



Brussel, 10.7.2013
SWD(2013) 254 final

WERKDOCUMENT VAN DE DIENSTEN VAN DE COMMISSIE

SAMENVATTING VAN DE EFFECTBEOORDELING

Begeleidend document bij het

Voorstel voor een BESLUIT VAN HET EUROPEES PARLEMENT EN DE RAAD

betreffende de deelname van de Europese Unie aan een tweede, door verscheidene lidstaten gezamenlijk opgezet partnerschapsprogramma voor klinische proeven tussen Europese en ontwikkelingslanden (EDCTP2)

{COM(2013) 498 final}
{SWD(2013) 253 final}

WERKDOCUMENT VAN DE DIENSTEN VAN DE COMMISSIE

SAMENVATTING VAN DE EFFECTBEOORDELING

Begeleidend document bij het

Voorstel voor een BESLUIT VAN HET EUROPEES PARLEMENT EN DE RAAD

betreffende de deelname van de Europese Unie aan een tweede, door verscheidene lidstaten gezamenlijk opgezet partnerschapsprogramma voor klinische proeven tussen Europese en ontwikkelingslanden (EDCTP2)

In deze samenvatting zijn de belangrijkste bevindingen opgenomen uit de effectbeoordeling (Impact Assessment - IA) bij het voorstel van de Commissie voor een besluit over de voortzetting van de deelname van de Europese Unie (EU) aan een tweede partnerschapsprogramma voor klinische proeven tussen Europese en ontwikkelingslanden (European and Developing Countries Clinical Trials Partnership programme - EDCTP2), zoals door de deelnemende Europese landen is verzocht en in de onafhankelijke evaluatie van het eerste EDCTP-programma (EDCTP1) is aanbevolen. Het valt onder artikel 185 van het *Verdrag betreffende de werking van de EU*, dat voor de EU de grondslag vormt voor deelname aan de gezamenlijke uitvoering van nationale programma's voor onderzoek en ontwikkeling. Het voorstel wordt gedaan in het kader van het Meerjarig financieel kader *MFK 2014-20* als onderdeel van de uitvoering van het EU-kaderprogramma voor onderzoek en innovatie, *Horizon 2020*. De toewijzing van begrotingsmiddelen aan het EDCTP2 is afhankelijk van de uitkomst van het EU-besluit over het *MFK 2014-20* en *Horizon 2020*.

1. DOELSTELLINGEN

Het Partnerschap voor klinische proeven tussen Europese en ontwikkelingslanden (European and Developing Countries Clinical Trials Partnership - EDCTP) werd in 2003 in het leven geroepen als antwoord op de wereldwijde gezondheids crisis ten gevolge van de drie belangrijkste armoedegerelateerde ziekten (hiv/aids, malaria en tuberculose) en als uitvloeisel van het streven van de EU om in 2015 de millenniumontwikkelingsdoelstellingen van de Verenigde Naties te hebben verwezenlijkt. Ondanks de tot dusverre met het EDCTP bereikte resultaten blijven de sociaal-economische lasten van armoedegerelateerde ziekten bestaan en belemmeren zij de duurzame ontwikkeling van ontwikkelingslanden, met name in sub-Saharisch Afrika.

1.1. Gebrek aan effectieve medische interventies voor armoedegerelateerde ziekten

Armoedegerelateerde ziekten hebben enorme negatieve effecten op de volksgezondheid, de samenleving en de economie. Zij treffen met name de armste en meest gemarginaliseerde gemeenschappen ter wereld. Meer dan een miljard mensen, onder wie 400 miljoen kinderen, lijden aan een of meer van de drie belangrijkste armoedegerelateerde ziekten (hiv/aids, malaria en tuberculose) of aan verwaarloosde infectieziekten als Buruli ulcus, trachoma, lymfatische filariasis en slaapziekte. Alleen aan malaria en tuberculose sterven naar schatting al 2,1 miljoen mensen per jaar. Deze ziekten ondermijnen de productiviteit, vergroten de onveiligheid en doen gebreken toenemen, waardoor de armoedecyclus blijft voortbestaan. Met circa 90 % van alle malariagerelateerde sterfgevallen in Afrika in 2010 wordt sub-Saharisch Afrika door deze ziekten onevenredig zwaar getroffen. In deze regio woont ook

meer dan tweederde (68 %) van alle mensen met hiv en in 2008 vond bijna driekwart (72 %) van alle aidsgerelateerde sterfgevallen hier plaats.

