

## **Stellungnahme zur 2. Sitzung der Arbeitsgruppe 5 des Pharma- und Medizintechnikdialoges**

Mit diesem ergänzenden Papier bringt MSD Sharp & Dohme ihre spezifische Perspektive und Erfahrung in die Arbeit der Arbeitsgruppe 5 des Pharma- und Medizintechnikdialogs ein und ergänzt damit die gemeinsame Stellungnahme der Industrieverbände.

### **Kernanliegen: Innovationsketten der pharmazeutischen Biotechnologie end-to-end denken – Modellvorhaben für individualisierte RNA-Therapien etablieren**

Wir begrüßen ausdrücklich, dass Europa mit dem Biotech Act und dem Pharma Package konkrete Schritte unternimmt, biotechnologische Innovationen wesentlich schneller als bisher zu erforschen und zuzulassen – etwa durch Regulatory Sandboxes für neuartige Biotechnologien und verkürzte Fristen für ATMP-Studien. Diese Maßnahmen sind wichtig, um biotechnologische Forschung zu beschleunigen und innovative Biotech-Produkte überhaupt unter Mobilisierung privaten Kapitals zur Zulassung zu führen.

Um jedoch sicherzustellen, dass biotechnologische Innovationen auch zukünftig nach klinischer Erprobung unmittelbar mit Zulassung den Patientinnen und Patienten als Therapie zur Verfügung stehen können, und die damit verbundenen Investitionen in Produktion, Infrastrukturen und Wertschöpfungsketten erfolgen, braucht es eine lückenlose nationale Fortführung des europäischen Fasttracks:

- Kurzfristige Etablierung eines Modellvorhabens nach § 64ff SGB V „Individualisierte RNA-Therapien“
- Schaffung der Voraussetzungen für innovative Erstattungsmodelle
- Zukünftiges institutionalisiertes strategisches Monitoring von transformativen Plattformtechnologien in der Biotechnologie z.B. durch das Paul-Ehrlich-Institut

### **Ausgangslage: Bisherige AMNOG-Logik droht sich zum Standortnachteil zu entwickeln**

Die aktuelle AMNOG-Methodik und ihr gesetzlicher Rahmen haben in der Vergangenheit den schnellsten und gleichzeitig wirtschaftlichen Zugang zu Innovationen in Deutschland gesichert. Sie gewährleisteten aber nicht die für langfristige Investitionen in neuartige, individualisierte Biotechnologien und Plattformtechnologien notwendige Planbarkeit für forschende Unternehmen. Gleichzeitig muss jedoch für neue Plattformtechnologien und transformative Innovationen mit erheblichem Vorlauf vor einem Zulassungsantrag eine Produktion errichtet, Investitionsgüter bestellt und Infrastrukturen wie neue Lieferlogistik vorfinanziert werden.

Die Rahmenbedingungen in Deutschland spielen regelmäßig eine maßgebliche Rolle für die Entscheidung, einen Zulassungsantrag in der EU zu stellen. Bleibt Deutschland als weltweiter Referenzmarkt ohne ausreichend flexiblen Rahmen für innovative

Marktzugangsmodelle, drohen verzögerte europäische Zulassungsanträge („submission gap“) und eine weitere Erosion der Verfügbarkeit und Geschwindigkeit innovativer Arzneimittel, wie sich bereits heute an sinkenden Einführungsraten (nur noch 78% der Innovationen) und verlängerten Zeiten bis zur Markteinführung (Ø 71 Tage) zeigt (Daten europäische Arzneimittelagentur EMA und Daten zur Markteinführung in Deutschland laut LauerTaxe, Zeitraum 1/23 - 6/24 vs 1/11 - 12/22).

Regulatory Sandboxes müssen deshalb „end-to-end“ gedacht werden: Beschleunigte Zulassung muss mit erweiterten Möglichkeitsräumen zur Vereinbarung passender Marktzugangs- und Erstattungsmodellen verknüpft werden - sonst erreichen Innovationen die Patientinnen und Patienten nicht, verlieren wir Know-How und verpassen Wissenszuwachs. Dann bleibt nicht nur das Potential für die frühzeitige Etablierung eines dynamischen Innovationsökosystems mit allen nachgelagerten Wertschöpfungseffekten ungenutzt, sondern wir versäumen auch, wichtige Anreize für weitere Forschung und klinische Entwicklung in unserem Land zu setzen.

