



Brussel, 10.7.2013
SWD(2013) 246 final

WERKDOCUMENT VAN DE DIENSTEN VAN DE COMMISSIE

Samenvatting van de effectbeoordeling
Begeleidend document bij het
Voorstel voor een
VERORDENING VAN DE RAAD
betreffende de gemeenschappelijke onderneming voor het initiatief inzake innovatieve
geneesmiddelen 2

{ COM(2013) 495 final }

{ SWD(2013) 245 final }

WERKDOCUMENT VAN DE DIENSTEN VAN DE COMMISSIE

SAMENVATTING VAN DE EFFECTBEOORDELING

Begeleidend document bij het

Voorstel voor een

VERORDENING VAN DE RAAD

betreffende de gemeenschappelijke onderneming voor het initiatief inzake innovatieve geneesmiddelen 2

Dit document geeft een samenvatting van de effectbeoordeling voor het gezamenlijk technologie-initiatief (GTI) inzake innovatieve geneesmiddelen (IMI), dat in het kader van het zevende kaderprogramma voor onderzoek zijn beslag heeft gevonden in de vorm van een gemeenschappelijke onderneming. Dit voorstel is geformuleerd in verband met het meerjarig financieel kader van de Unie (2014-2020) en draagt bij aan de uitvoering van Horizon 2020, het volgende EU-kaderprogramma voor onderzoek en innovatie.

1. PROBLEEMOMSCHRIJVING

1.1. Het aan te pakken probleem

Als gevolg van een vergrijzende bevolking neemt de last van chronische en degeneratieve ziekten toe, waardoor de gezondheids- en zorgstelsels in een tijd van krappe overheidsfinanciën meer onder druk komen te staan. Effectieve maatregelen zijn belangrijk voor de oplossing van dit probleem. Onderzoeks- en ontwikkelingsactiviteiten (O&O) voor de ontwikkeling van therapieën nemen echter, prikkels voor bepaalde soorten therapie (bv. antibiotica) ontbreken nagenoeg en structurele problemen belemmeren de multidisciplinaire samenwerking die nodig is om de voor dit gebied kenmerkende complexe wetenschappelijke problemen op te lossen. Niet handelen is noch goed voor de Europese volksgezondheid noch voor het Europese concurrentievermogen.

Het ontwikkelen van therapieën is kostbaar en er moet een groot aantal proeven worden uitgevoerd voordat deze in de handel mogen worden gebracht. Vaak blijkt uit deze proeven dat de therapie in kwestie niet geschikt is, waardoor de investering verloren gaat. Dit zet fabrikanten ertoe aan te investeren in de ontwikkeling van therapieën die een grotere kans op succes hebben, hetzij omdat ze lijken op bestaande therapieën hetzij omdat het potentiële rendement erg hoog is. Hoewel dit zakelijk gezien een verstandige beslissing, is het niet noodzakelijkerwijs in het algemeen belang van de burgers van de EU.

1.2. De voornaamste probleemfactoren

De betrekkelijk lage investeringen in de biotechnologiesector (in vergelijking met concurrerende regio's), het versnipperde, gesloten innovatiemodel op het gebied van geneesmiddelenontwikkeling in Europa en de complexiteit van het proces ontmoedigen het nemen van risico's door bedrijven. Daarnaast zijn de wetenschappelijke uitdagingen dusdanig dat de gegevens tussen diverse belanghebbenden moeten worden gedeeld. Zonder een kader

dat het delen van gegevens in een gecontroleerde omgeving mogelijk maakt, blijft samenwerking uit.

