



**Étude en soutien d'une analyse
d'impact pour préparer la révision
de la directive 2002/98/CE
concernant la qualité et la sécurité
du sang humain et des produits
sanguins et de la directive
2004/23/CE concernant la qualité et
la sécurité des tissus et cellules
humains et de leurs actes
d'exécution**

Résumé et Document de synthèse

Étude en soutien d'une analyse d'impact pour préparer la révision de la directive 2002/98/CE concernant la qualité et la sécurité du sang humain et des produits sanguins et de la directive 2004/23/CE concernant la qualité et la sécurité des tissus et cellules humains et de leurs actes d'exécution

Résumé et Document de synthèse

Luxembourg: Office des publications de l'Union européenne, 2022

© Union européenne, 2022

La politique de réutilisation des documents de la Commission européenne est mise en œuvre sur la base de la décision 2011/833/UE de la Commission du 12 décembre 2011 relative à la réutilisation des documents de la Commission (JO L 330 du 14.12.2011, p. 39). Sauf mention contraire, la réutilisation du présent document est autorisée dans le cadre d'une licence Creative Commons Attribution 4.0 International (CC BY 4.0) (<https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>). Cela signifie que la réutilisation est autorisée moyennant citation appropriée de la source et indication de toute modification.

FR PDF HW-05-22-190-FR-N ISBN 978-92-95224-16-2 doi 10.2925/743204

Résumé

La présente étude, commandée par l'Agence exécutive pour la santé et le numérique (HaDEA) de la Commission européenne et sa Direction générale de la santé et de la sécurité alimentaire (DG SANTE), fournit des éléments de preuve visant à étayer l'évaluation des incidences des réformes proposées de la législation européenne sur le sang, les tissus et les cellules (STC). Une évaluation de la législation STC, publiée par la Commission européenne en 2019, a conclu qu'elle était fondamentalement efficace, mais qu'il subsistait cinq grands domaines présentant des lacunes et des insuffisances. La Commission s'est depuis lors employée à élaborer des options en vue d'y remédier.

Dans le cadre de cette étude, des preuves ont été collectées à partir de sources existantes et de nouvelles recherches ont été menées afin de contribuer à la détermination et à l'étude des incidences. Les activités entreprises comprennent des recherches documentaires, onze ateliers participatifs qui ont rassemblé plus de 700 parties prenantes du secteur, des entretiens et d'autres recherches pour 15 études de cas analysant les questions et les défis rencontrés à la frontière juridique entre la législation STC et d'autres cadres réglementaires, des consultations en ligne ciblées (des enquêtes axées sur les incidences et les coûts des options proposées ont été distribuées aux autorités nationales compétentes en matière de STC, aux établissements STC et à d'autres parties prenantes), et des entretiens de suivi avec les parties prenantes.

Ces éléments de preuve ont été rassemblés et utilisés pour évaluer l'incidence des options proposées par la Commission européenne par rapport au cadre de référence. L'analyse suggère que le modèle de « réglementation conjointe » proposé (en vertu duquel les établissements sont tenus de suivre les lignes directrices spécifiées par les organes d'experts de l'UE) conjugue utilement souplesse et cohérence réglementaires sur l'ensemble de l'UE. En outre, le train de mesures envisagé par la Commission européenne devrait contribuer à mieux définir la frontière juridique entre la réglementation et d'autres cadres juridiques, à renforcer l'harmonisation réglementaire, à lever les obstacles à l'innovation, à améliorer la résilience aux pénuries d'approvisionnement et à assurer un niveau cohérent de protection des patients, des donneurs et des enfants issus de la procréation médicalement assistée. L'apport de ces avantages entraînera des coûts supplémentaires pour le secteur et les régulateurs.