Es ist deshalb erforderlich, dass wir geeignete gesetzliche Rahmenregelungen schaffen, die in der Lage sind, verschiedene Zielsetzungen miteinander zu verknüpfen:

- Sicherung des frühen Patientenzugangs mit Zulassung
- Qualitätssicherung der Versorgung
- Evidenzbasierte Preisbildung und Wirtschaftlichkeit der Versorgung
- Planungssicherheit für Investitionen
- Wissensgenerierung und tiefe Wertschöpfungsketten am Standort

### **MSD-Fallbeispiel: Individualisierte Neoantigen Therapien (INTs)**

Teil unserer Forschung ist ein umfangreiches Programm zur gänzlich neuen Therapiekategorie der individualisierten Neoantigen Therapien (sog. mRNA-basierte Krebsvakzine). INTs verbinden erstmals innovativste Biotechnologien wie Genomsequenzierung, KI-getriebene Bioinformatik und die mRNA-Technologie zu einer gänzlich patientenindividuell maßgeschneiderten Krebstherapie. MSD führt aktuell in Deutschland klinische Studien in verschiedenen Tumorlokalisationen an über 50 Studienzentren durch. Damit wird in schon heute der Grundstein zu einer zukünftigen qualitätsgesicherten Anwendung der neuen Technologie in der Versorgung durch MSD gelegt. Weitere Studien befinden sich in der Vorbereitungsphase.

Der innovative Therapieansatz der INT zielt medizinisch darauf ab, das Immunsystem anzuleiten, den einzigartigen „Fingerabdruck“ der Neoantigene des Tumors einer Patientin/eines Patienten zu erkennen, die individuelle Immunreaktion zu verstärken und den Krebs in der Folge gezielt zu zerstören. Hierzu ist zunächst eine Genomsequenzierung von Tumor- und Referenzmaterial erforderlich, woraus im Zuge einer bioinformatischen Verarbeitung die erfolgversprechendsten Zielstrukturen identifiziert und in mRNA spezifisch codiert werden. INTs sind somit keine fertigen Arzneimittel, die „von der Stange“ produziert

werden können. INTs stehen für eine gänzlich neue Klasse patientenspezifischer, individualisierter Therapien, bei denen der Tumor jedes Patienten als Einzelfall behandelt wird – ein individuelles Medikament pro Patientin/Patient. Das transformative Potenzial von INTs wird von den Zulassungsbehörden anerkannt. Der Wirkstoffkandidat mRNA-4157 (V940) hat von der FDA den Status eines Therapiedurchbruchs und bereits im März 2023 von der EMA den PRIME-Status erhalten. Jüngst vorabveröffentlichte 5-Jahres-Follow-Up-Daten zur PHASE IIb-Studie im Melanom bestätigten eine 49-prozentige Reduktion des Risikos von Tod oder Rezidiv im Vergleich zum derzeitigen Therapiestandard, der alleinigen Behandlung mit einem Checkpointinhibitor<sup>1</sup>.

AMNOG hingegen entstand ursprünglich mit dem Gedanken der „One-fits-All“-Medizin. Die gegenwärtige Methodik ist darauf ausgelegt, durchschnittliche Effekte für breite Patienten-Populationen zu bewerten. Personalisierte und insbesondere individualisierte Medizin durchbricht daher systematisch die Logik des bisherigen AMNOG-Bewertungssystems, durch die Verkleinerung der Patientenkollektive hin zur vollständigen Individualisierung (n=1). Sie zielt auf maximalen Nutzen für klar definierte Einzelpatientinnen und -patienten. Dieser strukturelle Widerspruch würde dazu führen, dass individualisierte Innovationen im bestehenden System trotz hochwertiger RCT-Evidenz aus dem deutschen Versorgungskontext methodisch verzerrt bewertet und ökonomisch ausgebremst werden. Deshalb bedarf es, neuer, gemeinsam zu erarbeitender Lösungen.

