

Pfizer AB

Solnavägen 3H
SE-113 63 Stockholm, Sweden
+ 46 (0)8 550 520 00
Reg.no. 556059-6255

Ert diarienummer: S2023/01768

Regeringskansliet
Socialdepartementet
E-post:
s.remissvar@regeringskansliet.se

22 september 2023

Remissvar EU-läkemedelslagstiftning: Kommissionens förslag på förordning och direktiv om humanläkemedel

Pfizer har inbjudits att lämna yttrande till Socialdepartementet om "EU-läkemedelslagstiftning: Kommissionens förslag på förordning och direktiv om humanläkemedel". Då kommissionens förslag är omfattande har Pfizer valt att begränsa yttrandet till förslag som berör det regulatoriska ramverket, immateriella rättigheter och ensamrätt på marknaden, definitionen av icke tillgodosedda medicinska behov, antimikrobiell resistens (AMR) samt läkemedelsförsörjning och bristsituationer.

Sammanfattning

Pfizer är ett globalt läkemedelsföretag som drivs av att forska fram och tillverka nya läkemedel och vaccin som kan hjälpa människor över hela världen att leva ett längre och friskare liv. Pfizer instämmer därför med de övergripande målen med förslaget om en reviderad EU-läkemedelslagstiftning: att alla patienter i hela EU ska få en snabb och jämlik tillgång till säkra och effektiva läkemedel, detta samtidigt som konkurrenskraften ska stärkas för EU:s läkemedelsindustri, både inom EU och globalt.

Lagförslaget innehåller flera förbättringar som Pfizer välkomnar, så som exempelvis:

- En modernisering och effektivisering av EU:s regulatoriska regelsystem och processer, något som kan förkorta tiden för godkännandeprocessen och tiden för läkemedel att nå ut till patient.
- Införandet av elektroniska bipacksedlar, något som bland annat skulle bidra till att förebygga och bättre hantera bristsituationer.
- Införande av ett koncept med vouchers som incitament för att stimulera forskning och utveckling av nya antimikrobiella läkemedel samtidigt som det bidrar till att motverka AMR. Förslaget med vouchers måste dock förbättras för att uppnå önskad effekt.

Flera andra delar av lagförslaget skulle dock i sin nuvarande form försvaga incitamentssystemet som möjliggör investering i forskning och innovation inom life science-sektorn. Dessutom kommer förslagen inte lösa de utmaningar som finns kring att skapa en ökad och jämlik tillgång till läkemedel för patienter inom hela EU. Övergripande handlar det om att:

- Skydd av immateriella rättigheter är till för att säkerställa de förutsägbara och långsiktigt tillförlitliga förutsättningar med ensamrätt på marknaden som krävs för att möjliggöra investering i forskning och innovation. Inom Life Science sektorn krävs miljardinvesteringar för att ta fram ett nytt läkemedel eller vaccin och forskningens natur gör att inte alla kandidater blir en färdig produkt på marknaden. Dessa finansiella risker kräver hållbara förutsättningar genom ett starkt skydd av immateriella rättigheter. Att försvaga dessa rättigheter på det sätt

som föreslås i lagförslaget kring lagstadgat uppgiftsskydd och marknadsskydd (regulatory data protection (RDP)) kan inte lösa de problem som finns med en ojämlig tillgång till läkemedel i EUs olika medlemsländer. Detta då de grundläggande orsakerna bakom dessa problem är multifaktoriella och till stor del är beroende av beslut på nationell nivå.