Document de synthèse

DS1. Introduction et finalité de l'étude

Le présent document constitue le rapport final de l'étude réalisée par ICF S.A. qui sert de base à l'analyse d'impact de la Commission européenne concernant la révision de la directive 2002/98/CE et de la directive 2004/23/CE et de leurs actes d'exécution : la législation de l'UE sur le sang, les tissus et les cellules (STC). L'objectif de cette étude est de fournir des preuves à l'appui d'une évaluation des incidences des réformes proposées à la législation STC. Les réformes proposées ont pour but de résoudre les cinq principaux problèmes suivants, mis en lumière par une évaluation de la législation STC réalisée en 2019 :

- Les patients ne sont pas totalement protégés contre les risques évitables, car les exigences de qualité et de sécurité définies dans la législation sont obsolètes ;
- Les approches divergentes en matière de surveillance engendrent des niveaux inégaux de qualité et de sécurité et des obstacles à l'échange de STC dans l'UE ;
- Les donateurs de STC et les enfants nés de dons d'ovules, de sperme ou d'embryons sont exposés à des risques évitables ;
- La législation STC est à la traîne en matière d'innovation et il est difficile de définir les limites juridiques de la nouvelle STC par rapport à d'autres cadres réglementaires ; et
- L'UE est vulnérable aux interruptions d'approvisionnement de certains STC, et sa dépendance vis-à-vis des importations de plasma est élevée.

La pandémie de COVID-19 a également mis en évidence d'autres lacunes de la législation, par exemple l'absence de disposition pour le suivi des approvisionnements, l'absence de cadre approprié et proportionné pour l'évaluation rapide des nouvelles thérapies (par exemple le plasma de convalescent de la COVID).

La Commission a élaboré **trois options stratégiques**, chacune d'entre elles proposant une approche pour résoudre les problèmes ciblés. Chacune de ces options comporte plusieurs mesures, et les options se différencient par l'approche adoptée pour fixer les règles relatives aux normes de qualité et de sécurité et aux mesures de préparation :

- L'option 1 repose sur le principe de la réglementation décentralisée. Dans différents domaines, elle accorde aux établissements de transfusion sanguine et aux établissements de tissus l'autonomie nécessaire pour établir leurs propres normes/règles en se référant à diverses sources d'orientation ;
- L'option 2 repose sur le principe de la réglementation conjointe. Les établissements sont tenus de suivre les lignes directrices spécifiées par les organismes experts de l'UE tels que l'EDQM et l'ECDC ;
- L'option 3 repose sur le principe d'une réglementation centralisée, toutes les règles étant codifiées dans le droit communautaire.

Des descriptions détaillées des options, ainsi que des mesures communes destinées à résoudre les autres problèmes relevés dans l'évaluation, sont fournies dans le rapport d'étude. Cette étude a comparé les effets escomptés de chacune de ces options avec un scénario de référence dans lequel la législation européenne sur le sang, les tissus et les cellules (STC) n'a fait l'objet d'aucune réforme.

DS2. Méthodologie

La méthodologie de l'étude, qui a été alignée sur les lignes directrices pour une meilleure réglementation, a impliqué :

- **Recherche documentaire** : Plus de 270 documents et sources de données (rapports, littérature scientifique, documents de prise de position, comptes rendus de réunions et résultats des consultations de la Commission) ont été examinés.
- **Ateliers** : Onze ateliers participatifs en ligne ont été organisés, rassemblant plus de 700 parties prenantes issues de diverses organisations. Les ateliers ont abordé toute une série de sujets en rapport avec les réformes, notamment l'autorisation de nouveaux processus de préparation de STC, la réglementation de la manipulation des STC sur le lieu de soins, le renforcement de la surveillance, le renforcement de la protection des donneurs, les définitions clés, les principes éthiques et les limites juridiques avec d'autres cadres réglementés.
- **Consultations en ligne ciblées** : Des enquêtes ont été menées sur une période de quatre semaines auprès (i) des autorités nationales compétentes (ANC) en matière de STC et (ii) d'autres parties prenantes. Chacune contenait une enquête sur les coûts et un questionnaire sur les incidences potentielles des options. Des entretiens de suivi et des échanges de courriels avec les principales parties prenantes ont été effectués afin d'obtenir des commentaires plus détaillés sur des mesures spécifiques et des lacunes dans les données.
- **Études de cas sur la frontière juridique** : 15 études de cas ont été préparées afin de fournir des preuves supplémentaires sur les problèmes de frontière juridique. La collecte de données pour chaque étude de cas a impliqué une étude documentaire et la consultation d'experts. Au total, 44 parties prenantes de 25 organisations ont été consultées dans le cadre de ce processus.

