



Bruxelles, le 11.8.2020  
SWD(2020) 164 final

**DOCUMENT DE TRAVAIL DES SERVICES DE LA COMMISSION**

**RÉSUMÉ DE L'ÉVALUATION**

**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) no 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins**

{SEC(2020) 291 final} - {SWD(2020) 163 final}

## 1. CONTEXTE

Dans les années 1980 et 1990, le manque de traitements satisfaisants pour les patients atteints de maladies rares et pour les enfants a commencé à alerter l'opinion publique européenne.

Investir dans le développement de médicaments pour le traitement de maladies rares et de médicaments pédiatriques n'était pas suffisamment attrayant pour l'industrie pharmaceutique et bien souvent, les médecins spécialisés et les pédiatres ne disposaient pas des médicaments appropriés. En 2000 et 2007, l'UE a donc introduit deux règlements visant à favoriser le développement de médicaments pour le traitement des maladies rares<sup>1</sup> et de médicaments destinés aux enfants<sup>2</sup>.

Les résultats de l'évaluation guideront la réflexion sur les éventuelles modifications à apporter au cadre législatif. Ils seront pris en compte également dans la stratégie pharmaceutique de l'UE, dont l'objectif est d'améliorer et d'accélérer l'accès des patients à des médicaments sûrs, efficaces et abordables ainsi que de soutenir l'innovation dans le secteur pharmaceutique européen.

## 2. ÉVALUATION

L'évaluation analyse les points forts et les points faibles des deux règlements sur les périodes 2000-2017 (médicaments pour le traitement des maladies rares) et 2007-2017 (médicaments destinés aux enfants). Elle fait suite à une analyse factuelle du fonctionnement des deux instruments, du point de vue de la santé publique et dans une perspective socio-économique. Les deux règlements sont évalués conjointement étant donné que la majorité des maladies rares peuvent déjà apparaître chez les enfants et qu'à l'inverse, de nombreuses maladies de l'enfance sont rares.

Les résultats de trois études indépendantes<sup>3</sup> mais aussi de rapports de la Commission européenne<sup>4</sup> et de l'Agence européenne des médicaments<sup>5</sup> ont été pris en compte. L'évaluation a également collecté des informations auprès de toutes les parties intéressées, dans le cadre d'ateliers et de consultations, publiques ou ciblées. Une triangulation des informations a été recherchée, moyennant l'utilisation de sources différentes et l'inclusion d'un grand nombre de parties prenantes. Toutefois, dans certains domaines, les preuves

---

<sup>1</sup> Règlement (CE) n°141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins.

<sup>2</sup> 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° 726/200.

<sup>3</sup> Étude des effets économiques du règlement pédiatrique, dont ses récompenses et mesures d'incitation; rapport d'étude sur les médicaments orphelins (2019); étude des effets économiques des certificats complémentaires de protection, ainsi que des récompenses et mesures d'incitation dans le domaine pharmaceutique en Europe (2018).

<sup>4</sup> Rapport de la Commission sur le règlement pédiatrique, COM (2017) 626.

<sup>5</sup> Rapport général sur l'expérience acquise à la suite de l'application du règlement pédiatrique (rapport décennal de l'EMA à la Commission européenne, 2017); rapport général sur l'expérience acquise à la suite de l'application du règlement pédiatrique (rapport quinquennal de l'EMA à la Commission européenne, 2012) et rapports annuels de l'Agence.

disponibles sont moins solides que dans d'autres. C'est le cas notamment pour le scénario de référence et pour l'évaluation coûts/avantages.

### 3. PRINCIPALES CONCLUSIONS

L'évaluation a montré que les deux règlements avaient **favorisé le développement et la disponibilité** des médicaments destinés aux patients atteints de maladies rares et des médicaments pédiatriques. Grâce aux mesures d'incitation, aux obligations et aux récompenses prévues, ils ont réorienté des investissements privés et publics vers des domaines qui étaient auparavant négligés. Compte tenu du petit nombre de patients concernés et de la fragmentation du marché, les États membres n'auraient pas réussi à obtenir ces résultats à eux seuls.

Les actes législatifs ont été complétés par un certain nombre de programmes de recherche dans le domaine des maladies rares tant au niveau européen qu'au niveau national. Les informations disponibles ne permettent pas toutefois d'établir un lien direct entre le financement public et les médicaments effectivement mis au point.

