



2023/0131(COD)

8.11.2023

PROJET D'AVIS

de la commission de l'industrie, de la recherche et de l'énergie

à l'intention de la commission de l'environnement, de la santé publique et de la sécurité alimentaire

sur la proposition de règlement du Parlement européen et du Conseil établissant des procédures de l'Union pour l'autorisation et la surveillance des médicaments à usage humain et établissant des règles régissant l'Agence européenne des médicaments, modifiant le règlement (CE) n° 1394/2007 et le règlement (UE) n° 536/2014 et abrogeant le règlement (CE) n° 726/2004, le règlement (CE) n° 141/2000 et le règlement (CE) n° 1901/2006 (COM(2023)0193 – C9-0144/2023 – 2023/0131(COD))

Rapporteure pour avis (*): Henna Virkkunen

(*) Commission associée – article 57 du règlement intérieur

PA_Legam

JUSTIFICATION SUCCINCTE

Le paquet «médicaments» comprend le nouveau règlement et la nouvelle directive, qui constituent une refonte longuement attendue de la législation pharmaceutique, qui fait partie intégrante de la construction de l'Union européenne de la santé. Étant donné que de multiples réformes législatives ont une incidence simultanée sur le secteur pharmaceutique, il est crucial d'évaluer leur effet collectif sur la compétitivité mondiale, l'innovation et la disponibilité des médicaments de l'Union.

La rapporteure soutient les objectifs de la réforme pharmaceutique, qui visent à favoriser un environnement de recherche et développement compétitif et favorable à l'innovation en Europe, à renforcer l'autonomie stratégique, à lutter contre la résistance aux antimicrobiens et à améliorer l'accessibilité aux médicaments. Néanmoins, certaines méthodes doivent être perfectionnées.

La migration potentielle de l'industrie pharmaceutique d'Europe constitue une préoccupation majeure. Pour rester compétitive à l'échelle mondiale, l'Europe doit maintenir un cadre réglementaire favorable à l'innovation. La rapporteure souligne la nécessité d'une législation prévisible, transparente, stable et claire pour renforcer l'attractivité de l'Union en matière de recherche, de développement et de production de médicaments.

Titres d'exclusivité des données transférables

La résistance aux antimicrobiens est une crise sanitaire mondiale urgente qui nécessite une intervention immédiate de l'Union avant qu'elle ne devienne un problème plus grave. Le marché actuel pour le développement de nouveaux médicaments contre la résistance aux antimicrobiens est insuffisant. Ces produits doivent être utilisés avec précaution pour maintenir leur efficacité, ce qui les rend moins rentables pour les entreprises en matière d'investissement en recherche et développement.

La Commission a proposé des titres d'exclusivité des données transférables pour stimuler la création de nouveaux médicaments antimicrobiens. La rapporteure considère les titres d'exclusivité des données transférables comme une évolution positive. Cependant, les conditions strictes définies pour les titres d'exclusivité des données transférables pourraient réduire leur efficacité, d'autant plus qu'ils ne prolongent que la protection réglementaire des données et non les certificats complémentaires de protection ou la protection relative aux brevets. Les conditions des titres d'exclusivité des données transférables devraient être reconsidérées, comme le recommande la rapporteure.

Besoins médicaux non satisfaits

Le progrès médical vise à répondre aux besoins médicaux non satisfaits, qui peuvent varier et évoluer rapidement. Classer certains besoins médicaux non satisfaits comme «importants» peut être problématique sur le plan éthique, car cela peut diminuer l'importance d'autres besoins médicaux non satisfaits. Une compréhension globale des besoins médicaux non satisfaits est nécessaire, car ils peuvent se présenter sous de nombreuses formes.

Les débats sur les besoins médicaux non satisfaits ou les besoins médicaux non satisfaits importants font partie d'enjeux plus larges liés à la disponibilité, à l'accessibilité et au caractère

abordable des nouveaux médicaments, et à la durabilité des systèmes de soins de santé. Le point de vue du patient est souvent négligé et le potentiel de transformation de la vie des patients grâce aux nouveaux traitements n'est pas pleinement mesuré.

Restreindre les incitations aux traitements qui correspondent aujourd'hui à une définition étroite des besoins médicaux non satisfaits ou des besoins médicaux non satisfaits importants pourrait entraver le développement de thérapies vitales pour les futurs patients. Cela pourrait diminuer la prévisibilité pour les entreprises et les décourager d'investir dans la recherche et le développement au sein de l'Union pour réduire les besoins médicaux non satisfaits.

Bac à sable réglementaire

Ces dernières années, les progrès scientifiques se sont accélérés, conduisant à de nouveaux médicaments, dispositifs, diagnostics et combinaisons de ces derniers au-delà de ce que prévoyaient les règlements actuels. Pour garantir que des produits de haute qualité, sûrs et efficaces parviennent aux patients, les régulateurs ont besoin de flexibilité et de collaboration avec les développeurs. Un bac à sable réglementaire peut permettre d'atteindre cet objectif.

Toutefois, la proposition de bac à sable de la Commission ne concerne que les produits pharmaceutiques. De nombreux produits modernes incluent des dispositifs médicaux, des outils de diagnostic et des outils numériques, chacun étant soumis à des règlements distincts. La rapporteure estime qu'il est essentiel d'élargir la portée du bac à sable pour tenir compte des évolutions futures dans ces domaines.

Remédier aux pénuries de médicaments

Les pénuries de médicaments constituent un problème grave, souvent provoqué par une augmentation inattendue de la demande. La Commission propose d'étendre le délai de notification des pénuries temporaires de deux à six mois et de rendre obligatoires les plans de prévention des pénuries pour tous les médicaments dans le règlement proposé.

Pour améliorer la disponibilité des médicaments, il est crucial de créer un système efficace sans imposer de charges administratives excessives aux régulateurs et aux titulaires d'autorisations de mise sur le marché (titulaires d'AMM). Au lieu d'exiger des plans de prévention des pénuries pour tous les médicaments, il serait préférable de se concentrer sur les médicaments critiques après avoir évalué leur nécessité et leurs risques spécifiques.

