EVROPSKA
KOMISIJA

Bruselj, 10.7.2013
SWD(2013) 246 final

DELOVNI DOKUMENT SLUŽB KOMISIJE

POVZETEK OCENE UČINKA
Spremni dokument k
predlogu
UREDBE SVETA
o Skupnem podjetju za pobudo za inovativna zdravila 2

{COM(2013) 495 final}
{SWD(2013) 245 final}

DELOVNI DOKUMENT SLUŽB KOMISIJE

POVZETEK OCENE UČINKA
Spremni dokument k
predlogu
UREDBE SVETA
o Skupnem podjetju za pobudo za inovativna zdravila 2

V tem dokumentu je povzeta ocena učinka skupne tehnološke pobude za inovativna zdravila (IMI), ki je vzpostavljena kot skupno podjetje v skladu s sedmim okvirnim programom za raziskave. Predlog je pripravljen glede na večletni finančni okvir Unije (2014–2020) in bo prispeval k izvajanju naslednjega okvirnega programa EU za raziskave in inovacije Obzorje 2020.

1. OPREDELITEV TEŽAVE

1.1 Težava, ki zahteva ukrepanje

Zaradi staranja prebivalstva se povečuje breme kroničnih in degenerativnih bolezni, kar pomeni dodaten pritisk na zdravstvene in negovalne sisteme v času, ko so javne finance zelo obremenjene. Učinkoviti ukrepi so pomemben del rešitve. Vendar se vloga raziskav in razvoja v razvoju zdravljenja zmanjšuje, spodbud za nekatere vrste zdravljenja (na primer antibiotike) skoraj ni, strukturna vprašanja pa ovirajo multidisciplinarno sodelovanje, ki je potrebno za reševanje zapletenih znanstvenih težav, značilnih za to področje. Neukrepanje ni v interesu niti evropskega javnega zdravja niti evropske konkurenčnosti.

Razvoj zdravljenja je drag proces, ki pred izdajo dovoljenja za promet vključuje številna preskušanja. Ta pogosto pokažejo, da je zadevno zdravljenje neustrezno, zato so vložena sredstva izgubljena. To proizvajalce spodbuja, da vlagajo v razvoj tistih vrst zdravljenja, ki imajo več možnosti za uspeh, bodisi ker so podobna obstoječim vrstam zdravljenja bodisi ker je potencialna donosnost zelo visoka. Čeprav je to razumna poslovna odločitev, pa ni nujno v splošnem interesu državljanov EU.

1.2 Glavni povzročitelji težave

Industrijo od prevzemanja tveganja odvračajo relativno majhne naložbe v biotehnologijo (v primerjavi s konkurenčnimi področji), razdrobljen in zaprt inovacijski model razvoja zdravil v Evropi ter zapletenost procesa. Znanstveni izzivi že po naravi zahtevajo izmenjavo podatkov med različnimi deležniki. Brez okvira, ki bo omogočal tako izmenjavo v nadzorovanem okolju, sodelovanja ne bo.

1.3 Potreba po javnih ukrepih

Nadzorovano okolje se ne bo razvilo spontano v poslovnem okolju niti ga ne more oblikovati javni sektor sam. Nastane lahko le z javnim sodelovanjem, v katerem si različni akterji (akademski krogi, industrija, MSP, zdravniki, regulatorni organi in pacienti) izmenjujejo vire, podatke ter strokovno znanje in izkušnje, pri čemer zagotavljajo, da se rezultati njihovega sodelovanja razširjajo, tveganja in stroški zmanjšujejo, produktivnost pa povečuje. Oblikovanje takega okolja, v katerem je tveganje razdeljeno, bo zmanjšalo neuspešnost in izvajalce preskušanj spodbudilo k preskušanju več vrst zdravljenj v korist vseh vpletenih, tako z vidika spodbujanja javnega zdravja kot zakonite zaščite poslovnih interesov.

1.4 Pravica EU do ukrepanja in uporaba načela subsidiarnosti

Pravica EU do ukrepanja na tem področju je določena v členu 187 Pogodbe o delovanju EU, ki Uniji omogoča, da ustanovi „skupna podjetja ali kakršno koli drugo strukturo, potrebno za učinkovito izvajanje raziskovalnih, tehnološkorazvojnih in demonstracijskih programov Unije“.

