

Stellungnahme des vfa zum Vorschlag der Europäischen Kommission für den European Biotech Act I an das Bundesministerium für Gesundheit

Bezugnehmend auf den Entwurf der Europäischen Kommission für eine Verordnung zur Schaffung eines Maßnahmenrahmens zur Stärkung der Biotechnologie- und Bioproduktionsbranche der Union, insbesondere im Gesundheitsbereich, sowie zur Änderung weiterer Verordnungen ([EU Biotech Act I; Geschäftszeichen: 21020#0013#0009](#))

Kernforderungen des vfa

- Fristenverkürzungen und Effizienzsteigerungen bei der Genehmigung klinischer Prüfungen dauerhaft sichern.
- Datenschutzregelungen, regulatorische Kohärenz und die Nutzung von Künstlicher Intelligenz (KI) klar, einheitlich und risikobasiert ausgestalten, um Patientensicherheit zu gewährleisten, ohne Innovation zu hemmen.
- Voraussetzungen für Verlängerung des Supplementary Protection Certificate (SPC) rechtssicher, praxisgerecht und innovationsstärkend ausgestalten.
- Investitionsinstrumente über die zweijährige Pilotphase hinaus verstetigen und nachhaltig gestalten.
- Strategische Projekte und Produktionskapazitäten innovations- und resilienzorientiert fördern, ohne implizite Lokalisierungsanforderungen oder faktische Standortrestriktionen zu schaffen.
- Digitale Transformation entlang der gesamten Wertschöpfungskette unterstützen und KI-Anwendungen integrieren.

Einleitung

Mit dem am 16. Dezember 2025 vorgelegten Entwurf für den European Biotech Act I hat die Europäische Kommission ein umfassendes Maßnahmenpaket präsentiert, das die Wettbewerbsfähigkeit, Innovationskraft und Resilienz des europäischen Biotechnologiesektors – insbesondere im Bereich der Gesundheitstechnologien – stärken

soll. Ziel ist es, die Rahmenbedingungen entlang der gesamten Wertschöpfungskette von Forschung und Entwicklung über Zulassung und Produktion bis hin zur Finanzierung zu verbessern und Europa im globalen Wettbewerb als führenden Standort für Biotechnologie und Gesundheitsforschung zu positionieren.

Wesentliche Elemente des Vorschlags sind unter anderem:

- Beschleunigung und Vereinfachung von Verfahren für die Genehmigung klinischer Prüfungen und deren Änderungen (sog. Amendments), um Innovationszyklen zu verkürzen und Europa als Innovationsstandort im internationalen Wettbewerb zu stärken.
- Ausbau von Investitions- und Finanzierungsinstrumenten, etwa durch einen neuen Health Biotechnology Investment Pilot, der privates und öffentliches Kapital mobilisieren soll.
- Förderung von strategisch wichtigen Projekten in Forschung, Produktion und Infrastruktur biotechnologischer Innovationen.
- Ausbau digitaler Kapazitäten, etwa durch verstärkte Verknüpfung bereits existierender Daten und künstlicher Intelligenz sowie Etablierung von Clinical Trial Sandboxes und Regulatory Sandboxes, um Innovationen unter kontrollierten Bedingungen zu erproben und zu entwickeln.
- Einführung einer zwölfmonatigen Verlängerungsmöglichkeit von Supplementary Protection Certificates (SPC) u.a. für biotechnologisch entwickelte humanmedizinische Produkte und ATMPs.
- Harmonisierung und Entbürokratisierung der regulatorischen Anforderungen aus verschiedenen EU-Gesetzgebungen wie z.B., CTR, MDR, IVDR, Critical Medicines Act, AI-Act, SoHO-Regulation und ATMP-Regulation zur Einrichtung eines kohärenteren, zukunftsfähigen regulatorischen Rahmens zur Unterstützung der gesamten Wertschöpfungskette von Biotechnologieprodukten.

Zu Artikeln des Biotech Act I

Artikel 2: Definitionen

Neuregelung

Artikel 2 definiert zentrale Begriffe des Biotech Act I, darunter „biotechnology product“, „biomanufacturing“ sowie „new approach methodologies“ (NAMs). Diese Definitionen bestimmen maßgeblich den Anwendungsbereich und die praktische Reichweite der Verordnung.

Kommentierung

Die in Artikel 2 vorgesehenen Definitionen sind von grundlegender Bedeutung für die Kohärenz, Rechtssicherheit und Innovationwirkung des Biotech Act I. Sie sollten daher klar, technologie-neutral und im Einklang mit bestehenden unionsrechtlichen Rahmenwerken ausgestaltet werden.

So sollte klargestellt werden, dass biotechnologische Produkte auch Arzneimittel umfassen. Außerdem sollte „biomanufacturing“ nicht ausschließlich auf die Produktion biotechnologischer Produkte im engeren Sinn beschränkt bleiben, sondern auch die Nutzung biotechnologischer Verfahren in industriellen Herstellungsprozessen umfassen. Zugleich sollte berücksichtigt werden, dass biotechnologische Innovationen häufig aus der Kombination von Therapeutika, Diagnostika (insbesondere IVD), medizintechnischen Komponenten und datenbasierten Anwendungen entstehen.

