l'UE

Un cadre efficace d'incitations en faveur de l'innovation, de l'accès et de la réponse aux besoins médicaux non satisfaits

L'UE est le deuxième marché mondial en ce qui concerne les produits pharmaceutiques — les États-Unis occupant la première place —, et son industrie pharmaceutique est puissante et compétitive. Il s'agit d'un des secteurs de haute technologie les plus performants d'Europe, qui emploie 840 000 personnes directement et trois fois plus indirectement, en amont et en aval. L'Europe (UE, Royaume-Uni et Suisse) est le deuxième investisseur dans la recherche-développement en matière de produits pharmaceutiques, avec 39 700 000 000 EUR en 2020, le cédant uniquement aux États-Unis, dont les investissements s'élevaient à 63 500 000 000 EUR³². En ce qui concerne la fabrication de médicaments de haute technologie, l'UE est clairement un leader mondial, comme en a également témoigné son rôle de premier plan dans l'approvisionnement mondial en vaccins contre la COVID-19. En 2021, l'UE a exporté des produits pharmaceutiques pour une valeur de 235 000 000 000 EUR, soit 136 000 000 000 EUR de plus que ses importations³³. L'UE consacre aux médicaments environ 1,5 % de son PIB, soit 230 000 000 000 EUR en 2021; plus de 80 % de cet argent est alloué à des produits innovants³⁴. Le marché pharmaceutique de l'UE représente 17 % du marché mondial, ce qui en fait le deuxième marché par ordre d'attractivité pour l'industrie, en particulier pour les innovateurs.

La réforme de la législation pharmaceutique vise à maintenir et à renforcer la position de l'industrie pharmaceutique de l'UE, tant au sein de l'UE que sur la scène mondiale. Le cadre réglementaire continuera de soutenir l'innovation et de faire en sorte que les patients de l'UE puissent bénéficier de soins de santé et de médicaments de pointe. Comme l'a montré la COVID-19, l'innovation est essentielle à la mise au point de thérapies nouvelles et de meilleure qualité, entre autres de nouveaux médicaments et de nouveaux usages de médicaments existants.

³² The Pharmaceutical Industry in Figures, Key Data, EFPIA, 2022.

³³ Trade surplus in medicinal products records high, Eurostat, 2022.

³⁴ Base de données MIDAS d'IQVIA.

La recherche sur les médicaments est un processus complexe, qui implique des coûts et des risques importants pour les développeurs (notamment en raison du coût et de la complexité scientifique des recherches préclinique et clinique). En outre, il existe une concurrence internationale pour attirer la recherche et le développement pharmaceutiques en offrant non seulement un cadre juridique stable et pérenne, mais aussi un environnement favorable. Des éléments tels que l'accès au capital, les infrastructures disponibles et la main-d'œuvre formée et qualifiée sont des facteurs clés pour le développement des médicaments et le renforcement de l'innovation. La révision de la législation pharmaceutique tient compte de la question de la compétitivité de l'UE, tant du point de vue réglementaire que de celui de la politique industrielle. Un juste équilibre est établi entre la promotion de l'innovation, l'accès aux médicaments et leur caractère abordable. Le développement des nouveaux médicaments et la disponibilité des médicaments dont nos systèmes de santé ont besoin sont subordonnés à une industrie pharmaceutique florissante, qui constitue un atout essentiel pour l'économie de l'UE.

Dans l'UE, un système solide de droits de propriété intellectuelle [brevets et certificats complémentaires de protection (CCP)]³⁵ est complété par les incitations en matière de protection réglementaire prévues par la législation pharmaceutique. Tant les droits de propriété intellectuelle que les incitations en matière de protection réglementaire préservent et encouragent l'innovation et compensent les risques et les coûts supportés par les développeurs de médicaments innovants. Dans le même temps, ce système fournit un cadre clair pour l'entrée des génériques et des biosimilaires sur le marché après l'expiration des droits de propriété intellectuelle ou des périodes de protection réglementaire.

Les médicaments peuvent être protégés par des brevets ou par des CCP en vertu de cadres juridiques nationaux, européens et internationaux, dont le règlement de l'UE concernant le CCP³⁶. Cette protection peut durer plus de vingt ans à compter du moment où le premier brevet est délivré, généralement à un stade précoce du développement du médicament. En outre, pour les médicaments innovants, la législation pharmaceutique de l'UE prévoit, à compter de la date de l'autorisation de mise sur le marché, dix ans de protection réglementaire, dont huit ans de protection réglementaire des données³⁷ et deux ans de protection sur le marché³⁸. Cette période peut être prolongée jusqu'à onze ans si une nouvelle indication thérapeutique est ajoutée après l'autorisation de mise sur le marché initiale. Dans le cas des médicaments contre des maladies rares (médicaments orphelins), les médicaments innovants bénéficient d'une exclusivité commerciale de dix ans³⁹. Outre les protections précitées, les médicaments pour lesquels le plan de développement pédiatrique convenu avec l'EMA a été mené à bien bénéficient d'une prolongation de six mois de leur CCP.

³⁵ Le certificat complémentaire de protection est un droit de propriété intellectuelle qui sert à prolonger le droit conféré par un brevet.

³⁶ Règlement (CE) n° 469/2009 du Parlement européen et du Conseil du 6 mai 2009 concernant le certificat complémentaire de protection pour les médicaments.

³⁷ La protection réglementaire des données est la période, postérieure à l'autorisation initiale d'un médicament, pendant laquelle les sociétés souhaitant développer des versions génériques ou biosimilaires du médicament ne peuvent pas se référer aux résultats des essais précliniques et cliniques du médicament qui figurent dans le dossier initial.

³⁸ La protection du marché est une période pendant laquelle les demandes d'autorisation de mise sur le marché de médicaments génériques ou biosimilaires peuvent déjà être déposées et évaluées, et les autorisations de mise sur le marché correspondantes peuvent déjà être accordées. Le produit générique ou biosimilaire ne peut néanmoins être mis sur le marché qu'après l'expiration de cette période.

