

Stellungnahme

Stellungnahme des

Bundesverbandes der Pharmazeutischen Industrie e. V.

zum

Vorschlag für eine Verordnung der Europäischen
Parlaments und des Rates über die Bewertung von
Gesundheitstechnologien und zur Änderung der
Richtlinie 2011/24/EU

(COM/2018/051 final)

EU-Transparenzregister-ID: 76399831150-89

Datum: Juni 2018

Stellungnahme

Einleitende Zusammenfassung

Aus Sicht des BPI ist der vorliegende Vorschlag der Kommission für eine Verordnung zur Bewertung von Gesundheitstechnologien (Health Technology Assessment – HTA) vor allem mit Blick auf die mit dem Entwurf verfolgten Ziele zu begrüßen:

- Angleichung der Anforderungen zur Generierung klinischer Evidenz in den Mitgliedstaaten sowie Verbesserung der Planbarkeit für klinischen Studien, die sowohl die Anforderungen für die Zulassung als auch die HTA-Bewertung abdecken;
- Schaffung von Synergien und Vermeidung von Doppelarbeit durch gemeinsam durchgeführte Beratungsprozesse und nachfolgende gemeinsame klinische Bewertungen von innovativen Arzneimitteln, sowohl auf Seiten der Mitgliedstaaten als auch auf Seiten der Industrie,
- Verbesserung des Zugangs von Patienten zu neuen Arzneimitteln.

Im Detail bleibt der vorliegende Entwurf aber in wesentlichen Punkten vage und lässt wichtige inhaltliche Festlegungen vermissen, die wichtig wären, um zu prüfen, ob diese Ziele tatsächlich erreicht werden können. Hierfür ist insbesondere maßgeblich, dass es im Entwurf an Anknüpfungspunkten für methodische und verfahrensbezogene Vorgaben fehlt und zu viele Aspekte, die zur Beurteilung der Erreichbarkeit der Zielsetzung erforderlich sind, erst nachgelagert in Durchführungsrechtsakten und Delegierten Rechtsakten geregelt werden sollen.

Oberste Prämisse für den europäischen Prozess muss sein, dass sich die derzeitige Versorgungssituation für Patienten in Deutschland durch den Gesetzentwurf nicht verschlechtert.

Aus deutscher Sicht ist festzustellen, dass der deutsche HTA-Prozess, auch unter dem Begriff AMNOG-Verfahren bekannt, auch unabhängig von den Diskussionen um den vorliegenden Verordnungsvorschlag auf EU-Ebene verbesserungsbedürftig ist. So wird bei vielen Bewertungen die vorhandene Evidenz aus dem Zulassungsprozess gar nicht betrachtet, sondern aus vielfach formalen Gründen abgelehnt. Auch besteht in Deutschland ein deutliches Governance-Problem durch die Dominanz des GKV-Spitzenverbandes im Gesamtprozess. Dieser stellt einerseits im Gemeinsamen Bundesausschuss die Schrauben für die Bewertung des Zusatznutzens und verhandelt dann in einem zweiten Schritt auf Basis

Stellungnahme

des Bewertungsergebnisses über den Preis des Arzneimittels. Dass dies strategiefähig ist, liegt auf der Hand.

Der BPI möchte im Folgenden drei wesentliche Aspekte aus dem Verordnungsvorschlag der Kommission detaillierter ansprechen:

- Gemeinsame Beratungen und gemeinsame klinische Bewertungen von innovativen Arzneimitteln,
- Methodische und verfahrenstechnische Vorgaben,
- Unterstützung freiwilliger Kooperationen aus EU-Mitteln.

Gemeinsame Beratungen und gemeinsame klinische Bewertungen von innovativen Arzneimitteln

Der Entwurf sieht für zentral zuzulassende Arzneimittel eine gemeinsame verpflichtende Bewertung der klinischen Evidenz („joint clinical assessment“) vor, bei der das neue Arzneimittel i. d. R. zum Zeitpunkt der Zulassung mit einem Therapiestandard verglichen wird. Es ist vorgesehen, dass die Mitgliedstaaten diese gemeinsam durchgeführte klinische Bewertung nutzen und darauf aufbauend eine Erstattungsentscheidung treffen. Diese und auch die Frage der Preissetzung verbleiben zusammen mit einigen weiteren Aspekten national bei jedem Mitgliedstaat.

Die Abgrenzung zwischen den unterschiedlichen Zuständigkeiten (gemeinsame verpflichtende Bewertung der klinischen Evidenz auf EU-Ebene vs. Bewertung auf nationaler Ebene) ist im Verordnungsentwurf allerdings nicht hinreichend klar geregelt. Da die Verordnung direkt in den Mitgliedstaaten anwendbares Recht sein wird und bestehende nationale gesetzlichen Vorgaben daran anzupassen sind, erscheint eine klares Verständnis der Schnittstelle zwischen den Zuständigkeiten aus Gründen der Rechtssicherheit unerlässlich.