Prolonger la période de notification de manière excessive pourrait conduire à des notifications inutiles «juste au cas où». De l'avis de la rapporteure, il est plus sage de s'attacher à rendre la demande transparente dans toute l'Europe et à utiliser les données et les outils numériques pour détecter et prévenir les pénuries.

Conclusion

La rapporteure soutient le paquet «médicaments» et est d'accord avec bon nombre des priorités proposées par la Commission. Il est essentiel que cette réforme protège la compétitivité de l'Union et la sécurité de sa chaîne d'approvisionnement pharmaceutique.

Compte tenu des contraintes temporelles liées à la préparation de ce projet de rapport initial, la rapporteure conserve la prérogative d'apporter d'autres modifications, améliorations et

éclaircissements à ce projet de rapport. Pour une liste complète des entités ou des individus avec lesquels la rapporteure a interagi ou dont certaines contributions ont été reçues au cours du processus, veuillez vous référer à l'annexe à la fin du présent projet de rapport.

AMENDEMENTS

La commission de l'industrie, de la recherche et de l'énergie invite la commission de l'environnement, de la santé publique et de la sécurité alimentaire, compétente au fond, à prendre en considération les amendements suivants:

Amendement 1

Proposition de règlement Article 40 – paragraphe 1

Texte proposé par la Commission

1. À la suite d'une demande présentée par le demandeur ***dans le cadre d'une demande*** d'autorisation de mise sur le marché, la Commission peut, par voie d'actes d'exécution, octroyer un titre d'exclusivité des données transférable pour un «antimicrobien prioritaire» visé au paragraphe 3, dans les conditions visées au paragraphe 4, sur la base d'une évaluation scientifique réalisée par l'Agence.

Amendement

1. À la suite d'une demande présentée par le demandeur d'autorisation de mise sur le marché, ***présentée avant l'octroi de cette autorisation***, la Commission peut, par voie d'actes d'exécution, octroyer un titre d'exclusivité des données transférable pour un «antimicrobien prioritaire» visé au paragraphe 3, dans les conditions visées au paragraphe 4, sur la base d'une évaluation scientifique réalisée par l'Agence.

Or. en

Justification

L'amendement proposé vise à clarifier le calendrier des demandes de titres d'exclusivité des données transférables à la Commission, en suggérant une flexibilité plutôt qu'un alignement strict avec les soumissions d'autorisation de mise sur le marché à l'EMA. L'évaluation scientifique de l'EMA pour les demandes de titres d'exclusivité des données transférables se concentre sur la détermination des antimicrobiens prioritaires, distincte de l'évaluation de l'autorisation de mise sur le marché.

Amendement 2

Proposition de règlement Article 40 – paragraphe 3 – alinéa 1 – partie introductive

Texte proposé par la Commission

Un antimicrobien est considéré comme

Amendement

Un antimicrobien est considéré comme

«antimicrobien prioritaire» si les données précliniques et cliniques confirment l'apport d'un avantage clinique important en ce qui concerne la résistance aux antimicrobiens *et s'il présente au moins l'une des caractéristiques suivantes:*

«antimicrobien prioritaire» si les données précliniques et cliniques confirment l'apport d'un avantage clinique important en ce qui concerne la résistance aux antimicrobiens.

Or. en

Justification

Pour évaluer la priorité des antimicrobiens, l'accent doit être mis sur le bénéfice clinique et l'efficacité contre la résistance. La création d'un groupe d'experts dédié et la promotion de dialogues précoces avec les développeurs garantissent une évaluation approfondie et scientifique, axée principalement sur l'utilité clinique.

Amendement 3

Proposition de règlement

Article 40 – paragraphe 3 – alinéa 1 – point a

Texte proposé par la Commission

Amendement

a) il représente une nouvelle classe d'antimicrobiens;

supprimé

Or. en

Amendement 4

Proposition de règlement

Article 40 – paragraphe 3 – alinéa 1 – point b

Texte proposé par la Commission

Amendement

b) son mécanisme d'action est nettement différent de celui de tout antimicrobien autorisé dans l'Union;

supprimé

Or. en

Amendement 5

Proposition de règlement

Article 40 – paragraphe 3 – alinéa 1 – point c

Texte proposé par la Commission

Amendement

c) il contient une substance active qui n'a pas été autorisée précédemment dans un médicament dans l'Union et qui s'attaque à un organisme multirésistant et à une infection grave ou mettant la vie en danger.

supprimé

Or. en

Amendement 6

Proposition de règlement

Article 40 – paragraphe 3 – alinéa 2

Texte proposé par la Commission

Amendement

Lors de *l'évaluation* scientifique *des critères visés au premier alinéa*, et dans le cas des antibiotiques, l'Agence tient compte de la «liste des agents pathogènes prioritaires pour la recherche-développement de nouveaux antibiotiques» de l'OMS ou d'une liste équivalente établie à l'échelle de l'Union.

Lors de *son évaluation* scientifique, et dans le cas des antibiotiques, l'Agence tient compte de la «liste des agents pathogènes prioritaires pour la recherche-développement de nouveaux antibiotiques» de l'OMS ou d'une liste équivalente établie à l'échelle de l'Union.

Or. en

Justification

Pour évaluer la priorité des antimicrobiens, l'accent doit être mis sur le bénéfice clinique et l'efficacité contre la résistance. La création d'un groupe d'experts dédié et la promotion de dialogues précoces avec les développeurs garantissent une évaluation approfondie et scientifique, axée principalement sur l'utilité clinique.

Amendement 7

Proposition de règlement

Article 40 – paragraphe 4 – alinéa 1 – point b

Texte proposé par la Commission

b) fournir des informations sur toutes les aides financières directes reçues pour la recherche liée au développement de l'antimicrobien prioritaire.

Amendement

b) fournir des informations sur toutes les aides financières directes reçues **de la part de toute autorité publique ou tout organisme financé par des fonds publics basé dans l'Union** pour la recherche liée au développement de l'antimicrobien prioritaire.