³⁹ L'exclusivité commerciale est une période, postérieure à l'autorisation de mise sur le marché, pendant laquelle des médicaments similaires ayant la même indication ne peuvent pas être mis sur le marché.

Ensemble, les droits de propriété intellectuelle et la protection réglementaire créent un système solide en faveur de l'innovation dans l'UE, qui est très compétitif par rapport aux systèmes nationaux que l'on trouve dans le reste du monde.

Toutefois, les investissements actuels dans le développement de médicaments ne donnent pas toujours la priorité aux besoins médicaux non satisfaits les plus importants. C'est particulièrement vrai pour les maladies qui sont marquées par des difficultés d'ordre scientifique (connaissance parcellaire de la maladie, recherche fondamentale limitée, etc.) ou par un intérêt commercial limité (par exemple les maladies rares). De ce fait, il n'existe pas encore de traitement satisfaisant contre certaines pathologies graves, comme des cancers ou des maladies neurodégénératives. De surcroît, parmi les plus de 6 000 maladies rares connues⁴⁰, 95 % ne peuvent actuellement pas être soignées⁴¹. Pour ce qui est des médicaments pédiatriques, des progrès appréciables ont été accomplis dans les domaines où les besoins des enfants se confondent avec les besoins des adultes, puisque le développement reste axé sur ces derniers. Cependant, seul un nombre limité de médicaments ont été mis au point contre les maladies qui sont biologiquement différentes chez l'adulte et chez l'enfant — citons les troubles mentaux ou comportementaux et les cancers pédiatriques, ou encore les affections néonatales.

En outre, même lorsque des médicaments innovants ont été mis au point et autorisés, tous les patients de l'UE n'y ont pas accès en temps opportun.

La réforme proposée de la législation pharmaceutique fera évoluer le système de protection réglementaire de sorte qu'il s'articule non plus autour d'une approche unique, mais autour d'une approche plus ciblée qui promeuve l'accès des patients à des médicaments abordables dans tous les États membres de l'UE et qui réponde aux besoins médicaux non satisfaits. L'innovation dans des domaines où les besoins médicaux ne sont pas satisfaits sera aussi encouragée par un soutien réglementaire ciblé de l'EMA (voir les informations sur le programme PRIME renforcé figurant dans la section suivante).

Dans le cadre de la réforme proposée, les médicaments innovants bénéficieront toujours d'une période standard de protection réglementaire, légèrement plus courte que celle qui est prévue par la législation actuelle, mais pouvant être prolongée si le produit participe à la réalisation de certains objectifs de santé publique (voir encadré ci-dessous). Avec les périodes conditionnelles de protection qui pourront venir s'ajouter à cette période standard, la durée maximale de protection réglementaire pouvant être accordée sera encore plus longue qu'aujourd'hui: en effet, dans le cadre de la réforme proposée, les périodes de protection réglementaire pour les médicaments innovants pourront aller jusqu'à un maximum de douze ans (si une nouvelle indication thérapeutique est ajoutée après l'autorisation initiale de mise sur le marché), contre onze ans maximum aujourd'hui. Pour les médicaments orphelins qui répondent à un besoin médical non satisfait important, les périodes de protection réglementaire pourront aller jusqu'à un maximum de treize ans, contre dix ans maximum aujourd'hui.

L'UE continuera donc d'offrir l'un des environnements réglementaires les plus attractifs au monde. Dans le reste du monde, la protection réglementaire est, en moyenne, comprise entre six ans (Israël, Chine) et huit ans (Japon, Canada).

⁴⁰ https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutRareDiseases.php?lng=FR.

⁴¹ Évaluation conjointe du règlement (CE) n° 1901/2006 du Parlement européen et du Conseil du 12 décembre 2006 relatif aux médicaments à usage pédiatrique et du règlement (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins [SWD (2020) 163].

Des incitations plus ciblées en faveur de l'innovation, priorisant l'accès des patients et les besoins médicaux non satisfaits

- Dans le cadre de la réforme proposée, la période minimale de protection réglementaire applicable aux médicaments innovants s'élèvera à huit ans (six ans de protection des données et deux ans de protection du marché). Les entreprises peuvent bénéficier de périodes supplémentaires de protection réglementaire des données si elles lancent le médicament dans tous les États membres (deux ans supplémentaires) ou si elles développent un médicament répondant à des besoins médicaux non satisfaits (six mois supplémentaires) ou mènent des essais cliniques comparatifs (six mois supplémentaires). Une année supplémentaire de protection des données peut être accordée pour une nouvelle indication thérapeutique.
- Les nouvelles règles susmentionnées en matière de protection réglementaire s'appliqueront aussi aux médicaments pédiatriques. En outre, les médicaments parvenus au terme du plan de développement pédiatrique convenu avec l'EMA continueront d'obtenir une prorogation de six mois de leur CCP. De plus, les règles relatives aux plans de développement pédiatrique seront adaptées afin de stimuler davantage la recherche et le développement de médicaments pour les maladies qui ne touchent que les enfants.
- Des dispositions spécifiques s'appliqueront aux médicaments orphelins, le but étant de stimuler la recherche-développement dans le domaine des maladies rares. La durée standard de l'exclusivité commerciale pour les médicaments orphelins sera de neuf ans. Les entreprises pourront bénéficier de périodes supplémentaires d'exclusivité commerciale si elles répondent à un besoin médical non satisfait important (un an supplémentaire), lancent le médicament dans tous les États membres (un an supplémentaire) ou développent de nouvelles indications thérapeutiques pour un médicament orphelin déjà autorisé (jusqu'à deux ans supplémentaires).
- La protection réglementaire supplémentaire pour le lancement d'un médicament sur le marché dans tous les États membres sera accordée si le médicament est fourni sans interruption en quantité suffisante dans tous les États membres dans les deux ans qui suivent l'autorisation de mise sur le marché, ou dans les trois ans dans le cas d'entreprises qui ont une expérience limitée des pratiques de l'UE, telles que les petites et moyennes entreprises (PME). Si un État membre accorde une dérogation (par exemple parce qu'il souhaite que le lancement sur le marché n'ait lieu qu'à un stade ultérieur), la protection réglementaire supplémentaire sera tout de même accordée.
- Les nouveaux usages thérapeutiques de médicaments existants (réaffectation) peuvent bénéficier d'une période de protection des données de quatre ans. En outre, les entités à but non lucratif pourront soumettre à l'EMA des données probantes étayant de nouvelles indications thérapeutiques répondant à des besoins médicaux non satisfaits pour des médicaments déjà autorisés.