Eine gemeinsame Bewertung der klinischen Evidenz ist unter der Maßgabe zu begrüßen, dass deren Ergebnis in den weiterhin national zu durchlaufenden Folgeschritten (bspw. Erstattungsentscheidung, Preissetzung) zu verwenden ist und nicht wiederholt wird.

Stellungnahme

Einer gemeinsamen verpflichtenden Bewertung der klinischen Evidenz vorgelagert sind die Einigung in methodischen und verfahrensbezogenen Fragen, auf denen die gemeinsame Bewertung aufbaut. Daher ist es wichtig, dass die Verordnung auf der Ebene des Primärrechts hierzu bereits allgemeine Anknüpfungspunkte enthält, die derzeit noch fehlen. Außerdem ist die besondere Bedeutung des gemeinsamen Beratungsverfahrens („joint scientific consultation“) als vorgelagerter Verfahrensschritt zu betonen.

Das gemeinsame Beratungsverfahren ist aus Sicht des Verbandes das Kernstück aller zukünftigen Zusammenarbeit, es ist die Grundvoraussetzung, um frühzeitig im Entwicklungsprozess zu gemeinsamen Anforderungen an die Ausgestaltung der klinischen Studien aus Zulassungs- und HTA-Sicht zu gelangen, die die Grundlage der späteren Bewertungen der Zulassungsbehörden und der HTA-Agenturen bilden. Im gemeinsamen Beratungsverfahren sollten bspw. Fragen wie die Auswahl der Vergleichstherapie sowie geeigneter Endpunkte diskutiert und geeinigt werden können.

Es ist sicherzustellen, dass die Ergebnisse der „joint scientific consultations“ die gleiche Verbindlichkeit für die Bewertung der klinischen Evidenz erhalten, wie dies die wissenschaftliche Beratung der Europäischen Arzneimittelagentur für den Zulassungsprozess hat. Werden die Beratungsergebnisse bei der Konzeption und Durchführung der klinischen Studien genutzt, so sollte die aus diesen Studien erhaltene Evidenz auch in späteren HTA-Bewertungsverfahren berücksichtigt werden. Zwar kann eine absolute Verbindlichkeit schon aufgrund des medizinisch-therapeutischen Fortschritts nicht festgeschrieben sein, allerdings muss klar sein, dass bei ausnahmsweise erforderlichen Abweichungen von einmal im Beratungsverfahren gegebenen Empfehlungen im nachgelagerten Bewertungsprozess die Darlegungslast aufseiten der HTA-Bewertungsinstitution liegt, die einer ursprünglich gegebenen Empfehlung nicht mehr folgen will. Ebenso muss mit Blick auf die Koordinierungsgruppe und die in ihr vertretenen HTA-Institutionen klar gestellt sein, dass Mehrheitsentscheidungen immer auch diejenigen binden, die an ihnen mitgewirkt haben, auch wenn diese möglicherweise nicht zugestimmt haben.

Aufgrund der großen Bedeutung der „joint scientific consultations“ ist zwingend sicherzustellen, dass alle Arzneimittel, für die der Verordnungsentwurf eine gemeinsame klinische Bewertung vorsieht, ungehindert Zugang zum gemeinsamen Beratungsverfahren haben.

Stellungnahme

Derzeit sieht der Entwurf einen Auswahlmechanismus vor, der im Ergebnis dazu führen würde, dass Hersteller von Arzneimitteln, die in den gemeinsamen Bewertungsprozess der klinischen Evidenz einbezogen sind, keinen Zugang zum vorgelagerten gemeinsamen Beratungsverfahren haben könnten. Dies ist nachdrücklich abzulehnen, da es zum einen zu einer Ungleichbehandlung der Arzneimittel im Prozess führen würde und zum anderen die Aussichten auf eine erfolgreiche Durchführung des Bewertungsverfahrens geschmälert werden.

Auswertungen der Europäischen Arzneimittelagentur zeigen, dass es eine eindeutige Korrelation zwischen der Inanspruchnahme wissenschaftlicher Beratung und dem erfolgreichen Abschluss des Zulassungsverfahrens gibt¹. Es ist davon auszugehen, dass dies für das Verfahren der gemeinsamen Bewertung klinischer Evidenz nicht anders sein wird.