Algemene verbeteringen van voeding, sanitaire voorzieningen en gezondheidsinfrastructuur zijn zeker van belang, maar voor een beheersing op de lange termijn moeten nieuwe of betere medische interventies worden ontwikkeld. Medische interventies tegen deze ziekten ontbreken of zijn niet langer effectief. De meeste nieuwe medische interventies – geneesmiddelen, vaccins en microbiciden die worden ontwikkeld, bevinden zich echter nog steeds in een vroeg stadium van klinische ontwikkeling.

1.2. Deze problemen zijn hardnekkig, hoofdzakelijk door onvoldoende investeringen, geringe lokale capaciteit en versnipperde overheidssteun

Het gebrek aan effectieve medische interventies heeft vijf hoofdoorzaken: (i) onvoldoende investeringen (marktfalen), (ii) beperkte capaciteit voor klinisch onderzoek in landen in sub-Saharisch Afrika, (iii) versnipperde ondersteuning door overheden, (iv) beperkte reikwijdte van het eerste EDCTP-programma, en (v) onvoldoende verbindingen met andere EU-initiatieven.

- In de eerste plaats worden geen medische interventies ontwikkeld vanwege onvoldoende investeringen door zowel de publieke als de private sector. Dit houdt verband met marktfalen: aan het noodzakelijke onderzoek zijn risico's verbonden en het is duur, met name in de laatste fase, waarin klinische proeven op mensen plaatsvinden. Bovendien kunnen de onderzoekskosten niet volledig worden terugverdiend omdat degenen die aan deze ziekten lijden noch het zorgstelsel in ontwikkelingslanden de volledige marktprijs kunnen betalen en zodoende dus het rendement op private investeringen niet kunnen waarborgen.
- In de tweede plaats ontbreekt het de meeste ontwikkelingslanden, met name in sub-Saharisch Afrika, aan elementaire infrastructuur, personele middelen en kennis om deze problemen zelfstandig aan te pakken en klinische proeven te verrichten in overeenstemming met internationale standaarden voor goede klinische praktijken.
- In de derde plaats is er geen coördinatie van eigen onderzoeksbeleid, -programma's en -projecten van de EU-lidstaten, waardoor de kritische massa en de effectiviteit van Europese overheidsmaatregelen in gevaar komen. Dit wordt nog eens versterkt door het feit dat hulpbudgetten (waarmee circa 60% van het onderzoek naar armoedegerelateerde ziekten wordt gefinancierd) krimpen als gevolg van de economische en financiële crisis in Europa.
- In de vierde plaats bemoeilijkt de beperkte reikwijdte van het eerste EDCTP-programma een geïntegreerde aanpak van armoedegerelateerde ziekten. Zo werd geen aandacht geschonken aan andere armoedegerelateerde ziekten, waaronder verwaarloosde infectieziekten. Wanneer deze reikwijdte wordt uitgebreid, kan het EDCTP-programma alle stadia van klinische ontwikkeling ondersteunen.
- Wanneer in de vijfde plaats de samenwerking tussen het EDCTP en de EU-ontwikkelingssamenwerking wordt geïntensiveerd, kan aanzienlijke synergie ontstaan en kunnen de invoering en levering worden bevorderd van nieuw beschikbare medische interventies die effectiever en veiliger zijn.

