

Politische Handlungsempfehlungen zur Stärkung des pharmazeutischen Forschungsstandorts

Klinische Studien sind entscheidend für die Entwicklung von Arzneimitteln und tragen über die Translation von Grundlagenforschung in wirksame und sichere Medikamente zur kontinuierlichen Verbesserung der Gesundheitsversorgung bei. Mit einer ausgeprägten Forschungslandschaft, hochqualifizierten Wissenschaftler*innen und exzellenten Universitätskliniken bietet Deutschland gute Bedingungen für pharmazeutische Forschungs- und Entwicklungsprojekte. Allerdings haben die vergangenen Jahre gezeigt, dass der deutsche Forschungsstandort im internationalen und europäischen Vergleich an Attraktivität verloren. Lange Zeit bei der Anzahl durchgeföhrter klinischer Studien die weltweite Nummer 2, nimmt Deutschland aktuell nur noch den siebten Platz ein.¹ Der internationale Standortwettbewerb um Investitionen in pharmazeutische Forschung und Entwicklung hat sich durch die Covid-Pandemie und veränderte geopolitische Rahmenbedingungen (z.B. U.S. Inflation Reduction Act) nochmals verschärft. Deutschland schöpft das Potential des hiesigen Forschungsstandorts nicht vollständig aus. Zwar gibt es aus dem BMG erste Ankündigungen, gesetzlich tätig zu werden, um medizinischen Fortschritt *made in Germany* nicht zu gefährden und Betroffenen in Deutschland frühzeitig Zugang zu innovativen Therapieverfahren zu ermöglichen, braucht es jedoch zeitnah politische Initiativen. Zur Stärkung des deutschen Forschungsstandorts eignen sich die folgenden politischen Lösungsansätze.

Verbindliche Vertragsmuster/-klauseln zur Vereinfachung der Vertragsgestaltung zwischen medizinischen und universitären Einrichtungen und Studiensponsoren

Die Vertragsgestaltung zwischen Studienzentren und -sponsoren ist in Deutschland im internationalen Vergleich deutlich aufwändiger und führt zu Zeitverlusten beim Studienstart. Häufig müssen im Vorfeld von Studien Einzelverträge zwischen den industriellen Sponsoren und mehreren Kliniken, Zentren oder Arztpraxen ausgehandelt werden. Im Vergleich zu anderen europäischen Ländern wie Frankreich, Großbritannien und Spanien, fehlen in Deutschland gesetzlich verbindliche Musterverträge oder -klauseln.

- Es empfiehlt sich Empfehlungen für bundesweite Standards für Vertragsmuster oder -klauseln zwischen Studiensponsoren und -zentren auszuarbeiten. Das einheitliche Vertragsmuster für klinische Studien in der Onkologie zwischen dem Bayerischen Zentrum für Krebsforschung (BZKF) und sieben pharmazeutischen Unternehmen kann als Beispiel gelten.
- Ausarbeiten ließen sich entsprechende Vorgaben durch eine gemeinsame Kommission aller beteiligten Stakeholder (Studienzentren, Forschungseinrichtungen, Studiensponsoren) unter Koordination des Bundesministerium für Gesundheit (BMG) und des Bundesministeriums für Bildung und Forschung (BMBF)

Entbürokratisierung und Harmonisierung von Beratungs- und Genehmigungsverfahren für klinische Prüfungen

Der bürokratische Aufwand zur Genehmigung klinischer Prüfungen ist in Deutschland verhältnismäßig hoch. Hierzulande existieren über 30 Ethik-Kommissionen, mit zum Teil unterschiedlichen Prüfungs-Anforderungen, sowie 17 Datenschutzbehörden mit uneinheitlichen Datenschutzstandards. Bei klinischen Studien mit nuklearmedizinischen Wirkstoffen bedarf es zudem zusätzlich einer strahlenschutzrechtlichen Prüfung durch das Bundesamt für Strahlenschutz (BfS). Dieses Verfahren läuft separat zu den Genehmigungsverfahren klinischer Studien beim

¹ Vgl. Kearney Analyse basierend auf Global Data, vfa Branchenreport 2022 (2023): Pharma-Innovationsstandort Deutschland. Online abrufbar: <https://www.vfa.de/de/presse/pressemitteilungen/pg-004-2023-studie-von-vfa-und-kearney-22-massnahmen-um-deutschland-als-pharma-innovationsstandort-wieder-fit-zu-machen.html>.