1.3. Noodzaak van overheidsoptreden

In het bedrijfsleven ontstaat een gecontroleerde omgeving niet uit zichzelf en de overheidssector kan deze ook niet alleen tot stand brengen. Een dergelijke omgeving kan alleen tot stand worden gebracht door middel van publieke samenwerking, waarbij de diverse spelers (uit de academische wereld, het bedrijfsleven, kleine en middelgrote ondernemingen (hierna "kmo's" genoemd, klinici, toezichthouders en patiënten) middelen, gegevens en deskundigheid delen en er tegelijkertijd voor zorgen dat de vruchten van hun samenwerking gedeeld, de risico's en de kosten verminderd en de productiviteit verhoogd worden. De totstandbrenging van een dergelijke omgeving waarin risico's worden gedeeld zal leiden tot een afname van het aantal mislukkingen en de instellingen die de proeven uitvoeren zullen eerder geneigd zijn om een grotere verscheidenheid aan therapieën te testen. Dat komt alle belanghebbenden ten goede, omdat hierbij niet alleen de volksgezondheid wordt bevorderd maar ook legitieme commerciële belangen worden beschermd.

1.4. Het recht van de EU om op te treden en de toepassing van het subsidiariteitsbeginsel

Artikel 187 van het Verdrag betreffende de werking van de Europese Unie verleent de EU het recht om op te treden in dezen door "gemeenschappelijke ondernemingen of andere structuren in het leven [te] roepen die noodzakelijk zijn voor de goede uitvoering van programma's voor onderzoek en technologische ontwikkeling en demonstratie in de Unie".

1.4.1. De vereiste overheidsmaatregelen kunnen alleen op Europees niveau worden uitgevoerd

Maatregelen op EU-niveau ter ondersteuning van transnationale en sectoroverschrijdende samenwerking tussen bedrijven ten aanzien van strategische onderzoeksagenda's helpen om "kritische massa" te genereren, met name door vaststelling van gemeenschappelijke agenda's, mobilisatie van aanvullende financiering en een grotere hefboomwerking ten aanzien van investeringen in O&O vanuit de industrie.

1.4.2. Investerings op EU-niveau kunnen besparingen opleveren op de kosten van de gezondheidszorg en daarmee verband houdende diensten

Het onderzoeksprogramma zal leiden tot een betere classificatie van ziekten, en daarmee tot betere diagnoses en behandelingen. Op die manier wordt voorkomen dat patiënten tijdens de klinische ontwikkeling of de medische praktijk onnodig worden blootgesteld aan de nadelige gevolgen van niet-werkzame behandelingen. In het laatste geval zijn besparingen verwezenlijkt door niet-werkzame of inadequate behandelingen stop te zetten. Uit een in Frankrijk uitgevoerde analyse is bijvoorbeeld gebleken dat moleculaire diagnose van kanker financieel voordeel oplevert. Door 1,7 miljoen EUR te investeren in moleculaire diagnose is men erin geslaagd 34 miljoen EUR te besparen, doordat het geneesmiddel tegen kanker Iressa® niet wordt toegediend aan patiënten bij wie het niet werkzaam is. Naar verwachting zal de classificatie van chronische ziekten nog grotere besparingen opleveren.

1.5. De successen van het lopende IMI

De gemeenschappelijke onderneming IMI heeft een aantal belangrijke resultaten opgeleverd:

- een aanzienlijke hefboomwerking ten aanzien van de industriële investeringen in O&O dankzij een bijdrage ter hoogte van 1 miljard EUR van de Europese Commissie en een bijdrage in natura ter hoogte van 1 miljard EUR van de European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA);
- nauwere samenwerking: de gemeenschappelijke onderneming IMI brengt grote bedrijven, kmo's en onderzoeksorganisaties uit de hele Europese Unie bij elkaar;
- gezamenlijke vaststelling van alomvattende strategische onderzoeksagenda's en coördinatie van andere beleidsmaatregelen dankzij de inschakeling van patiëntenorganisaties en toezichthouders;
- een open innovatiemodel: de gemeenschappelijke onderneming IMI heeft bijgedragen tot de overgang van een gesloten naar een open innovatiemodel op het gebied van biomedisch en farmaceutisch onderzoek.