Die Definition von „new approach methodologies“ sollte nicht ausschließlich auf tierfreie Methoden beschränkt werden, sondern im Einklang mit dem international anerkannten 3R-Prinzip (replacement, reduction and refinement) ausgestaltet sein. Eine zu enge Definition, die sich ausschließlich auf den Ersatz von Tierversuchen konzentriert, könnte dazu führen, dass wissenschaftlich validierte und bereits breit eingesetzte Methoden zur Reduktion oder Verbesserung unbeabsichtigt vom Anwendungsbereich ausgeschlossen werden.

Artikel 3–8, 14, 20: Klinische Prüfungen

Neuregelung

Der Biotech Act I soll die Genehmigungsfristen für multinationale klinische Prüfungen von 106 auf 75 Tage verkürzen und eine weitere Verkürzung auf 47 Tage ermöglichen, sofern keine Anforderung zur Informationsnachreichung (Request for Information, RFI) durch die Behörde erfolgt. Die zusätzliche 50-tägige Bewertungsfrist für Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) soll entfallen. Substantielle Änderungen können schneller bearbeitet und erstmals parallel behandelt werden. Ferner wird die koordinierte Bewertung kombinierter Studien, z. B. für Arzneimittel in Verbindung mit Medizinprodukten oder In-vitro-Diagnostika,

ermöglicht. Die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) unterstützt die Mehrländerstudien durch eine verstärkte Koordinierungsrolle und durch die Harmonisierung der Governance-Strukturen.

Kommentierung

Die EU-Kommission lässt in ihren Vorschlägen ein neues Zielbewusstsein für die Bedeutung klinischer Prüfungen in der Union erkennen. Vor dem Hintergrund der bekannten Umsetzungs Herausforderungen der EU-Verordnung über klinische Prüfungen mit Humanarzneimitteln 536/2014 (EU-CTR) sollen die bestehenden Probleme angegangen werden. Daher unterstützt der vfa die grundlegenden Ziele des Entwurfs des European Biotech Act I als einen wichtigen Ansatz zur Stärkung des Studienstandorts Europa insgesamt.

Die Verkürzung von Genehmigungsfristen, eine vertiefte Harmonisierung zwischen den Mitgliedstaaten sowie die Vereinheitlichung datenschutzrechtlicher Vorgaben sind seit Langem dringend erforderlich. Mit der nunmehr eingeleiteten Befassung der Europäischen Kommission zur Umsetzung des bereits von Mario Draghi angemahnten regulatorischen Reformstaus auf EU-Ebene werden diese zentralen Handlungsfelder endlich - wenn auch verspätet - adressiert.

Eine zügige Befassung mit dem Biotech Act I im laufenden EU-Gesetzgebungsverfahren sowie die Sicherstellung eines voll funktionsfähigen und ressourcenschonenden CTIS-Portals sind daher von wesentlicher Bedeutung. Zudem ist eine zeitnahe Überführung beziehungsweise Anpassung in nationales Recht in den EU-Mitgliedstaaten erforderlich, um weitere Verzögerungen bei der Anwendung zu vermeiden.

Die Neuregelungen sind grundsätzlich geeignet die Harmonisierung und zeitliche Planbarkeit klinischer Prüfungen zu verbessern. Die Einführung von Clinical Trial Sandboxes erlaubt die kontrollierte Erprobung innovativer Studiendesigns und Methoden. Die Harmonisierung der Datenschutzregelungen ist ein wesentlicher Fortschritt, da divergierende nationale Vorschriften ausgeschlossen werden und Verantwortlichkeiten eindeutig geregelt sind.

Begrüßenswert sind insbesondere die Änderungen der EU-CTR, die darauf abzielen, die Fristen für bestimmte Prozesse in der Bearbeitung der Anträge auf Genehmigung der Durchführung klinischer Prüfungen zu verkürzen. Das umfasst auch die Anpassung der max. Reaktionszeit für den Sponsor auf 14 Tage sowie den Wegfall der zusätzlich möglichen max. 50 Tage Bewertungsdauer für ATMPs. Behördliche Bewertungsprozesse werden dadurch gestrafft und dortige ineffiziente Leerlaufzeiten aus dem Verfahren herausgenommen.

Auch der Umstand, dass künftig in multinationalen klinischen Prüfungen die Bewertung des RMS die maßgebliche Referenz für die betroffenen Mitgliedstaaten darstellen wird, ist als ein Schritt in die richtige Richtung zu bewerten. Ebenso sind die vorgeschlagenen Festlegungen für die Ethik-Kommissionen im Sinne des Art. 4 Abs. 3 S. 2 sowie des Art. 6 Abs. 2 Unterabs. 2 der CTR und die Verortung des Votums im Bewertungsbericht Teil I durch den RMS positiv hervorzuheben. Ganz im Sinne des Erwägungsgrundes 130 eröffnet dies einen Weg zu einer seit Langem geforderten einheitlicheren und harmonisierten ethischen Bewertung.

Die Neufassung der koordinierten Bewertung der betroffenen Mitgliedstaaten durch eine verkürzte Mitwirkung dieser Staaten sowie die Beschränkung der von ihnen vortragbaren Bedenken auf die in Art. 8 Abs. 2 Unterabs. 2 EU-CTR genannten Gründe und auf ethische Versagungsgründe im Sinne des neuen Art. 6 Abs. 5 Unterabs. 3 EU-CTR erscheint folgerichtig. Die damit beabsichtigte Stärkung von Vertrauen und Zuverlässigkeit zwischen den Mitgliedstaaten ist ein wichtiger Schritt, um das Ziel schnellerer und besser vorhersehbarer Genehmigungen zu erreichen. Auch die vorgeschlagene Regelung in Art. 8 Abs. 2 Unterabs. 3 EU-CTR ist positiv zu bewerten.