Or. en

Justification

L'exigence de divulgation du financement de la recherche et du développement concerne indirectement le caractère abordable des médicaments en Europe et devrait s'appliquer uniquement au financement de l'Union, à l'exclusion des sources externes. Les États membres de l'Union régulent leur financement de manière indépendante au sein de leurs systèmes et budgets de soins de santé.

Amendement 8

Proposition de règlement

Article 41 – paragraphe 1 – alinéa 2

Texte proposé par la Commission

Un titre ne peut être utilisé qu'une seule fois et pour un seul médicament autorisé en application de la procédure centralisée, et seulement si ce médicament **est dans ses quatre premières** années de protection réglementaire des données.

Amendement

Un titre ne peut être utilisé qu'une seule fois et pour un seul médicament autorisé en application de la procédure centralisée, et seulement si ce médicament **dispose d'au moins deux** années de protection réglementaire des données **restantes**.

Or. en

Justification

La modification proposée élargit la portée des produits éligibles à l'association avec les titres d'exclusivité des données transférables en l'étendant à ceux bénéficiant d'un minimum de deux ans de protection. Cette expansion augmente les perspectives pour les fabricants de génériques tout en conservant la prévisibilité. Cela élargit la gamme de produits éligibles, amplifiant ainsi l'efficacité potentielle et l'attractivité du programme d'incitation.

Amendement 9

Proposition de règlement Article 70

Texte proposé par la Commission

Amendement

Article 70

supprimé

Médicaments orphelins répondant à un besoin médical non satisfait important

1. Un médicament orphelin est considéré comme répondant à un besoin médical non satisfait important lorsqu'il satisfait aux exigences suivantes:

a) il n'existe pas de médicament autorisé dans l'Union pour cette affection ou, bien que des médicaments soient autorisés pour cette affection dans l'Union, le demandeur démontre que le médicament orphelin, en plus de présenter un bénéfice notable, offrira une avancée thérapeutique exceptionnelle;

b) l'utilisation du médicament orphelin entraîne une réduction significative de la morbidité ou de la mortalité pour la population de patients concernée.

2. Un médicament pour lequel une demande a été soumise conformément à l'article 13 de [la directive 2001/83/CE révisée] n'est pas considéré comme répondant à un besoin médical non satisfait important.

3. Lorsque l'Agence adopte des lignes directrices scientifiques aux fins de l'application du présent article, elle consulte la Commission et les autorités ou organismes visés à l'article 162.

Or. en

Justification

Lors de l'évaluation des besoins médicaux non satisfaits, le point de vue, le contexte et l'inclusivité constituent des éléments essentiels. Les patients confrontés à une maladie peuvent avoir des besoins distincts par rapport à une perspective sociétale plus large. La

création d'une catégorie distincte de besoins médicaux non satisfaits importants en matière de médicaments orphelins par rapport aux besoins médicaux non satisfaits présente des difficultés, notamment des préoccupations éthiques, car cela pourrait suggérer que certains besoins médicaux non satisfaits sont de moindre importance. Les critères proposés recourent substantiellement ceux des besoins médicaux non satisfaits, à l'exception du facteur d'«avancée thérapeutique exceptionnelle».

Amendement 10

Proposition de règlement Article 71 – paragraphe 2 – point a

Texte proposé par la Commission

a) **neuf** ans pour les médicaments orphelins autres que ceux visés aux points b) et c);

Amendement

a) **dix** ans pour les médicaments orphelins autres que ceux visés aux points b) et c);

Or. en

Justification

Des incitations renforcées sont essentielles pour réduire le fossé concurrentiel avec d'autres régions et positionner l'Union comme un centre majeur pionnier en matière de recherche et de développement de médicaments innovants dans les domaines négligés. Il est donc recommandé de lier la protection de base renforcée à des critères objectifs. Cette approche apporterait aux promoteurs la certitude nécessaire pour investir dans des conditions particulièrement exigeantes et à haut risque, tout en évitant l'établissement d'une échelle hiérarchique pour différents niveaux de besoins médicaux non satisfaits.

Amendement 11

Proposition de règlement Article 71 – paragraphe 2 – point b

Texte proposé par la Commission

b) **dix** ans pour les médicaments orphelins **répondant à un besoin médical non satisfait important, tels que visés à l'article 70;**

Amendement

b) **onze** ans pour les médicaments orphelins **qui satisfont à l'une des exigences suivantes:**

Or. en

Justification

Des incitations renforcées sont essentielles pour réduire le fossé concurrentiel avec d'autres régions et positionner l'Union comme un centre majeur pionnier en matière de recherche et de développement de médicaments innovants dans les domaines négligés. Il est donc recommandé de lier la protection de base renforcée à des critères objectifs. Cette approche apporterait aux promoteurs la certitude nécessaire pour investir dans des conditions particulièrement exigeantes et à haut risque, tout en évitant l'établissement d'une échelle hiérarchique pour différents niveaux de besoins médicaux non satisfaits.

Amendement 12

Proposition de règlement

Article 71 – paragraphe 2 – point b – sous-point i (nouveau)

Texte proposé par la Commission

Amendement

i) il n'existe aucun médicament autorisé dans l'Union pour une telle affection, ou lorsque

Or. en

Justification

Des incitations renforcées sont essentielles pour réduire le fossé concurrentiel avec d'autres régions et positionner l'Union comme un centre majeur pionnier en matière de recherche et de développement de médicaments innovants dans les domaines négligés. Il est donc recommandé de lier la protection de base renforcée à des critères objectifs. Cette approche apporterait aux promoteurs la certitude nécessaire pour investir dans des conditions particulièrement exigeantes et à haut risque, tout en évitant l'établissement d'une échelle hiérarchique pour différents niveaux de besoins médicaux non satisfaits.