Bundesamt für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) bzw. dem Paul-Ehrlich-Institut (PEI). In Summe führt dies dazu, dass klinische Studienvorhaben im internationalen Vergleich langsamer geprüft und genehmigt werden.

- Es braucht eine Harmonisierung der Anforderungen an Ethikstandards. Die Ausarbeitung von Leitlinien durch den Deutschen Ethikrat könnten hier eine Richtschnur bilden.
- Auch die Datenschutzrichtlinien für klinische Prüfungen sollten bundesweit harmonisiert werden. Die Bündelung der Zuständigkeit für klinische Prüfungen bei einer Bundesbehörde kann dazu beitragen, dass Datenschutz bundesweit einheitlich ausgelegt und angewendet wird.
- Das BfS-Strahlenschutzgenehmigungsverfahren sollte in das reguläre Genehmigungsverfahren beim BfArM bzw. PEI integriert werden.

Erhöhung der gesellschaftlichen Akzeptanz und des öffentlichen Bewusstseins für den Nutzen klinischer Forschung, auch zu Gunsten der Patient*innenrekrutierung

Der patient*innenindividuelle und gesamtgesellschaftliche Nutzen klinischer Forschung ist in der deutschen Bevölkerung wenig bekannt. Hinzu kommen Vorbehalte gegenüber der Teilnahme an klinischen Studien sowie ein Informationsdefizit hinsichtlich laufender Studien, auch in einfacher Sprache. Das Auffinden geeigneter Studien für Patient*innen ist bislang weitestgehend von den behandelnden Ärzt*innen abhängig. In der Folge gestaltet sich die Patient*innen-rekrutierung hierzulande oft schleppend. Gerade bei Studien für Arzneimittel gegen seltene Erkrankungen, ist dies aufgrund der in der Regel geringen Patient*innenzahlen sowie dem häufigen Mangel ärztlicher Expert*innen eine Hürde.

- Das von der Ampel geplante Bundesinstitut für Prävention und Aufklärung in der Medizin (BIPAM), in das auch die Aufgaben der Bundeszentrale für gesundheitliche Aufklärung übergehen, sollte verstärkt mittels Kampagnen und Aufklärungsarbeit über die Relevanz klinischer Forschung informieren.
- Der Aufbau eines zentralen, transparenten Studienregisters, z.B. beim BfArM, in dem die Studienausrichter Informationen und Kontaktdaten zu allen aktuell laufenden klinischen Studien bereitstellen, kann zu einer vereinfachten Patient*innenrekrutierung beitragen.

Chancen der Digitalisierung für medizinischen Fortschritt nutzen

Die Verfügbarkeit und datenschutzrechtlich geregelte Nutzung von pseudonymisierten und anonymisierten Gesundheitsdaten aus dem Versorgungsalltag können dazu beitragen, die Forschung an innovativen Arzneimitteln erheblich zu beschleunigen. Deutschland hinkt in der systematischen Erhebung und Nutzbarmachung von hochwertigen medizinischen Daten jedoch deutlich hinterher. Um die Erhebung, Bereitstellung und Nutzung von Gesundheitsdaten in Deutschland zu verbessern wird derzeit von der Bundesregierung das Gesundheitsdatennutzungsgesetz (GDNG) und das Digital-Gesetz (DigiG) vorangetrieben.

- Die im GDNG geplante Aufnahme privater Forschung in den Kreis berechtigter Antragsteller für einen Datenzugang beim Forschungsdatenzentrum des BfArM ist richtig. Die für Versicherte geplante Möglichkeit zum selektiven Ausschluss einzelner Gruppen von Forschenden vom Zugang zu ePA-Daten konterkariert diesen Ansatz – darauf sollte verzichtet werden.
- Datenquellen gilt es auszubauen, die Opt-out-Lösung bei der ePA kann dazu beitragen. Auch sollte der Ausbau einer nachhaltigen Registerlandschaft vorangetrieben werden.