Positiv ist auch, dass die parallele Einreichung wesentlicher Änderungen grundsätzlich ermöglicht werden soll. Nach dem Entwurf wäre dies jedoch nur für wesentliche Änderungen zulässig, die bestimmte, voneinander unabhängige Aspekte des Dossiers betreffen. Dadurch könnten Studien schneller angepasst und das Studienmanagement für Sponsoren vereinfacht werden. Allerdings

sieht der vfa darüber hinaus den Bedarf, auch innerhalb einer Studie die parallele Einreichung wesentlicher Änderungen zu ermöglichen. Insbesondere sollte die „Blockade“ des Systems durch die Einreichung weiterer Länder (z. B. bei Änderungen eines Prüfers) abgeschafft und eine parallele Einreichung von Änderungen an der Studie sowie an den beteiligten Ländern ermöglicht werden.

Hingegen sollte die Kohärenz zwischen Teil I und Teil II der Bewertung nochmals eingehend überprüft werden. Es ist von grundlegender Bedeutung, die derzeit bestehenden Probleme bei der zeitlichen Abstimmung zwischen den Bewertungen von Teil I und Teil II zu beheben. Diese führen bislang zu vermeidbaren zeitlichen und teilweise auch inhaltlichen Verzögerungen sowie zu Unsicherheiten im Verfahrensablauf.

Eine klare und verbindliche Synchronisierung der Bewertungsprozesse würde im Interesse aller Beteiligten liegen - der zuständigen Behörden, der Ethikkommissionen sowie der Antragsteller.

Vor diesem Hintergrund sollte geprüft werden, einen zusätzlichen Artikel 6a in der EU-CTR einzuführen, der die zeitliche Kohärenz zwischen der inhaltlichen Bewertung beider Teile ausdrücklich sicherstellt und eine eindeutige zeitliche Abstimmung verbindlich regelt.

Begrüßenswert ist zudem die Einführung eines harmonisierten Kern-Antragsdossiers im Sinne der neuen Artikel 27a bis 27c sowie des Art. 2 Abs. 2 Nr. 38 CTR (neu), um sowohl klinische Prüfungen mit demselben Prüfpräparat zu vereinfachen als auch die Einführung von Reallaboren im Sinne des Art. 2 Abs. 2 Nr. 45 CTR zu ermöglichen. Zudem begrüßen wir die Möglichkeit, künftig die Einreichung klinischer Studien und IVD-Studien zu harmonisieren, mit dem Ziel parallele Einreichungen beziehungsweise eine „All-in-one“-Bewertung zu ermöglichen. Die Kommission reagiert damit auf praktische Probleme in der EU. Kombinierte Studien erfordern derzeit mehrere separate Genehmigungen, und ein Start der Studie ist erst möglich, wenn alle Verfahren abgeschlossen sind. Unterschiedliche nationale Verfahren führen zudem zu Verzögerungen. Die neuen Regelungen sollen diese regulatorischen Reibungsverluste adressieren.

Begrüßt werden auch die geplanten Adaptierungen der EU-CTR im Hinblick auf die Datenschutzgrundverordnung und mit den einhergehenden Änderungen und Klarstellungen im Datenschutz im Sinne des Artikels 93 Abs. 7 in der EU-CTR und die Ausführungen in den Erwägungsgründen 150 bis 153 zum Entwurf des EU Biotech Act I.

In Art. 93 Abs. 1 sollte jedoch auf alle besonderen Datenkategorien nach Art. 9 Abs. 1 DSGVO Bezug genommen werden und nicht nur auf genetische Daten und Gesundheitsdaten, da auch andere in Art. 9 DSGVO genannte Datenkategorien in Einzelfällen relevant sein können.

Die Rechtsgrundlagen für die Verarbeitung personenbezogener Daten im Rahmen klinischer Prüfungen sollen künftig Art. 6 Abs. 1 lit. c) und Art. 9 Abs. 2 lit. i) (und j) DS-GVO sein. Die Zwecke der Verarbeitung werden abschließend dargestellt (vgl. Art. 93 CTR (neu)). Eine Abweichung im nationalen Recht, wie etwa das Einwilligungserfordernis nach dem AMG, soll damit ausgeschlossen werden (Art. 93 Abs. 7/8 CTR (neu)). Dies stellt eine sinnvolle Vereinfachung dar und trägt zur EU-weiten Harmonisierung bei. Dabei muss jedoch darauf geachtet werden, dass in Art. 93 Abs. 8 und Erwägungsgrund 151 klar zwischen der – dann nicht mehr notwendigen – Einwilligung zur Datenverarbeitung und der Einwilligung zur Studienteilnahme unterschieden wird. Der aktuelle Wortlaut kann durch die Bezugnahme auf die informierte Einwilligung missverstanden werden.