1.6. Uit het IMI getrokken lering

Deze successen ten spijt zijn bij de tenuitvoerlegging van het IMI en de tussentijdse evaluatie van 2011 enkele tekortkomingen aan het licht gekomen:

- de juridische instrumenten die worden gebruikt om de GTI's op te zetten en met name hun status als organen van de Unie moeten flexibeler worden gemaakt;
- doordat de deelnameregels die worden toegepast op/door gemeenschappelijke ondernemingen voor de uitvoering van de gezamenlijke technologie-initiatieven, tegemoetkomen aan de behoeften van diverse partners, neemt de complexiteit van het initiatief toe;
- het toezicht op en de evaluatie van de doelstellingen van de strategische onderzoeksagenda en de technische werkplannen moeten worden verbeterd;
- de horizontale beleidscoördinatie moet worden versterkt (bv. moet het adviespotentieel van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) ten volle worden benut);
- de interne en externe communicatie moet worden verbeterd.

De aangegeven tekortkomingen komen voort uit het initiële ontwerp en vormen een vertrekpunt voor de verbetering van het ontwerp van de gemeenschappelijke onderneming IMI in het kader van Horizon 2020.

2. DOELSTELLINGEN

De algemene en specifieke doelstellingen die zijn vastgesteld, zijn gebaseerd op de resultaten van de openbare raadpleging, de problemen, de bepalende factoren, de successen en de uit het IMI getrokken lering.

2.1. Algemene doelstellingen

De algemene doelstelling is het verbeteren van de gezondheid en het welzijn van de Europese burgers door aanbieder van nieuwe en effectievere diagnostica en behandelingen, waarbij het toekomstige internationale concurrentievermogen van de Europese biofarmaceutische en biowetenschappelijke industrie op terreinen als diagnostica, vaccins, biomedische beeldvorming en medische informatietechnologieën moet worden gewaarborgd. De gemeenschappelijke onderneming IMI2 geeft uitvoering aan de Horizon 2020 doelstellingen, met name die welke zijn omschreven als de maatschappelijke uitdaging op het gebied van gezondheid, demografische verandering en welzijn, en pakt de uitdagingen op het gebied van de volksgezondheid aan zoals deze zijn omschreven in het verslag van de Wereldgezondheidsorganisatie over prioritaire geneesmiddelen voor Europa en de Wereld.

2.2. Operationele doelstellingen

De operationele doelstellingen van het initiatief zijn:

- voorzien in structuren die partnerschappen gedurende het volledige onderzoeks- en ontwikkelingsproces (van eerste ontdekkingen tot en met productontwikkeling en geneesmiddelenbewaking (met inbegrip van de dienovereenkomstige onderzoekswerkzaamheden) vergemakkelijken, in een doelmatig, op innovatie gericht samenwerkingskader dat erop gericht is onderzoek en innovatie op het gebied van de biowetenschappen voor diagnostica, preventie en therapie (werkstoffen en concepten) te optimaliseren, en in ondersteuning van de uitwerking van regelgeving op basis van feiten;
- de oprichting van netwerken voor open innovatie voor de gehele innovatiecyclus van het nieuwe geneesmiddelenonderzoek en de nieuwe geneesmiddelentechnologieën, waardoor openbare onderzoeksinstituten, de academische wereld, de biowetenschappelijke industrie, kmo's, patiëntenorganisaties, toezichthouders, betalers, volksgezondheidsautoriteiten en de diergezondheidssector bijeen worden gebracht;
- vermindering van de versnippering van onderzoek en innovatie en verhoging van de investeringen vanuit de private sector in Europa;
- ontwikkeling en uitvoering van een strategische agenda in het kader van een pan-Europese structuur met de nodige kritische massa en financiële middelen, waarbij de continuïteit wordt gewaarborgd en de biowetenschappelijke industrie in de gelegenheid wordt gesteld langetermijninvesteringen te doen;
- bevordering van onderzoek door mechanismen voor risicodeling waardoor bij de ontwikkeling van geneesmiddelen en vaccins op een eerder tijdstip bewijsmateriaal wordt geleverd.

