



Bruxelles, le 10.7.2013  
SWD(2013) 246 final

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

**RÉSUMÉ DE L'ANALYSE D'IMPACT**

**accompagnant le document:**

**Proposition de**

**RÈGLEMENT DU CONSEIL**

**relatif à l'entreprise commune Initiative en matière de médicaments innovants 2**

{ COM(2013) 495 final }

{ SWD(2013) 245 final }

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

### **RÉSUMÉ DE L'ANALYSE D'IMPACT**

**accompagnant le document:**

**Proposition de**

**RÈGLEMENT DU CONSEIL**

**relatif à l'entreprise commune Initiative en matière de médicaments innovants 2**

Le présent document résume l'analyse d'impact de l'initiative technologique conjointe en matière de médicaments innovants (IMI), constituée en entreprise commune au titre du 7<sup>e</sup> programme-cadre de recherche. La proposition a été élaborée dans le contexte du cadre financier pluriannuel de l'Union pour la période 2014-2020, et contribuera à la mise en œuvre du prochain programme-cadre de l'Union européenne pour la recherche et l'innovation, Horizon 2020.

#### **1. DEFINITION DU PROBLEME**

##### **1.1. Problème à résoudre**

Le vieillissement de la population augmente la charge des maladies chroniques et dégénératives, ce qui renforce la pression sur les systèmes de santé et de soins, alors que la situation des finances publiques est tendue. Une part importante de la solution réside dans la prise de mesures efficaces. Or, le rôle de la recherche et du développement (R&D) dans la mise au point de thérapies est en recul, les incitations en faveur de certaines catégories de thérapies (les antibiotiques, par exemple) sont quasi absentes et des problèmes structurels entravent la coopération pluridisciplinaire, pourtant nécessaire pour résoudre les problèmes scientifiques complexes caractéristiques de ce domaine. L'inaction n'est dans l'intérêt ni de la santé publique en Europe, ni de la compétitivité de l'Union européenne.

Le processus de développement de thérapies est coûteux, de nombreux essais étant nécessaires avant l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché. Il arrive souvent que ces essais révèlent que le traitement en question est inadéquat, l'investissement étant alors perdu. Les fabricants sont donc incités à investir dans le développement de thérapies qui ont de plus grandes chances de réussite, du fait de leur similitude avec des thérapies existantes ou de leur rentabilité potentielle très élevée. Bien qu'elles respectent la logique commerciale, ces décisions ne sont pas forcément dans l'intérêt général des citoyens de l'Union européenne.

##### **1.2. Causes principales du problème**

La faiblesse relative de l'investissement dans le secteur de la biotechnologie (par rapport aux régions concurrentes), combinée à un modèle d'innovation fragmenté et fermé pour la mise au point de médicaments en Europe et à la complexité du processus, a un effet dissuasif sur la prise de risque par l'industrie. La nature des défis scientifiques est telle que les données doivent être partagées entre les différentes parties prenantes. Sans un cadre autorisant ce partage dans un environnement contrôlé, la coopération n'aura pas lieu.

##### **1.3. Justification de l'intervention des pouvoirs publics**

Un environnement contrôlé ne peut se développer naturellement dans un environnement commercial, ni être créé par le seul secteur public. Il ne peut être mis en œuvre que par le biais d'une coopération publique dans le cadre de laquelle les différents acteurs (les universités, l'industrie, les PME, les cliniciens, les autorités réglementaires et les patients) partagent ressources, données et expertise, tout en veillant à ce que les fruits de leur

collaboration soient partagés, les risques et les coûts réduits et la productivité accrue. La création d'un tel environnement de partage des risques permettra de réduire les taux d'échec et incitera à tester un éventail plus large de thérapies dans l'intérêt de toutes les parties concernées, à la fois en termes de promotion de la santé publique et de protection légitime des intérêts commerciaux.

#### **1.4. Droit de l'UE à agir et application du principe de subsidiarité**

L'Union européenne a qualité pour agir dans ce domaine en vertu de l'article 187 du traité sur le fonctionnement de l'UE, qui autorise l'Union à créer «des entreprises communes ou toute autre structure nécessaire à la bonne exécution des programmes de recherche, de développement technologique et de démonstration de l'Union».