1.4.1 Potrebni javni ukrepi se lahko zagotovijo le na evropski ravni

Ukrepi na ravni EU, ki podpirajo nadnacionalno in medsektorsko sodelovanje med podjetji na področju strateških raziskovalnih programov, bodo pomagali vzpostaviti „kritično maso“, zlasti s skupnim določanjem programov, mobilizacijo dodatnih sredstev in doseganjem večjih učinkov vzvoda za vlaganja v industrijske raziskave in razvoj.

1.4.2 Naložbe na ravni EU lahko omogočijo prihranke pri stroških zdravstvenega varstva in storitev

Raziskovalni program bo omogočil boljšo klasifikacijo bolezni, kar bo znatno izboljšalo diagnosticiranje in zdravljenje. To bo preprečilo nepotrebno izpostavljenost pacientov škodljivim učinkom neučinkovitega zdravljenja med kliničnim razvojem ali zdravniško dejavnostjo. V primeru slednje so bili doseženi prihranki zaradi prenehanja neučinkovitega ali neustreznega zdravljenja. Na primer analiza, ki je bila opravljena v Franciji, je pokazala denarne koristi molekularne diagnostike pacientov z rakom. Naložba v molekularno diagnostiko v višini 1,7 milijona EUR je omogočila 34 milijonov EUR prihrankov, ker se zdravilo proti raku Iressa® ni dajalo pacientom, pri katerih ni bilo učinkovito. Še večje prihranke je mogoče pričakovati od klasifikacije kroničnih bolezni.

1.5 Dosežki sedanje pobude za inovativna zdravila

Skupno podjetje IMI je doseglo več pomembnih rezultatov:

- znaten učinek vzvoda za vlaganja v industrijske raziskave in razvoj, dosežen s prispevkom Evropske komisije v višini 1 milijarde EUR in stvarnim prispevkom Evropske federacije farmacevtske industrije in združenj (EFPIA) v vrednosti 1 milijarde EUR;
- okrepljeno sodelovanje – Skupno podjetje IMI združuje obsežno industrijo, MSP in raziskovalne organizacije iz vse Evropske unije;
- skupna priprava celovitih strateških raziskovalnih programov in uskladitev drugih politik zaradi vključitve organizacij pacientov in regulatornih organov;
- model odprtih inovacij – Skupno podjetje IMI je prispevalo k prehodu z modela zaprtih inovacij na model odprtih inovacij v biomedicinskih in farmacevtskih raziskavah.

1.6 Pridobljene izkušnje na področju pobude za inovativna zdravila

Kljub tem dosežkom sta izvajanje pobude za inovativna zdravila in vmesna ocena iz leta 2011 pokazala več pomanjkljivosti:

- pravni instrumenti, ki se uporabljajo za vzpostavitev skupnih tehnoloških pobud, in zlasti njihov status organov Unije morajo postati prilagodljivejši;
- pravila za sodelovanje, ki se uporabljajo za skupna podjetja za izvajanje skupnih tehnoloških pobud oz. jih ta uporabljajo, zaradi upoštevanja potreb različnih partnerjev povečujejo zapletenost pobude;

- izboljšati je treba spremljanje in ocenjevanje doseganja ciljev, vključenih v strateški raziskovalni program in tehnične delovne načrte;
- okrepiti je treba horizontalno usklajevanje politik (na primer, v celoti bi bilo treba izkoristiti posvetovalni potencial Evropske agencije za zdravila (EMA));
- okrepiti je treba notranje in zunanje komuniciranje.

Ugotovljene pomanjkljivosti izhajajo iz prvotne zasnove in so izhodišče za izboljšanje zasnove Skupnega podjetja IMI v okviru programa Obzorje 2020.

2. CILJI

Opredeljeni splošni in posamezni cilji temeljijo na rezultatih javnega posvetovanja, težavah in njihovih povzročiteljih ter dosežkih in pridobljenih izkušnjah na področju pobude za inovativna zdravila.

2.1 Splošni cilji

Splošni cilj je izboljšati zdravje in dobrobit evropskih državljanov z zagotavljanjem novih učinkovitejših postopkov diagnosticiranja in zdravljenja, obenem pa je treba pomagati zavarovati prihodnjo mednarodno konkurenčnost evropskih panog s področja biofarmacije in bioznanosti, kot so diagnostika, cepiva, biomedicinsko slikanje in informacijske tehnologije v zdravstvu. Skupno podjetje IMI2 bo izvajalo cilje programa Obzorje 2020, zlasti kakor so opredeljeni v družbenem izzivu Zdravje, demografske spremembe in dobrobit, ter obravnavalo izzive na področju javnega zdravja, opredeljene v poročilu Svetovne zdravstvene organizacije o prednostnih zdravilih za Evropo in svet.