Die Weiterverarbeitung von Daten durch denselben Verantwortlichen soll im Rahmen anderer klinischer Prüfungen oder zu bestimmten wissenschaftlichen Forschungszwecken zulässig sein. Dies ist prinzipiell zu begrüßen. Zu wünschen wäre jedoch, das Erfordernis des „gleichen Verantwortlichen“ zu streichen und stattdessen allein auf den näher definierten Zweck der wissenschaftlichen Forschung abzustellen. Zumindest sollte eine Ausweitung dieser Privilegierung auf andere Unternehmen derselben Unternehmensgruppe erwogen werden.

Zudem sieht der Ansatz vor, dass Sponsor und Prüfzentrum datenschutzrechtlich Verantwortliche sein sollen - entsprechend der in Deutschland etablierten Auslegung. Derzeit besteht auf Ebene

der EU-Mitgliedstaaten eine erhebliche Heterogenität in der Bewertung dieser Frage. Der im Entwurf des EU Biotech Act I vorgesehene Ansatz würde diese uneinheitliche Praxis beenden und zu einer europaweit harmonisierten Regelung beitragen.

Hierdurch dürften sich die langjährigen Auslegungsfragen und bestehenden Unsicherheiten für die Anwender spürbar reduzieren, verbunden mit einer verbesserten Harmonisierung innerhalb der EU. In den vorgesehenen Ansätzen sind daher sowohl für den Studienstandort Deutschland als auch für die EU insgesamt wesentliche Verbesserungen zu erkennen.

Besonders kritisch ist, dass das CTIS im European Biotech Act I nicht die Beachtung findet, die angesichts seiner zentralen Bedeutung erforderlich wäre. Vor dem Hintergrund der bekannten Mängel und strukturellen Defizite des Systems hätte ein eigenständiges Kapitel mit einem konkreten Reformauftrag aufgenommen werden müssen. Dies sollte im weiteren Gesetzgebungsverfahren dringend berücksichtigt werden.

Das CTIS bildet das zentrale System, über das der gesamte Verfahrensprozess abgewickelt wird. Vor diesem Hintergrund ist es weder für Antragsteller noch für nationale Behörden und Ethikkommissionen akzeptabel, dass das System bislang weder hinreichend nutzerfreundlich noch praktikabel ausgestaltet ist. Grundlegende Verbesserungen sind daher ebenso entscheidend für die Zukunft des Studienstandortes Europa wie die bereits vorgesehenen inhaltlichen Anpassungen.

Insgesamt kommt es beim European Biotech Act I darauf an, die bestehenden Potenziale konsequent zu nutzen, um Europa im internationalen Wettbewerb der Studienstandorte wieder nachhaltig zu stärken. Das laufende Gesetzgebungsverfahren sollte daher sämtliche relevanten Stellschrauben in den Blick nehmen, da hierdurch die strategischen Weichen für die zukünftige Wettbewerbsfähigkeit gestellt werden.

Empfehlungen

- Fristenverkürzungen und parallele Bearbeitung substanzieller Änderungen dauerhaft sichern.
- Koordinierungsrolle der EMA bei multinationalen Studien stärken, mit dem Ziel hier die Harmonisierung der Anforderungen zwischen den Mitgliedstaaten zu unterstützen.
- Die kohärente zeitliche Abstimmung zwischen Teil I und Teil II der inhaltlichen Bewertung sicherstellen, insbesondere um nachgelagerte Amendments oder Auflagen zu vermeiden.
- Harmonisierten Rechtsrahmen für die Verarbeitung klinischer Studiendaten auf EU-Ebene sicherstellen und nationale Auslegungsspielräume minimieren. Neue technische und organisatorische Maßnahmen für Verarbeitungstätigkeiten dürfen nicht zu einem bürokratischen Mehraufwand werden.
- Den klar identifizierten Optimierungsbedarf am Clinical Trials Information System (CTIS) als zentralem EU-System für die Genehmigung klinischer Prüfungen im Rahmen des European Biotech Act I ausdrücklich adressieren. Dabei muss dessen konsequente Weiterentwicklung zu einem modernen, leistungsfähigen und nutzerfreundlichen Portal sichergestellt werden - im Einklang mit Artikel 80 der Verordnung (EU) Nr. 536/2014 (EU-CTR). Dieser schreibt vor, dass das EU-Portal dem jeweils aktuellen Stand der Technik entsprechen und benutzerfreundlich ausgestaltet sein muss.

Artikel 3, 10–14: Strategische Gesundheitsbiotechnologie-Projekte

Neuregelung

Artikel 3 definiert die materiellen Voraussetzungen und Zielsetzungen strategischer Projekte im Bereich Gesundheitsbiotechnologie. Ziel ist der Ausbau und die Modernisierung europäischer Biotechnologie- und Bioproduktionskapazitäten, die

Stärkung der Innovations- und Wettbewerbsfähigkeit, die Erhöhung der Versorgungssicherheit, die Verringerung kritischer Abhängigkeiten bei biotechnologischen Vorprodukten und Zwischenstoffen sowie die Beschleunigung von Innovation und Digitalisierung. Artikel 10 bis 12 regeln die prioritäre Behandlung strategischer Projekte, beschleunigte Genehmigungsprozesse, administrative Unterstützung, koordinierte Umweltprüfungen sowie Governance- und Koordinierungsmechanismen. Ergänzend sollen Unterstützungsstrukturen wie Centers of Excellence, Biotech Accelerators und regionale Biotechnologie-Cluster gefördert werden.