### **Lösungsvorschlag: Modellvorhaben als Innovationsscharnier und Inkubator für Plattformtechnologien**

Eine gemeinsame Studie der Boston Consulting Group<sup>2</sup> und des BDI hat jüngst individualisierte mRNA-Techniken als ein strategisches Deep Tech für unser Land identifiziert, das insbesondere nachgelagerte Wertschöpfung und Folgeinnovationen auszulösen in der Lage ist. Die Eröffnung eines geeigneten, zeitlich und sachlich eng begrenzten Erprobungsraumes für INT in unserer nationalen Regulatorik kann eine Blaupause für weitere Biotechnologien darstellen. Sie ist deshalb nicht nur eine große Chance für unser Land, sich als ein führender Innovationsstandort für diese Deep Tech zu profilieren; sie kann auch ein wichtiges Element zur im Koalitionsvertrag verankerten Entwicklung Deutschlands zum weltweit innovativsten Pharma- und Biotechnologiestandort darstellen (S. 6, Rn. 177f).

Dabei kennt das Sozialgesetzbuch V mit dem „Modellvorhaben“ nach § 64ff grundsätzlich bereits ein geeignetes Instrument zur kontrollierten Integration neuer Technologien in die Regelversorgung. Das Modellvorhaben zur umfassenden Diagnostik und Therapiefindung mittels Genomsequenzierung bei seltenen und bei onkologischen Erkrankungen ist ein aktuelles Beispiel für eine erfolgreiche Umsetzung. Ein Modellvorhaben „Individualisierte

---

<sup>1</sup> [Moderna & Merck Announce 5-Year Data for Intismeran Autogene in Combination With KEYTRUDA® \(pembrolizumab\) Demonstrated Sustained Improvement in the Primary Endpoint of Recurrence-Free Survival in Patients With High-Risk Stage III/IV Melanoma Following Complete Resection - Merck.com](https://www.merck.com/news/moderna-merck-announce-5-year-data-for-intismeran-autogene-in-combination-with-keytruda-pembrolizumab-demonstrated-sustained-improvement-in-the-primary-endpoint-of-recurrence-free-survival-in-patients-with-high-risk-stage-iii/iv-melanoma-following-complete-resection-merck.com)

<sup>2</sup> <https://web-assets.bcg.com/1f/a9/0d43419a48bdad302d71149b61f7/bcg-bdi-deeptech.pdf>

RNA-Therapien“ wäre je nach späterer vertraglicher und praktischer Ausgestaltung grundsätzlich geeignet, eine Reihe von positiven Effekten zu erzielen:

- Zeitnahe Markteinführung mit Verfügbarkeit hochwertiger, zulassungsbezüglicher Evidenz aus der RCT
- Gezielte Allokation privaten Kapitals für strategische biotechnologische Komponenten der nächsten Generation personalisierter, KI-getriebener Medizin im Sinne des Koalitionsvertrages und der Hightech-Agenda
- Qualitätssicherung der Versorgung durch Anwendungsbeschränkung auf qualifizierte Kompetenzzentren (Center Controlled Introduction) und frühzeitiger Gewährleistung der Systembereitschaft
- Unmittelbare Real World-Wissensgenerierung unter Nutzung geeigneter in Deutschland aufgebauter exzellenter Forschungsdateninfrastrukturen und/oder Register (ATMP-Register, NUM/MII, FDZ-Gesundheit ...) z. B. für eine zukünftige QS-Richtlinie
- Mögliche indikationsunabhängige Auskopplung der Vergütung der patientenindividuellen Diagnostik, Herstellung und Distribution kann eine verlässliche und wettbewerbsneutrale Planungsbasis für alle Akteure (Akademia, KMU oder große forschende Pharmaunternehmen) darstellen; Das AMNOG-Verfahren und die Erstattungsbetragsverhandlungen bestehen weiterhin. Systemimmanente Ausgestaltung in Form kollektivvertraglicher Vereinbarung zwischen Kostenträgern und Leistungserbringern
- Denkbare Anwendungsfall für innovative Erstattungsmodelle

Die internationale Leuchtturmwirkung eines solchen integrierten Vorhabens der wissensgenerierenden Versorgung wäre erheblich. Bisherige Initiativen in anderen europäischen Ländern wie z. B. das Cancer Vaccines Launchpad in UK brechen entweder mit Zulassung ab oder starten erst mit dem Zeitpunkt der HTA-Bewertung. Handeln wir schnell, hat unser Land hier alle Chancen, sich als Innovationsführer mit dem weltweit innovativsten Ökosystem für diese Technologie weiter zu profilieren und etablieren.