Amendement 13

Proposition de règlement

Article 71 – paragraphe 2 – point b – sous-point ii (nouveau)

Texte proposé par la Commission

Amendement

ii) bien que des médicaments soient autorisés pour cette affection dans l'Union, le demandeur démontre que le médicament orphelin, en plus de présenter un bénéfice notable, offrira une

avancée thérapeutique exceptionnelle, ou

Or. en

Justification

Des incitations renforcées sont essentielles pour réduire le fossé concurrentiel avec d'autres régions et positionner l'Union comme un centre majeur pionnier en matière de recherche et de développement de médicaments innovants dans les domaines négligés. Il est donc recommandé de lier la protection de base renforcée à des critères objectifs. Cette approche apporterait aux promoteurs la certitude nécessaire pour investir dans des conditions particulièrement exigeantes et à haut risque, tout en évitant l'établissement d'une échelle hiérarchique pour différents niveaux de besoins médicaux non satisfaits.

Amendement 14

Proposition de règlement

Article 71 – paragraphe 2 – point b – sous-point iii (nouveau)

Texte proposé par la Commission

Amendement

iii) *l'affection ne touche pas plus de 0,5 personne sur 10 000 dans l'Union au moment où la demande de désignation d'un médicament comme médicament orphelin est soumise.*

Or. en

Justification

Des incitations renforcées sont essentielles pour réduire le fossé concurrentiel avec d'autres régions et positionner l'Union comme un centre majeur pionnier en matière de recherche et de développement de médicaments innovants dans les domaines négligés. Il est donc recommandé de lier la protection de base renforcée à des critères objectifs. Cette approche apporterait aux promoteurs la certitude nécessaire pour investir dans des conditions particulièrement exigeantes et à haut risque, tout en évitant l'établissement d'une échelle hiérarchique pour différents niveaux de besoins médicaux non satisfaits.

Amendement 15

Proposition de règlement

Article 71 – paragraphe 2 – point c

Texte proposé par la Commission

Amendement

c) **cinq** ans pour les médicaments orphelins qui ont été autorisés conformément à l'article 13 de [la directive 2001/83/CE révisée].

c) **six** ans pour les médicaments orphelins qui ont été autorisés conformément à l'article 13 de [la directive 2001/83/CE révisée].

Or. en

Justification

Des incitations renforcées sont essentielles pour réduire le fossé concurrentiel avec d'autres régions et positionner l'Union comme un centre majeur pionnier en matière de recherche et de développement de médicaments innovants dans les domaines négligés. Il est donc recommandé de lier la protection de base renforcée à des critères objectifs. Cette approche apporterait aux promoteurs la certitude nécessaire pour investir dans des conditions particulièrement exigeantes et à haut risque, tout en évitant l'établissement d'une échelle hiérarchique pour différents niveaux de besoins médicaux non satisfaits.

Amendement 16

Proposition de règlement Article 72 – paragraphe 1

Texte proposé par la Commission

Amendement

1. Les périodes d'exclusivité commerciale visées à l'article 71, paragraphe 2, points a) et b), sont prolongées de douze mois lorsque le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament orphelin peut prouver que les conditions visées à l'article 81, paragraphe 2, point a), et à l'article 82, paragraphe 1, de [la directive 2001/83/CE révisée] sont remplies.

supprimé

Les procédures prévues à l'article 82, paragraphes 2 à 5, de [la directive 2001/83/CE révisée] s'appliquent en conséquence à la prolongation de l'exclusivité commerciale.

Or. en

Justification

Les périodes d'exclusivité commerciale en cours ne devraient pas être liées aux conditions d'accès dans les États membres. En les liant à «l'accès et à l'approvisionnement continu» dans les 27 États membres, les incitations à la recherche et au développement dépendent de facteurs qui échappent pour la plupart au contrôle des développeurs de médicaments. Même dans les meilleures circonstances, conclure les négociations sur les prix et le remboursement avec 27 États membres dans un délai de deux ans constitue une difficulté presque insurmontable pour la plupart des entreprises, en particulier pour les PME, même avec une prolongation de trois ans. Cela porte atteinte aux niveaux actuels de protection de l'exclusivité commerciale en cours et ne constitue pas une véritable incitation.

Amendement 17

Proposition de règlement

Article 72 – paragraphe 2 – alinéa 1

Texte proposé par la Commission

La période d'exclusivité commerciale est prolongée de **douze** mois supplémentaires pour les médicaments orphelins visés à l'article 71, paragraphe 2, points a) et b), si, au moins deux ans avant la fin de la période d'exclusivité, le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament orphelin obtient une autorisation de mise sur le marché pour une ou plusieurs nouvelles indications thérapeutiques pour une affection orpheline différente.

Amendement

La période d'exclusivité commerciale est prolongée de **24** mois supplémentaires pour les médicaments orphelins visés à l'article 71, paragraphe 2, points a) et b), si, au moins deux ans avant la fin de la période d'exclusivité, le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament orphelin obtient une autorisation de mise sur le marché pour une ou plusieurs nouvelles indications thérapeutiques pour une affection orpheline différente.

Or. en

Amendement 18

Proposition de règlement

Article 72 – paragraphe 2 - alinéa 1 bis (nouveau)

Texte proposé par la Commission

Amendement

Si l'indication thérapeutique nouvellement approuvée répond à l'une des exigences énumérées à l'article 71, paragraphe 2, point b), et lorsqu'une période d'exclusivité commerciale visée à

l'article 71, paragraphe 2, point b) n'a pas été octroyée pour la première autorisation de mise sur le marché d'un médicament orphelin, la période d'exclusivité commerciale est prolongée de 36 mois au total.

Or. en

Justification

Il est plus bénéfique d'encourager le développement et l'approbation d'indications thérapeutiques supplémentaires que de les pénaliser. Celles-ci peuvent offrir de précieuses perspectives de traitement à un plus grand nombre de patients atteints de maladies rares, nécessitant un développement supplémentaire substantiel, en particulier pour diverses maladies orphelines. Par conséquent, il ne devrait y avoir aucune limitation sur le nombre d'extensions d'exclusivité commerciale en cours, tant que chacune concerne une affection orpheline différente.