Kommentierung

Die vorgesehenen Maßnahmen sind grundsätzlich geeignet, die europäische Biotechnologieindustrie zu stärken und Investitionen in Forschung, Entwicklung und Produktion am Standort Europa zu fördern. Die Kombination aus administrativer, regulatorischer und finanzieller Unterstützung setzt wichtige Impulse für den Auf- und Ausbau moderner Bioproduktionskapazitäten. Entscheidend ist jedoch, dass strategische Projekte klar innovations- und wettbewerbsorientiert ausgestaltet werden.

Der Fokus sollte insbesondere auf innovativen Gesundheitsbiotechnologie-Produkten liegen. Strategische Projekte sollten nicht primär auf reine Kapazitätserweiterung abzielen, sondern die technologische Weiterentwicklung und Modernisierung bestehender Produktionsstrukturen in den Mittelpunkt stellen. Hierzu zählen insbesondere Prozessinnovationen, Digitalisierung, nachhaltige (sog. „greening“) Produktionsverfahren sowie der Einsatz fortschrittlicher biotechnologischer Herstellungsverfahren.

Die in Artikel 3 vorgesehene Zielsetzung der Reduzierung von Drittstaatenabhängigkeiten sollte im Sinne einer Stärkung der Lieferkettenresilienz und Diversifizierung global integrierter Wertschöpfungsketten ausgestaltet werden. Globale biotechnologische Wertschöpfungsstrukturen sind hochgradig vernetzt. Eine einseitige Reduktionslogik birgt das Risiko unbeabsichtigter Standortrestriktionen und könnte internationale Kooperationen beeinträchtigen. Die Unterstützung strategischer Biotechnologie-Projekte ist daher grundsätzlich zu

begrüßen, sofern solche impliziten Lokalisierungsanforderungen vermieden werden. Versorgungssicherheit im biotechnologischen Bereich basiert in erster Linie auf Diversifizierung und Redundanz global integrierter Lieferketten und nicht auf geografischen Einschränkungen einzelner Produktionsschritte.

Die Ausgestaltung der Verfahren nach Artikel 10–12 sollte dabei transparent, planbar und verhältnismäßig erfolgen. Eine Beschleunigung von Genehmigungsprozessen darf nicht mit impliziten Lokalisierungsanforderungen verbunden sein.

Die vorgesehenen Governance- und Koordinierungsmechanismen der Artikel 13 und 14 können zur effektiven Umsetzung strategischer Projekte beitragen, sofern sie transparent ausgestaltet werden und bestehende europäische und nationale Strukturen sinnvoll einbinden.

Zur Erreichung der Zielsetzungen des Biotech Act I ist es zudem erforderlich, die Time-to-Market zu verkürzen und die kommerzielle Skalierung biotechnologischer Prozesse und Anwendungen zu fördern. Dafür sollte frühzeitig ein Austausch mit nationalen HTA-Stellen über geeignete Rahmenbedingungen für die Einführung von Innovationen in den ersten Gesundheitsmarkt etabliert werden.

Empfehlungen

- Kriterien für strategische Projekte klar, transparent und verhältnismäßig definieren und so ausgestalten, dass keine impliziten Lokalisierungszwänge oder faktische Standortrestriktionen geschaffen werden.
- Strategische Projekte konsequent innovations- und wettbewerbsorientiert ausrichten sowie Modernisierung, Digitalisierung und nachhaltige Produktionsverfahren ausdrücklich berücksichtigen.
- Zielsetzung als Stärkung der Lieferkettenresilienz und Diversifizierung global integrierter Wertschöpfungsketten formulieren, anstatt einseitige Reduktions- oder Lokalisierungslogiken zu verfolgen.
- Administrative und Genehmigungsprozesse risikobasiert, transparent, planbar und effizient gestalten. Bestehende

regulatorische Datenstrukturen nutzen und das Once-Only-Prinzip umsetzen, damit Daten nur einmal an der Quelle erfasst und im European Medicines Regulatory Network für unterschiedliche regulatorische Zwecke genutzt werden können.

- Ergänzend sollte der frühe Dialog mit relevanten nationalen HTA-Instanzen gefördert werden, um Fragen der Kommerzialisierung geförderter Verfahren und Anwendungen im ersten Gesundheitsmarkt zu klären.

Artikel 19, 40: Regulatorische Kohärenz und Unterstützungsstrukturen

Neuregelung

Eine zentrale Neuerung des Biotech Act I ist die Einrichtung eines Health Biotechnology Support Networks. Dieses Netzwerk soll den Austausch zwischen Entwicklern und privaten sowie öffentlichen Investoren erleichtern.

Ziel ist die gezielte Unterstützung von Unternehmen bei der Projekt-Skalierung, Finanzierung und regulatorischen Orientierung, um zugleich die spätere Integration ihrer Produkte und Technologien in bestehende EU-Produktionsnetzwerke zu erleichtern.

Regulatory Sandboxes sollen für die Erprobung neuer innovativer Produkte etabliert werden, bei denen neben z.B., KI-gestützten Ansätzen auch Innovationen in der Herstellung Berücksichtigung finden sollen.

Das neu zu etablierende Union Regulatory Status Repository soll regulatorische Informationen, Einschätzungen und Entscheidungen transparent auf EU-Ebene bündeln und über die Mitgliedstaaten hinweg teilen, so dass ein harmonisiertes EU-weites regulatorisches Umfeld für die Entwicklung von innovativen Arzneimitteln entsteht.