1.3. Belangrijke resultaten van EDCTP1

Met het EDCTP1 werd een aantal belangrijke resultaten geboekt:

- Er werden 55 klinische proefprojecten gefinancierd waarbij 88 afzonderlijke klinische proeven werden uitgevoerd. Tot op heden hebben acht daarvan tot aanbevelingen voor betere patiëntbehandelingen geleid.
- Een nieuwe anti-retrovirale formulering voor hiv-geïnfecteerde kinderen in Afrika werd in het kader van een EDCTP-project getest en vervolgens goedgekeurd door de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA).
- In veel Afrikaanse landen werden de nationale toezichthouders en de mogelijkheden voor ethisch toezicht verbeterd.
- Het pan-Afrikaans register van klinische proeven (Pan-African Clinical Trials Registry - PACTR) kwam tot stand met steun van EDCTP1 en is nu officieel erkend als primair register van de WHO.
- EDCTP1 ondersteunde de structurering van het onderzoekslandschap in Afrika door het opzetten van Afrikaanse expertisenetwerken voor klinische proeven.

Het EDCTP is ook een uitstekend voorbeeld van een beginsel dat wij in Europa bepleiten: openstelling van onze onderzoeksprogramma's voor wereldwijde samenwerking. Hierin is het EDCTP spectaculair goed, met projecten waarbij instituten uit Europa en Afrika betrokken zijn, 75 % van de financiering naar Afrikaanse instellingen gaat en 73 % van de projecten door Afrikaanse onderzoekers wordt geleid. Het programma stimuleerde niet alleen klinische ontwikkeling en capaciteit in sub-Saharisch Afrika, maar wist ook structurele veranderingen te bewerkstelligen door een betere coördinatie van de nationale programma's van de deelnemende Europese landen. De mate van integratie van nationale programma's in het EDCTP ligt nu rond de 30% van de totale nationale onderzoeksinvesterings in klinische proeven voor medische interventies tegen de drie belangrijkste armoedegerelateerde ziekten.

1.4. Lessen uit EDCTP1 zijn gebruikt bij het opzetten van EDCTP2

Ondanks de bereikte resultaten bleek bij de uitvoering van het EDCTP ook een aantal tekortkomingen:

- i) De huidige reikwijdte van het EDCTP is te beperkt voor een integraal antwoord op armoedegerelateerde ziekten: er zouden meer ziekten en alle stadia van klinische ontwikkeling in moeten worden opgenomen.
- ii) De mogelijkheden voor coördinatie en integratie van Europese nationale programma's binnen het EDCTP zijn nog niet volledig benut: momenteel worden er geharmoniseerde en afgestemde activiteiten door deelnemende Europese landen uitgevoerd (de zogenoemde "door deelnemende landen geïnitieerde activiteiten") en worden procedures vereenvoudigd.
- iii) Het toezicht op en de beoordeling van specifieke streefdoelen moeten verder worden ontwikkeld: voor het EDCTP2 zijn daarom op voorhand al stelselmatige prestatie- en effectindicatoren ontwikkeld.
- iv) Stabiele werkrelaties met belangrijke financiers van onderzoek en met de farmaceutische industrie zijn nog niet tot stand gekomen: er worden strategische gesprekken gevoerd met andere financiers, waaronder de Bill and Melinda Gates Foundation en de farmaceutische industrie.
- v) De afstemming met het extern beleid en de ontwikkelingssamenwerking van de EU is nog onvoldoende ontwikkeld: om hier iets aan te doen, wordt gewerkt aan afstemming met andere voor het EDCTP relevante EU-initiatieven.