2.2 Operativni cilji

Operativni cilji te pobude so:

- zagotoviti strukture, ki omogočajo partnerstva v celotnem ciklusu raziskav in inovacij v bioznanosti, na primer od zgodnjega odkritja do razvoja proizvoda ter raziskav in nadzora v farmakovigilanci, v učinkovitem inovativnem sodelovalnem okolju, ki je osredotočeno na optimizacijo raziskav in inovacij v bioznanosti za diagnostična, preventivna in terapevtska sredstva in pristope ter podporo za razvoj ureditve, ki temelji na dokazih;
- vzpostaviti omrežja za odprte inovacije v celotnem ciklusu inovacij na področju novih medicinskih raziskav in tehnologij, ki združujejo javne raziskovalne ustanove, akademske kroge, panoge s področja bioznanosti, MSP, organizacije pacientov, regulatorne organe, plačnike, organe za javno zdravje in sektor zdravstvenega varstva živali;
- zmanjšati razdrobljenost raziskav in inovacij ter povečati izdatke zasebnega sektorja v Evropi;
- oblikovati in izvajati strateški program v vseevropskem okolju s potrebno kritično maso in proračunom, ki zagotavljata stalnost in omogočata panogam s področja bioznanosti dolgoročno načrtovanje naložb;
- olajšati raziskave, ki zagotavljajo zgodnejše zbiranje dokazov v postopku razvoja zdravil in cepiv prek mehanizmov za delitev tveganja.

2.3 Posebni cilji

Posebni cilji so:

- do leta 2020 za 30 % povečati uspešnost kliničnih preskušanj za bolezni, opredeljene v poročilu Svetovne zdravstvene organizacije o prednostnih zdravilih za Evropo in svet;
- skrajšati čas za pridobitev kliničnega dokaza zasnove pri imunoloških, respiratornih, nevroloških in nevrodegenerativnih boleznih na pet let;
- razviti vsaj dva nova načina zdravljenja bolezni, pri katerih obstaja veliko nezadovoljenih potreb in pri katerih so tržne spodbude omejene: za odpornost proti protimikrobnim zdravilom (dve novi vrsti v zadnjih 30 letih) ali Alzheimerjevo bolezen (do zdaj sta razvita samo dva načina zdravljenja z omejeno učinkovitostjo);
- razviti diagnostične označevalce za štiri bolezni (med zgoraj navedenimi), ki so jasno povezani s klinično ustreznostjo in jih odobrijo regulatorni organi;
- oblikovati pregleden in celovit infrastrukturni model za zbiranje podatkov o pojavnosti bolezni ter o zdravstvenem in družbenoekonomskem bremenu hudih nalezljivih bolezni;
- razviti preskušene nove biološke označevalce za predvidevanje učinkovitosti in varnosti cepiv (po dva označevalca za vsakega) zgodaj v postopku, da bi se izboljšalo presejanje kandidatov za doseganje 50-odstotnega znižanja stopnje neustreznosti v III. fazi kliničnih preskušanj;
- razviti dva nova načina dopolnilnega sistemskega zdravljenja za uporabo v humani medicini za povečanje imunskega odziva telesa na cepiva, zlasti v posebnih ciljnih skupinah, kot so starejši in osebe, ki se ne odzivajo na cepiva;
- za dve hudi nalezljivi bolezni in dve vrsti raka ali kronične bolezni (npr. avtoimunske bolezni) opredeliti najmanj: dva nova modela za predvidevanje učinkovitosti in dva nova modela za predvidevanje varnosti;
- okrepiti povezavo med raziskavami cepiv v humani in veterinarski medicini.