Il est à noter que la réforme proposée de la législation pharmaceutique n'aura pas d'incidence sur la protection de la propriété intellectuelle (brevet et CCP). À cet égard, la Commission présente parallèlement une réforme du règlement concernant le certificat complémentaire de protection, qui débouchera sur l'établissement d'une procédure d'examen centralisée pour l'octroi des CCP nationaux et sur l'établissement d'un CCP unitaire pour les médicaments, sans modification substantielle des règles applicables en ce qui concerne, par exemple, les conditions d'admissibilité et la durée du certificat. La réforme proposée de l'actuel régime des CCP, qui est actuellement mis en œuvre au seul échelon national, entraînera un allègement considérable des coûts et de la charge administrative pesant sur les demandeurs de CCP. En améliorant la sécurité juridique et la transparence du régime des CCP, cette

initiative sera également bénéfique pour les producteurs de génériques. Il est important de noter que l'initiative permettra aussi à l'industrie pharmaceutique innovante de tirer parti des avantages du brevet unitaire grâce à un CCP unitaire correspondant.

En conclusion, la combinaison des brevets/CCP et de la protection réglementaire continuera de préserver l'avantage concurrentiel mondial de l'Union en matière de développement pharmaceutique, tout en orientant la recherche-développement vers les principaux besoins des patients et en garantissant aux patients un accès plus rapide et plus équitable aux médicaments dans l'ensemble de l'Union.

Récompenser l'innovation dans les domaines où les besoins médicaux ne sont pas satisfaits en renforçant le soutien réglementaire à la mise au point de médicaments prometteurs

L'EMA donne des conseils scientifiques aux développeurs de médicaments sur la manière la plus appropriée de produire des données probantes solides sur les bénéfices et les risques d'un médicament (sous forme, par exemple, d'orientations scientifiques concernant la conception d'essais cliniques), dans le but de promouvoir la mise au point réfléchie, en temps utile, de médicaments de qualité, efficaces et sûrs dans l'intérêt des patients.

La réforme proposée renforcera encore le soutien scientifique de l'EMA, en particulier en ce qui concerne les médicaments prometteurs en cours de développement destinés à répondre à des besoins médicaux non satisfaits; l'expérience acquise dans le cadre du programme en faveur des médicaments prioritaires (PRIME) sera mise à profit dans ce contexte⁴². Ces médicaments prioritaires bénéficieront d'un soutien scientifique et réglementaire renforcé et bénéficieront de mécanismes d'évaluation accélérés. Ce programme PRIME renforcé stimulera l'innovation dans les domaines où les besoins médicaux ne sont pas satisfaits, permettra aux entreprises pharmaceutiques d'accélérer le processus de développement et favorisera un accès plus précoce des patients.

En outre, la réforme facilitera la réaffectation de médicaments non protégés par un brevet à de nouveaux usages thérapeutiques, grâce à un régime de soutien spécifique de l'EMA destiné aux PME et aux développeurs à but non lucratif.

La réforme permettra aussi d'accélérer l'évaluation des médicaments prometteurs, en prévoyant la possibilité de recourir à une méthode de révision continue consistant en l'examen progressif des données au fur et à mesure de leur disponibilité. Cette façon de procéder s'est révélée efficace pendant la pandémie de COVID-19, et la réforme vise à l'étendre aux médicaments prometteurs qui offrent une avancée thérapeutique exceptionnelle dans des domaines où les besoins médicaux ne sont pas satisfaits. On prévoira la possibilité d'octroyer une autorisation temporaire de mise sur le marché d'urgence à l'échelle de l'UE pour permettre de faire face aux urgences de santé publique pour lesquelles le développement et l'autorisation aussi rapides que possible de médicaments sûrs et efficaces revêtent un intérêt majeur.

⁴² <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines>

Améliorer le système réglementaire pour que l'Europe reste un lieu attractif pour investir et pour innover

Le système réglementaire européen doit être efficace et souple pour garantir la mise au point et l'autorisation en temps utile des médicaments ainsi que leur disponibilité pour les patients. Il crée également un environnement favorable au renforcement de la capacité d'innovation et de la compétitivité de l'industrie pharmaceutique.

À l'heure actuelle, la procédure d'évaluation scientifique des médicaments en vue de l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché de l'UE comporte de longs «temps d'arrêt», pendant lesquels les entreprises s'emploient à répondre aux sollicitations de l'EMA concernant des informations manquantes dans la demande initiale. Le renforcement proposé du soutien scientifique que l'EMA apporte aux développeurs de médicaments avant la présentation des demandes d'autorisation de mise sur le marché améliorera la qualité des demandes initiales, réduira les retards causés par les «temps d'arrêt» et accélérera les évaluations des demandes d'autorisation de mise sur le marché. Les demandes incomplètes seront considérées comme non venues au cours de l'évaluation si les demandeurs ne fournissent pas les données manquantes dans les délais fixés. Cela permettra de libérer des ressources et d'optimiser le système d'évaluation. En outre, la réforme vise à réduire le délai d'évaluation scientifique à 180 jours, contre 210 jours actuellement, et le délai dont dispose la Commission pour autoriser le médicament à 46 jours, contre 67 actuellement. Le délai d'évaluation sera de 150 jours pour les médicaments à usage humain présentant un intérêt majeur du point de vue de la santé publique. Grâce à ces délais réduits et aux mesures de soutien susmentionnées, les médicaments parviendront plus rapidement aux patients.

