

EU-HTA und AMNOG im Spannungsverhältnis - Eine europäische Standortfrage

Im Januar 2025 ist die europäische Nutzenbewertung für neue Arzneimittel gestartet. Seither sind pharmazeutische Unternehmen verpflichtet, Dossiers für die klinische HTA-Bewertung parallel zur europäischen Zulassung einzureichen. Der erste europäische Bewertungsbericht wird Ende Mai erwartet und soll anschließend als Grundlage für die nationale Nutzenbewertung dienen.

Trotz der regulatorischen und verfahrenstechnischen Implementierung in Deutschland zeigen sich erste Hinweise auf ein mögliches Spannungsverhältnis zwischen EU-HTA und dem AMNOG-Verfahren. Im Folgenden werden zentrale Herausforderungen für die Standortattraktivität sowie mögliche Ansätze zur Reduzierung von Reibungspunkten aus Sicht forschender Pharmaunternehmen dargestellt.

■ Europa im globalen Wettbewerb um pharmazeutische Innovationen

Die Rahmenbedingungen für pharmazeutische Innovationen werden zunehmend im globalen Wettbewerb geprägt. Forschende Pharmaunternehmen investieren dabei bevorzugt in Regionen mit attraktiven Standortbedingungen. Ein internationaler Vergleich zeigt, wo Europa im Wettbewerb steht: Der weltweit wichtigste Markt für pharmazeutische Innovationen sind die USA – rund 67 % der globalen Umsätze werden dort erzielt, während Europa (EU-5) lediglich etwa 16 % ausmacht [1]. Auch Investitio-

nen in Forschung und Entwicklung verlagern sich zunehmend in Richtung USA und China und lassen Europa dabei zurückfallen [1].

Entsprechend entstehen die meisten pharmazeutischen Innovationen in den USA. Rund 48 % der neuen Therapien stammen aus dieser Region, während nur etwa 22 % aus Europa kommen [2]. Auch bei Marktzulassungen zeigt sich ein deutlicher Rückstand der EU: Seit 2015 wurden über 100 Arzneimittel in den USA zugelassen, jedoch nicht in der EU – darunter mehr als ein Drittel mit hoher Versorgungsrelevanz [3]. Darüber hinaus liegt Europa auch bei Markteinführungen neuer Medikamente deutlich hinter den USA zurück. Während rund 85 % der global (in den USA, Europa und Japan) zugelassenen Arzneimittel in den USA verfügbar sind, liegt die Verfügbarkeit selbst im europäischen Spitzenreiter Deutschland lediglich bei 61 % [4].

Diese Entwicklungen zeigen: Europa gerät im globalen Wettbewerb um pharmazeutische Innovationen zunehmend ins Hintertreffen. Zusätzliche erhebliche Herausforderungen

ergeben sich dabei aus aktuellen Entwicklungen in der US-Preispolitik, insbesondere durch die Einführung der Preisreferenzierung auf europäische Länder nach dem Most-Favored-Nation-(MFN)-Ansatz.

■ Wettbewerbsfähige Rahmenbedingungen für Innovationen in Europa

Die Verfügbarkeit pharmazeutischer Innovationen in Deutschland und der EU ist daher kein Naturgesetz. Um gegenüber den USA nicht weiter zurückzufallen, bedarf es innovationsfreundlicher und wettbewerbsfähiger Rahmenbedingungen. Dazu zählen schnelle und flexible Zulassungsverfahren, leistungsfähige Anreize für Forschung und Entwicklung, innovationsfreundliche Erstattungs- und HTA-Systeme sowie eine hohe regulatorische Effizienz mit möglichst geringer Bürokratie.

Vor diesem Hintergrund ist auch die Umsetzung des europäischen HTA-Systems von zentraler Bedeutung für den Standort Europa. Ein gut implementiertes EU-HTA kann dazu beitra-

gen, die Konsistenz und Effizienz im europäischen Gesundheitsmarkt zu stärken und damit die Rahmenbedingungen für Innovation und Versorgung zu verbessern.