Handlungsempfehlungen zur Stärkung des pharmazeutischen Innovationsstandorts

Die deutsche pharmazeutische Industrie ist mit ihren Investitionen in Forschung und Entwicklung nicht nur Motor für Innovation, Wertschöpfung und Beschäftigung in Deutschland und der Europäischen Union, sondern auch Antreiber medizinischen Fortschritts und damit zentral für die Gesundheitserhaltung der Bevölkerung. Nicht umsonst belegt Deutschland beim Zugang zu neuen Arzneimitteln im EU-Vergleich den absoluten Spitzenplatz. Zentrale Voraussetzung für pharmazeutische Investitionen ist die Gewährleistung verlässlicher und planbarer Rahmenbedingungen bei der Preisbildung und Erstattung von Arzneimitteln. In den letzten Jahren ist auf nationaler Ebene jedoch eine Tendenz zur Einführung kurzfristiger Sparmaßnahmen im etablierten Preisregulierungsverfahren bei innovativen Arzneimitteln zu beobachten. Dies in Zeiten, in denen sich die wirtschaftlichen Rahmenbedingungen ohnehin deutlich verschlechtern. Zeitgleich werden auch auf EU-Ebene im Rahmen der angestrebten Reform des allgemeinen Rechtsrahmens für Arzneimittel Maßnahmen diskutiert, die die europäische Pharmabranche erheblich schwächen könnten. Stattdessen gilt es, sowohl auf deutscher als auch europäischer Ebene die industrielle Gesundheitswirtschaft als Leitindustrie zu begreifen, die es über die richtigen politischen Impulse zu Gunsten verlässlicher und innovationsorientierter Rahmenbedingungen nachhaltig zu stärken gilt.

Zukunftsfähige Finanzierung der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) ohne Abstriche bei der Patient:innenversorgung

Die Arzneimittelversorgung wird im deutschen Gesundheitssystem durch die Solidargemeinschaft finanziert und ist entsprechend streng reguliert. Dabei leistet die pharmazeutische Industrie u.a. durch das AMNOG-Verfahren, durch Rabattverträge und durch gesetzliche Abschläge erhebliche Einsparungen für das Versichertenkollektiv. Allein über die Einsparungen durch das AMNOG sind für die Krankenkassen zwischen 2011 und 2021 kumulierte Einsparungen in Höhe von rund 35 Milliarden Euro realisiert worden.² Grundlage für eine auch in Zukunft hochwertige und am medizinischen Fortschritt ausgerichtete Arzneimittelversorgung ist eine strukturell-nachhaltige Finanzierung des Gesundheitssystems. Alljährliche Überlegungen zur Einführung kurzfristig orientierter Sparmaßnahmen, die überwiegend zu Lasten der Arzneimittelversorgung von Patient*innen gehen, sind abzulehnen.

- Nötig sind Reformen für eine strukturell-nachhaltige GKV-Finanzierung, bei gleichzeitigem Verzicht auf kurzfristige Sparmaßnahmen im Arzneimittelbereich zu Lasten der Versorgung von Patient*innen. Dabei sind mit Verweis auf den Koalitionsvertrag eine Dynamisierung der Bundesbeteiligung für versicherungsfremde Leistungen ebenso anzustreben, wie eine kostendeckende Finanzierung der GKV-Beiträge für Bezieher*innen von Bürgergeld (ca. 10 Mrd. Euro) aus dem Etat des Bundesministeriums für Arbeit und Soziales (BMAS).

Unverzügliche Rückkehr zu einer innovationsfördernden Preisregulierung von innovativen Arzneimitteln im AMNOG-Verfahren

Das 2011 eingeführte AMNOG-Verfahren aus evidenzbasierter Nutzenbewertung und darauf aufbauender verhandlungsorientierter Preisfindung bei neuen Arzneimitteln hat sich erfolgreich etabliert. Das gesetzgeberisch intendierte Ziel einer steuernden Regulierung von Arzneimittelpreisen bei gleichzeitiger Förderung des Zugangs zu Innovationen wurde erfüllt. Mit dem 2023 in Kraft getretenen GKV-Finanzstabilisierungs-Gesetz (GKV-FinStG) wurde das AMNOG jedoch massiv aus der Balance gebracht – insbesondere zu Lasten von Schrittinnovationen, in vielen Indikationen notwendigen Kombinationstherapien sowie Arzneimitteln für Menschen mit

² Vgl. Verband forschender Arzneimittelhersteller e.V. (2023): Einsparungen addieren sich auf knapp 35 Milliarden Euro. Online abrufbar: [Einsparungen addieren sich auf knapp 35 Milliarden Euro](https://www.vfa.de/Downloads/AMNOG-2021-Einsparungen-addieren-sich-auf-knapp-35-Milliarden-Euro.pdf).