Les résultats des différentes activités de recherche ont été rassemblés lors de la phase de synthèse. L'équipe chargée de l'étude a ensuite estimé les coûts des options et analysé les avantages des options en matière de sécurité et de qualité, de sécurité d'approvisionnement, d'accès, d'innovation, etc. Une série de critères ont été définis pour rendre compte de la diversité des impacts des options par rapport au cadre de référence. La Commission les a utilisés pour l'analyse d'impact, guidée par un outil d'évaluation multicritères - SOCRATES - développé par le Centre commun de recherche.

L'étude a bénéficié des contributions techniques et des conseils de trois experts indépendants qui ont formé un Comité de pilotage travaillant avec l'équipe de projet principale.

DS3. Résultats

DS3.1. Impacts sur la santé

Impact sur le patient traité avec des STC :

L'étude a révélé que les mesures visant la qualité et la sécurité pour les patients pourraient bénéficier à des millions de personnes chaque année en offrant une plus grande souplesse du système réglementaire pour répondre aux risques évitables, une plus grande cohérence des pratiques réglementaires dans l'ensemble de l'UE, la capacité de mobiliser les connaissances scientifiques et techniques pertinentes dans les secteurs STC pour la mise à jour des orientations, et une plus grande disponibilité d'informations opportunes pour la gestion des risques en cas d'événements indésirables graves pour les patients.

Les performances des trois options stratégiques au regard des impacts ciblés varient considérablement en fonction des pratiques opérationnelles existantes des établissements STC. En règle générale :

- L'option 1 n'est globalement pas meilleure que la situation actuelle et pourrait éventuellement aboutir à une moindre cohérence des pratiques entre les États membres.
- De manière générale, l'option 2 est supposée avoir l'impact positif le plus important en permettant une mise à jour plus souple et plus cohérente des orientations (par l'intermédiaire d'organismes experts tels que le Centre européen de prévention et de contrôle des maladies et la Direction européenne de la qualité du médicament & soins de santé), reflétant les connaissances scientifiques et techniques actuelles. Il est important de noter qu'elle facilitera également l'élaboration rapide de conseils dans des situations d'urgence telles que la récente pandémie de COVID-19.
- En revanche, l'option 3 devrait être plus contraignante que l'option 2 en raison de la longueur de la procédure requise pour la comitologie, mais elle offre néanmoins une solution solide pour assurer la protection des patients dans toute l'UE.

Impact sur les donneurs et la descendance

Les mesures visant la qualité et la sécurité des donneurs et de la descendance pourraient offrir une protection renforcée à un grand nombre de personnes chaque année. Toutes les options devraient améliorer la disponibilité des informations nécessaires à la gestion des risques, grâce aux mesures communes proposées pour la notification des réactions ou résultats indésirables graves. Les options 2 et 3 devraient offrir une protection renforcée et uniforme. L'option 2 a été jugée par les parties prenantes comme un moyen efficace d'apporter une expertise scientifique et technique pour soutenir la gestion des événements à haut risque ou des résultats indésirables, et comme un moyen plus souple de mettre à jour les règles en fonction des données probantes les plus récentes.

Impact sur la surveillance

Les trois options stratégiques prévoient le même train de mesures destinées à renforcer la surveillance du secteur STC afin que les règles soient appliquées de manière plus uniforme, que la confiance entre les États membres soit améliorée et que les obstacles réglementaires à l'échange transfrontalier de STC soient réduits. Ainsi, les impacts (par rapport au cadre de référence) devraient être les mêmes pour toutes les options.