- Utvecklingen av nya läkemedel och tillgången till de läkemedel som patienter och våra hälso- och sjukvårdssystem behöver är beroende av en framgångsrik läkemedelsindustri. Därtill är life science-sektorn en viktig tillgång för EU:s och Sveriges ekonomi. Ökad reglering och ökade skyldigheter kring utveckling, tillverkning och leverans av läkemedel på det sätt som lagförslaget föreslår skulle skapa en oförutsägbart och därmed oattraktiv investeringsmiljö inom life science-sektorn. Detta skulle följaktligen skada Europas globala konkurrenskraft inom området, men också bidra till negativa effekter på EU:s ekonomi. Ytterst är det dock patienterna som drabbas hårdast när investering i forskning och utveckling inklusive kliniska prövningar riskerar att flyttas från Europa.
- Frågan om ökad och jämlik tillgång till läkemedel för alla patienter i Europa kan bara lösas om alla berörda aktörer identifierar och åtgärdar de hinder som finns inom respektive land och aktörs ansvarsområde. Pfizer är villiga att ta vår del av ansvaret. I likhet med flera andra medlemmar i EFPIA (den europeiska branschorganisationen för de forskande läkemedelsbolagen), har Pfizer därför redan den uttalade ambitionen att ansöka om prissättning och subvention i samtliga EU-länder senast två år efter godkännande, i den utsträckning nationella system tillåter det.

Lagförslaget definierar för första gången innebörden av icke tillgodosedda medicinska behov. Pfizer menar dock att definitionen är otydlig och snäv vilket undergräver kommissionens förslag om att möjliggöra förlängning av RDP kopplat till icke tillgodosedda medicinska behov. Att gradera icke tillgodosedda medicinska behov i olika nivåer är därtill inte önskvärt då det riskerar att ställa ojämförbara sjukdomstillstånd mot varandra.

Pfizer välkomnar kommissionens ambitioner när det gäller att harmonisera definitioner av begrepp kopplade till bristsituationer och läkemedelsförsörjning. Pfizer efterlyser även harmoniserade kriterier och listor över vilka läkemedel som anses vara medicinskt nödvändiga samt konkreta förslag där tillgängliga data används på ett mer effektivt sätt för att minska risken för läkemedelsbrister.

Pfizers kommentarer

Regulatoriska ramverk

Pfizer uppskattar och tillstyrker flera av kommissionens förslag som kan stärka EU:s globala position som Life Science-region och främja tillgängligheten till nya innovativa läkemedel för patienter. EU behöver ett modernt regelverk som både bibehåller dess globala inflytande och garanterar att patienter får tillgång till nya behandlingar så fort som möjligt. Pfizer välkomnar därför Kommissionens förslag till effektiviseringar och ökad anpassningsbarhet hos regelverket. Nya koncept som elektroniska bipacksedlar, flexibla granskningsprocesser och regulatoriska testbäddar för innovativa idéer skulle förenkla samarbeten och förbättra tillgängligheten för patienter. Pfizer vill också betona att de föreslagna regulatoriska förändringarna som syftar till att korta tiden för att läkemedel ska nå ut till patient fortsatt måste ha lika höga krav som idag avseende kvalitet och patientsäkerhet, vilket förslaget också har tagit i beaktande.

Förslaget med elektroniska bipacksedlar utgör även en viktig del i att förebygga och hantera läkemedelsbrister eftersom dessa kan uppdateras snabbare samt med förenklad administration jämfört med dagens fysiska bipacksedlar. Detta medför att läkemedelsföretagen i samverkan med myndigheter, snabbare och enklare kan fördela läkemedel och vacciner mellan olika länder när det uppstår risk för en bristsituation. Detta förslag bör därför införas omgående.

Pfizer välkomnar den effektivisering av EMA:s struktur och arbetssätt som förslaget innebär men konstaterar att det påverkar de nationella myndigheternas möjlighet till inflytande och även deras finansiering. Läkemedelsverkets position som en av de mest ansedda läkemedelsmyndigheterna inom EU är av stor betydelse för hela den svenska life sciencebranschen. En förutsättning för att denna position ska kunna bibehållas och utvecklas är att Läkemedelsverket tillförsäkras tillräckliga resurser för att aktivt kunna delta inte bara i direkt ärendehandläggning utan även i EMA:s arbete med vetenskapliga riktlinjer och annat arbete som är viktigt för att utveckla det regulatoriska systemet.

Skydd av immateriella rättigheter och ensamrätt på marknaden

Pfizer avstyrker kommissionens förslag att försvaga grundskyddet kring immateriella rättigheter och ensamrätt på marknaden genom att förkorta RDP från åtta till sex år.