3. MOŽNOSTI POLITIKE

V oceni učinka so bile preučene štiri glavne možnosti politike:

1. nespremenjeno stanje: nadaljevanje sedanje skupne tehnološke pobude za inovativna zdravila v okviru programa Obzorje 2020, ki jo upravlja Skupno podjetje. Pri tej možnosti je pobuda za inovativna zdravila še naprej osredotočena na oblikovanje sistema sodelovanja v biomedicinskih raziskavah in razvoju v Evropi ter pospeševanje razvoja učinkovitih in varnejših zdravil za paciente;

2. brez javno-zasebnega partnerstva ali „možnost nič“: uporabijo se samo projekti sodelovanja v okviru programa Obzorje 2020. Ta možnost omogoča oblikovanje skupnih ciljev na ravni projektov, ne omogoča pa oblikovanja medprojektnega izvajanja strateških programov. Sodelovanje industrije poteka na podlagi vsakega projekta posebej;

3. pogodbeno javno-zasebno partnerstvo za izvajanje ukrepov v okviru programa Obzorje 2020, ki spadajo v družbeni izziv „Zdravje, demografske spremembe in dobrobit“: pri tej možnosti se sklene sporazum o partnerstvu z industrijo, ta pa predlaga strategijo in svetuje glede delovnih programov. Medtem ko sta obveznost in prispevek EU določena na začetku izvajanja javno-zasebnega partnerstva, se zneski financiranja in teme odobrijo v letnem delovnem programu;

4. posodobljena skupna tehnološka pobuda: cilji in dejavnosti Skupnega podjetja IMI se razširijo v skladu s cilji programa Obzorje 2020, razširi se obseg sedanjega programa in izboljša njegovo upravljanje.

4. OCENA UČINKOV IN PRIMERJAVA MOŽNOSTI

Štiri možnosti politike so bile primerjane na podlagi sklopa ključnih parametrov, pri čemer je bilo ocenjeno sodelovanje javnosti v raziskavah in inovacijah na področju bioznanosti.

Primerjava je pokazala, da je najboljša možnost „posodobljena skupna tehnološka pobuda“. Z njo se doseže kritična masa na ravni programov in projektov; spodbuja znanstvena odličnost v raziskavah na področju biofarmacije in bioznanosti, ki vpliva na inovacije in se krepi prek finančne podpore od znanstvenih zamisli do trga, večje usmerjenosti v rezultate in boljšega razširjanja rezultatov raziskav; povečuje se vpliv znanosti in inovacij, kar ima nato večji učinek na gospodarstvo, konkurenčnost, družbo in javno zdravje; ter omogočajo večja prilagodljivost in nižji upravni stroški za kandidate in udeležence, javno financirani subjekti, kot so akademski krogi in MSP, pa imajo koristi od upravne poenostavitve. Ta možnost zagotavlja tudi največjo stroškovno učinkovitost.

V primeru „možnosti nič“ je oteženo oblikovanje medprojektnega izvajanja strateških programov. Ogrožena je kritična masa, prilagodljivost, dostopnost in širša horizontalna usklajenost politik pa so manjše kot pri možnosti „posodobljena skupna tehnološka pobuda“. To bi pomenilo manjši učinek na gospodarstvo, konkurenčnost, družbo in javno zdravje.

Možnost „pogodbeno javno-zasebno partnerstvo“ omogoča oblikovanje medprojektnega izvajanja strateških programov, vendar pomeni „lažji“ pristop k javno-zasebnemu partnerstvu z zgolj okvirnim proračunom in precej omejeno zavezanostjo industrije.

Povzetek primerjave možnosti (učinek v primerjavi z nespremenjenim stanjem)

	Brez javno-zasebnega partnerstva	**Javno-zasebno partnerstvo**	**Posodobljena skupna tehnološka pobuda**
Učinki na javno zdravje	--	-	+++
Družbeni učinki	--	-	++
Učinki na gospodarstvo in konkurenčnost	-	-	++
Učinki na inovacije	--	-	++
Kritična masa virov	--	-	+
Učinek vzvoda (celotna mobilizacija virov za raziskave in inovacije)	--	-	=
Sodelovanje industrije in MSP	--	-	++
Strateški program	--	-	+
Obravnava razdrobljenosti	-	-	++
Upravni stroški in učinkovitost upravljanja	-	--	=
Skladnost	=	=	++
Učinkovitost	--	=	++
Uspešnost	--	=	++

5. SPREMLJANJE IN OCENJEVANJE

Ustrezen sistem spremljanja in ocenjevanja, vzpostavljen na ravni programov in projektov, vključno s sklopom odobrenih ključnih kazalnikov uspešnosti, bo omogočil oceno, ali Skupno podjetje IMI2 dosega svoje cilje, pri čemer bo upravni odbor nadzoroval delo izvršnega direktorja in programske pisarne.

Zunanje ocenjevanje celotnega programa bo organizirala Komisija. Vmesna ocena se bo izvedla do konca leta 2017, končna ocena pa po zaključku programa v letu 2024.