Amendement 19

Proposition de règlement

Article 72 – paragraphe 2 – alinéa 2

Texte proposé par la Commission

Amendement

Une telle prolongation peut être accordée deux fois, si les nouvelles indications thérapeutiques concernent à chaque fois des affections orphelines différentes.

supprimé

Or. en

Amendement 20

Proposition de règlement

Article 72 – paragraphe 2 bis (nouveau)

Texte proposé par la Commission

Amendement

2 bis. Le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament orphelin bénéficie d'une période totale maximale de [15] ans d'exclusivité commerciale d'un médicament orphelin à

compter de la première obtention par le médicament orphelin en question d'une autorisation telle que définie à l'article 69.

Or. en

Justification

L'introduction d'une période d'exclusivité maximale est proposée pour apporter une sécurité aux autres parties prenantes, en s'alignant sur la protection maximale offerte par les certificats complémentaires de protection.

Amendement 21

Proposition de règlement

Article 72 – paragraphe 2 ter (nouveau)

Texte proposé par la Commission

Amendement

2 ter. À défaut de la récompense prévue à l'article 86 [de la directive 2001/83/CE révisée] et sur demande du demandeur, la période d'exclusivité commerciale pour les médicaments orphelins visée à l'article 71, paragraphe 2, points a) et b), est prolongé de 24 mois supplémentaires lorsqu'une demande d'autorisation de mise sur le marché d'un médicament orphelin est présentée pour un médicament orphelin désigné conformément au présent règlement et que la demande inclut les résultats de toutes les études menées conformément à un plan d'investigation pédiatrique convenu.

Le premier alinéa est également applicable lorsque la réalisation du plan d'investigation pédiatrique approuvé n'aboutit pas à l'autorisation de l'indication pédiatrique, mais que les résultats des études effectuées apparaissent dans le résumé des caractéristiques du produit et, le cas échéant, dans la notice du médicament concerné. La prolongation de 24 mois de la période d'exclusivité commerciale est

reflétée dans l'autorisation de mise sur le marché.

Or. en

Justification

Bien qu'elle ne soit pas fréquemment utilisée à ce jour, la prolongation de deux ans supplémentaires de l'exclusivité commerciale en cours en récompense de l'achèvement du plan d'investigation pédiatrique (PIP) est une option cruciale, potentiellement le seul moyen d'obtenir une prolongation d'exclusivité effective, pour certains produits orphelins qui pourraient ne pas bénéficier des certificats complémentaires de protection. Tant que cette possibilité reste mutuellement exclusive avec la récompense pour l'extension des certificats complémentaires de protection, il est juste et approprié de la maintenir dans la législation révisée.

Amendement 22

Proposition de règlement

Article 72 – paragraphe 2 quater (nouveau)

Texte proposé par la Commission

Amendement

2 quater. *Un médicament orphelin qui bénéficie de la prolongation de l'exclusivité commerciale telle que visée au paragraphe 4 ne bénéficie pas des récompenses visées à l'article 86 [de la directive 2001/83/CE révisée].*

Or. en

Amendement 23

Proposition de règlement

Article 72 – paragraphe 2 quinquies (nouveau)

Texte proposé par la Commission

Amendement

2 quinquies. *La limitation visée au paragraphe 3 ne s'applique pas lorsque la période d'exclusivité commerciale d'un médicament orphelin est prolongée conformément au paragraphe 4 en relation avec cette prolongation.*

Amendement 24**Proposition de règlement****Article 113 – paragraphe 1 – point a***Texte proposé par la Commission*

a) il n'est pas possible de développer le médicament ou la catégorie de médicaments en conformité avec les exigences applicables **aux** médicaments en raison de difficultés scientifiques ou réglementaires découlant des caractéristiques ou des méthodes liées au produit;

Amendement

a) il n'est pas possible de développer **de manière adéquate** le médicament ou la catégorie de médicaments en conformité avec les exigences applicables **à de tels** médicaments en raison de difficultés scientifiques ou réglementaires découlant des caractéristiques ou des méthodes liées au produit;

Or. en

Justification

Les autorités de réglementation des médicaments doivent avoir la flexibilité nécessaire pour transcender les exigences législatives et collaborer avec les développeurs pour établir les critères de preuves nécessaires afin de garantir des produits de haute qualité, sûrs et efficaces pour les patients. La disposition relative au bac à sable réglementaire apporte une solution à ce problème. Toutefois, les propositions de la Commission concernant un bac à sable réglementaire se limitent aux produits pharmaceutiques. Alors que les produits innovants se mélangent de plus en plus aux dispositifs médicaux, aux diagnostics et aux outils numériques, chacun régi par des cadres distincts, il est impératif d'élargir la portée du bac à sable.

Amendement 25**Proposition de règlement****Article 113 – paragraphe 2 – alinéa 1***Texte proposé par la Commission*

Le bac à sable réglementaire établit un cadre réglementaire, y compris des exigences scientifiques, pour le développement et, le cas échéant, les essais cliniques et la mise sur le marché d'un produit visé au paragraphe 1 dans les conditions prévues au présent chapitre. Le

Amendement

Le bac à sable réglementaire établit un cadre réglementaire, y compris des exigences scientifiques, pour le développement et, le cas échéant, les essais cliniques et la mise sur le marché d'un produit visé au paragraphe 1 dans les conditions prévues au présent chapitre. Le

bac à sable réglementaire peut autoriser des dérogations ciblées au présent règlement, à [la directive 2001/83/CE révisée] ou au règlement (CE) n° 1394/2007 dans les conditions prévues à l'article 114.

bac à sable réglementaire peut autoriser des dérogations ciblées au présent règlement, à [la directive 2001/83/CE révisée] ou au règlement (CE) n° 1394/2007 **ainsi qu'à d'autres dispositions législatives applicables de l'Union** dans les conditions prévues à l'article 114.

Or. en

Justification

Les autorités de réglementation des médicaments doivent avoir la flexibilité nécessaire pour transcender les exigences législatives et collaborer avec les développeurs pour établir les critères de preuves nécessaires afin de garantir des produits de haute qualité, sûrs et efficaces pour les patients. La disposition relative au bac à sable réglementaire apporte une solution à ce problème. Toutefois, les propositions de la Commission concernant un bac à sable réglementaire se limitent aux produits pharmaceutiques. Alors que les produits innovants se mélangent de plus en plus aux dispositifs médicaux, aux diagnostics et aux outils numériques, chacun régi par des cadres distincts, il est impératif d'élargir la portée du bac à sable.