Läkemedelsindustrin är en nyckelaktör i Europas hälso- och sjukvårdssystem och skydd mot sjukdomar och pandemier genom framtagande av nya läkemedel och vacciner. Därtill är life science-sektorn en viktig tillgång för EU:s ekonomi. För att behålla och stärka konkurrenskraften för life science-sektorn inom EU i relation till andra regioner är det avgörande med stärkta, förutsägbara och långsiktigt hållbara ramverk som främjar investering i forskning och utveckling i Europa.

Framtagning av nya läkemedel och vacciner kräver omfattande ekonomiska investeringar och det är enbart en bråkdel av all den forskning som initieras som leder till att ett läkemedel till slut når ut till patient. Ett företags ansökan om att få ett läkemedel godkänt för försäljning innehåller omfattande dokumentation med data från pre-kliniska och kliniska studier som lämnas in till regulatoriska myndigheten. Dokumentationen ska påvisa läkemedlets kvalitet, effekt och säkerhet. Framtagandet av denna data är både kostsam och tidskrävande och läkemedelsföretagens investeringar i den omfattande datainsamlingen skyddas därför av det regulatoriska dataskyddet (Regulatory Data Protection, RDP). Enligt gällande regelverk får andra företag hänvisa till dokumentationen först åtta år efter beslut om godkännande för försäljning. Syftet med dataskyddet är att komplettera det skydd som patentet ger. Att utveckla läkemedel tar lång tid och när läkemedlet är godkänt kan patentet ha löpt ut eller endast ha kort tid kvar. I andra fall kan det vara så att den metod som läkemedlet bygger på inte är möjlig att patentera, vilket allt oftare är situationen för nya innovativa läkemedel. Dataskyddet är därför ett mycket viktigt incitament som ger företaget möjlighet att få avkastning på den investering som krävs för den långa och kostsamma processen att ta ett läkemedel hela vägen till ett godkännande för försäljning. De intäkter som görs under den tid som ett läkemedel är ensamt på marknaden måste också täcka upp för kostnaderna kring alla molekyler/innovationer som av någon anledning inte når hela vägen fram, samt även möjliggöra investering i ny forskning. Som för alla läkemedelsföretag, är Pfizers möjlighet att investera i forskning och utveckling av nya medicinska genombrott helt beroende av ett förutsägbart och långsiktigt hållbart ramverk som skyddar immateriella rättigheter och ensamrätt på marknaden genom RDP vid lansering av nya produkter.

Kommissionen föreslår att grundskyddet i RDP ska kortas från åtta till sex år. Det föreslås dock förlängas med två extra år om läkemedelsföretaget lanserar och levererar produkten i samtliga 27 medlemsländer inom två år efter det att godkännandet för försäljning har beviljats av European Medicines Agency (EMA). För att uppfylla kravet behöver företagen inte bara ansöka utan också godkännas av den nationella pris- och förmånsmyndigheten eller motsvarande. Det är också oklart vad som avses med "tillräckliga mängder". I slutändan är det nationella beslut som avgör om ett läkemedel eller vaccin kommer tillgängliggöras på den lokala marknaden eller ej. I praktiken medför lagförslaget att läkemedelsföretagen inte äger processen och därmed inte heller möjligheten att säkerställa att alla de olika åtgärder som krävs för att ett läkemedel ska nå ut till patienterna i respektive land, initieras och genomförs på det sätt och inom den tidsram som krävs för att företaget ska kunna ta del av den föreslagna förlängningen av RDP med två år.

Kommissionens aktuella förslag lägger hela ansvaret på läkemedelsföretagen utan att ställa några krav eller skapa några incitament för medlemsländerna själva att åtgärda de befintliga nationella problemen som idag hindrar en jämlik tillgång till nya läkemedel. Det är orimligt. För närvarande har enskilda EU länder inte bara olika regelverk och processer för prissättning och subvention, utan också olika medicinska behov och prioriteringar. Frågan om ökad och jämlik tillgång till läkemedel för alla patienter i EU kan därmed enbart lösas genom samverkan där alla berörda aktörer tar proportionerligt ansvar för sina respektive delar.