Kommentierung

Richtig umgesetzt können Maßnahmen wie das Union Regulatory Status Repository die derzeitige regulatorische Fragmentierung verringern und wesentlich zur EU-weiten Harmonisierung

regulatorischer Prozesse beitragen – und damit ein innovationsfreundliches Umfeld schaffen. Regulatory Sandboxes könnten neuen Innovationen regulatorische Freiräume eröffnen, während die gewonnenen Erfahrungen das Regulatory Repository kontinuierlich erweitern. Erkenntnisse aus den Testverfahren der Sandboxes sollten daher im Erfolgsfall zeitnah zu allgemeiner Akzeptanz und Umsetzung in der Gesetzgebung führen.

Das Support Network könnte als weitere Unterstützungsstruktur das Umfeld zusätzlich stärken, indem es neuen Unternehmen und innovativen Produktideen den Zugang zu Fördermitteln sowie zur Produktionslandschaft der EU erleichtert. Insgesamt sind diese Ansätze sehr begrüßenswert und können die EU als führenden Standort für biotechnologische Forschung und Entwicklung weiter etablieren.

Empfehlungen

- Zuständigkeiten im Support Network klar regeln.
- Kriterien und Planbarkeit der Regulatory Sandboxes sicherstellen.
- Das Union Regulatory Status Repository kontinuierlich ausbauen und pflegen und dabei die Expertise der forschenden Pharmaindustrie aktiv einbeziehen

Artikel 17: Strategische Bestandsaufnahme des europäischen Biotechnologie-Ökosystems

Neuregelung

Artikel 17 sieht eine strategische Bestandsaufnahme des europäischen Biotechnologie- und Bioproduktionsökosystems vor. Ziel ist es, bestehende industrielle Kapazitäten und Infrastrukturen zu erfassen sowie potenzielle Lücken, Abhängigkeiten und systemische Herausforderungen entlang der Wertschöpfungsketten zu analysieren. Die Bestandsaufnahme soll auf Informationen von Unionsorganen, Agenturen, Mitgliedstaaten sowie, soweit erforderlich, von Industrie und Forschungseinrichtungen beruhen.

Kommentierung

Eine strategische Bestandsaufnahme kann zur evidenzbasierten Weiterentwicklung der europäischen Biotechnologiepolitik beitragen, sofern sie verhältnismäßig und differenziert ausgestaltet wird.

Eine rein statische „Gap-Analyse“ greift angesichts hochgradig integrierter globaler Wertschöpfungsketten zu kurz. Stattdessen sollte der Fokus auf der Verteilung, Vernetzung und Resilienz industrieller Kapazitäten liegen. Die internationale Dimension ist dabei zu berücksichtigen, um Europas Wettbewerbsposition sowie relevante Kooperationspotenziale sachgerecht zu bewerten. Zudem ist es wichtig, biotechnologische Wertschöpfungsketten end-to-end zu betrachten - von der Forschung und Entwicklung bis hin zur Kommerzialisierung und Refinanzierung.

Zudem muss der Schutz sensibler Unternehmensdaten gewährleistet sein. Informationen zu industriellen Kapazitäten und Lieferketten sollten ausschließlich aggregiert und anonymisiert verarbeitet werden. Die Bestandsaufnahme sollte vorrangig auf bestehenden regulatorischen Datenquellen beruhen - etwa dem European Medicines Verification System (EMVS) sowie bereits erhobenen Zulassungs-, Inspektions- und Pharmakovigilanzdaten, um Doppelmeldungen zu vermeiden und das Once-Only-Prinzip zu wahren.

Empfehlung

- Ergänzung eines Buchstaben f in Nr. 2 zur Betrachtung von Zugangshemmnissen und strukturellen Erstattungshürden insbesondere für biotechnologische Innovationen, die aufgrund beschleunigter regulatorischer Verfahren und Erleichterungen in der Zulassung (z. B. Sandboxing) mit frühen Daten auf mitgliedersstaatliche HTA-Prozesse treffen.

4. Artikel 22–23: Digitalisierung und Künstliche Intelligenz

Neuregelung

Der Biotech Act I sieht zur Förderung der sicheren und innovationsorientierten Nutzung von Künstlicher Intelligenz im Arzneimittelbereich die Einrichtung sogenannter „Trusted AI Testing Environments“ und „Data Quality Accelerators“ vor. Darüber hinaus wird die EMA verpflichtet, in Abstimmung mit der Europäischen Kommission und dem AI Board Leitlinien (sog. Guidance) für den Einsatz von KI über den gesamten Arzneimittel-Lifecycle zu entwickeln. Diese sollen Orientierung für die Anwendung von KI in verschiedenen Phasen der Entwicklung, Zulassung, Herstellung und Überwachung von Arzneimitteln geben.

Kommentierung

Diese im Entwurf der EU-Kommission genannten Projekte können im regulatorischen Kontext dazu beitragen, die Entwicklung, Erprobung und Validierung von KI-Anwendungen unter regulatorisch geeigneten Bedingungen zu unterstützen und die Qualität, Verfügbarkeit und Interoperabilität relevanter Daten zu verbessern.