■ Fragmentierte Marktzugangsbedingungen in Europa

Die Herausforderungen des europäischen Pharmamarktes zeigen sich besonders deutlich in der unterschiedlichen Verfügbarkeit innovativer Arzneimittel. Während in Deutschland rund 90 % der in Europa zugelassenen Innovationen verfügbar sind, liegt der europäische Durchschnitt lediglich bei 46 % [5]. Auch gelangen neue Medikamente in Deutschland mit durchschnittlich 128 Tagen deutlich schneller auf den Markt als im europäischen Durchschnitt, der bei 578 Tagen liegt [5]. Ursachen hierfür liegen u.a. in den stark fragmentierten Preis-, Erstattungs- und HTA-Systemen der europäischen Mitgliedstaaten (Abbildung 1).

Um die Fragmentierung zu reduzieren, wurde 2021 die Einführung der europäischen

Nutzenbewertung beschlossen. Ziel war die Schaffung eines einheitlichen Verfahrens, um Marktzugangshürden zu senken, nationale HTA-Prozesse zu vereinfachen, Doppelarbeit zu reduzieren und damit den Zugang zu innovativen Therapien zu verbessern [6]. Der in der EU-HTA-Verordnung verankerte inklusive Ansatz mit Spielräumen für nationale Zusatzanalysen bietet dabei weniger Potenzial zur Vereinheitlichung als der ursprünglich diskutierte harmonisierte Ansatz der europäischen Bewertung mit verbindlicher Nutzung in den Mitgliedstaaten. Damit wird das Ziel einer weitgehenden Reduktion der Fragmentierung der HTA-Anforderungen bislang nur eingeschränkt erreicht.

Für forschende Pharmaunternehmen kann EU-HTA dennoch eine wichtige Chance bieten, die Effizienz im europäischen Gesundheitsmarkt zu erhöhen – vorausgesetzt, die praktische Umsetzung wird konsequent weiterentwickelt und bestehende Fragmentierung schrittweise abgebaut.

■ Fragmentierte HTA-Anforderungen schwächen die Standortattraktivität

Die Fragmentierung von HTA-Anforderungen in Europa ist noch hoch. Durchschnittlich 9 oder mehr unterschiedliche Vergleichstherapien können auf Grundlage von Übungen zum Bewertungsumfang in Europa erwartet werden, die bestimmten Patientengruppen zugeordnet werden können [7]. Diese Fragmentierung schwächt die Wettbewerbsfähigkeit Europas. Die hohe Komplexität erschwert die Planung klinischer Studien für den europäischen Markt, beeinträchtigt den erfolgreichen Marktzugang und erhöht den bürokratischen Aufwand für das HTA-Verfahren.

Neben der Fragmentierung stellen auch die begrenzte Vorhersehbarkeit des Bewertungsumfangs sowie die große analytische Vielfalt der europäischen Anforderungen zentrale Herausforderungen für forschende Pharmaunternehmen im EU-HTA-Prozess dar. Unternehmen müssen den potenziellen Bewertungsumfang bereits frühzeitig abschätzen und zahlreiche aufwendige Analysen für die europäischen