1.5. Initiatief met grote impact voor de bevolking en betrokken partijen

Wanneer het probleem en de oorzaken ervan worden aangepakt, zou dat grote positieve effecten hebben op de volksgezondheid, het welzijn en de economische ontwikkeling van miljoenen mensen in sub-Saharisch Afrika en met name van kinderen en vrouwen in de regio, die onevenredig zwaar door deze ziekten worden getroffen. Ondersteuning van de strijd tegen armoedegerelateerde ziekten zou ook bijdragen aan bescherming van de Europese burgers tegen deze ziekten omdat Europa vanwege de toenemende wereldwijde mobiliteit (ook door het toerisme) en migratie te maken zal krijgen met nieuwe of terugkerende problemen door infectieziekten. De opwarming van de aarde kan deze risico's in Europa versterken omdat zij een grotere prevalentie en een verschuiving in de geografische verspreiding van deze ziekten tot gevolg kan hebben. Europese en Afrikaanse onderzoekers zouden ook baat hebben bij beter gecoördineerde en gestructureerde onderzoeksprogramma's en -activiteiten op het gebied van armoedegerelateerde ziekten op Europees en internationaal niveau.

1.6. Overheidsoptreden op EU-niveau is volledig gerechtvaardigd

Het marktfalen en het daaruit voortvloeiende gebrek aan investeringen zoals hierboven omschreven vormen een duidelijke rechtvaardiging voor overheidsoptreden. Optreden op EU-niveau is noodzakelijk om verkokerde nationale onderzoeksprogramma's bijeen te brengen, gezamenlijke grensoverschrijdende onderzoeks- en financieringstrategieën te helpen ontwikkelen en de kritische massa van partijen en investeringen te bereiken die nodig is om iets te doen aan de belangrijkste wereldwijde problemen op het gebied van de gezondheidszorg, die niet door individuele landen alleen kunnen worden bestreden. Het zou ook de kosteneffectiviteit en het effect van Europese activiteiten en investeringen op dit gebied vergroten.

Optreden van de EU is in overeenstemming met het *Verdrag betreffende de werking van de EU* en daaraan gerelateerd EU-beleid. Het draagt bij aan het streven van de EU om de effectiviteit van de hulp te vergroten, alsmede inclusieve groei en vooruitgang bij de verwezenlijking van de millenniumontwikkelingsdoelen te bevorderen.

Doel van dit initiatief is een betere afstemming van nationale en EU-onderzoeksprogramma's op het gebied van armoedegerelateerde ziekten. Het past binnen de doelstellingen van het Verdrag om de wetenschappelijke en technologische grondslagen van de EU te versterken (artikel 179, lid 1, VWEU) en om een Europese onderzoeksruimte tot stand te brengen op basis van grensoverschrijdende samenwerking van onderzoekers (artikel 179, lid 2, VWEU), onder meer door deelname van de EU aan door verscheidene lidstaten opgezette onderzoeks- en ontwikkelingsprogramma's (artikel 185 VWEU). Het draagt ook bij aan de nieuwe en uitgebreide bevoegdheden van de EU op grond van het *Verdrag van Lissabon betreffende de EU* (VEU) over gezamenlijke acties op het gebied van internationale betrekkingen en samenwerking (artikel 21 VEU) en dus aan een Europa als wereldspeler.

2. DOELSTELLINGEN

2.1. Algemene doelstellingen

In overeenstemming met de *Europa 2020*-strategie, het vlaggenschipinitiatief *Innovatie-Unie*, *Horizon 2020*, het Strategisch partnerschap EU-Afrika en de steun van de EU voor de conclusies van de Rio+20-conferentie uit 2012 over de ontwikkeling en verwezenlijking van internationaal vastgestelde doelen voor duurzame ontwikkeling, waaronder de millenniumontwikkelingsdoelstellingen, heeft dit initiatief als algemene doelstelling om **bij te dragen aan de vermindering van de maatschappelijke en economische lasten van armoedegerelateerde ziekten in ontwikkelingslanden, met name in sub-Saharisch Afrika,**

door versnelling van de klinische ontwikkeling van effectieve, veilige en betaalbare medische interventies voor armoedegerelateerde ziekten.