Att göra förlängningen av RDP beroende av läkemedelsföretagens lansering i samtliga 27 EU länder ignorerar det nationella ansvaret för att identifiera hinder och prioritera genomförande av nödvändiga förändringar som skulle öka tillgängligheten av nya läkemedel för den egna befolkningen i varje enskilt land.

Pfizer är villiga att ta vår del av ansvaret. I likhet med flera andra medlemmar i EFPIA (den europeiska branschorganisationen för de forskande läkemedelsföretagen), har Pfizer redan den uttalade ambitionen att ansöka om prissättning och subvention i samtliga EU-länder senast två år efter godkännande av ett läkemedel eller vaccin, i den utsträckning nationella system tillåter det. Därtill är vi villiga att samverka med beslutfattare och relevanta aktörer för att bidra till att identifiera och föreslå åtgärder som kan undanröja de komplexa tillgänglighetsbarriärer som återfinns i nationell lagstiftning, hälsosystem och subventionsprocesser.

Pfizer strävar alltid efter att göra allt i vår makt för att bidra till att alla patienter ska få tillgång till nya läkemedel så snabbt som möjligt. Men att i enlighet med kommissionens lagförslag korta grundskyddet i RDP och koppla möjligheten till förlängning till faktorer som ligger utanför läkemedelsföretagens kontroll kommer inte vara effektivt när det gäller att förbättra patienters tillgänglighet till nya läkemedel. Däremot finns en överhängande risk att investeringsviljan för forskning och utveckling inom läkemedelsindustri minskar inom EU. Minskade investeringar i forskning, utveckling och produktion medför att möjligheterna för europeiska patienter att delta i kliniska prövningar minskar, att det dröjer längre tid innan nya läkemedel introduceras i EU, att kunskap och kompetens för läkemedelsutveckling försvinner från EU och att det skapas färre arbetstillfällen inom läkemedelsindustrin. I stället för att attrahera investeringar och göra EU till platsen där innovation sker bidrar förslaget till att EU blir en konsument av innovation som sker i andra delar av världen.

Orphan Market Exclusivity

Pfizer instämmer i att framtagande och godkännande av nya indikationer för olika sällsynta läkemedel bör uppmuntras. Dessa kan ge viktiga behandlingsmöjligheter till patienter som lever med sällsynta sjukdomar. Vi stödjer därför konceptet om införande av ett "Global Orphan Marketing Authorisation system". Vi ifrågasätter dock den föreslagna begränsningen om att endast en förlängning med ett års "Orphan Market Exclusivity - OME" kan göras för varje enskild produkt. Det kan däremot behövas en begränsning i den maximala längden för OME för att skapa förutsägbarhet för andra aktörer.

Icke tillgodosett medicinskt behov

Att utveckla nya mediciner och behandlingar för patienter som har ett icke tillgodosett medicinskt behov är en grundpelare i läkemedelsbranschens verksamhet. Kommissionens lagförslag definierar för första gången innebörden av icke tillgodosedda medicinska behov vilket är välkommet. Definitionen är dock i Pfizers mening ottydlig och snäv vilket undergräver kommissionens förslag om att möjliggöra förlängning av RDP kopplat till icke tillgodosedda medicinska behov. Enligt förslaget kan definitionen av vad som anses vara ett icke tillgodosett medicinskt behov förändras efter det att investering i forskning och utveckling redan är gjord. Detta skapar osäkerhet kring om de EU-baserade incitamenten är tillräckligt starka för att stimulera framtida forskning inom sjukdomsområden som är viktiga för att tillgodose patienternas behov inom regionen. Att

gradera icke tillgodosedda medicinska behov i olika nivåer är därtill inte önskvärt då det riskerar att ställa ojämförbara sjukdomstillstånd mot varandra.

Incitament för forskning kring nya antimikrobiella läkemedel

Pfizer, som ett av få läkemedelsföretag som fortfarande prioriterar utveckling av nya antimikrobiella läkemedel, ser positivt på diskussionen och de initiativ som har tagits kring nya incitament för att säkra en långsiktigt hållbar global tillgång till denna grupp av läkemedel. Vi tar ansvar för att garantera att Pfizers befintliga antimikrobiella läkemedel är tillgängliga för de patienter som behöver dem. Detta gör vi bland annat genom deltagande i den svenska modellen för tillgänglighet till medicinskt viktiga antibiotika. Det är dock viktigt att understryka att det krävs andra finansiella incitament för att säkerställa forskning och utveckling av nya antimikrobiella läkemedel.