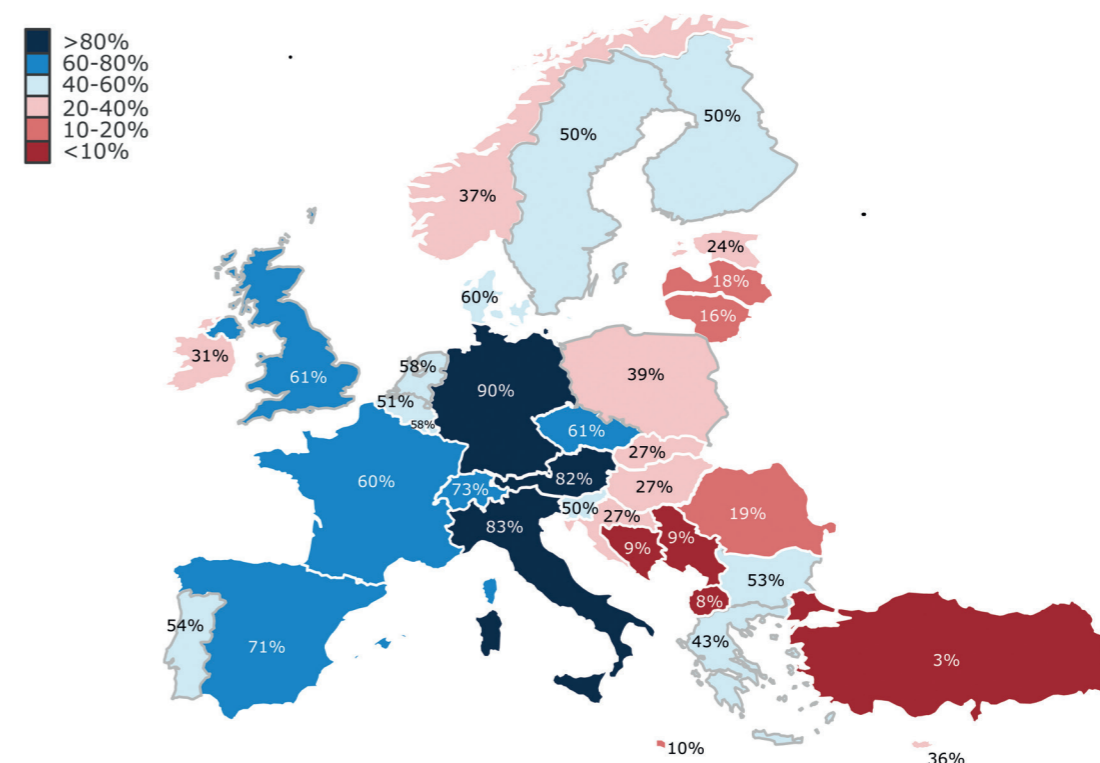


Abbildung 1: Rate der Verfügbarkeit von innovativen Arzneimitteln in Europa
Quelle: vfa

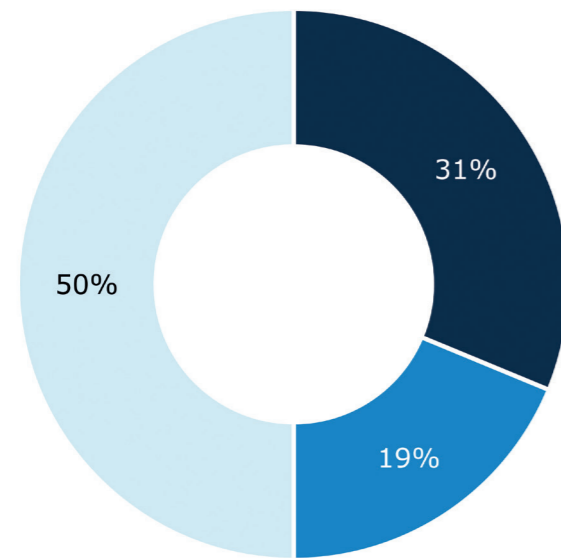


Abbildung 2: Dossier-Vorgaben für EU-HTA im Vergleich zu Deutschland. Quelle: vfa

■ EU > Germany ■ Germany > EU ■ EU = Germany

Dossiers vorbereiten, da deren Erstellung innerhalb des engen Zeitrahmens des laufenden EU-HTA-Verfahrens nicht möglich wäre. In der Folge kann es dazu kommen, dass umfangreiche Analysen für Teile des Bewertungsumfanges erstellt werden, die sich später als nicht relevant erweisen – was den Prozess zusätzlich ineffizient macht.

