

Kernpunkte zur Europäischen Nutzenbewertung aus Sicht der forschenden Pharmaunternehmen

Der vfa unterstützt grundsätzlich ein effizientes System für die Durchführung gemeinsamer klinischer Nutzenbewertungen von Arzneimitteln in den EU-Mitgliedsländern (EU-HTA) und die Finalisierung des entsprechenden europäischen Gesetzgebungsverfahrens. Diese gilt es, rechtlich konsequent auszuformulieren, so dass keine unnötigen Doppelstrukturen aufgebaut werden und die Qualität der Bewertungsberichte gesichert ist. Eine verbesserte Zusammenarbeit zur Evidenzgenerierung zwischen der europäischen Zulassungsbehörde und den verantwortlichen HTA Institutionen unter Einbindung der pharmazeutischen Hersteller ist dabei unabdingbar. Zugleich sind die positiven Aspekte des deutschen Systems – vor allem der Marktzugang ab Zulassung für die gesamte Indikation und die Orphan-Drug-Regelung, dass der Zusatznutzen mit Zulassung als belegt gilt und beides zu einer zeitnahen Verfügbarkeit für den Patienten führt – mit dem vorgeschlagenen EU-Modell gut vereinbar.

Folgende Kernpunkte müssen aus Industriesicht berücksichtigt werden:

1. Verbindlichkeit der europäischen Nutzenbewertung

Europäisch durchgeführte klinische Bewertungen müssen nationale Entscheidungsgrundlage für den G-BA sein, um über das Ausmaß des Zusatznutzens zu entscheiden. Nur wenn eine EU-weite klinische Bewertung den gleichwertigen Schritt im nationalen Bewertungsverfahren ersetzt, werden die Kernziele der Verordnung -Fragmentierung und Doppelarbeit zu verringern - erreicht. Das hohe Gut des zeitnahen Patientenzugangs zu innovativen Arzneimitteln in Deutschland wird dabei nicht beeinträchtigt.

2. Frühe Beratungen und Evidenzeinreichung

Eine Beratungsoption ist unbedingt erforderlich. Sie schafft nicht nur die Möglichkeit, frühzeitig während des Arzneimittelentwicklungsprozesses Evidenzanforderungen für das Zulassungsverfahren und die gemeinsame klinische Bewertung zu klären, sondern ist die zwingende Voraussetzung dafür, dass Studien anforderungsgerecht gemäß der Zulassungs- und HTA-Vorgaben geplant und durchgeführt werden können. Die dadurch notwendige verbesserte Zusammenarbeit zwischen der europäischen Zulassungsbehörde und den verantwortlichen HTA Institutionen unter Einbindung der pharmazeutischen Hersteller zur Evidenzgenerierung ist dabei unabdingbar.

Die Gesetzesgrundlage muss daher sicherstellen, dass die Beratungsoption für alle Arzneimittel besteht, die einer gemeinsamen klinischen Bewertung unterzogen werden sollen. Es ist daher wichtig, dass der vorgesehene wissenschaftliche Beratungsprozess von Anfang an angemessen mit Ressourcen ausgestattet wird, um die Beratung und die gemeinsame klinische Bewertung sinnvoll ineinandergreifen zu lassen.

Dafür werden folgende Grundsätze vorgeschlagen:

- Die Ausarbeitung des gemeinsamen Verfahrens für eine frühe Beratung sollte auf dem aktuellen EUnetHTA-Prozess aufsetzen, im Einvernehmen aller relevanten Stakeholder weiterentwickelt und als Option für alle Arzneimittel gesetzlich verankert werden.
- Beratungsanfragen seitens des Herstellers müssen nachgekommen und angemessen bearbeitet werden.
- Klare und umsetzbare Zeitpläne für die frühe Beratung sind ebenfalls notwendig.
- Zudem sollte festgelegt sein, welche Stakeholder beteiligt sind und welcher Beitrag von ihnen erwartet wird. Im Rahmen der Beratung ist die Einbindung von Patienten und medizinischen Fachgesellschaften unabdingbar und eine verbindliche Berücksichtigung wünschenswert.
- In der Beratung sollte die Evidenz, die der Hersteller für eine gemeinsame klinische Bewertung bereitzustellen hat, klar definiert werden und zweckmäßig sein.

3. Angewandte Methoden und Prozessablauf

Effiziente Prozesse bedürfen konkrete methodische und prozedurale Vorgaben, die eine verlässliche und transparente Durchführung gemeinsamer klinischer Bewertungen gewährleisten. Hierzu sollten bereits in der Rahmengesetzgebung klare Festlegungen getroffen werden und nicht auf nachgelagerte Diskussionen oder Gesetzgebungsverfahren verwiesen werden. Wichtig ist dabei, dass die Prozesse und Methoden von allen relevanten Stakeholdern, insbesondere auch unter Beteiligung der Industrie konsentiert werden. Sie sollten außerdem regelmäßig aktualisiert werden – ebenfalls unter Beteiligung von relevanten Stakeholdern - und öffentlich zugänglich sein.

Folgende Grundsätze sind gesetzlich zu verankern:

- Während der schrittweisen Erweiterung des Anwendungsbereiches, ist der Fokus auf neue Arzneimittel inklusive deren Indikationserweiterungen zu legen.

- Die Verfahrensregeln und die Methodik für klinische Bewertungen sollten mit den bisherigen „Best Practice“-Ansätzen übereinstimmen und auf Grundlage der bereits entwickelten methodischen Leitlinien von EUnetHTA erfolgen.
- Die best-verfügbare Evidenz zum Zeitpunkt der gemeinsamen klinischen Bewertung muss berücksichtigt werden. Dies schließt auch die Akzeptanz des klinischen Studiendesigns ein, das in der gemeinsamen wissenschaftlichen Beratung erörtert wurde.
- Als patientenrelevanter Endpunkt ist zu akzeptieren, was für den Patienten in der klinischen Versorgung von Bedeutung ist, insb. das Erreichen von klinisch relevanten Therapiezielen.
- Verfahren und Methoden sollen entsprechend dem wissenschaftlichen Fortschritt im Einvernehmen aller relevanten Stakeholder aktualisiert werden. Die Einbindung von Patienten, Fachgesellschaften und der Industrie ist dabei essenziell.
- Sollte bei Vorliegen neuer wissenschaftlicher Erkenntnisse die gemeinsame klinische Bewertung aktualisiert werden, müssen klare europäische Kriterien hierfür gelten. Das Anliegen muss von mehr als einem Mitgliedsstaat befürwortet werden. Zudem sollte dem Hersteller ein Antragsrecht auf eine erneute Bewertung eingeräumt werden.
- Die Gesetzgebung sollte einen Rahmen für Beginn und Dauer des Verfahrens vorgeben, mit klar definierten und zeitlich umsetzbaren Prozessabschnitten.
- Die Berichte der gemeinsamen klinischen Bewertung sollten 30 Tage nach der positiven Zulassungsentscheidung der EU-Kommission veröffentlicht werden.
- Die Rollen und Verantwortlichkeiten aller Teilnehmer im Prozess müssen klar definiert werden.
- Einzureichende Daten müssen im Prozess klar definiert und für eine europäische Nutzenbewertung zweckmäßig sein, daher ist eine formaler Dossierberatungsprozess gemeinsam mit dem Hersteller unabdingbar.
- Alle vom Hersteller bereitgestellten vertraulichen Daten müssen durch eine Vertraulichkeitsvereinbarung geschützt werden.

1. März 2021