

# Stellungnahme zum Referentenentwurf der ersten Verordnung zur Änderung der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung

## Kernforderungen

- Verbindlichkeit der Berücksichtigung der europäischen Berichte erhöhen
- Anpassung der nationalen Bewertungsgrundlagen ermöglichen
- Wettbewerbsfähigkeit in Europa und Deutschland weiter stärken

## Einleitung

Die europäische Union und damit auch Deutschland stehen als Standort für die innovative Pharmaindustrie im globalen Wettbewerb. International zeigt sich im Pharmamarkt eine deutliche Verschiebung. Investitionen in Forschung und Entwicklung fließen zunehmend in Richtung USA und China. Der Innovationsrückstand gegenüber den USA verschärft sich und damit auch der Rückstand im Zugang zu innovativen Arzneimitteln.

Deshalb müssen die europäischen und die nationalen Rahmenbedingungen zum Health Technology Assessment (HTA) mit besonderem Blick auf die internationale Wettbewerbsfähigkeit gut miteinander verzahnt werden.

Die europäische Union hat mit der Verordnung (EU) 2021/2282 einen Rahmen gesetzt, der große Chancen für mehr Wettbewerbsfähigkeit des Standorts bietet. Die Verordnung zielt auf ein besseres Funktionieren des europäischen Binnenmarktes durch vereinheitlichte HTA-Verfahren ab. Dadurch soll Doppelarbeit vermieden, der bürokratische Erfüllungsaufwand für Unternehmen und Behörden reduziert und mehr Planungssicherheit erreicht werden. Die Umsetzung auf nationaler Ebene sollte sich diesen Zielen in vollem Umfang verpflichten.

Die forschenden Pharmaunternehmen begrüßen den vorgelegten Referentenentwurf zur Anpassung der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung. Zum Start des europäischen HTA sollen nun die europäischen Vorgaben mit dem nationalen Rahmen verzahnt werden. Der Entwurf unternimmt mit der Umsetzung des europäischen Doppelanforderungsverbots von klinischen Daten sowie des Berücksichtigungsgebots für europäische Bewertungsberichte erste wichtige Schritte zur Reduzierung von Doppelarbeit in Europa. Jedoch bleibt der Referentenentwurf insgesamt noch hinter seinen Möglichkeiten zur Erreichung der Ziele der europäischen Verordnung zurück.

Aus Sicht der forschenden Pharmaunternehmen bedarf es weiterer Regelungen, die eine erhöhte Verbindlichkeit der Berücksichtigung der europäischen Ergebnisse in der Nutzenbewertung sicherstellen, um die einheitliche Verwendung zu verbessern. Außerdem braucht es Regelungen, die eine Anpassung der nationalen Bewertungsgrundlagen an europäische Kriterien ermöglichen. Dies ist notwendig, um die klinische Entwicklung und den Nutznachweis für forschende Pharmaunternehmen in Europa zu vereinfachen. Aus Sicht des vfa sollten diese weiteren Anpassungsschritte schon jetzt und nicht erst in Anschlussregelungen angegangen werden, um schnellstmöglich den bedeutenden globalen Herausforderungen begegnen zu können.

## **Zu Artikel 1 Nr. 2. b) - § 4 Abs. 2a (neu) AM-NutzenV Integration des europäischen Dos- siers ins nationale Verfahren**

### **Neuregelung**

Die vom Hersteller auf europäischer Ebene vorgelegten Informationen (europäisches Dossier) sind im nationalen Rahmen nicht zusätzlich an den G-BA zu übermitteln. Der Hersteller bestimmt im nationalen Dossier, inwieweit das europäische Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein soll, indem er auf die dortigen Informationen Bezug nimmt (Verweislösung).

### **Kommentierung**

Die Regelung setzt das europäische Doppelanforderungsverbot von klinischen Daten durch eine Verweislösung auf europäische Informationen um. Hersteller sollen in den nationalen Unterlagen auf die relevanten europäischen Informationen Bezug nehmen und können zusätzliche, den nationalen Versorgungskontext betreffende Nachweise ergänzen.