##### *1.4.1. L'intervention publique requise ne peut être réalisée qu'au niveau européen*

Les mesures envisagées au niveau de l'UE pour soutenir la coopération transnationale et transsectorielle entre les entreprises sur les programmes stratégiques de recherche contribueront à l'obtention d'une «masse critique», notamment grâce à l'établissement de programmes communs, à la mobilisation de fonds supplémentaires et à un plus grand effet de levier sur les investissements industriels en R&D.

##### *1.4.2. Investir au niveau de l'UE peut générer des économies dans les coûts des soins et des services de santé*

Le programme de recherche débouchera sur une meilleure classification des maladies, ce qui améliorera de manière significative les diagnostics et les traitements. Les patients ne seront dès lors pas exposés inutilement aux effets néfastes de traitements inefficaces durant leur phase de développement clinique ou leur utilisation médicale. Dans ce dernier cas, des économies ont été réalisées en abandonnant des traitements inefficaces ou inappropriés. Par exemple, une analyse effectuée en France a démontré les avantages financiers du diagnostic moléculaire chez les patients atteints de cancer. Il a ainsi été possible d'économiser 34 millions d'euros en investissant 1,7 million d'euros dans le diagnostic moléculaire, qui a permis d'éviter d'administrer le médicament Iressa® aux patients chez qui il est inopérant. La classification des maladies chroniques devrait permettre de réaliser des économies encore plus importantes.

#### **1.5. Réalisations de l'actuelle IMI**

L'entreprise commune IMI a produit un certain nombre de résultats importants:

- effet de levier considérable sur les investissements industriels en R&D grâce à une contribution d'1 milliard d'euros de la Commission européenne et à une contribution en nature d'1 milliard d'euros de la Fédération européenne des associations de l'industrie pharmaceutique (EFPIA);
- coopération renforcée - l'entreprise commune IMI réunit de grandes industries, des PME et des organismes de recherche de toute l'Union européenne;
- production commune de programmes stratégiques de recherche complets et coordination des autres politiques grâce à la participation d'associations de patients et d'organismes de réglementation;
- modèle d'innovation ouverte — l'entreprise commune IMI a contribué à la transition d'un modèle d'innovation fermée à un modèle d'innovation ouverte dans la recherche biomédicale et pharmaceutique.

## **1.6. Leçons tirées de l'IMI**

En dépit de ces réalisations, la mise en œuvre de l'IMI et l'évaluation intermédiaire 2011 ont révélé un certain nombre d'insuffisances:

- les instruments juridiques utilisés pour la mise en place des initiatives technologiques conjointes (ITC), et notamment leur statut d'organes de l'Union, doivent être assouplis;
- les règles de participation appliquées aux et par les entreprises communes mettant en œuvre les ITC, parce qu'elles tiennent compte des besoins des différents partenaires, ajoutent à la complexité de l'initiative;
- il convient d'améliorer le suivi et l'évaluation de la réalisation des objectifs fixés dans le programme stratégique de recherche et dans les plans de travail techniques;
- la coordination horizontale des politiques doit être renforcée [par exemple, les possibilités de consulter l'Agence européenne des médicaments (EMA) devraient être pleinement exploitées];
- la communication interne et externe doit être renforcée.

Les insuffisances constatées découlent de la conception initiale et constituent un point de départ pour améliorer la conception de l'entreprise commune IMI dans le cadre d'Horizon 2020.

## **2. OBJECTIFS**

Les objectifs généraux et spécifiques qui ont été définis reposent sur les résultats de la consultation publique, sur les problèmes, les facteurs et les résultats, ainsi que sur les enseignements tirés de l'IMI.

### **2.1. Objectifs généraux**

L'objectif global est d'améliorer la santé et le bien-être des citoyens européens en fournissant de nouveaux diagnostics et traitements plus efficaces, tout en contribuant à assurer l'avenir de la compétitivité internationale des industries européennes actives dans la biopharmacie et les sciences du vivant (diagnostics, vaccins, imagerie biomédicale et technologies de l'information dans le domaine médical). L'entreprise commune IMI2 mettra en œuvre les objectifs d'Horizon 2020, notamment tels qu'ils sont définis dans le défi de société «santé, évolution démographique et bien-être», et répondra aux enjeux de santé publique définis dans le rapport de l'Organisation mondiale de la santé sur les médicaments prioritaires pour l'Europe et le monde.