Par ailleurs, la réforme proposée améliorera la structure et la gouvernance de l'EMA, en simplifiant la structure de ses comités scientifiques et en augmentant ses capacités d'expertise. Elle permettra d'éviter la répétition d'activités en augmentant l'efficacité et en réduisant les délais d'évaluation des médicaments, tout en préservant la rigueur des normes et de l'expertise scientifique. En outre, la réforme comprend diverses mesures visant à simplifier les procédures réglementaires et à favoriser la numérisation, ce qui réduira la charge administrative pesant sur les développeurs de médicaments et les autorités compétentes (voir encadré ci-dessous).

Les petites et moyennes entreprises (PME) et les entités à but non lucratif participant à la mise au point de médicaments bénéficieront particulièrement de la réforme proposée, car elle allégera leur charge réglementaire. L'EMA proposera également aux PME et aux entités à but non lucratif un soutien scientifique et réglementaire ciblé, ainsi que des régimes de réduction ou d'exemption des redevances.

Mesures de simplification et de soutien réglementaire visant à alléger la charge réglementaire

- Renforcer le soutien réglementaire précoce de l'EMA, en particulier pour les médicaments prometteurs en cours de développement pour répondre à des besoins médicaux non satisfaits.
- Instaurer la possibilité pour l'EMA d'examiner les données progressivement, au fur et à mesure de leur disponibilité, pour les médicaments prometteurs qui offrent une avancée thérapeutique exceptionnelle dans des domaines où les besoins médicaux ne sont pas satisfaits.
- Prévoir la possibilité d'octroyer une autorisation temporaire de mise sur le marché d'urgence à l'échelle de l'UE pour permettre de faire face aux urgences de santé publique

pour lesquelles le développement et l'autorisation aussi rapides que possible de médicaments sûrs et efficaces revêtent un intérêt majeur.

- Optimiser la structure de l'EMA (réduction du nombre de comités scientifiques, etc.), en mettant l'accent sur l'expertise et sur le renforcement des capacités au sein du réseau des autorités compétentes.
- Simplifier les procédures réglementaires (par exemple en supprimant l'obligation de renouvellement des autorisations de mise sur le marché dans la plupart des cas et en simplifiant les exigences en matière d'autorisation des médicaments génériques ou biosimilaires).
- Faire passer le délai d'évaluation scientifique de l'EMA de 210 jours (en pratique, 400 jours en moyenne) aujourd'hui à 180 jours et le délai dont dispose la Commission pour autoriser le médicament de 67 à 46 jours. En outre, une procédure accélérée pourrait bénéficier aux produits répondant à des besoins médicaux non satisfaits et apportant une contribution majeure à la satisfaction de besoins de santé publique, qui pourraient être évalués en 150 jours.
- Poursuivre la numérisation (soumission électronique des demandes, informations électroniques sur les produits, etc.).

L'amélioration de la structure de l'EMA, conjuguée au renforcement du soutien scientifique fourni par l'EMA, à la simplification des procédures et à la numérisation, réduira le temps nécessaire pour évaluer et autoriser les médicaments. Cela contribuera à améliorer la compétitivité du système réglementaire de l'UE, tout en permettant aux patients d'obtenir plus facilement, en temps opportun, des médicaments génériques et biosimilaires innovants.

En outre, différentes mesures de pérennisation permettront au système réglementaire de suivre le rythme des avancées scientifiques ou technologiques et créeront un environnement réglementaire propice aux nouvelles thérapies prometteuses ainsi qu'à l'innovation radicale, conformément au principe d'innovation⁴³. Il s'agit aussi de promouvoir des méthodes innovantes, entre autres celles visant à limiter les essais sur les animaux. La réforme permettra pour la première fois de mettre en place des bacs à sable réglementaires dans le domaine des médicaments. Ces lieux d'expérimentation offrent un environnement d'essai structuré dans lequel des méthodes innovantes et des médicaments nouveaux peuvent être testés sous la surveillance des autorités de réglementation. Les bacs à sable réglementaires offrent la possibilité d'en apprendre davantage non seulement en matière d'innovation, mais aussi au sujet des règles et des réglementations qui la sous-tendent et de la meilleure manière de les appliquer aux technologies futures. Les enseignements tirés de ces bacs à sable pourront, au fil du temps, être convertis en cadres réglementaires adaptés (une autre nouveauté de la réforme), qui constitueront ainsi des règles horizontales adaptées correspondant aux normes réglementaires requises, tout en intégrant pleinement les éléments innovants.

L'utilisation secondaire des données de santé est susceptible d'améliorer l'efficacité et l'efficacité du développement de médicaments, de réduire les coûts et d'améliorer les résultats chez les patients. Les données de santé peuvent, par exemple, être utilisées pour déterminer les besoins médicaux non satisfaits, pour optimiser la conception des essais cliniques et pour alimenter les processus de production de données scientifiques en vue de l'obtention de l'autorisation de mise sur le marché. En outre, des données réelles peuvent être

⁴³ https://research-and-innovation.ec.europa.eu/law-and-regulations/ensuring-eu-legislation-supports-innovation_en

utilisées pour surveiller la sécurité et l'efficacité des médicaments autorisés et pour promouvoir l'apprentissage continu et l'amélioration des soins de santé. La réforme de la législation pharmaceutique et la création de l'espace européen des données de santé faciliteront l'accès aux données de santé et leur utilisation, tout en protégeant la vie privée des patients. Ouvrir la voie à l'utilisation secondaire des données de santé à des fins réglementaires offrira une occasion unique d'innover et de renforcer la compétitivité de l'industrie pharmaceutique dans l'UE.