Amendement 26

Proposition de règlement Article 113 – paragraphe 3

Texte proposé par la Commission

3. L'Agence surveille le domaine des médicaments émergents et **peut demander** des informations et des données aux titulaires d'autorisations de mise sur le marché, aux développeurs, aux experts indépendants et aux chercheurs, ainsi qu'aux représentants des professionnels de la santé et des patients, et **peut engager** avec eux des discussions préliminaires.

Amendement

3. L'Agence surveille le domaine des médicaments émergents et **demande** des informations et des données aux titulaires d'autorisations de mise sur le marché, aux développeurs, aux experts indépendants et aux chercheurs, ainsi qu'aux représentants des professionnels de la santé et des patients, et **engage** avec eux des discussions préliminaires, **le cas échéant en invoquant le mécanisme de consultation de l'article 162.**

Or. en

Justification

Les autorités de réglementation des médicaments doivent avoir la flexibilité nécessaire pour transcender les exigences législatives et collaborer avec les développeurs pour établir les

critères de preuves nécessaires afin de garantir des produits de haute qualité, sûrs et efficaces pour les patients. La disposition relative au bac à sable réglementaire apporte une solution à ce problème. Toutefois, les propositions de la Commission concernant un bac à sable réglementaire se limitent aux produits pharmaceutiques. Alors que les produits innovants se mélangent de plus en plus aux dispositifs médicaux, aux diagnostics et aux outils numériques, chacun régi par des cadres distincts, il est impératif d'élargir la portée du bac à sable.

Amendement 27

Proposition de règlement Article 113 – paragraphe 4 – alinéa 1

Texte proposé par la Commission

Lorsque l'Agence estime qu'il convient de mettre en place un bac à sable réglementaire pour les médicaments **susceptibles de relever du champ d'application du présent règlement**, elle adresse une recommandation à la Commission. L'Agence dresse la liste des médicaments ou catégories de médicaments concernés dans cette recommandation et inclut le plan de bac à sable visé au paragraphe 1.

Amendement

Lorsque l'Agence estime qu'il convient de mettre en place un bac à sable réglementaire pour les **produits susceptibles d'être régulés comme des médicaments (y compris les médicaments de thérapie innovante), des dispositifs médicaux et de diagnostic in vitro ou des substances d'origine humaine**, elle adresse une recommandation à la Commission, **le cas échéant en invoquant le mécanisme de consultation de l'article 162**. L'Agence dresse la liste des médicaments ou catégories de médicaments concernés dans cette recommandation et inclut le plan de bac à sable visé au paragraphe 1.

Or. en

Justification

Les autorités de réglementation des médicaments doivent avoir la flexibilité nécessaire pour transcender les exigences législatives et collaborer avec les développeurs pour établir les critères de preuves nécessaires afin de garantir des produits de haute qualité, sûrs et efficaces pour les patients. La disposition relative au bac à sable réglementaire apporte une solution à ce problème. Toutefois, les propositions de la Commission concernant un bac à sable réglementaire se limitent aux produits pharmaceutiques. Alors que les produits innovants se mélangent de plus en plus aux dispositifs médicaux, aux diagnostics et aux outils numériques, chacun régi par des cadres distincts, il est impératif d'élargir la portée du bac à sable.

Amendement 28

Proposition de règlement Article 113 – paragraphe 5

Texte proposé par la Commission

5. L'Agence est chargée d'élaborer un plan de bac à sable sur la base des données fournies par les développeurs de produits éligibles et à la suite de consultations appropriées. Le plan présente une justification clinique, scientifique et réglementaire de la mise en place d'un bac à sable, y compris les exigences du présent règlement, de [la directive 2001/83/CE révisée] **et** du règlement (CE) n° 1394/2007 qui ne peuvent être respectées, ainsi qu'une proposition de mesures de remplacement ou d'atténuation, le cas échéant. Le plan comprend également une proposition de calendrier pour la durée du bac à sable. Lorsqu'elle le juge opportun, l'Agence propose également des mesures visant à atténuer toute distorsion éventuelle des conditions du marché résultant de la mise en place d'un bac à sable réglementaire.

Amendement

5. L'Agence est chargée d'élaborer un plan de bac à sable sur la base des données fournies par les développeurs de produits éligibles et à la suite de consultations appropriées. Le plan présente une justification clinique, scientifique et réglementaire de la mise en place d'un bac à sable, y compris les exigences du présent règlement, de [la directive 2001/83/CE révisée], du règlement (CE) n° 1394/2007 **ainsi que d'autres dispositions législatives applicables de l'Union** qui ne peuvent être respectées, ainsi qu'une proposition de mesures de remplacement ou d'atténuation, le cas échéant. Le plan comprend également une proposition de calendrier pour la durée du bac à sable. Lorsqu'elle le juge opportun, l'Agence propose également des mesures visant à atténuer toute distorsion éventuelle des conditions du marché résultant de la mise en place d'un bac à sable réglementaire.

Or. en

Justification

Les autorités de réglementation des médicaments doivent avoir la flexibilité nécessaire pour transcender les exigences législatives et collaborer avec les développeurs pour établir les critères de preuves nécessaires afin de garantir des produits de haute qualité, sûrs et efficaces pour les patients. La disposition relative au bac à sable réglementaire apporte une solution à ce problème. Toutefois, les propositions de la Commission concernant un bac à sable réglementaire se limitent aux produits pharmaceutiques. Alors que les produits innovants se mélangent de plus en plus aux dispositifs médicaux, aux diagnostics et aux outils numériques, chacun régi par des cadres distincts, il est impératif d'élargir la portée du bac à sable.

Amendement 29

Proposition de règlement Article 113 – paragraphe 7 – point c

Texte proposé par la Commission

c) incluent dans le plan de bac à sable les exigences du présent règlement *et* de [la directive 2001/83/CE révisée] qui ne peuvent être respectées et prévoient des mesures appropriées pour atténuer les risques potentiels pour la santé et l'environnement.