Der vfa begrüßt diese Lösung. Einzelheiten zur Verweislösung sollte der G-BA in seiner Verfahrensordnung festlegen, um mehr Planungssicherheit für forschende Pharmaunternehmen zu schaffen. Diese Anpassung der G-BA-Verfahrensordnung sollte unter Beteiligung der Industrie umgesetzt werden. In der Vergangenheit hat sich eine solche Beteiligung als wertvoll erwiesen. Deshalb sollte hier eine Möglichkeit zur Stellungnahme geschaffen werden. Inhaltlich ist die Neuregelung sachgerecht, da der Grundsatz der Nachweispflicht durch den Hersteller wie auch das bestehende Recht des Herstellers, zwischen mehreren zulässigen zweckmäßigen Vergleichstherapien zu wählen, erhalten bleibt.

In Ergänzung hält der vfa eine Regelung für geboten, welche die Prüfung der Vollständigkeit der nationalen Unterlagen mit dem europäischen Verfahren verzahnt. Eine Prüfung der nationalen Unterlagen auf Vollständigkeit in Bezug auf Informationen, Daten, Analysen und sonstige Nachweise gemäß § 4 Absatz 2a Satz 2 sollte dem Ergebnis einer europäischen Prüfung auf Vollständigkeit im Hinblick auf die dort eingereichten Daten (europäisches Dossier) nicht widersprechen. Es soll

sichergestellt werden, dass als vollständig beschiedene Inhalte des europäischen Dossiers, auf nationaler Ebene nicht nachträglich als unvollständig beurteilt werden. Dafür muss das europäische Dossier bei der nationalen Vollständigkeitsprüfung berücksichtigt werden. Eine solche Regelung ist wichtig, um die Integrität des europäischen Verfahrens in Zusammenspiel mit der nationalen Nutzenbewertung sicherzustellen und Doppelarbeit aus formalen Gründen zu vermeiden.

### **Empfehlung**

Die Prüfung der Vollständigkeit der nationalen Unterlagen sollte sachgerecht mit dem europäischen Verfahren verzahnt werden und das europäische Dossier berücksichtigen.

Die Anpassung der G-BA-Verfahrensordnung zur Verweislösung sollte unter Beteiligung der Industrie umgesetzt werden und eine Möglichkeit zur Stellungnahme geschaffen werden.

## **Zu Artikel 1 Nr. 3. a) - § 7 Abs. 1 AM-NutzenV Erweiterung der Grundlagen der Nutzenbewertung**

### **Neuregelung**

Die Grundlagen für die Nutzenbewertung werden ergänzt um (i) das europäische Dossier im nach § 4 Absatz 2a Satz 2 bestimmten Umfang, (ii) die vor Beginn der Nutzenbewertung veröffentlichten europäischen Berichte und (iii) alle anderen auf der IT-Plattform gemäß Artikel 30 der Verordnung (EU) 2021/2282 verfügbaren Informationen.

### **Kommentierung**

Der vfa begrüßt die Regelung, die das europäische Berücksichtigungsgebot nach Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a der Verordnung (EU) 2021/2282 umsetzt. Sie ist wichtiger Ausgangspunkt zur Reduzierung von Doppelarbeit in Europa.

Zudem ist jedoch eine Regelung notwendig, die eine möglichst umfassende Nutzung des europäischen Berichts in der Nutzenbewertung

sicherstellt. Die Verordnung sollte klarstellen, dass die Nutzenbewertung den Feststellungen der europäischen Berichte in Bezug auf die relativen Effekte und deren Aussagesicherheit gemäß Artikel 9 Absatz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 nicht widersprechen darf. Mit dieser Klarstellung wird einer möglichen Wiederholung von bereits auf europäischer Ebene vorgenommenen klinischen Bewertungen vorgebeugt, die Doppelarbeit und möglicherweise abweichende Ergebnisse bewirken können. Durch die vorgeschlagene strengere Umsetzung des europäischen Berücksichtigunggebots wird eine einheitlichere Nutzung und Interpretation der europäischen Ergebnisse gefördert. Unberührt davon sind abweichende Ergebnisse aufgrund von zusätzlichen nationalen Nachweisen, die den Versorgungskontext betreffen.