Pérenniser le cadre réglementaire

- Faciliter l'utilisation de données probantes réelles et de données relatives à la santé à des fins réglementaires, tout en protégeant la vie privée des patients.
- Améliorer la clarté sur l'interaction des cadres législatifs de l'UE relatifs aux médicaments et ceux ayant trait à d'autres technologies de la santé (par exemple les dispositifs médicaux ou les substances d'origine humaine).
- Mettre en place des bacs à sable réglementaires pour tester de nouvelles approches réglementaires concernant les nouvelles technologies avant l'établissement d'une réglementation formelle.
- Adapter les cadres réglementaires de sorte qu'ils prévoient des exigences réglementaires spécifiques, conçues en fonction des caractéristiques de certains nouveaux médicaments.
- Promouvoir le recours à de nouvelles méthodes pour réduire les essais sur les animaux.

La réforme proposée encouragera la coopération entre les différentes autorités publiques de l'UE associées à différents aspects du cycle de vie d'un médicament. Ainsi, l'EMA coordonnera un mécanisme destiné à faciliter l'échange d'informations et de connaissances sur des questions scientifiques et techniques d'intérêt commun entre les autorités chargées de l'autorisation de mise sur le marché, des essais cliniques, de l'évaluation des technologies de la santé (ETS) ainsi que de la fixation des prix et du niveau de remboursement des médicaments dans l'UE. Cela permettra de renforcer la cohérence sur des aspects tels que les besoins médicaux non satisfaits et la production de données probantes tout au long du cycle de vie du médicament. La réforme facilitera aussi la coopération entre l'EMA et d'autres agences de l'UE, dont celles qui sont actives dans le domaine des produits chimiques, en application de l'approche «une substance, une évaluation».

Le comité pharmaceutique⁴⁴ servira de forum pour débattre des questions relevant des pouvoirs publics dans le domaine des médicaments, telles que l'application des règles relatives à l'incitation réglementaire au lancement sur le marché. Il permettra un renforcement du dialogue et de l'interaction ainsi qu'un échange anticipateur d'informations entre les États membres et la Commission. D'autres autorités nationales (par exemple celles chargées de l'évaluation des technologies de la santé, de la tarification ou du remboursement) peuvent être invitées à participer aux discussions du comité pharmaceutique. Les mesures de coopération entre les pouvoirs publics amélioreront la cohérence des politiques et créeront un environnement plus prévisible et plus uniforme pour les investisseurs et les innovateurs dans l'UE.

Globalement, ces réformes sont un grand pas vers l'établissement d'un cadre réglementaire plus efficient et plus efficace, mieux paré pour faire face aux défis émergents et pour soutenir la compétitivité du secteur pharmaceutique et une innovation qui profite aux patients dans l'UE.

⁴⁴ Décision du Conseil 75/320/CEE du 20 mai 1975 portant création d'un comité pharmaceutique.

5. Rendre les médicaments plus durables sur le plan environnemental

Pour réaliser les ambitions de durabilité environnementale de la stratégie pharmaceutique et d'autres initiatives relevant du pacte vert pour l'Europe⁴⁵ (telles que le plan d'action de l'UE «Vers une pollution zéro dans l'air, l'eau et les sols»⁴⁶), l'industrie pharmaceutique doit limiter les effets négatifs de ses produits et processus sur l'environnement, la biodiversité et la santé humaine.

Des preuves scientifiques montrent que des produits pharmaceutiques sont présents dans l'environnement à cause de leur fabrication, de leur utilisation par les patients et de l'élimination incorrecte des produits inutilisés ou périmés⁴⁷. Le fait que des antimicrobiens ont été détectés lors du traitement des eaux usées, dans les effluents de fabrication, dans les eaux de surface et dans les eaux souterraines est particulièrement préoccupant, car leur présence renforce la résistance aux antimicrobiens (voir point 6). Les effets nuisibles des produits pharmaceutiques présents dans l'environnement ne se limitent pas à celui-ci; en effet, si ces produits entrent dans le cycle de l'eau ou dans la chaîne alimentaire, ils nuisent aussi directement à la santé humaine.

La Commission a tenu compte de ces effets négatifs pour élaborer sa proposition de directive relative au traitement des eaux urbaines résiduaires⁴⁸, récemment adoptée, laquelle prévoit un régime de responsabilité élargie des producteurs, qui s'applique aussi aux produits pharmaceutiques, et dans sa proposition visant à modifier les directives sur l'eau⁴⁹, qui porte sur la présence de produits pharmaceutiques dans les eaux de surface et les eaux souterraines.

La réforme proposée de la législation pharmaceutique fait suite à un certain nombre d'engagements pris dans le cadre de l'approche stratégique concernant les produits pharmaceutiques dans l'environnement⁵⁰. Elle prévoit le renforcement de l'évaluation des risques environnementaux (ERE) des médicaments, le but étant d'assurer une meilleure évaluation et de limiter les effets néfastes potentiels des médicaments sur l'environnement et sur la santé publique. Aujourd'hui, l'ERE est obligatoire pour toutes les entreprises pharmaceutiques qui mettent leurs médicaments sur le marché dans l'UE et s'applique à l'utilisation et à l'élimination des médicaments dans l'environnement. De surcroît, les travaux visant à promouvoir les normes environnementales de l'UE à l'échelle internationale se poursuivront à l'avenir⁵¹.

Renforcement de l'évaluation des risques pour l'environnement dans le cadre de l'autorisation de mise sur le marché

- Promouvoir l'ERE en instaurant un motif de refus de l'autorisation de mise sur le marché lorsque les entreprises ne fournissent pas de données probantes suffisantes aux fins de

⁴⁵ Communication de la Commission — Le pacte vert pour l'Europe, COM(2019) 640 final.