Gleichzeitig muss sichergestellt werden, dass Doppelstrukturen mit bestehenden Initiativen der EMA und der Heads of Medicines Agencies (HMA) vermieden werden. Initiativen zur Digitalisierung und zum Einsatz von Künstlicher Intelligenz sind grundsätzlich vielversprechend und können zur Stärkung von Innovationskraft und regulatorischer Effizienz beitragen. Entscheidend ist jedoch, dass die geplante Guidance operabel, risikobasiert und klar mit bestehenden regulatorischen Rahmenwerken - insbesondere dem AI Act sowie einschlägigen Regelwerken wie GMP und MDR/IVDR - abgestimmt wird. Nur so kann regulatorische Kohärenz gewährleistet und ausreichende Vorhersehbarkeit für Entwickler, Sponsoren und Behörden geschaffen werden.

Empfehlungen

- Klare Vorgaben für die Integration von KI in klinischen Studien und regulatorischen Prozessen formulieren, die auch für zukünftige Innovationen noch flexible

Erweiterungen und Anpassungen in diesen Bereichen erlauben.

- Regulatorische Vorhersehbarkeit für Sponsor und Prüfstelle gewährleisten.
- Die Ausgestaltung der Guidance sollte konsequent risikobasiert erfolgen und zwischen unterschiedlichen KI-Anwendungsfällen entlang des gesamten Arzneimittel-Lifecycle differenzieren, um Patientensicherheit zu gewährleisten, ohne Innovation oder Effizienz unverhältnismäßig zu beeinträchtigen.
- Doppelstrukturen mit bestehenden Initiativen der EMA, der Heads of Medicines Agencies (HMA) und anderen EU-Rechtsakten sind zu vermeiden. Regulatorische Kohärenz und klare Zuständigkeiten müssen gewährleistet sein. Die geplante Guidance sollte praxisnah gestaltet und klar auf bestehende Regelwerke abgestimmt werden – insbesondere auf den AI Act sowie relevante sektorale Rahmenwerke wie GMP und MDR/IVDR. Digitale regulatorische Infrastrukturen sollten weiterentwickelt und das Once-Only-Prinzip umgesetzt werden. Perspektivisch ist der Übergang von statischen Dossiers zu dynamischen, cloudbasierten Datenpaketen zu fördern.

5. Artikel 24–26: Investitionsinstrumente

Neuregelung

Der geplante EU Health Biotechnology Investment Pilot deckt Finanzierungen von der Früh- bis zur Spätphase ab und richtet sich insbesondere an KMU. In Zusammenarbeit mit der Europäischen Investitionsbank sollen insgesamt zehn Milliarden Euro mobilisiert werden. Die Pilotphase ist auf zwei Jahre angelegt.

Kommentierung

Die Initiative stärkt die Investitionsbereitschaft in europäische Biotech-Unternehmen, jedoch bleiben Nachhaltigkeit und Skalierbarkeit über die Pilotphase hinaus unklar.

Empfehlungen

- Investitionsinstrumente nach Ablauf der Pilotphase dauerhaft verstetigen.
- Klare Kriterien für Finanzierung und Förderfähigkeit definieren.

6. Artikel 27, Artikel 59 Absatz 6: SPC-Verlängerung

Neuregelung

Artikel 27 führt eine zwölfmonatige Verlängerung des Supplementary Protection Certificate (SPC) für biotechnologisch entwickelte humanmedizinische Produkte und ATMPs ein. Diese Verlängerung soll nur gelten, wenn kumulativ folgende Bedingungen erfüllt sind: a) neue aktive Substanz, b) neuer Wirkmechanismus, c) klinische Prüfungen in mehr als zwei Mitgliedstaaten, d) mindestens ein Herstellungsprozessschritt in der EU.

Mit Artikel 59 Absatz 6 soll auch eine zwölfmonatige Verlängerung von SPC für biotechnologische Tierarzneimittel zur Behandlung von Zoonosen eingeführt werden. Die Bedingungen hierfür sind identisch mit denen in Artikel 27 mit Ausnahme der Notwendigkeit multinationaler klinischer Prüfungen (c).

Kommentierung

Die Möglichkeit einer 12-monatigen SPC-Verlängerung für hochinnovative biotechnologisch entwickelte Arzneimittel oder ATMPs würde Europas Attraktivität für Forschung, klinische Studien und Produktion in einem global wettbewerbsintensiven Umfeld stärken. Dieses innovationspolitische Instrument sollte unabhängig von der bestehenden sechsmonatigen Verlängerung für pädiatrische Daten auf Basis eines pädiatrischen Prüfkonzepts zur Anwendung kommen.

Damit die gewünschte Anreizwirkung für Innovationen in der Praxis tatsächlich entfaltet wird, müssen die Voraussetzungen rechtssicher und realisierbar ausgestaltet sein, verbunden mit verhältnismäßigen Nachweispflichten. Insbesondere sollte der Anwendungsbereich der Vorschrift konkretisiert werden und nicht nur für

biotechnologisch entwickelte, sondern auch für hergestellte Arzneimittel („...developed or manufactured by means of ...“) gelten. Zudem sollte innerhalb der künftigen Verordnung eine einheitliche Begriffsverwendung gewährleistet sein, so dass alle innovativen Therapien vom Anwendungsbereich erfasst werden. Dazu gehört, dass anstelle des Verweises auf eine Definition von „biotechnological process“ der künftigen EU-Arzneimittelgesetzgebung die im Biotech Act I enthaltene Legaldefinition von „biotechnology“ in Artikel 2 zur Abgrenzung des Anwendungsbereichs herangezogen wird.