### **2.2. Objectifs opérationnels**

Les objectifs de la présente initiative sont les suivants:

- mettre à disposition des structures facilitant les partenariats tout au long du cycle de recherche et d'innovation dans les sciences du vivant (notamment de la découverte initiale au développement de produit et aux activités de recherche et de surveillance dans le cadre de la pharmacovigilance), dans une architecture de collaboration efficace et orienté vers l'innovation, visant à optimiser la recherche et l'innovation dans les sciences du vivant en matière de diagnostic, de prévention et d'agents et méthodes thérapeutiques, et d'aide à l'élaboration d'une réglementation fondée sur des données scientifiques;

- mettre en place des réseaux d'innovation ouverte tout au long du cycle d'innovation des activités de recherche et des technologies médicales nouvelles, en regroupant les institutions publiques de recherche, les universités, les industries actives dans les sciences du vivant, les PME, les associations de patients, les autorités réglementaires, les bailleurs de fonds, les autorités sanitaires publiques et le secteur de la santé animale;
- réduire le morcellement de la recherche et de l'innovation et accroître le niveau des dépenses du secteur privé en Europe;
- établir et appliquer un programme stratégique dans une structure paneuropéenne disposant de la masse critique et du budget nécessaires, garantir la continuité et permettre aux industries des sciences du vivant d'élaborer des plans d'investissement à long terme;
- faciliter les activités de recherche qui fournissent des preuves plus en amont dans le processus de mise au point des médicaments et vaccins, par le biais de mécanismes de partage des risques.

### **2.3. Objectifs spécifiques**

Les objectifs spécifiques sont les suivants:

- améliorer de 30 % d'ici à 2020 le taux de réussite des essais cliniques pour les maladies recensées dans le rapport de l'OMS sur les médicaments prioritaires pour l'Europe et le monde;
- réduire à cinq années le délai nécessaire pour atteindre la validation clinique des concepts pour les maladies immunologiques, respiratoires, neurologiques et neurodégénératives;
- mettre au point au moins deux nouveaux médicaments pour des maladies caractérisées par d'importants besoins non satisfaits, et dans des domaines peu encouragés par le marché: la résistance aux antimicrobiens (deux nouvelles classes dans les 30 dernières années), ou la maladie d'Alzheimer (au total, seuls deux traitements à l'efficacité limitée ont été développés à ce jour);
- développer des marqueurs diagnostiques pour quatre maladies (parmi celles susmentionnées) clairement liés à la pertinence clinique et approuvés par les autorités réglementaires;
- développer un modèle d'infrastructure global et transparent destiné à recueillir des données sur l'incidence des maladies et sur la charge médicale et socioéconomique des principales maladies infectieuses;
- développer de nouveaux biomarqueurs testés permettant de prévoir l'efficacité et la sécurité des vaccins (deux marqueurs chacun) en amont du processus, améliorer le dépistage à candidats multiples pour parvenir à réduire de 50% le taux d'échec en phase III des essais cliniques;
- mettre au point deux nouveaux adjuvants à usage humain pour améliorer la réponse immunitaire de l'organisme aux vaccins, en particulier chez certains groupes-cibles bien précis, comme les personnes âgées et les non-répondants;
- trouver, pour deux maladies infectieuses principales et deux types de cancer ou de troubles chroniques (par exemple, les maladies auto-immunes), au moins: deux nouveaux modèles prédictifs d'efficacité et deux nouveaux modèles prédictifs de sécurité;

- renforcer le lien entre les filières humaine et vétérinaire dans la recherche sur les vaccins.