⁴⁶ Communication de la Commission — Cap sur une planète en bonne santé pour tous — Plan d'action de l'UE: «Vers une pollution zéro dans l'air, l'eau et les sols», COM(2021) 400 final.

⁴⁷ OCDE, «Pharmaceutical Residues in Freshwater Hazards and Policy Responses» (Résidus pharmaceutiques dans l'eau douce — Dangers et réponses des pouvoirs publics), 2019.

⁴⁸ Proposition de directive du Parlement européen et du Conseil relative au traitement des eaux urbaines résiduaires (refonte), COM(2022) 541 final.

⁴⁹ https://environment.ec.europa.eu/publications/proposal-amending-water-directives_fr

⁵⁰ Communication de la Commission — Approche stratégique de l'Union européenne concernant les produits pharmaceutiques dans l'environnement, COM(2019) 128 final.

⁵¹ Pour de plus amples informations, voir la section II, point 7, du document de travail des services de la Commission sur les vulnérabilités des chaînes mondiales d'approvisionnement en médicaments (https://health.ec.europa.eu/system/files/2022-10/mp_vulnerabilities_global-supply_swd_en.pdf).

l'évaluation des risques pour l'environnement ou si les mesures d'atténuation des risques proposées ne sont pas suffisantes pour faire face aux risques découverts.

- Définir des exigences plus claires en matière d'ERE: respect des lignes directrices scientifiques, mises à jour régulières de l'ERE, obligation d'effectuer des études supplémentaires en matière d'ERE après l'octroi de l'autorisation, etc.
- Étendre le champ d'application de l'ERE afin qu'il inclue les risques pour l'environnement liés à la fabrication d'antibiotiques.
- Étendre l'ERE à tous les produits déjà présents sur le marché et potentiellement nocifs pour l'environnement.

En ce qui concerne les médicaments expérimentaux contenant des organismes génétiquement modifiés (OGM) ou consistant en de tels organismes, la réforme servira à établir une procédure de l'UE unique pour l'ERE lors des essais cliniques. En conséquence, une évaluation unique harmonisée à l'échelle de l'UE remplacera les évaluations des États membres, ce qui signifie que les promoteurs d'essais cliniques ne devront plus présenter de demandes d'autorisation multiples. En outre, les exigences en matière d'ERE applicables à l'évaluation, aux fins de l'autorisation, des médicaments contenant des OGM ou consistant en de tels organismes seront fondées sur les principes énoncés dans la directive 2001/18/CE⁵², mais seront adaptées en fonction des spécificités des médicaments. Ces changements permettront de lever des obstacles réglementaires importants et chronophages, de faciliter les essais cliniques dans l'UE et d'optimiser l'évaluation et l'autorisation de traitements innovants qui changent la vie.

6. Lutter contre la résistance aux antimicrobiens

Les antimicrobiens⁵³ comptent parmi les médicaments les plus importants. Toutefois, au fil des ans, leur utilisation excessive ou à mauvais escient entraîne une augmentation de la résistance aux antimicrobiens (RAM), ce qui signifie qu'ils perdent en efficacité et que les infections deviennent de plus en plus difficiles, voire impossibles, à traiter. La RAM, cette «pandémie silencieuse», est responsable de plus de 35 000 décès chaque année dans l'Espace économique européen⁵⁴ et entraîne des coûts élevés pour les systèmes de soins de santé⁵⁵. La RAM est considérée comme étant l'une des trois plus grandes menaces sanitaires dans l'UE⁵⁶.

Pour faire face à la progression de la RAM, il est essentiel de garantir à la fois l'accès aux antimicrobiens existants et la mise au point de nouveaux antimicrobiens efficaces. Les mesures proposées visent aussi à promouvoir une utilisation prudente des antimicrobiens et à empêcher ainsi que les micro-organismes ne développent une résistance à ces antimicrobiens.

⁵² Directive 2001/18/CE du Parlement européen et du Conseil du 12 mars 2001 relative à la dissémination volontaire d'organismes génétiquement modifiés dans l'environnement et abrogeant la directive 90/220/CEE du Conseil (JO L 106 du 17.4.2001, p. 1).

⁵³ Les antimicrobiens englobent les antibiotiques, les antiviraux, les antifongiques et les antiprotozoaires.

⁵⁴ <https://www.ecdc.europa.eu/sites/default/files/documents/Health-burden-infections-antibiotic-resistant-bacteria.pdf>

⁵⁵ <https://www.oecd.org/health/health-systems/AMR-Tackling-the-Burden-in-the-EU-OECD-ECDC-Briefing-Note-2019.pdf>, 2019.

⁵⁶ Selon l'évaluation réalisée par les services de la Commission, en collaboration avec les États membres, les deux autres grandes menaces prioritaires sont les agents pathogènes à fort potentiel de pandémie ainsi que les menaces chimiques, biologiques, radiologiques et nucléaires (CBRN).

Toutefois, la limitation de l'utilisation d'antimicrobiens a une incidence sur les volumes des ventes et sur le retour sur investissement des titulaires d'autorisations de mise sur le marché, ce qui provoque la défaillance du marché. C'est pourquoi il est nécessaire d'encourager la mise au point d'antimicrobiens innovants et de garantir l'accès aux antimicrobiens.