2.2. Specifieke doelstellingen

Om bovenstaande algemene doelstelling te verwezenlijken, moeten de specifieke doelstellingen van het EDCTP2-programma leiden tot:

- **meer nieuwe of verbeterde medische interventies voor hiv/aids, tuberculose, malaria en andere armoedegerelateerde ziekten**, waarbij aan het eind van de looptijd van het programma ten minste één nieuw medisch product moet zijn ontwikkeld, bijvoorbeeld een nieuw geneesmiddel of een nieuw vaccin tegen TBC of een andere armoedegerelateerde ziekte. Opstelling van ten minste 30 richtsnoeren voor beter of ruimer gebruik van bestaande geneesmiddelen. Vooruitgang boeken met de klinische ontwikkeling van ten minste 20 potentiële producten;
- **intensievere samenwerking met sub-Saharalanden in Afrika, met name bij de ontwikkeling van hun mogelijkheden voor het uitvoeren van klinische proeven**, met volledige inachtneming van fundamentele ethische beginselen en relevante nationale, EU- en internationale wetgeving, waaronder het Handvest van de grondrechten van de Europese Unie, het Europees Verdrag tot bescherming van de rechten van de mens en de Aanvullende Protocolen erbij, de Verklaring van Helsinki van de Wereld Medische Associatie in de versie van 2008 ervan en de normen voor goede klinische praktijken van de Internationale Conferentie voor Harmonisatie (ICH);
- **verbetering van de coördinatie, afstemming en integratie van relevante nationale programma's** en dus vergroting van de kosteneffectiviteit van Europese overheidsinvesteringen;
- **uitbreiding van de internationale samenwerking en vergroting van de hefboomeffecten van investeringen** van andere publieke en private financiers;
- **vergroting van de effecten van het partnerschap door effectieve samenwerking met relevante EU-initiatieven**, waaronder de ontwikkelingssamenwerking van de EU.

3. BELEIDSOPTIES

Bij de effectbeoordeling werd een aantal opties en subopties onderzocht, met verschillende rechtsgrondslagen, reikwijdtes, looptijden, budgetten en bijdragen van de EU.

Met **optie 1** ("geen maatregelen van de EU") zou er geen EDCTP2 komen en zou er vanuit EU-beleid, -programma's of door de EU gefinancierde acties geen steun voor de EDCTP-doelstellingen komen voor klinische proeven en evenmin voor integratie van nationale onderzoeksprogramma's van de lidstaten in de strijd tegen armoedegerelateerde ziekten. Europese steun voor klinische proeven en de daaraan gerelateerde opbouw van capaciteit zou uitsluitend worden gebaseerd op de nationale programma's van lidstaten.

Met **optie 2** ("programmatisch") zou er geen EDCTP2 komen maar zou er vanuit EU-beleid, -programma's of door de EU gefinancierde acties steun komen voor de doelstellingen van het EDCTP. Steun voor klinische proeven en de daaraan gerelateerde opbouw van capaciteit zou dus afhangen van de nationale programma's van lidstaten en de EU.

Met **optie 3** ("business as usual" - basisscenario) zou het EDCTP1 in wezen in de huidige vorm worden voortgezet: dezelfde thematische richting, dezelfde financieringsstrategie en -activiteiten, hetzelfde budget en dezelfde looptijd, dus 500 miljoen euro in vijf jaar tijd.

Met **optie 4** ("uitgebreide reikwijdte") zou EDCTP1 worden voortgezet voor hetzelfde geografische gebied (sub-Saharisch Afrika) maar met een langere looptijd en een bredere thematische gerichtheid, door (i) verdubbeling van de levensduur van het programma tot 10 jaar, (ii) aandacht voor andere armoedegerelateerde ziekten (naast de grote drie: hiv/aids, malaria en tuberculose), en (iii) ondersteuning van alle stadia van klinische ontwikkeling.