Certaines mesures s'adressent directement aux ANC, d'autres exigent de la Commission européenne qu'elle mette en œuvre des mesures qui renforceront indirectement la capacité de surveillance (telles que des audits des systèmes de contrôle nationaux et une plateforme informatique commune favorisant la diffusion d'informations vers et entre les autorités compétentes).

Au sein de chaque État membre, on espère que les mesures contribueront à renforcer les pratiques de surveillance et conduiront en fin de compte à de meilleurs résultats pour les patients, les donneurs et les enfants. Cela contribuera ensuite (indirectement) à la concrétisation d'impacts collectifs au niveau de l'UE (par exemple, un renforcement de la confiance mutuelle, un meilleur échange de STC entre les États membres, une adoption plus rapide des nouvelles applications de STC reconnues par les autres États membres, des améliorations de la qualité des inspections effectuées, etc.).

Impact sur la résilience de la chaîne d'approvisionnement

Ces mesures devraient améliorer la gestion globale des risques de la chaîne d'approvisionnement dans le secteur des STC ; la disponibilité des informations permettant

de prévoir et de gérer les pénuries/risques d'interruption, y compris les nouvelles menaces sanitaires infectieuses ; et la préparation à la mise en œuvre d'une gestion efficace et opportune des pénuries/risques d'interruption, y compris les nouvelles menaces sanitaires infectieuses. Il est toutefois plus difficile de déterminer si ces mesures permettront de résoudre les problèmes d'approvisionnement structurels, tels que la dépendance de l'UE à l'égard des approvisionnements en plasma depuis les États-Unis.

La plupart des mesures étant communes à toutes les options, et de nombreux établissements étant déjà susceptibles de disposer d'une certaine forme de plans d'urgence, l'écart de performance attendu entre les options est moindre que dans d'autres domaines de cette analyse. La principale différence entre les options réside dans l'approche proposée pour la spécification des règles à suivre par les établissements dans le cadre de l'élaboration des plans d'urgence et des orientations pour la communication des données sur la suffisance des stocks :

- L'option 1 étend le modèle existant (selon lequel les établissements préparent des plans d'urgence en fonction des exigences fixées par les autorités compétentes, les clients et d'autres organismes externes).
- L'option 2 présente l'avantage d'une approche cohérente et d'une mise à jour en temps utile des orientations définies par les autorités de l'UE en ce qui concerne les plans de préparation et d'urgence.
- L'option 3 devrait assurer la cohérence, mais manquer de souplesse, bien que cette considération soit moins pertinente pour le problème des pénuries par rapport à d'autres domaines problématiques, car les règles dans ce domaine devraient changer moins souvent.

DS3.2. Impacts économiques

Innovation et recherche

Plusieurs mesures sont communes à toutes les options. En conséquence, les options sont censées :

- avoir un impact positif sur la production de preuves plus cohérentes démontrant la qualité, la sécurité et l'efficacité des STC présentant des profils risque/bénéfice similaires, qui seraient plus proches des exigences des cadres juridiques adjacents. En particulier, dans toutes les options, les mesures sont susceptibles d'améliorer l'interaction avec d'autres organismes consultatifs (tels que le Comité des médicaments de thérapie innovante et le sous-groupe limites et classification qui siège au sein du groupe de coordination en matière de dispositifs médicaux).
- résoudre partiellement les problèmes qui entravent la R&D dans le secteur des STC (y compris par les innovateurs du secteur public), en encourageant les partenariats public-privé ; améliorer la transparence de la recherche (circulation des données, des résultats de la recherche ou des chercheurs). La disponibilité des données sur les résultats cliniques des nouvelles applications/préparations STC via une plateforme informatique (à développer par la Commission européenne, comme proposé dans les mesures) devrait améliorer la transparence, la confiance mutuelle et la confiance dans le secteur des STC.
- aider les États membres à partager les données sur la préparation nationale au processus d'autorisation, ce qui améliorera la cohérence et l'efficacité des processus d'autorisation dans l'ensemble de l'UE. Toutefois, l'ampleur de l'impact dépendra fortement des informations que les développeurs voudront bien partager, notamment en raison des clauses de confidentialité applicables aux informations
- améliorer l'accessibilité aux nouvelles thérapies STC.