#### Empfehlung

Die Nutzenbewertung sollte den Feststellungen der europäischen Berichte in Bezug auf die relativen Effekte und deren Aussagesicherheit nicht widersprechen.

### Zu Artikel 1 Nr. 3. b) aa) - § 7 Abs. 3 AM-NutzenV Aussetzungsbefugnis des G-BA

#### Neuregelung

Der G-BA erhält die Befugnis, das Verfahren für bis zu drei Monate ab der Zulassung des Arzneimittels oder seines neuen Anwendungsgebiets auszusetzen, solange die europäischen Berichte zum maßgeblichen Zeitpunkt noch nicht veröffentlicht sind.

#### Kommentierung

Die europäischen Berichte werden regelhaft ca. 40-45 Tage nach Zulassung erwartet. In Ausnahmefällen, z.B. bei sehr schnellen Zulassungsverfahren oder bei Änderungen des Anwendungsgebietes während des Zulassungsprozesses, könnten die Berichte laut vfa-Analysen sogar noch später, zwischen 60 bis zu 120 Tagen nach der Zulassung, erscheinen.

Die geplante Neuregelung flexibilisiert die nationalen Verfahrensabläufe, damit die

Berücksichtigung der europäischen Berichte in der Nutzenbewertung bei zügigem Inverkehrbringen neuer Medikamente ermöglicht wird. Der vfa begrüßt, dass die Marktzugangsmöglichkeiten für Hersteller nicht eingeschränkt werden. Hersteller haben wie gewohnt die Möglichkeit, Innovationen schnellstmöglich mit erteilter Zulassung für die Patientenversorgung bereitzustellen.

Allerdings bleibt bei einer Verzögerung der europäischen Berichte ein Restrisiko für eine verzögerte Markteinführung, wenn Hersteller den europäischen Bewertungsbericht bereits bei der Vorlage der nationalen Unterlagen berücksichtigen möchten, um die Qualität der Einreichung zu optimieren. Deshalb wäre eine weitere Flexibilisierung der Regelungen wünschenswert, auch wenn die zusätzlich vorgesehene Möglichkeit der Stellungnahme zum europäischen Bericht (s.u.) dieses Risiko minimiert.

Die maximale Dauer der Aussetzungsbefugnis des G-BA von drei Monaten erscheint vor dem Hintergrund der erwarteten Verzögerungen der europäischen Berichte angemessen, um die europäischen Ergebnisse auch in Ausnahmefällen berücksichtigen zu können. Für forschende Pharmaunternehmen ist wichtig, dass Verfahren nicht länger als unbedingt notwendig ausgesetzt werden. Die Fristen sollten daher insgesamt nach einer Beobachtungsphase überprüft werden.

#### Empfehlung

Die Eignung der maximalen Dauer der Aussetzungsbefugnis des G-BA sollte nach einer Beobachtungsphase überprüft werden.

### Zu Artikel 1 Nr. 3. c) aa) - § 7 Abs. 4 AM-NutzenV Möglichkeit der Stellungnahme zum europäischen Bericht

#### Neuregelung

Wurden nach dem Beginn, aber vor der Veröffentlichung der Nutzenbewertung zum Arzneimittel europäische Berichte veröffentlicht, stellt der G-BA diese neben der Nutzenbewertung zur Anhörung.

### **Kommentierung**

Der vfa begrüßt die vorgesehene Neuregelung, die in Ergänzung zu Artikel 1 Nr. 3. a) („Erweiterung der Grundlagen der Nutzenbewertung“) das europäische Berücksichtigungsgebot umsetzt. Die zu Artikel 1 Nr. 3. a) genannte Erweiterung der Grundlagen der Nutzenbewertung verpflichtet den G-BA, die europäischen Berichte als integralen Bestandteil der Nutzenbewertung zur Anhörung zu stellen, wenn die europäischen Berichte vor Beginn der Nutzenbewertung veröffentlicht wurden.

Die Neuregelung in § 7 Abs. 4 AM-NutzenV schafft hier ergänzend die Möglichkeit einer Anhörung auch für den Fall, dass die europäischen Berichte zwar zu Beginn der Nutzenbewertung nicht verfügbar sind, jedoch vor der Veröffentlichung der Nutzenbewertung noch veröffentlicht werden.