Methodische und verfahrenstechnische Vorgaben

Neben dem Beratungsverfahren als zentralem Element des Verordnungsentwurfs und Grundlage für das nachgelagerte Bewertungsverfahren sind klare methodische und verfahrenstechnische Vorgaben unerlässlich. Hierzu muss die Verordnung selbst allgemeine Festlegungen enthalten, die dann in Durchführungsrechtsakten und Delegierten Rechtsakten ggf. spezifiziert werden können. Insbesondere sind folgende Aspekte zu nennen, die bereits im Primärrecht zu verankern sind:

- Die Verfahrensvorschriften und methodischen Vorgaben für die gemeinsame klinische Bewertung haben sich an etablierten wissenschaftlichen Standards zu orientieren und auf den Ergebnissen der gemeinsamen Arbeit bei EUnetHTA aufzusetzen.
- Für den Bewertungsprozess ist die bestverfügbare Evidenz zum Zeitpunkt der Bewertung zu nutzen, wobei das von den Behörden im Zulassungsprozess berücksichtigte Studiendesign auch als Grundlage der gemeinsamen klinischen Bewertung zu akzeptieren ist.

1

http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/news_and_events/news/2015/04/news_detail_02308.jsp&mid=WC0b01ac058004d5c1 (letzter Zugriff: 30.05.2018)

Stellungnahme

- Die Besonderheiten von Arzneimitteln in besonderen Therapiesituationen (z. B. kleine Patientenkollektive, pädiatrische Anwendung, seltene Erkrankungen, Zulassung vorbehaltlich besonderer Bedingungen (conditional approval), Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen (exceptional circumstances), beschleunigte Bewertung (accelerated assessment), Zulassungen aus dem Priority Medicines (PRIME)-Schema der Europäischen Arzneimittelagentur) sind methodisch angemessen zu berücksichtigen.
- Auch für andere Gesundheitstechnologien / Medizinprodukte sind deren Besonderheiten methodisch und verfahrenstechnisch abzubilden, wobei eine Einbeziehung in den Anwendungsbereich der Verordnung grundsätzlich zu hinterfragen ist. Die Verknüpfung einer gemeinsamen klinischen Bewertung mit dem Marktzugangsverfahren gemäß der EU-Medizinprodukte-Verordnung („Scrutiny-Prozess“) ist kritisch zu hinterfragen. Sicherheit, Funktion und Leistungsfähigkeit von Medizinprodukten sind durch das CE-Zeichen nachgewiesen.
- Es ist ein Prozess zu etablieren, wie wissenschaftlicher Fortschritt Eingang in die Verfahrensvorgaben findet. Eine Orientierung am Prozess der Entwicklung wissenschaftlicher Leitlinien bei der Europäischen Arzneimittelagentur erscheint sinnvoll.
- Es sollten klare Vorgaben zum Zeitrahmen für den gemeinsamen klinischen Bewertungsprozess gemacht werden. Dieser sollte mit dem Zulassungsprozess in Einklang gebracht werden. Insbesondere für Arzneimittel, die einen ungedeckten therapeutischen Bedarf erfüllen und deswegen bspw. im Rahmen eines beschleunigten Verfahrens zugelassen werden, sollte eine gemeinsame klinische Bewertung zeitgerecht vorliegen.
- Vertrauliche Daten sind zu schützen.

In vielen Mitgliedstaaten besteht im HTA-Bereich – wie auch im Zulassungsprozess auf EU-Ebene – die Möglichkeit für den pharmazeutischen Unternehmer, eine für ihn ungünstige Entscheidung in einem weiteren Verfahrensschritt („appeal“) überprüfen zu lassen. Diese Möglichkeit fehlt im Verordnungsentwurf und sollte ergänzt werden.

Stellungnahme

Unterstützung freiwilliger Kooperationen aus EU-Mitteln

Der Verordnungsentwurf sieht vor, dass neben der verpflichtenden gemeinsamen Bewertung der klinischen Evidenz weitere HTA-bezogene Aspekte auf der Ebene der Mitgliedstaaten verbleiben. Dies entspricht dem Gedanken der Subsidiarität, nach dem die Mitgliedstaaten für die Organisation ihrer Gesundheitssysteme selbst verantwortlich sind.

Die Mitgliedstaaten können in diesen Bereichen freiwillig zusammenarbeiten und tun dies auch bereits (bspw. BENELUXA, Visegrad, Valletta-Deklaration).

Das Vorhaben, diesen freiwilligen Kooperationen der Mitgliedstaaten unter dem Dach der EU eine Organisationsstruktur zu geben und diese mit EU-Mitteln zu fördern, widerspricht dem vorgenannten Prinzip und sollte unterbleiben. Der Fokus der aus EU-Mitteln unterstützten Aktivitäten sollte auf den Kernbausteinen des Verordnungsvorschlags liegen: den gemeinsamen Beratungsverfahren und den gemeinsamen Verfahren zur Bewertung der klinischen Evidenz.