EU-HTA und AMNOG: zentraler Handlungsbedarf

■ Weiterentwicklung der nationalen EU-HTA-Implementierung im AMNOG

Ein kritischer Blick auf die nationale Implementierung von EU-HTA im AMNOG zeigt bislang lediglich eine Minimallösung. Zwar ermöglichen die nationalen Unterlagen nun Verweise auf das EU-Dossier, um doppelte Datenübermittlungen zu vermeiden, jedoch besteht in drei Bereichen weiterhin Handlungsbedarf. Erstens sind die Fristen des AMNOG bislang nicht ausreichend mit dem EU-Prozess verzahnt, was eine direkte Nutzung der europäischen Bewertung behindert. Zweitens bestehen weiterhin Unklarheiten hinsichtlich des Umfangs der nationalen Nutzung. Drittens fehlt es bislang an einer ausreichenden Harmonisierung der HTA-Vorgaben und Methoden.

■ Bessere Verzahnung von AMNOG-Fristen und EU-HTA

EU-HTA-Berichte werden in der Regel erst etwa 40 bis 45 Tage nach der Zulassung veröffentlicht. Daher ist zu erwarten, dass AMNOG-Verfahren häufig ohne vorliegenden EU-Bericht beginnen. Schätzungen zufolge könnten rund 50 % der Neueinführungen sowie alle Anwendungsgebietserweiterungen hiervon betroffen sein, sodass EU-Berichte in einem erheblichen Anteil der Verfahren voraussichtlich nicht als Grundlage der Nutzenbewertung dienen können. In der Folge kann die Nutzenbewertung nicht effizient auf dem EU-Bericht aufbauen; dieser kann erst deutlich später im Stellungnahme-Verfahren berücksichtigt werden. Um eine direkte Nutzung der EU-Berichte zu ermöglichen, ist eine Flexibilisierung der AMNOG-Fristen erforderlich.

■ Harmonisierung der Dossier-Vorgaben zur Vermeidung von Doppelarbeit

Unternehmen müssen Vorgaben aus europäischen und nationalen Dossier-Vorlagen parallel erfüllen, die jedoch nicht vollständig deckungsgleich sind und daher zu deutlicher Doppelarbeit führen können. Einschätzungen zufolge, sind etwa 50 % der Anforderungen inhaltlich ähnlich. In rund 31 % der Fälle

gehen die europäischen Vorgaben über die nationalen hinaus, während in etwa 19 % der Fälle nationale Anforderungen über die europäischen hinausgehen (Abbildung 2). In der Praxis kann dies dazu führen, dass weiterhin ergänzende nationale Dossiers erstellt werden müssen.

Um Doppelarbeit zu reduzieren, ist eine bessere Angleichung von europäischen und nationalen Vorgaben erforderlich. Nationale Anforderungen sollten dort, wo möglich, auf das europäische Maß reduziert werden, um zusätzliche nationale Analysen zu vermeiden. Gleichzeitig können nationale Vorgaben in geeigneten Bereichen auf das europäische Niveau erweitert werden, um entsprechende Ergebnisse in der Nutzenbewertung berücksichtigen zu können. Der G-BA hat bereits in beiden Richtungen erste Schritte zur Anpassung unternommen. Den Weg gilt es konsequent weiterzugehen.

■ Endpunktanforderungen harmonisieren und patientenzentriert weiterentwickeln

Ein prominentes Beispiel für unzureichende Harmonisierung betrifft den Bereich der Ergebnisparameter („Endpunkte“). Die europäischen Vorgaben gehen hier über das derzeitige AMNOG hinaus und verfolgen einen

ganzheitlicheren Ansatz der Patientenrelevanz. EU-HTA stellt dabei auf sogenannte patientenzentrierte Ergebnisse ab, bei denen zusätzliche Dimensionen in die Bewertung einfließen. Dazu zählen insbesondere Aspekte wie Empfindungen, Überzeugungen, Präferenzen und Bedürfnisse von Patientinnen und Patienten.