Mise au point d'antimicrobiens, accès à ceux-ci et utilisation prudente de ceux-ci

Incitations à la mise au point d'antimicrobiens et à l'accès à ceux-ci

L'Union a besoin à la fois d'incitations en amont (*push incentives*) (c'est-à-dire de financements de la recherche et de l'innovation dans le domaine des antimicrobiens, principalement au moyen de subventions et de partenariats de recherche) et d'incitations en aval (*pull incentives*) (tant réglementaires que financières) pour récompenser la mise au point réussie d'antimicrobiens efficaces et l'accès sûr à ceux-ci. La Commission propose les mesures d'incitation en aval suivantes:

- un mécanisme temporaire d'octroi et d'utilisation, dans des conditions strictes, de titres d'exclusivité des données transférables pour la mise au point de nouveaux antimicrobiens;
- des mécanismes de passation de marchés, pour l'accès aux antimicrobiens nouveaux et existants, qui garantiraient des revenus aux titulaires d'autorisations de mise sur le marché des antimicrobiens, quels que soient les volumes de vente.

L'Union doit trouver d'urgence des moyens intelligents de permettre la mise au point de nouveaux antimicrobiens. C'est la raison pour laquelle il est proposé, dans le cadre de la réforme, d'expérimenter pendant quinze ans un système de titres d'exclusivité des données transférables pour les nouveaux antimicrobiens. Le titre vaudra une année supplémentaire de protection réglementaire des données⁵⁷ au développeur de l'antimicrobien, et le développeur pourra l'utiliser pour l'un de ses produits ou le vendre au titulaire d'une autre autorisation de mise sur le marché. L'admissibilité au système sera limitée aux antimicrobiens révolutionnaires qui permettent de combattre la résistance aux antimicrobiens et les agents pathogènes prioritaires reconnus par l'OMS. L'utilisation du titre sera soumise à des conditions strictes, pour que la principale récompense aille au développeur de l'antimicrobien innovant. Le système proposé comporte aussi des conditions relatives à la fourniture de l'antimicrobien afin de garantir sa livraison en cas de besoin.

Le système de titres crée des conditions économiques favorables à la mise au point d'antimicrobiens innovants, pour lesquels le nombre de projets de recherche actuellement en attente d'exécution est très limité. Ce système fera en fin de compte supporter les coûts liés aux titres aux systèmes de santé des États membres, en retardant l'arrivée sur le marché des génériques des produits protégés par les titres. Afin de réduire les coûts à la charge des systèmes de santé, la réforme limitera le nombre de titres réservés aux nouveaux antimicrobiens à un maximum de dix, à accorder au cours d'une période de quinze ans. Par conséquent, s'il est appliqué dans des conditions strictes, le système de titres constitue une mesure crédible contre la RAM, car ses avantages et ses coûts doivent être comparés avec le coût de l'inaction et l'incidence de la RAM sur la santé publique et l'économie. Le système de titres sera évalué au terme de la période de quinze ans.

En plus du système de titres, des incitations pourraient être instaurées en aval — sous la forme de mécanismes liés à la passation de marchés. La Commission a effectué une étude sur

⁵⁷ La notion de protection réglementaire des données est expliquée plus en détail au point 4 du présent document.

la mise sur le marché de contre-mesures médicales en matière de RAM⁵⁸ dans le cadre de laquelle elle a évalué quatre grands types de mécanismes liés à la passation de marchés susceptibles de concourir à l'augmentation des revenus espérés pour les développeurs: la garantie de revenus, les primes d'entrée sur le marché combinées à une garantie de revenus, les primes forfaitaires d'entrée sur le marché et les paiements d'étape. Le mécanisme de garantie de revenus annuels permet aux autorités publiques de «compléter» les revenus des développeurs jusqu'à concurrence d'une somme «garantie». Si les ventes atteignent le seuil, aucun revenu complémentaire n'est accordé. Les primes d'entrée sur le marché consistent en une série de paiements effectués à un développeur ayant obtenu l'approbation réglementaire d'un antibiotique répondant à certains critères prédéfinis. La prime d'étape est une récompense financière précoce qui est versée quand certains objectifs de recherche-développement (par exemple l'achèvement de la phase I) ont été atteints, avant l'autorisation de mise sur le marché. Même si ces mécanismes serviront principalement à garantir l'accès aux antimicrobiens existants, ils pourront également soutenir la mise au point de nouveaux antimicrobiens au cours de la phase de développement. L'évaluation de préféabilité initiale a permis de déterminer que toutes les options pouvaient être mises en œuvre dans le contexte de la passation de marchés, même si elle mentionne certaines restrictions et considérations notables qui nécessitent un examen plus approfondi. Les contributions de l'UE et des États membres seront probablement requises.

Un soutien mondial au développement d'antimicrobiens est éminemment nécessaire. L'Union devra promouvoir la coopération en agissant au sein des instances existantes, notamment le G7, le G20, le groupe de travail transatlantique sur la résistance aux antimicrobiens, l'alliance quadripartite (Organisation mondiale de la santé, Organisation des Nations unies pour l'alimentation et l'agriculture, Organisation mondiale de la santé animale et Programme des Nations unies pour l'environnement) et le fonds fiduciaire multipartenaire pour la lutte contre la RAM, ainsi que dans le cadre des négociations relatives à un éventuel accord international de l'Organisation mondiale de la santé sur la prévention, la préparation et la riposte face aux pandémies⁵⁹ et avec des instances régionales telles que l'Union africaine.

Mesures favorisant une utilisation prudente des antimicrobiens

- À la suite de la réforme de la législation pharmaceutique, les mesures favorisant une utilisation prudente feront partie du processus d'autorisation de mise sur le marché et porteront sur la prescription, la taille adéquate de l'emballage, les informations spécifiques destinées aux patients et aux professionnels de la santé, un plan de gestion des antimicrobiens prévoyant des mesures d'atténuation des risques, la veille et la notification en matière de résistance à l'antimicrobien.
- La proposition de recommandation du Conseil prévoit des mesures de soutien supplémentaires, dont des objectifs recommandés et des mesures visant à promouvoir des niveaux élevés de prévention des infections et de lutte contre celles-ci, à améliorer la sensibilisation, l'éducation et la formation et à encourager la coopération entre les parties intéressées de tous les secteurs concernés.