Für forschende Pharmaunternehmen ist die Möglichkeit der Stellungnahme zum europäischen Bericht ein besonders wichtiges Element der Verzahnung von EU-HTA und Nutzenbewertung, um die europäischen Ergebnisse im Lichte zusätzlicher nationaler Nachweise kommentieren zu können. Sie kann zudem das bestehende Risiko einer verzögerten Markteinführung durch Hersteller vermindern (vgl. zu „Aussetzungsbefugnis des G-BA“).

### **Zu Artikel 1 Nr. 4 - § 9 Abs. 2a (neu) AM-NutzenV Offenlegung des europäischen Dossiers**

#### **Neuregelung**

Ist das europäische Dossier zum Zeitpunkt der Veröffentlichung der Nutzenbewertung auf der öffentlich zugänglichen Internetseite der europäischen IT-Plattform nicht verfügbar, stellt der Hersteller dem G-BA innerhalb eines Tages eine Fassung des europäischen Dossiers zur Verfügung, mit deren Veröffentlichung er einverstanden ist.

#### **Kommentierung**

Zur Vermeidung von Dopplungen wird das europäische Dossier grundsätzlich durch Verweis auf die europäische IT-Plattform offengelegt. Für den Ausnahmefall ungewöhnlicher Verzögerungen im europäischen Verfahren, in denen das europäische Dossier zum Zeitpunkt der Nutzenbewertung noch

nicht veröffentlicht wurde, wird eine Veröffentlichung auf der Internetseite des G-BA ermöglicht. Dies ist nachvollziehbar, denn es dient der Transparenz des Verfahrens unter der Beachtung von Betriebs- und Geschäftsgeheimnissen des Herstellers. Jedoch ist die Vorgabe der Frist zur Bereitstellung des Dossiers innerhalb eines Tags unverhältnismäßig kurz. Die Frist sollte deshalb auf drei Werkstage erhöht werden.

#### **Empfehlung**

Ist das europäische Dossier zum Zeitpunkt der Veröffentlichung der Nutzenbewertung nicht verfügbar, stellt der Hersteller dem G-BA innerhalb von drei Tagen eine Fassung zur Verfügung, mit deren Veröffentlichung er einverstanden ist.

### **Ergänzender Regelungsbedarf Anpassung der nationalen Bewertungsgrundlagen**

Forschende Pharmaunternehmen sind in Europa mit einer großen Fragmentierung der HTA-Bewertungskriterien konfrontiert, welche die Komplexität klinischer Forschungsvorhaben erhöht und den Nutznachweis für neue Medikamente am europäischen Standort erschwert. Eine weitere Stärkung der Wettbewerbsfähigkeit kann deshalb durch Regelungen gelingen, die auf eine Vereinheitlichung der Bewertungskriterien in Europa ausgerichtet sind. Dafür braucht es auch eine Anpassung der nationalen Bewertungskriterien in Bezug auf die europäischen Festlegungen.

So ist insbesondere eine Anpassung mit Blick auf die zu bewertenden Endpunkte erforderlich. Gesundheitsbezogene Endpunkte, die im europäischen Bewertungsumfang enthalten sind, sollten in der deutschen Nutzenbewertung berücksichtigt werden. Diese Regelung ermöglicht die Anpassungsfähigkeit der Bewertungsgrundlagen der Nutzenbewertung mit Blick auf europäische Endpunkte zum Zwecke einer Harmonisierung. Dies fördert eine Angleichung der Bewertungsergebnisse für neue Medikamente am europäischen Standort.

### **Empfehlung**

Gesundheitsbezogene Endpunkte, die im europäischen Bewertungsumfang enthalten sind, sind in der Nutzenbewertung zu berücksichtigen.

### **Kontakt**

Verband forschender Arzneimittelhersteller (vfa)  
Hausvogteiplatz 13  
10117 Berlin  
Telefon +49 30 206 04-0  
[info@vfa.de](mailto:info@vfa.de)

Der vfa ist registrierter Interessenvertreter gemäß LobbyRG (Registernummer R000762) und beachtet die Grundsätze integrier Interessenvertretung nach § 5 LobbyRG.