Coûts pour les régulateurs et les établissements

Le tableau ci-dessous illustre les principaux impacts des réformes proposées sur les coûts d'application et d'ajustement (indiqués sous forme de fourchette) pour les institutions, les ANC et les établissements de l'UE sur dix ans (coûts exprimés en milliers d'euros).

Organisation	Indicateur	Option 1	Option 2	Option 3	Commentaire
Commission européenne	Coûts d'application annuels	1,499-1,721	7,294-7,516	8,591-8,813	Les principaux coûts ont trait au financement des mécanismes de coordination des conseils et de la classification, au développement et à la maintenance d'une plateforme informatique, au financement de l'élaboration et de la mise à jour des orientations (option 2) ou des règles de la législation européenne (option 3) et aux coûts liés au renforcement et à l'harmonisation des procédures de surveillance.
	Coûts d'ajustement uniques	6,071	6,071	6,071	
Autorités nationales compétentes	Coûts d'application annuels	19,732-21,587	18,728-20,590	18,728-20,590	<p>Les principaux coûts seront des coûts d'ajustement pour la transition vers de nouveaux modèles opérationnels. Certaines autorités (~7 %) pourraient subir des coûts dus à l'extension de la législation aux thérapies STC actuellement non réglementées.</p> <p>Au moins 14 États membres (et 20 au total, selon les estimations) recourent déjà à des inspections fondées sur le risque ; la plupart des coûts supplémentaires devraient être supportés par les ANC qui ne le font pas actuellement. Des économies sont possibles si la durée maximale autorisée entre les inspections est prolongée (par exemple, pour les établissements à faible risque). L'option 1, dans laquelle les ANC évaluent les propres évaluations des risques des établissements, sera plus complexe (et donc plus coûteuse) pour les régulateurs.</p>
	Coûts d'ajustement uniques	2,406-3,199	2,788-3,708	2,597-3,453	<p>Les procédures pour l'évaluation des nouveaux processus ou substances STC sont potentiellement gourmandes en ressources pour les ANC, en particulier lorsqu'il s'agit d'évaluer des preuves issues d'études cliniques. L'ampleur de cette activité au sein des ANC variera en fonction du volume de l'« activité d'innovation » et de la taille du secteur des STC dans le pays. Le soutien de l'UE sera important à cet effet.</p> <p>Une augmentation des inspections conjointes (actuellement estimées à 10 par an) pourrait également réduire les coûts (non encore quantifiables).</p>

Organisation	Indicateur	Option 1	Option 2	Option 3	Commentaire
Établissements	Coûts d'application annuels	71,268-84,091	63,570-84,091	68,393-84,091	Relativement peu d'établissements devront se conformer à un tout nouvel ensemble de règles. Les organisations qui tombent pour la première fois dans le champ d'application de la législation STC (~7 %) devront supporter des coûts supplémentaires en matière d'enregistrement, d'autorisation, d'inspection et de conformité.
	Coûts d'ajustement uniques	170,298-248,382	124,372-190,254	124,372-190,254	Sur la base des hypothèses sous-jacentes de cette étude, des propositions visant à harmoniser l'approche à l'autorisation des nouvelles applications STC qui entraîneront les coûts supplémentaires les plus importants. Quelques coûts supplémentaires liés principalement à la planification d'urgence et à la communication/notification des données sont possibles, mais la plupart des établissements ont déjà mis en place des mesures similaires. La fonctionnalité du système de notification et les seuils/conditions de notification auront une incidence sur les coûts actuels pour les établissements

Viabilité des budgets de santé

Les coûts d'un **renforcement de la surveillance** devraient affecter les ANC et les établissements réglementés, mais généralement au profit d'une normalisation accrue au sein de l'UE. Un risque serait que les autorités compétentes soumises à de nouvelles exigences ne soient pas en mesure de mobiliser les ressources financières nécessaires pour financer la transition vers le nouveau modèle opérationnel. Le soutien de l'UE sera important à cet effet.

