

Médicaments orphelins

1998/0240(COD) - 26/01/2016 - Document de suivi

Ce document de travail des services de la Commission concerne le quatrième inventaire portant sur les **incitations de l'Union et des États membres en vue de promouvoir la recherche, le développement et la disponibilité des médicaments orphelins** - état d'avancement à 2015.

Cette année a marqué le 15e anniversaire du [règlement concernant les médicaments orphelins](#). À ce jour, **des progrès impressionnants ont été enregistrés**, en particulier du point de vue de l'activité de l'industrie pharmaceutique dans ce domaine.

Après 15 ans de mise en œuvre et des **avancées significatives pour les patients**, la Commission souhaite faire le point sur les progrès réalisés. Ce document représente la quatrième version de l'inventaire.

Principales conclusions: la Commission a lancé une enquête en vue recueillir des informations sur les mesures nationales visant à favoriser la recherche, le développement et la disponibilité de médicaments orphelins. L'information recueillie se fonde sur les données fournies par les États membres et validées par les autorités nationales compétentes en décembre 2015. La Commission ne peut garantir leur exactitude ou leur exhaustivité.

Soutien à la R & D: parmi les mesures introduites dans certains États membres, il faut noter des frais réduits en ce qui concerne l'enregistrement et les essais cliniques, des possibilités de réductions ou de dérogations fiscales, des financements de projets de recherche sur fonds publics ainsi que la fourniture de conseils scientifiques gratuits aux promoteurs de médicaments.

Le document montre qu'en **France**, les promoteurs de médicaments sont exemptés de certaines taxes à payer par les entreprises pharmaceutiques. Aux **Pays-Bas**, les frais d'enregistrement peuvent être supprimés si le médicament est déjà enregistré dans un ou plusieurs États membres et si la prévalence de la maladie est inférieure à 1/150.000 cas. D'un autre côté, **en Pologne et au Royaume-Uni**, il n'existe pas de mesures spécifiques pour les médicaments orphelins.

Disponibilité des médicaments pour les patients: en ce qui concerne les mesures visant à accroître la disponibilité pour les patients, de nombreux États membres ont confirmé qu'ils mettaient en œuvre des « **programmes d'usage compassionnel** » permettant d'avoir accès à certains médicaments avant qu'ils aient obtenu l'autorisation complète de mise sur le marché. Ces programmes sont utilisés pour les patients individuels (« programmes pour les patients ») sur la base de la déclaration d'un médecin ou d'une entreprise pouvant ainsi rendre les produits disponibles pour un groupe de patients.

Remboursement du produit: le coût du produit peut ou ne peut pas être remboursé, en fonction de l'État membre. En **Grèce** par exemple, les médicaments orphelins couverts par un programme d'usage compassionnel pour les patients sont remboursés en totalité. En **Allemagne**, tous les médicaments sont remboursés directement après autorisation de commercialisation.

L'impact du remboursement sur la disponibilité des médicaments orphelins pourrait être un sujet de préoccupation dans l'UE. On s'attend en effet à une augmentation de l'impact budgétaire des médicaments orphelins au cours des prochaines années, en raison des produits nouvellement autorisés. Dans ce contexte, il est important de souligner le fait que certains États membres ont adopté des mesures spécifiques pour le remboursement des médicaments.

Autres mesures: la plupart des États membres ont fait état d'autres mesures qu'ils ont prises dans le cadre de plans nationaux sur les maladies rares qui couvrent non seulement les médicaments orphelins, mais aussi la prévention (par exemple le diagnostic pré-natal) et la détection des maladies rares, l'échange d'informations et la coopération avec les organisations de patients. Dans ce contexte, la plupart d'entre eux ont confirmé les progrès réalisés dans la mise en place de la base de données Orphanet et des centres experts pour les maladies rares et qu'ils disposaient de registres de patients atteints de maladies particulières.