Um sicherzustellen, dass die von der SPC-Verlängerungsmöglichkeit ausgehende Anreizwirkung in der Praxis tatsächlich erzielt wird, sollten die Bedingungen hierfür sorgfältig kalibriert und flexibel ausgestaltet werden. Die Bedingungen lassen sich hinsichtlich der beabsichtigten Effekte in zwei Gruppen unterteilen: die innovationsbasierten Kriterien nach Artikel 27 Abs. 1 a) und b) sowie die standortbezogenen Anforderungen nach Artikel 27 Abs. 1 c) und d). Der vfa ist der Auffassung, dass eine Verlängerung der SPC für die betroffenen Produkte bereits möglich sein sollte, wenn aus jeder Gruppe jeweils eine Bedingung erfüllt ist. Auf diese Weise würden die Anforderungen realistischer gestaltet und die gewünschte Anreizwirkung erhöht.

Die bisher vorgesehene zweifache Kopplung an die Herstellung in der EU kann außerdem zu Standortrestriktionen führen, die globale Lieferketten und internationale Kooperationen beeinflussen. Globale Lieferketten und Standortwahl dürfen im Regime des Biotech Act I künftig nicht zu einer Benachteiligung führen.

Empfehlungen

- Voraussetzungen für SPC-Verlängerung derart ausgestalten, dass sie die innovationspolitisch beabsichtigte Anreizwirkung in der Praxis tatsächlich entfalten kann.
- Die SPC-Verlängerung sollte unabhängig von standortpolitischen Fragen zur Förderung des Biotechsektors genutzt werden.

7. Artikel 6 ff.: Umweltregelungen

Neuregelung

Der Biotech Act I sieht vor, dass ATMPs auf der Basis von GMOs, oder die GMOs enthalten risikobasiert von dem Erfordernis einer Umweltrisikobewertungserstellung ausgenommen werden können.

Kommentierung

Der vfa begrüßt diese Neuregelung, da somit auch derzeit zum Teil gegensätzliche Regelungen im Pharma- und Gentechnikrecht vermieden werden. Die angesprochenen GMOs sind nicht selbst replikationsfähig und bilden somit keinerlei Gefahr für Mensch oder Umwelt. Eine solche Regelung würde auch den bürokratischen Aufwand für Hersteller und Behörden vermindern und zusätzlich zu einer weiteren Verringerung von Tierversuchen beitragen.

Empfehlungen

- Risikobasierter Verzicht auf das Erfordernis eine Umweltrisikobewertung für ATMPs mit GMOs zu erstellen.
- Zwingende Einbeziehung der EMA bei Neuerungen und Änderungen im Umweltrecht, welche die Entwicklung, Herstellung, Vertrieb oder Vermarktung von Arzneimitteln betreffen könnten.

7. Artikel 37: Foresight Panel for Emerging Health Innovation

Neuregelung

Die Regelung sieht die Einrichtung eines „Foresight Panel for Emerging Health Innovation“ vor. Dieses Gremium soll der Europäischen Kommission, der Europäischen Arzneimittelagentur sowie weiteren unionsweiten Beratungsgremien und nationalen Behörden wissenschaftliche, regulatorische und technische Expertise zu neuen Entwicklungen in der Gesundheitsbiotechnologie bereitstellen. Zu seinen zentralen Aufgaben gehört insbesondere das Horizon Scanning, also die systematische Analyse und frühzeitige Identifikation neuer wissenschaftlicher und technologischer

Trends mit potenzieller Bedeutung für die Entwicklung innovativer Gesundheitsprodukte. Die Ergebnisse sollen unter anderem in Form von Diskussionspapieren veröffentlicht werden und den Austausch zwischen verschiedenen regulatorischen Rahmenwerken sowie relevanten Behörden und Netzwerken fördern.

Kommentierung

Die Einrichtung eines europäischen Foresight Panels wird von der forschenden pharmazeutischen Industrie nachdrücklich begrüßt, da sie zu einer frühzeitigen Identifikation notwendiger Anpassungen der Regulatorik und der nationalen HTA-Rahmen an wissenschaftliche und technologische Entwicklungen beitragen kann. Dies ist insbesondere für disruptive Technologien wie Zell- und Gentherapien, RNA-basierte Arzneimittel oder AI-gestützte Biotechnologie von großer Bedeutung. Nur mit einer frühzeitigen initialen Kommerzialisierungsperspektive lassen sich Investitionen in skalierbare Produktion, Distribution und Diagnostik in Europa betriebswirtschaftlich rechtfertigen. Positiv ist zudem, dass der Ansatz auf Kooperation zwischen verschiedenen europäischen Regulierungnetzwerken und nationalen Behörden setzt. Voraussetzung für den Erfolg des Panels wird jedoch sein, dass es angemessen ausgestattet wird, seine Arbeit transparent erfolgt und die Expertise der Projekte sowie der forschenden Industrie selbst angemessen in den Austausch einbezogen wird.

Empfehlung

- Etablierung eines Initiativrechts von Projekten zur Einbringung von Beratungsgegenständen und Aufnahme einer Vertretung der auf europäischer Ebene gebildeten Verbände der forschenden Biotechnologieindustrie in das Foresight Panel.

Kontakt

Verband forschender Arzneimittelhersteller (vfa)
Charlottenstraße 59
10117 Berlin
Telefon +49 30 206 04-0
info@vfa.de

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