Le nombre de médicaments destinés aux patients atteints de maladies rares et de médicaments pédiatriques a augmenté. Ces médicaments dits «orphelins» sont en outre disponibles plus rapidement et sont prescrits à un plus grand nombre de patients dans les États membres. De même, le règlement relatif aux médicaments pédiatriques a permis d'augmenter le nombre d'essais cliniques chez les enfants et, par conséquent, de mettre au point de nouveaux médicaments pédiatriques. Il a permis de réduire chez l'enfant l'utilisation «hors RCP» de médicaments destinés aux adultes, qui n'ont pas été spécifiquement testés ou adaptés pour une utilisation pédiatrique, et a favorisé la création d'un «environnement de recherche pédiatrique» en Europe.

Néanmoins, les deux règlements n'ont pas réussi à soutenir de manière satisfaisante le **développement dans des domaines où les besoins de médicaments sont les plus importants**. Les produits ont tendance à être développés dans certains domaines thérapeutiques plus rentables, où le nombre de traitements disponibles est en augmentation.

L'évaluation pose la question de savoir si le seuil de moins de 5 patients sur 10 000 est le critère approprié pour déterminer les maladies rares qui ont besoin d'un soutien spécifique en matière de développement de médicaments. Les avancées scientifiques, telles que la médecine personnalisée et l'utilisation de biomarqueurs pourraient ajouter à la complexité du cadre réglementaire actuel. Si ces évolutions sont très prometteuses quand il s'agit d'adapter de manière optimale le traitement à la maladie, il convient d'éviter qu'elles ne contribuent à ce qu'un trop grand nombre de maladies courantes obtiennent le statut de maladies rares ou encore qu'elles fassent exploser le nombre de périodes d'exclusivité accordées.

Le règlement concernant les médicaments orphelins peut également soutenir des produits (comme les antibiotiques) pour lesquels les entreprises ne peuvent pas s'attendre à un retour sur investissement suffisant. Toutefois, cette possibilité était difficile à mettre en œuvre et n'a jamais été utilisée.

Le règlement relatif aux médicaments à usage pédiatrique oblige les entreprises à tester les nouveaux médicaments chez l'enfant, mais n'a pas d'instrument spécifique pour orienter le développement vers les domaines d'intérêt pédiatrique. Le développement de nouveaux

médicaments destinés aux enfants reste donc axé sur les besoins des adultes et ne répond pas nécessairement aux besoins thérapeutiques essentiels des enfants (comme le traitement des cancers infantiles et les traitements pour les nouveau-nés).

L'évaluation a montré que des **mesures d'incitation** demeuraient pertinentes pour encourager le développement de médicaments pour le traitement des maladies rares. Toutefois, pour certaines de ces maladies, le marché commence à se rapprocher de celui des médicaments «standard». On pourrait dès lors se demander si une exclusivité commerciale de 10 ans est justifiée. Le règlement concernant les médicaments orphelins permet un raccourcissement de la période d'exclusivité commerciale lorsqu'un médicament devient un succès commercial. Dans la pratique, les États membres n'ont pas déclenché la procédure parce qu'il est trop difficile de fournir les preuves requises.

Pour les médicaments pédiatriques, le coût de la réalisation d'études cliniques chez les enfants peut être compensé par une extension du brevet (certificat complémentaire de protection). Si cette récompense remplit partiellement son rôle, elle ne s'est pas avérée efficace pour stimuler la mise au point de médicaments dont le développement pour un usage destiné aux adultes n'est pas attrayant. Il peut s'avérer difficile d'obtenir cette extension, dans la mesure où les entreprises doivent en faire la demande individuellement auprès des différents offices nationaux des brevets.

Les incitations et les récompenses prévues par les deux règlements ont un coût. L'évaluation a montré que les deux règlements avaient augmenté les coûts des **systèmes de soins de santé**. Toutefois, grâce aux médicaments pour le traitement des maladies rares, les patients concernés ont bénéficié d'une amélioration de leur qualité de vie. Pour ce qui est des enfants, les avantages liés à la législation semblent l'emporter sur les coûts imposés tant à l'industrie qu'à la société.

L'évaluation a également montré que les médicaments qui ont été mis au point grâce aux deux règlements ne sont pas accessibles aux patients de la même manière dans tous les États membres. Cette situation est principalement due à des facteurs qui n'entrent pas dans le champ d'application des règlements, comme les décisions stratégiques des entreprises pharmaceutiques au sujet du lancement et les systèmes nationaux de tarification et de remboursement.

Pour les deux règlements, certaines inefficacités et conséquences indésirables ont été observées. Pour remédier à ces insuffisances, il faudra trouver un équilibre entre la nécessité d'encourager l'innovation et celle de garantir la disponibilité et l'accessibilité des médicaments orphelins et médicaments pédiatriques. Ces aspects sont étroitement liés aux objectifs clés de la stratégie pharmaceutique pour l'Europe, qui inclut ces règlements. La stratégie vise à créer un cadre réglementaire à l'épreuve du temps moyennant une réflexion globale sur le secteur pharmaceutique.