2.3. Specifieke doelstellingen

De specifieke doelstellingen zijn:

- verhoging van het succespercentage van klinische proeven voor de in het verslag van de Wereldgezondheidsorganisatie "Priority Medicines for Europe and the World" genoemde ziekten met 30 % tegen 2020;
- bekorting tot vijf jaar van de tijd die het kost om voor immunologische, respiratorische, neurologische en neurodegeneratieve ziekten de tweede klinische fase te bereiken;
- ontwikkeling van ten minste twee nieuwe therapieën voor ziekten met een grote behandelingsbehoefte waarin niet is voorzien, en ten aanzien waarvan sprake is van een gebrek aan marktprikkels: antimicrobiële resistentie (twee nieuwe klassen in de afgelopen 30 jaar) of de ziekte van Alzheimer (er zijn tot dusver slechts twee behandelingen met een geringe doeltreffendheid ontwikkeld);
- ontwikkeling van diagnostische markers voor vier ziekten (van de hierboven genoemde) die duidelijk klinisch relevant zijn en die zijn goedgekeurd door de toezichhouders;
- ontwikkeling van een transparant en omvattend infrastructuurmodel om gegevens te verzamelen over hoe vaak de belangrijkste infectieziekten voorkomen en wat de medische en sociaaleconomische lasten ervan zijn;
- ontwikkelen en testen van nieuwe biomarkers om de werkzaamheid en veiligheid van vaccins te voorspellen (telkens twee markers) in een vroeg stadium van de ontwikkeling ervan, ter verbetering van het testen op meerdere kandidaten opdat het misluktingspercentage bij klinische testen in fase III met 50 % daalt;
- ontwikkeling van 2 nieuwe hulpstoffen voor menselijk gebruik ter versterking van de immunoreactie van het lichaam op vaccins, met name bij specifieke doelgroepen zoals ouderen en mensen die normaalgesproken geen reactie vertonen;
- opstelling, voor twee belangrijke infectieziekten en twee soorten kanker of chronische aandoeningen (bv. auto-immuunziekten) van ten minste: twee nieuwe voorspellende modellen voor de doeltreffendheid en twee nieuwe voorspellende modellen voor de veiligheid;
- versterking van de band tussen onderzoek naar vaccins voor mensen en onderzoek naar vaccins voor dieren.

3. BELEIDSOPTIES

Tijdens de effectbeoordeling zijn vier beleidsopties overwogen:

1. Scenario met ongewijzigd beleid: voortzetting van het huidige gezamenlijke technologie-initiatief inzake innovatieve geneesmiddelen in het kader van Horizon 2020, onder beheer van de gemeenschappelijke onderneming. Bij deze optie blijft de nadruk van de gemeenschappelijke onderneming IMI liggen op de totstandbrenging van een collaboratief systeem voor O&O op biomedisch gebied en het bespoedigen van de ontwikkeling van doeltreffende en veiligere geneesmiddelen voor de patiënten.
2. Geen publiek-privaat partnerschap (PPP) of de "nuloptie": uitsluitend gebruikmaking van collaboratieve projecten in het kader van Horizon 2020. Deze optie vereenvoudigt het

formuleren van gemeenschappelijke doelstellingen op projectniveau, maar bevordert niet de projectoverschrijdende uitvoering van strategische agenda's tussen projecten. Het bedrijfsleven neemt op projectbasis deel aan geselecteerde projecten.

3. Contractueel PPP voor de uitvoering van maatregelen in het kader van Horizon 2020 die onder de maatschappelijke uitdaging "Gezondheid, demografische veranderingen en welzijn" vallen. Bij deze optie wordt een partnerschapsovereenkomst gesloten met het bedrijfsleven en stelt het bedrijfsleven met een strategie voor en adviseert het ten aanzien van de werkprogramma's. Hoewel de EU-bijdrage aan het begin van het PPP wordt vastgelegd, moeten de financieringsbedragen en de onderwerpen door middel van een jaarlijks werkprogramma worden goedgekeurd.
4. Gemoderniseerd GTI: hierbij worden de doelstellingen en activiteiten in het kader van de gemeenschappelijke onderneming IMI overeenkomstig de doelstellingen van Horizon 2020 uitgebreid; voorts wordt de werkingssfeer van het huidige programma uitgebreid en het beheer ervan verbeterd.