seltenen Erkrankungen. Derzeit läuft die gesetzliche Evaluation der Auswirkungen des Gesetzes. Trotz des viel zu kurzen Evaluationszeitraumes ist absehbar, dass in Folge des GKV-FinStG immer mehr Arzneimittel später oder gar nicht mehr hierzulande eingeführt bzw. Zulassungen später oder gar nicht in der EU angestrebt werden. Zeitnah bedarf es ein konsequentes und sachgerechtes Gegensteuern der Politik.

- Streichung der sogenannten „AMNOG-Leitplanken“, da diese therapeutische Schrittinnovationen für Patient*innen ausbremsen.
- Streichung des nicht einheitlich umsetzbaren Kombinationsabschlags, der eine rechtlich bedenkliche Doppelregulierung darstellt und dafür sorgt, dass das Angebot an Kombinationstherapien sinken dürfte.
- Streichung der Absenkung der Umsatzschwelle für Orphan Drugs, da diese den Zugang zu neuen aber auch zu schon im Versorgungsalltag angekommenen Orphan und Ultra Orphan Drugs nachhaltig behindert

Das AMNOG-Verfahren modernisieren und das geplante EU-HTA integrieren

In keinem Land in Europa sind neue Arzneimittel nach der Zulassung so schnell für die Patient*innen verfügbar, wie in Deutschland. Grund dafür ist u.a. das etablierte AMNOG-Verfahren. Vor dem Hintergrund rasanter wissenschaftlicher Entwicklungen in der Präzisionsmedizin, insbesondere bei Gen- und Immuntherapien sowie Orphan Drugs und anderen zielgerichtet bei kleinen, spezifischen Patientenpopulationen wirkenden Arzneimitteln, stoßen bei der Nutzenbewertung die klassischen Pfade der Evidenzgenerierung an ihre Grenzen. Gleichzeitig stellt das 2025 startende gemeinsame EU-HTA-bewertungsverfahren erhöhten Anpassungsbedarf an die aktuellen Prozesse und Methoden. Kurz gesagt: Das AMNOG gilt es zukunftsfähig zu machen.

- Schaffung von Evidenzoffenheit bei besonderen Therapiesituationen und Orphan Drugs in der Nutzenbewertungsmethodik des AMNOG durch Anerkennung bestverfügbarer vergleichender Evidenz, sowie der Berücksichtigung zusätzlicher Outcome-Kategorien.
- Verpflichtende Berücksichtigung der gemeinsamen europäischen HTA-Ergebnisse im nationalen AMNOG-Verfahren bei Gewährleistung von Verfahrens- und Beteiligungsrechten für Patientenorganisationen, medizinische Fachgesellschaften und pharmazeutische Hersteller

Aufrechterhaltung eines starken Schutz- und Anreizsystems für pharmazeutische Innovationen auf EU-Ebene

Die Entwicklung neuer Arzneimitteltherapien ist ein risikoreicher Prozess, der mit hohen Investitionen verbunden ist. Um die hohen Entwicklungskosten zu decken und in weitere Forschung investieren zu können, müssen Investitionen pharmazeutischer Hersteller wirtschaftlich sein – eine Herausforderung insbesondere bei Orphan Drugs und pädiatrischen Arzneimittel. Ein starker und Planungssicherheit gebender Patentschutz sowie gezielte Investitionsanreize auf EU-Ebene sind essentiell im globalen Wettbewerb um Investitionen in pharmazeutische Innovationen. Die geplante Reform des EU-Rechtsrahmens für Arzneimittel sollte genutzt werden, die globale Wettbewerbsfähigkeit der forschenden Pharmaindustrie in Europa zu stärken, nicht zu schwächen.

- Erhöhung statt Absenkung des grundsätzlichen regulatorischen Unterlagenschutzes (RDP) für neue Arzneimittel sowie Erhöhung statt Absenkung der grundsätzlichen Marktexasklusivitätsdauer für neue Orphan Drugs.
- Verzicht auf modulare Verlängerungsmöglichkeiten bei der Dauer des Unterlagenschutzes und der Marktexasklusivität von Orphan Drugs, die an unrealistische Bedingungen geknüpft sind.