En ansvarsfull förskrivning av antimikrobiella läkemedel är av grundpelarna i kampen mot AMR. En direkt konsekvens av detta blir att försäljning av ett antimikrobiellt läkemedel är så låg att intäkterna inte kan bära sina egna utvecklingskostnader. Därför krävs andra finansieringsmekanismer och för att utgöra verkliga incitament för att stimulera investeringar utveckling av nya antimikrobiella läkemedel måste de:

- vara av tillräcklig storlek för att stimulera forskning, utveckling och innovation
- främja ansvarsfull användning av antimikrobiella läkemedel genom att frikoppla vinst från försäljningsvolym
- kopplas till samhällsvärdet av det nya läkemedlet
- möjliggöra effektiv och skyndsam implementering i EU
- skapa långsiktig tydlighet för alla parter (inklusive generikaindustrin och betalare)
- utgöra ett stöd för hela ekosystemet för forskning, dvs företag av olika storlek, investerare etc.

Pfizer bedömer att en överlåtbar så kallad exklusivitetsvoucher (Transferable Exclusivity Voucher, TEV) är den finansieringsmekanism som bäst uppfyller kriterierna ovan. En rätt utformad TEV kan utgöra ett storleksmässigt relevant incitament för utveckling av nya antimikrobiella läkemedel. Det är viktigt att understryka att det offentliga inte tar några finansiella risker med denna mekanism då företagets ansökan om en TEV sker först när det är säkerställt att forskningen har lett fram till ett effektivt och efterfrågat läkemedel. Med andra ord är det fortsatt det enskilda läkemedelsföretaget som tar alla finansiella risker under forsknings- och innovationsfasen. Kriterierna för TEV möjliggör styrning mot samhällsvärde samtidigt som ansvarsfull användning av ett nytt antimikrobiellt läkemedel inte hotas eftersom finansieringsmekanismen är helt frikopplad från eventuell försäljningsvolym av läkemedlet. Slutligen utgör TEV ett incitament även för små och medelstora företag som inte har läkemedel där exklusivitetsförlängning är relevant eller som saknar kapacitet att marknadsföra läkemedlet. Detta genom att en voucher kan säljas vidare från ett läkemedelsföretag till ett annat.

Pfizer välkomnar kommissionens initiativ om en TEV. Det ger EU en unik möjlighet att bli världsledande i arbetet med att motverka AMR. Samtidigt behöver förslaget utvecklas från dess nuvarande form för att utgöra ett tillräckligt starkt incitament för utveckling av nya antimikrobiella läkemedel. Pfizer föreslår följande förändringar av kommissionens förslag till TEV-systemet:

- TEV bör inte vara begränsat till regulatoriskt dataskydd (RDP) utan även inkludera Tilläggsskydd (Supplementary Protection Certificate) för läkemedelsprodukter. Detta skulle öka antalet potentiella målprodukter och därmed finansieringsmekanismens värde.
- Kriterierna för att ett nytt antimikrobiellt läkemedel ska belönas med TEV måste göras mindre strikta då kriterierna i förslaget är mycket svåra att uppfylla. En lägre tröskel för inkludering i TEV kombinerat med en skala där läkemedlets samhällsvärde bestämmer nivån på TEV (t ex längd på exklusivitet) skulle utgöra en bättre stimulans.

- Förslagets begränsningarna om att maximalt tio TEVs kan beviljas under en period om 15 år och att en TEV endast får säljas vidare en gång begränsar värdet för mekanismen. Dessa begränsningar behöver åtgärdas.

Att inte gå vidare med förslag om ett ändamålsenligt TEV-system (eller ett fullgott alternativ enligt kriterierna ovan) skulle förlänga den rådande situationen med otillräckliga forskningsincitament där ytterst få nya antimikrobiella läkemedel utvecklats under de senaste decennierna. Det skulle i förlängningen riskera att äventyra hälso- och sjukvårdens möjligheter att erbjuda effektiv behandling av infektioner.