4. BEOORDELING VAN DE EFFECTEN EN VERGELIJKING VAN DE OPTIES

De vier beleidsopties zijn met elkaar vergeleken aan de hand van een reeks belangrijke parameters, waarbij is gekeken naar de betrokkenheid van de overheid bij onderzoeks- en innovatieactiviteiten op het gebied van de biowetenschappen.

Uit deze vergelijking komt naar voren dat de optie "Gemoderniseerd GTI" de voorkeur geniet. Deze genereert de nodige kritische massa op programma- en projectniveau. Wetenschappelijke uitmuntendheid op het gebied van biofarmaceutisch en biowetenschappelijk onderzoek wordt bevorderd, wat gunstig is voor de innovatie en versterkt wordt door de financiële ondersteuning in alle stadia - van wetenschappelijke ideeën tot het in de handel brengen -, een sterkere nadruk op het resultaat en een betere verspreiding van onderzoeksresultaten. Een groter effect van wetenschappelijk onderzoek en innovatie heeft ook grotere gevolgen voor de economie, het concurrentievermogen, de maatschappij en de volksgezondheid. Voorts is meer flexibiliteit mogelijk en is er sprake van lagere administratieve kosten voor aanvragers en deelnemers, terwijl door de overheid gefinancierde instellingen, zoals de academische wereld en kmo's, profiteren van een vereenvoudiging van de administratieve procedures. Deze optie maakt het tevens mogelijk de kosteneffectiviteit te maximaliseren.

De nuloptie"" bemoeilijkt de opstelling en de projectoverschrijdende uitvoering van strategische agenda's. Dit gaat ten koste van de kritische massa en ook de flexibiliteit, de toegankelijkheid en de ruimere horizontale beleidscoördinatie zijn minder dan bij de optie "Gemoderniseerd GTI". Dit leidt tot een mindere impact op de economie, het concurrentievermogen, de maatschappij en de volksgezondheid.

De optie "contractueel PPP" maakt opstelling en uitvoering van projectoverschrijdende strategische agenda's mogelijk, maar is een "lichte" benadering van een publiek-privaat

partnerschap, met slechts een indicatief budget en beperkte betrokkenheid van het bedrijfsleven.

Beknopte vergelijking van de opties (effecten ten opzichte van het scenario met ongewijzigd beleid)

	Geen PPP	PPP	Gemoderniseerd GTI
Gevolgen voor de volksgezondheid	--	-	+++
Sociale gevolgen	--	-	++
Gevolgen voor economie en concurrentievermogen	-	-	++
Gevolgen voor de innovatie	--	-	++
Kritische massa aan middelen	--	-	+
Hefboomeffect (totale mobilisatie van middelen voor onderzoek en innovatie)	--	-	=
Deelname van industrie en kmo's	--	-	++
Strategische agenda	--	-	+
Aanpak van versnippering	-	-	++
Administratieve kosten en efficiëntie van het bestuur	-	--	=
Samenhang	=	=	++
Efficiëntie	--	=	++
Doeltreffendheid	--	=	++

5. MONITORING EN EVALUATIE

Instelling van een geschikt monitoring- en evaluatiesysteem op programma- en projectniveau, met inbegrip van een pakket goedgekeurde prestatie-indicatoren, zal het mogelijk maken te beoordelen of de gemeenschappelijke onderneming IMI2 haar doelstellingen bereikt, waarbij de raad van bestuur toezicht houdt op de werkzaamheden van de uitvoerend directeur en het programmabureau.

De externe evaluatie voor het gehele programma wordt georganiseerd door de Commissie. Uiterlijk eind 2017 wordt een tussentijdse evaluatie en na afronding van het programma in 2024 een eidevaluatie uitgevoerd.