Da Endpunkte eine grundlegende Bedeutung für jede Nutzenbewertung haben, kann eine unzureichende Harmonisierung erhebliche negative Auswirkungen auf die Attraktivität des Forschungs- und Innovationsstandorts Europa haben. Für ein wettbewerbsfähiges Umfeld klinischer Forschung in Europa sind schnellere, flexiblere und stärker patientenzentrierte Studien erforderlich, die sowohl von Zulassungsbehörden als auch von nationalen HTA-Institutionen berücksichtigt werden. Daher ist es notwendig, dass auch Deutschland die patientenzentrierten Endpunkte stärker in der Nutzenbewertung berücksichtigt.

■ Konsequente Nutzung von EU-HTA zur Vermeidung zusätzlicher Bürokratie

Bislang bestehen Unklarheiten hinsichtlich des Umfangs der Nutzung von EU-HTA-Ergebnissen im AMNOG. Eine unzureichende Nutzung birgt erhebliche Ineffizienzen. Werden die europäischen Bewertungen nur begrenzt oder verspätet berücksichtigt, entstehen parallele Bewertungsprozesse und zusätzlicher analytischer Aufwand. EU-HTA würde in diesem Fall nicht zur angestrebten Vereinfachung der Verfahren beitragen, sondern vielmehr eine zusätzliche bürokratische Ebene schaffen. Anstatt Harmonisierung und Effizienz zu fördern, könnte dies die Wettbewerbsfähigkeit des europäischen Pharmastandorts schwächen. Konsistentere europäische und nationale Vorgaben, etwa durch verstärkte Harmonisierungsbestrebungen, können die Nutzung der EU-HTA-Ergebnisse im AMNOG deutlich erleichtern. Um den Standort zu stärken, muss diese Nutzung künftig verbindlicher erfolgen.

■ Effiziente Umsetzung von EU-HTA als Schlüssel für den Pharmastandort Europa

Um im globalen Wettbewerb um pharmazeutische Innovationen weiterhin mithalten zu können, ist die erfolgreiche Umsetzung von EU-HTA von zentraler Bedeutung für den Standort Europa. Eine gute Implementierung kann dazu beitragen, die Effizienz im europäischen Gesundheitsmarkt und am Forschungs- und Entwicklungsstandort zu erhöhen und damit Innovation sowie Versorgung zu stärken. Dafür muss die Umsetzung an drei zentralen Stellen konsequent weiterentwickelt werden:

- Flexibilisierung der AMNOG-Fristen, um eine direkte Nutzung der EU-HTA-Berichte zu ermöglichen,
- Harmonisierung der Dossier-Vorgaben, insbesondere der Endpunkte, zur Reduzierung von Fragmentierung und Doppelarbeit,
- verbindlichere Nutzung der europäischen Bewertungen im AMNOG zur Vermeidung zusätzlicher Bürokratie.

Nur bei konsequenter Nutzung und stärkerer Harmonisierung von EU-HTA können Effizienzgewinne erzielt und Europa als Standort für pharmazeutische Innovationen gestärkt werden.

Referenzliste

- [1] European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA): The Pharmaceutical Industry in Figures, Key Data 2025
- [2] European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA): The Pharmaceutical Industry in Figures, Key Data 2023
- [3] Die forschenden Pharmaunternehmen (vfa): Innovationsrückstand, 2025
- [4] Pharmaceutical Research and Manufacturers of America (PhRMA): Global Access to Medicines Report, 2023
- [5] IQVIA: EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2024 Survey, 2025
- [6] Verordnung (EU) 2021/2282 vom 15.12.2021
- [7] Europäische Kommission, HTA-Koordinationsgruppe der Mitgliedstaaten: PICO Exercises, 2025

AUTOR



Dr. Sebastian Werner ist Senior Manager Marktzugang & HTA (Europa) beim Verband der forschenden Arzneimittelhersteller (vfa).

Kontakt: S.Werner@vfa.de