Amendement

c) incluent dans le plan de bac à sable les exigences du présent règlement, de [la directive 2001/83/CE révisée], **du règlement (CE) 1397/2007 ainsi que d'autres dispositions législatives applicables de l'Union** qui ne peuvent être respectées et prévoient des mesures appropriées pour atténuer les risques potentiels pour la santé et l'environnement.

Or. en

Justification

Les autorités de réglementation des médicaments doivent avoir la flexibilité nécessaire pour transcender les exigences législatives et collaborer avec les développeurs pour établir les critères de preuves nécessaires afin de garantir des produits de haute qualité, sûrs et efficaces pour les patients. La disposition relative au bac à sable réglementaire apporte une solution à ce problème. Toutefois, les propositions de la Commission concernant un bac à sable réglementaire se limitent aux produits pharmaceutiques. Alors que les produits innovants se mélangent de plus en plus aux dispositifs médicaux, aux diagnostics et aux outils numériques, chacun régi par des cadres distincts, il est impératif d'élargir la portée du bac à sable.

Amendement 30

Proposition de règlement Article 113 – paragraphe 9

Texte proposé par la Commission

9. Lorsque, après la décision d'établir le bac à sable réglementaire conformément au paragraphe 6, des risques pour la santé sont constatés, mais que ces risques peuvent être pleinement atténués **par l'adoption de conditions supplémentaires**, la Commission peut, après consultation de l'Agence, modifier sa décision par voie d'actes d'exécution. La Commission peut

Amendement

9. Lorsque, après la décision d'établir le bac à sable réglementaire conformément au paragraphe 6, des risques pour la santé sont constatés, mais que ces risques peuvent être pleinement atténués **en adaptant les exigences et conditions applicables fixées aux paragraphes 6 et 7**, la Commission peut, après consultation de l'Agence, modifier sa décision par voie

également prolonger la durée d'un bac à sable réglementaire par voie d'actes d'exécution. Ces actes d'exécution sont adoptés en conformité avec la procédure d'examen visée à l'article 173, paragraphe 2.

d'actes d'exécution. La Commission peut également prolonger la durée d'un bac à sable réglementaire par voie d'actes d'exécution. Ces actes d'exécution sont adoptés en conformité avec la procédure d'examen visée à l'article 173, paragraphe 2.

Or. en

Justification

Les autorités de réglementation des médicaments doivent avoir la flexibilité nécessaire pour transcender les exigences législatives et collaborer avec les développeurs pour établir les critères de preuves nécessaires afin de garantir des produits de haute qualité, sûrs et efficaces pour les patients. La disposition relative au bac à sable réglementaire apporte une solution à ce problème. Toutefois, les propositions de la Commission concernant un bac à sable réglementaire se limitent aux produits pharmaceutiques. Alors que les produits innovants se mélangent de plus en plus aux dispositifs médicaux, aux diagnostics et aux outils numériques, chacun régi par des cadres distincts, il est impératif d'élargir la portée du bac à sable.

Amendement 31

Proposition de règlement Article 114 – paragraphe 3

Texte proposé par la Commission

3. Dans des cas dûment justifiés, l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament développé dans le cadre d'un bac à sable réglementaire peut comporter des dérogations aux exigences énoncées dans le présent règlement *et* dans [la directive 2001/83/CE révisée]. Ces dérogations peuvent entraîner l'adaptation, le renforcement, l'abrogation ou le report des exigences. Chaque dérogation est limitée à ce qui est judicieux et strictement nécessaire pour atteindre les objectifs poursuivis, dûment justifiés et précisés dans les conditions de l'autorisation de mise sur le marché.

Amendement

3. Dans des cas dûment justifiés, l'autorisation de mise sur le marché d'un médicament développé dans le cadre d'un bac à sable réglementaire peut comporter des dérogations aux exigences énoncées dans le présent règlement, dans [la directive 2001/83/CE révisée], ***dans le règlement (CE) 1394/2007 et dans d'autres dispositions législatives applicables de l'Union.*** Ces dérogations peuvent entraîner l'adaptation, le renforcement, l'abrogation ou le report des exigences. Chaque dérogation est limitée à ce qui est judicieux et strictement nécessaire pour atteindre les objectifs poursuivis, dûment justifiés et précisés dans les conditions de l'autorisation de mise sur le marché.

Justification

La modification proposée vise à assurer la cohérence des termes utilisés dans les dispositions.

Amendement 32

Proposition de règlement

Article 115 – paragraphe 1 – alinéa 1

Texte proposé par la Commission

Les bacs à sable réglementaires n'ont pas d'incidence sur les pouvoirs des autorités compétentes en matière de contrôle et de mesures correctives. En cas de constat de risques pour la santé publique ou de problèmes de sécurité liés à l'utilisation de produits relevant d'un bac à sable réglementaire, les autorités compétentes prennent des mesures temporaires immédiates et adéquates afin **de suspendre** ou de restreindre leur utilisation et en informent la Commission conformément à l'article 113, paragraphe 2.

Amendement

Les bacs à sable réglementaires n'ont pas d'incidence sur les pouvoirs des autorités compétentes en matière de contrôle et de mesures correctives. En cas de constat de risques pour la santé publique ou de problèmes de sécurité liés à l'utilisation de produits relevant d'un bac à sable réglementaire, les autorités compétentes prennent des mesures temporaires immédiates et adéquates afin **d'interrompre** ou de restreindre leur utilisation et en informent la Commission conformément à l'article 113, paragraphe 2.

Justification

La modification proposée vise à assurer la cohérence des termes utilisés dans les dispositions.

Amendement 33

Proposition de règlement

Article 115 – paragraphe 1 – alinéa 2

Texte proposé par la Commission

Lorsque ces mesures d'atténuation ne sont pas possibles ou se révèlent inefficaces, le processus de développement et d'essai est

Amendement

Lorsque ces mesures d'atténuation ne sont pas possibles ou se révèlent inefficaces, le processus de développement et d'essai est

suspendu sans délai jusqu'à ce que des mesures d'atténuation efficaces soient prises.

suspendu sans **aucun** délai jusqu'à ce que des mesures d'atténuation efficaces soient prises.