⁵⁸ Commission européenne, Agence exécutive européenne pour la santé et le numérique, «Study on bringing AMR Medical Countermeasures to the Market — Final Report» (Étude sur la mise sur le marché de contre-mesures médicales en matière de RAM — Rapport final), Office des publications de l'Union européenne, 2023, <https://op.europa.eu/en/publication-detail/-/publication/51b2c82c-c21b-11ed-8912-01aa75ed71a1/language-en>

⁵⁹ <https://www.who.int/fr/news-room/questions-and-answers/item/pandemic-prevention--preparedness-and-response-agreement>

Objectifs recommandés en matière de consommation d’antimicrobiens et de résistance aux antimicrobiens

La proposition de recommandation du Conseil prévoit des objectifs mesurables concrets pour réduire la consommation d’antimicrobiens (CAM) et la propagation de la RAM dans le secteur de la santé humaine. Le Centre européen de prévention et de contrôle des maladies a contribué à élaborer ces objectifs en tenant compte des circonstances nationales, des niveaux différents de CAM et de la propagation des principaux agents pathogènes résistants dans les États membres. Ces objectifs permettront d’apporter un soutien ciblé et de suivre les progrès réalisés dans les années à venir.

Autres mesures recommandées pour lutter contre la résistance aux antimicrobiens

La proposition de recommandation du Conseil vise aussi à promouvoir l’application de plans d’action nationaux fondés sur le principe «Une seule santé» pour lutter contre la résistance aux antimicrobiens, à encourager la recherche et l’innovation, à renforcer la surveillance et la veille en matière de RAM et de consommation d’antimicrobiens, à renforcer les actions mondiales et à encourager la mise au point d’autres contre-mesures médicales en matière de RAM, telles que les vaccins et les diagnostics rapides, qui sont également essentiels. La proposition de recommandation du Conseil contribuera aussi à renforcer le cadre mis en place pour lutter contre la RAM, en combinant une approche «Une seule santé» avec d’autres politiques de l’UE, la politique agricole commune⁶⁰, la stratégie «De la ferme à la table»⁶¹, le plan d’action «Vers une pollution zéro»⁶² visant à réduire de 50 % les ventes globales d’antimicrobiens dans l’UE pour les animaux d’élevage et dans l’aquaculture d’ici à 2030, le programme Horizon Europe de l’UE⁶³ et les récentes propositions de la Commission visant à renforcer la veille environnementale en matière de RAM⁶⁴.

7. Conclusion

La réforme proposée de la législation pharmaceutique ouvrira la voie à une Union européenne plus forte et plus résiliente qui protège mieux la santé de ses citoyens. Elle favorisera l’égalité d’accès en temps utile à un approvisionnement continu en médicaments sûrs, efficaces et abordables qui répondent aux besoins médicaux des patients dans l’ensemble de l’Union. Dans le même temps, elle encouragera l’innovation et concourra à la

⁶⁰ https://agriculture.ec.europa.eu/common-agricultural-policy/cap-overview/cap-glance_fr

⁶¹ Communication de la Commission au Parlement européen, au Conseil, au Comité économique et social européen et au Comité des régions — Une stratégie «De la ferme à la table» pour un système alimentaire équitable, sain et respectueux de l’environnement, COM(2020) 381 final.

⁶² Communication de la Commission au Parlement européen, au Conseil, au Comité économique et social européen et au Comité des régions — Cap sur une planète en bonne santé pour tous — Plan d’action de l’UE: «Vers une pollution zéro dans l’air, l’eau et les sols», COM(2021) 400 final.

⁶³ Règlement (UE) 2021/695 du Parlement européen et du Conseil du 28 avril 2021 portant établissement du programme-cadre pour la recherche et l’innovation «Horizon Europe» et définissant ses règles de participation et de diffusion, et abrogeant les règlements (UE) n° 1290/2013 et (UE) n° 1291/2013 (JO L 170 du 12.5.2021, p. 1).

⁶⁴ Proposition de directive du Parlement européen et du Conseil modifiant la directive 2000/60/CE établissant un cadre pour une politique communautaire dans le domaine de l’eau, la directive 2006/118/CE sur la protection des eaux souterraines contre la pollution et la détérioration, et la directive 2008/105/CE établissant des normes de qualité environnementale dans le domaine de l’eau (présentée par la Commission le 26 octobre 2022), COM(2022) 540 final, 2022/0344(COD), et proposition de directive relative au traitement des eaux urbaines résiduaires (refonte) (présentée par la Commission le 26 octobre 2022), COM(2022) 541 final, 2022/0345(COD).

compétitivité de l'industrie pharmaceutique. Par ailleurs, elle renforcera la durabilité environnementale des médicaments pendant tout leur cycle de vie.

Parallèlement, la proposition de recommandation du Conseil relative à la résistance aux antimicrobiens et les mesures connexes proposées dans le cadre de la réforme de la législation pharmaceutique de l'UE compléteront et étendront les actions menées dans le cadre du plan d'action de l'UE fondé sur le principe «Une seule santé» pour combattre la résistance aux antimicrobiens de 2017. Conjointement, ces initiatives doteront l'Union des outils dont elle a besoin pour lutter contre cette pandémie silencieuse.

En conséquence, l'ambitieux train de propositions faisant partie de la réforme pourvoira les citoyens de l'UE d'avantages durables sur le plan sanitaire, social, économique et environnemental. Il consolidera la capacité d'innover et la compétitivité du secteur pharmaceutique dans l'Union. Il nous aidera à relever des défis mondiaux tels que la résistance aux antimicrobiens et la durabilité environnementale, tout en renforçant le leadership mondial de l'UE dans le domaine pharmaceutique, en complétant le rôle de l'UE dans le domaine de la santé mondiale et en appuyant le déploiement de la stratégie de l'UE en matière de santé mondiale.