Gelet op de algemene begroting en de bijdrage van de EU werden drie subscenario's onderzocht: Met **suboptie 4A** zou het totale budget van EDCTP2 uitkomen op 0,85 miljard euro, met een bijdrage van de EU van ten hoogste 350 miljoen euro als aanvulling op de bijdrage van de deelnemende Europese landen van ten minste 500 miljoen euro. Met **suboptie 4B** zou het totale budget van EDCTP2 uitkomen op 1 miljard euro, met een bijdrage van de EU van ten hoogste 500 miljoen euro als aanvulling op de bijdrage van de deelnemende Europese landen van ten minste 500 miljoen euro. Met **suboptie 4C** zou het totale budget uitkomen op 2 miljard euro, met een EU-bijdrage van ten hoogste 1 miljard euro als aanvulling op de bijdrage van de deelnemende Europese landen van ten minste 1 miljard euro.

4. BEOORDELING VAN DE EFFECTEN EN VERGELIJKING VAN DE OPTIES

De effecten van elk van de beleidsopties werden vergeleken voor wat betreft hun effectiviteit, doelmatigheid en samenhang met het oog op het verwezenlijken van de algemene en specifieke doelstellingen.

Optie 4C, waarbij het EDCTP zich op hetzelfde gebied richt maar een langere looptijd, een groter thematisch aandachtsgebied en een ruimer budget krijgt, is **de voorkeursoptie**.

Optie **4C** zou het meest effectief, doelmatig en samenhangend zijn. Hiervoor is het grootste budget van de EU vereist, maar het biedt wel de mogelijkheid het EDCTP om te vormen tot een belangrijke wereldwijde speler op het gebied van productontwikkeling voor de volksgezondheid op de wereld. In financieel opzicht zou het voldoende gewicht hebben voor een leidende positie bij de ontwikkeling van nieuwe effectieve en veilige medische interventies tegen de drie grootste en andere armoedegerelateerde en verwaarloosde ziekten, bijvoorbeeld bij de ontwikkeling van een vaccin tegen tuberculose. Met deze optie zou het EDCTP van een puur op samenwerking gebaseerd onderzoeksprogramma van Europese en sub-Saharalanden in Afrika veranderen in een programma dat bijdraagt aan langdurige duurzame ontwikkeling van sub-Saharisch Afrika.

Met deze optie zou het ook mogelijk zijn om:

- het EDCTP te laten starten met dure proeven in het laatste stadium van ontwikkeling, waarmee een bedrag van 50 tot 400 miljoen euro is gemoeid;
- het hefboomeffect te vergroten van overheidsuitgaven van de EU aan armoedegerelateerde ziekten;
- de leidende positie van de EU te handhaven bij onderzoek en innovatie op het gebied van armoedegerelateerde ziekten.

5. TOEZICHT EN EVALUATIE

Het is van belang om voor toezicht en evaluatie op programma- en projectniveau een stelsel te ontwerpen waarmee op deugdelijke wijze kan worden beoordeeld of het EDCTP2 op de juiste

weg is en zijn doelstellingen met succes verwezenlijkt. Het kader voor evaluatie behoort uit de volgende onderdelen te bestaan:

- jaarlijkse publicatie van bijgewerkte cijfers voor de indicatoren van EDCTP2;
- jaarverslagen waarin uitvoering, resultaten en vooruitgang van het EDCTP2 worden getoetst aan de doelstellingen en streefdoelen ervan;
- een onafhankelijke tussentijdse evaluatie van de resultaten en de kwaliteit van de uitvoering van EDCTP2 en gefinancierde activiteiten, uiterlijk per 31 december 2017, en aan het eind van het EDCTP2-programma maar uiterlijk op 31 december 2023;
- een onafhankelijke eindevaluatie achteraf, uiterlijk op 31 december 2026.

De Commissie draagt er zorg voor dat alle maatregelen in het kader van EDCTP2 in overeenstemming zijn met het handvest van de grondrechten van de EU en met internationale standaarden voor goede klinische praktijken.