### 3. OPTIONS STRATEGIQUES

L'analyse d'impact a porté sur quatre grandes options stratégiques:

1. Statu quo: poursuite de l'actuelle ITC IMI dans le cadre d'Horizon 2020, gérée par l'entreprise commune. Dans cette option, l'IMI reste axée sur la création d'un système collaboratif R&D biomédicale en Europe et sur l'accélération de la mise au point de médicaments plus efficaces et plus sûrs pour les patients.
2. Pas de partenariat public-privé (PPP) ou «option zéro»: utilisation des projets collaboratifs Horizon 2020 uniquement. Cette option facilite la formulation d'objectifs communs au niveau des projets, mais ne favorise pas l'exécution transversale des programmes stratégiques entre projets. La participation de l'industrie s'effectue projet par projet.
3. PPP de type contractuel pour exécuter les actions d'Horizon 2020 qui s'inscrivent dans le cadre du défi de société «santé, évolution démographique et bien-être». Dans le cadre de cette option, un accord de partenariat industriel est conclu et l'industrie propose une stratégie et prodigue des conseils sur les programmes de travail. Alors que l'engagement et la contribution de l'UE sont fixés lors du lancement du PPP, les montants du financement et les thèmes sont soumis à approbation dans le cadre d'un programme de travail annuel.
4. ITC modernisée: étend les objectifs et les activités de l'entreprise commune IMI conformément aux objectifs d'Horizon 2020; élargit le champ d'application de l'actuel programme et améliore sa gouvernance.

### 4. ANALYSE DES INCIDENCES ET COMPARAISON DES OPTIONS

Les quatre options envisagées ont été comparées selon une série de paramètres clés permettant d'évaluer l'intervention publique dans la recherche et l'innovation dans le domaine des sciences du vivant.

Le résultat de cette comparaison montre que l'option privilégiée est celle de l'«ITC modernisée». En effet, elle permet d'obtenir une masse critique au niveau du programme et des projets; elle favorise l'excellence scientifique dans la recherche en biopharmacie et sciences du vivant, ce qui a une incidence sur l'innovation, et est portée par un soutien financier de l'idée scientifique à la mise sur le marché, par une plus forte orientation sur les résultats et par une meilleure diffusion des résultats de la recherche. L'impact plus important en termes de sciences et d'innovation se traduit par des effets plus marqués en aval, en ce qui concerne l'économie, la compétitivité, la société et la santé publique. Cette option permet une plus grande flexibilité et une réduction des coûts administratifs pour les candidats et les participants, et les entités bénéficiant d'un financement public, telles que les universités et les PME, bénéficient de la simplification administrative. Elle maximise en outre le rapport coût-efficacité.

L'«option zéro» rend difficile l'exécution transversale des programmes stratégiques entre projets. La masse critique est compromise, et le niveau de flexibilité, d'accessibilité et de coordination horizontale élargie des politiques est inférieur à celui atteint par l'option «ITC modernisée». Cela se traduirait par des effets moins marqués en termes économiques et sociaux ainsi qu'en matière de compétitivité et de santé publique.

L'option «PPP contractuel» favorise l'exécution transversale des programmes stratégiques entre projets, mais constitue une version «allégée» du partenariat public-privé, avec un budget seulement indicatif et un engagement relativement limité de l'industrie.

*Comparaison succincte des options (incidence par rapport au scénario de statu quo)*

|  | Aucun PPP | PPP | ITC modernisée |
|--|-----------|-----|----------------|
| Incidences sur la santé publique   | --        | -   | +++            |
| Incidences sociales  | --        | -   | ++             |
| Incidences sur l'économie et la compétitivité                                    | -         | -   | ++             |
| Incidences sur l'innovation  | --        | -   | ++             |
| Masse critique des ressources  | --        | -   | +              |
| Effet de levier (mobilisation globale des ressources en recherche et innovation) | --        | -   | =              |
| Participation de l'industrie et des PME  | --        | -   | ++             |
| Programme stratégique  | --        | -   | +              |
| Résolution de la fragmentation   | -         | -   | ++             |
| Coût administratif et efficacité de la gouvernance                               | -         | --  | =              |
| Cohérence  | =         | =   | ++             |
| Efficacité   | --        | =   | ++             |

## 5. SUIVI ET EVALUATION

Un système approprié de suivi et d'évaluation mis en place au niveau des programmes et des projets, reposant sur un ensemble d'indicateurs clés de performance approuvés, permettra d'évaluer si l'entreprise commune IMI2 atteint ses objectifs, tandis que le comité directeur supervisera les travaux du directeur exécutif et du bureau du programme.

L'évaluation externe de l'ensemble du programme sera organisée par la Commission. Une évaluation intermédiaire aura lieu avant la fin de 2017 et une évaluation finale après la conclusion du programme en 2024.