Läkemedelsförsörjning och bristsituationer

Pfizers robusta globala nätverk och prioriterade arbete för att motverka bristsituationer drivs av vetskapen att patienters liv och hälsa äventyras vid ett avbrott i medicinsk behandling. Läkemedelsbrister försvårar även vårdens arbete då alternativa behandlingar (i de fall alternativ finns) kan vara svåra att identifiera, vara mer kostsamma, innebära allvarigare biverkningar och/eller kräva ytterligare vårdresurser. Pfizer vidtar flertalet åtgärder för att minska riskerna för bristsituationer. Dessa inkluderar exempelvis parallella produktionsanläggningar och logistikkedjor på flertalet platser i USA och inom EU för tillverkning av våra mest kritiska vacciner, logistikkedjor med inbyggd flexibilitet för att säkerställa överskott av läkemedelssubstans, tillfredsställande kompetensförsörjning och flertalet leverantörer, samt hög kvalitetssäkring under hela delen av tillverkningsprocessen av våra läkemedel och vacciner.

Läkemedelsbrist drivs och påverkas av flera parametrar och omständigheter. Allt från tillverkningsproblem och faktorer kopplat till regulatoriska, kommersiella och kvalitetsgranskande processer, till balansen mellan tillgång och efterfrågan kan leda till en risk för brist på ett läkemedel eller vaccin. Pfizer välkomnar därför kommissionens ambitioner när det gäller att harmonisera definitioner av begrepp kopplade till bristsituationer och läkemedelsförsörjning. Det är avgörande för att undvika motsägelser mellan långsiktiga regleringar på EU-nivå och nationella initiativ. Detta då olika nationella regleringar undergräver Kommissionens ambition om en inre marknad för läkemedel, försvårar samarbete och minskar möjligheterna till effektivt förebyggande och hantering av bristsituationer. Som nämnt ovan är även förslaget med elektroniska bipacksedlar en viktig möjlighet att förebygga och hantera bristsituationer.

Kommissionens förslag lägger vidare krav på marketing authorisation holders (MAHs) att skapa och kontinuerligt uppdatera "Shortage prevention plan (SPPs)" för *alla* produkter. Pfizer instämmer i att preventionsplaner är en viktig del i arbetet med att förebygga bristsituationer för utvalda läkemedel av avgörande betydelse. Att införa SPP för samtliga produkter är dock oproportionerligt och kommer resultera i omfattande administration för både läkemedelsföretag och nationella regulatoriska myndigheter, varför vi avstyrker det aktuella förslaget i sin nuvarande form.

Vidare kan också MAHs enligt lagförslaget åläggas att framställa en "Shortage Mitigation Plan (SMP)" med information om vilka åtgärder som kommer vidtas för att motverka framtida bristsituationer. Definitionen av vilken information som dessa preventionsplaner ska innehålla är dock ottydlig och behöver förtydligas för att förslaget ska uppnå avsedd effekt. Pfizer vill också understryka att preventionsplanerna innehåller känslig affärsinformation av konfidentiell natur och bör därför förvaras hos det berörda företaget för att kunna uppvisas för myndigheterna vid inspektion.

Gällande förslagen om nationella listor på läkemedel av avgörande betydelse (Critical Medicines List) finns det också ottydligheter kring vilka krav som ställs på produkter för att klassificeras som ett sådant läkemedel. Pfizer skulle därför önska att även dessa krav och listor harmoniseras på EU-nivå.

När det gäller läkemedelsförsörjning efterlyser Pfizer utöver det som föreslås av kommissionen även konkreta förslag där tillgängliga data används på ett mer effektivt sätt för att minska risken för läkemedelsbrister. European Medicines Verification System (EMVS) är ett redan existerande system som om det skulle användas bredd inom EU

skulle ge tillsynsmyndigheter en realtidsinsikt i leveranskedjor och därmed en bättre översikt över reella och potentiella bristsituationer.

Pfizer Sverige

Malin Parkler
VD Pfizer Sverige

Jonas Ålebring
Medical Director

Pia Steensland
Director Policy & Public Affairs