Les mesures proposées pour améliorer l'**efficacité des processus d'autorisation** des nouvelles applications STC contribueront à harmoniser les approches de gestion des risques au sein de l'UE. La proposition d'utiliser une plateforme informatique pour partager les informations devrait également contribuer à améliorer l'efficacité globale de l'activité d'autorisation (par exemple en évitant la duplication de la production de preuves et des efforts administratifs tant pour les demandeurs que pour les autorités). Des économies pourraient également être réalisées grâce aux activités conjointes et aux échanges d'informations déjà effectués par les États membres. Globalement, les gains d'efficacité pourraient être légèrement inférieurs avec l'option 1 en raison de la variabilité des procédures utilisées (par exemple pour les évaluations des risques).

Il est possible que les mesures proposées aient un impact sur la **viabilité des budgets de santé** à plusieurs égards, mais il n'est pas possible de déterminer la différence que les réformes pourraient faire étant donné l'échelle et la complexité des systèmes et des contextes.

Compétitivité, commerce et investissement

Les mesures visant à soutenir l'innovation dans le domaine des STC devraient avoir un impact positif sur la compétitivité de l'UE dans ce secteur. Les parties prenantes s'accordent

à dire que les options 2 et 3 permettront d'accroître le niveau d'harmonisation au sein de l'UE en matière de STC, à la fois par l'établissement de règles et par la mise en place de nouveaux mécanismes qui offrent des conseils sur les questions de frontière juridique et les problèmes d'interprétation liés au cadre législatif STC.

On ne s'attend à aucune différence significative entre les options en matière d'impact sur le commerce, y compris en ce qui concerne la dépendance à l'égard des importations de plasma.

DS3.3. Impacts plus vastes

Toutes les options devraient avoir un impact modeste, mais positif sur les **droits fondamentaux** grâce à une protection accrue des enfants nés de dons de sperme, d'ovules ou d'embryons, à des modifications de la protection et donc des droits de tous les donneurs et patients, et à des mesures renforcées de protection des données.

On ne dispose pas de données suffisantes sur la répartition des entités par taille pour évaluer les impacts spécifiques sur le **fonctionnement et la gestion des petites et moyennes entreprises**. Les consultations des parties prenantes ont mis au jour certaines inquiétudes quant au fait que les coûts supplémentaires liés aux réformes seraient plus difficiles à absorber pour les petits établissements et qu'il y aurait une nouvelle consolidation du secteur. Certains de ces effets seront internalisés au sein des systèmes de santé publics.

Les recherches et les consultations n'ont abouti à aucune information suggérant que les options auraient des **incidences sur l'utilisation des ressources naturelles ou sur l'environnement**, que ce soit au sein du système de santé publique ou au niveau d'un système plus large. Les options ne devraient pas non plus entraîner d'**incidences numériques** telles que le développement de technologies de soins de santé ou d'autres technologies qui contribueront à l'économie numérique de l'UE. Le principal impact prévu en matière d'innovation concerne les traitements et les produits STC.

DS4. Conclusions

Dans l'ensemble, les éléments de preuve semblent privilégier le modèle de l'option 2. Il conjugue souplesse et cohérence à l'échelle de l'Union européenne, ce que n'offrent pas les autres modèles de gouvernance proposés par les options 1 ou 3. Si les options 2 et 3 sont considérées comme tout aussi susceptibles de renforcer les normes de qualité et de sécurité et d'améliorer la gestion des risques liés à l'approvisionnement, la plus grande souplesse de l'approche de l'option 2 laisse présager une plus grande efficacité. Même si toutes les options sont censées renforcer la cohérence, l'option 2 a le mérite de garantir une approche plus pérenne. Une condition essentielle est le processus utilisé pour la détermination et la mise à jour des règles élaborées par les organes d'experts dans le cadre de l'option 2, qui devrait prévoir une consultation et un engagement appropriés ainsi que l'examen des coûts et des avantages.



Office des publications
de l'Union européenne