Or. en

Justification

La modification proposée vise à assurer la cohérence des termes utilisés dans les dispositions.

Amendement 34

Proposition de règlement Article 116 – paragraphe 1 – point d

Texte proposé par la Commission

d) une perturbation temporaire de la fourniture d'un médicament dans un État membre donné, d'une durée prévue supérieure à deux semaines ou, sur la base de ses prévisions de demande, au moins **six** mois avant le début de cette perturbation temporaire de la fourniture ou, si cela n'est pas possible et si cela est dûment justifié, dès qu'il a connaissance de cette perturbation temporaire, afin de permettre à l'État membre de surveiller toute pénurie potentielle ou réelle conformément à l'article 118, paragraphe 1.

Amendement

d) une perturbation temporaire de la fourniture d'un médicament dans un État membre donné, d'une durée prévue supérieure à deux semaines ou, sur la base de ses prévisions de demande, au moins **trois** mois avant le début de cette perturbation temporaire de la fourniture ou, si cela n'est pas possible et si cela est dûment justifié, dès qu'il a connaissance de cette perturbation temporaire, afin de permettre à l'État membre de surveiller toute pénurie potentielle ou réelle conformément à l'article 118, paragraphe 1.

Or. en

Justification

Des rapports efficaces et harmonisés sur les pénuries ne devraient pas prolonger indûment le délai de notification des pénuries temporaires. La prolongation du délai de notification est susceptible d'entraîner une augmentation du nombre de notifications concernant d'éventuelles perturbations temporaires de l'approvisionnement qui pourraient ne pas se traduire par de réelles pénuries, compliquant ainsi la détection de pénuries réelles. Plutôt que de prolonger de manière excessive le délai de notification, il est crucial d'harmoniser les rapports sur les interruptions d'approvisionnement et de définir les pénuries et les interruptions d'approvisionnement de manière uniforme dans toute l'Union.

Amendement 35

Proposition de règlement Article 117 – paragraphe 1

Texte proposé par la Commission

1. Le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché, au sens de l'article 116, paragraphe 1, établit et tient à jour un plan de prévention des pénuries pour tout médicament ***mis sur le marché***. Le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché établit le plan de prévention des pénuries en y incluant l'ensemble minimal d'informations prévu dans la partie V de l'annexe IV, et en tenant compte des lignes directrices élaborées par l'Agence conformément au paragraphe 2.

Amendement

1. Le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché, au sens de l'article 116, paragraphe 1, établit et tient à jour un plan de prévention des pénuries pour tout médicament ***placé sur la liste de l'Union des médicaments critiques visée à l'article 131***. Le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché établit le plan de prévention des pénuries en y incluant l'ensemble minimal d'informations prévu dans la partie V de l'annexe IV, et en tenant compte des lignes directrices élaborées par l'Agence conformément au paragraphe 2.

Or. en

Justification

Les plans actuels de prévention des pénuries s'avèrent être une méthode efficace pour éviter les pénuries. Toutefois, imposer cette exigence pour les médicaments non critiques constitue une charge importante tant pour les fabricants que pour les autorités compétentes, qui pourrait devenir disproportionnée. Pour garantir la sécurité de l'approvisionnement en médicaments en Europe, une stratégie plus efficace implique une stratégie fondée sur les risques et axée sur les produits critiques. Cette stratégie conduit à l'élaboration de plans de prévention des pénuries sur mesure pour des produits vitaux grâce à un processus collaboratif dans un format normalisé.

Amendement 36

Proposition de règlement Article 122 – paragraphe 6

Texte proposé par la Commission

6. Aux fins de la mise en œuvre du présent règlement, l'Agence élargit le champ d'application de la plateforme européenne de surveillance des pénuries. L'Agence garantit, ***s'il y a lieu***,

Amendement

6. Aux fins de la mise en œuvre du présent règlement, l'Agence élargit le champ d'application de la plateforme européenne de surveillance des pénuries. L'Agence garantit l'interopérabilité des

l'interopérabilité des données entre la plateforme européenne de surveillance des pénuries, les systèmes informatiques des États membres et d'autres systèmes et bases de données informatiques pertinents, sans double notification.

données entre la plateforme européenne de surveillance des pénuries, les systèmes informatiques ***de réglementation et de notification des pénuries*** des États membres et d'autres systèmes et bases de données informatiques pertinents, ***y compris le système de répertoires contenant des informations sur les dispositifs de sécurité visé à l'article 67, paragraphe 2, alinéa 2, point e), de la proposition de directive 2023/0132 (COD)***, sans double notification ***pour les titulaires d'autorisations de mise sur le marché et les autorités compétentes nationales.***

Or. en

Justification

L'Europe devrait s'efforcer de mettre en place un système interopérable et rationalisé pour la déclaration des données réglementaires sur les médicaments et des pénuries, en évitant les déclarations redondantes de la part des titulaires d'autorisations de mise sur le marché et des autorités compétentes nationales. Cette stratégie réduit au minimum les disparités en matière de données entre l'Agence européenne des médicaments et les agences nationales des médicaments et réduit les charges administratives inutiles pour les autorités et les titulaires d'autorisations de mise sur le marché, qui sont souvent confrontés à des contraintes de ressources.

ANNEX: LIST OF ENTITIES OR PERSONS
FROM WHOM THE RAPPORTEUR HAS RECEIVED INPUT

The following list is drawn up under the exclusive responsibility of the rapporteur. The rapporteur has received input from the following entities or persons in the preparation of the draft opinion:

Entity and/or person
Bayer
The European Confederation of Pharmaceutical Entrepreneurs (EUCOPE)
The European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA)
The Finnish Medicines Agency Fimea
University of Helsinki
Novartis
Orion
Permanent representation of Finland to the EU
Pharma Industry Finland
Boehringer Ingelheim