### **Handlungsbedarf: Modellvorhaben für individualisierte RNA-Therapien starten und strategisches Technologiemonitoring etablieren**

Um den frühen Zugang zu individualisierten Neoantigen-Therapien sowie die nachhaltige Erforschung und Infrastrukturentwicklung in Deutschland und Europa zu sichern, sind die gesetzlichen Möglichkeiten zur Vereinbarung geeigneter wissensgenerierender Modellvorhaben nach §§ 64 ff. sachgerecht auszuweiten. Die gesetzliche Verankerung eines dezidierten Modellvorhabens für individualisierte Therapien ist geeignet, einen notwendigen Rahmen für vertragliche Vereinbarungen zwischen GKV-SV und pharmazeutischen Unternehmen zu bieten.

In einem ersten Schritt regen wir an, frühzeitig alle Stakeholder im Rahmen eines strukturierten wettbewerbsneutralen Prozesses der Co-Kreation in die weitere Prüfung und mögliche Ausarbeitung eines solchen Rechtsrahmens einzubeziehen.

Darüber hinaus sollte der Hinweis aus dem aktuellen Jahresgutachten des Sachverständigenrates Gesundheit auf die Bedeutung eines strategischen Horizon-Scannings zu neuen Biotechnologien und ihren Anforderungen an Regulatorik und Versorgung institutionalisiert aufgegriffen werden. Hiermit könnte etwa das Paul-Ehrlich-Institut beauftragt werden.

### **Fazit: So stärken wir Deutschland als mRNA-Champion und Pilotmarkt für Innovation**

Unser Land hat die Chance, sich mit einem Modellvorhaben „Individualisierte RNA-Therapien“ als innovativsten Standort für RNA-basierte Plattformtechnologien zu positionieren. Die zügige gesetzliche Verankerung eines Modellvorhabens ist zudem geeignet, auch unter den Bedingungen aktueller Unsicherheiten und Umbrüche im globalen Arzneimittelmarkt, den möglichst nahtlosen Patientenzugang zu diesen potenziell praxisverändernden individualisierten Behandlungen nicht nur zu gewährleisten, sondern aus der Versorgung heraus einen international sichtbaren Beitrag zur weiteren Qualitätssicherung und Wissensaufbau zu leisten.

## Stellungnahme zu Biotech-/Innovations-Standort mit Fokus Regulatorik : der Verbände BPI, vfa, Pharma Deutschland, Bio Deutschland und D.I.B.

### „Fast-Track-Standort Deutschland“

## Gemeinsam den Innovationsrahmen gestalten: Deutschlandtempo für die Biotechnologie

*Aus Gründen der besseren Lesbarkeit wird bei Personenbezeichnungen und personenbezogenen Hauptwörtern in diesem Protokoll vorwiegend die männliche Form verwendet. Entsprechende Begriffe gelten im Sinne der Gleichbehandlung grundsätzlich für alle Geschlechter.*

Die deutsche Biotechnologie- und Pharmabranche steht an einem Wendepunkt. Während die wissenschaftliche Exzellenz in der Grundlagenforschung unbestritten ist, verliert Deutschland im internationalen Wettbewerb bei der Translation und der industriellen Skalierung zunehmend den Anschluss. Es ist daher dringend notwendig, bereits bestehende, bekannte Hürden auf nationaler Ebene zeitnah zu beseitigen, damit das im Koalitionsvertrag der aktuellen Bundesregierung gesetzte Ziel, Deutschland zu einem führenden Biotechnologiestandort zu machen, erreicht werden kann. Darüber hinaus bietet der vorgeschlagene **EU Biotech Act** eine historische Chance, auch europäische regulatorische Hürden abzubauen. Wir fordern die Bundesregierung auf, den Vorschlag der EU-Kommission beherzt zu unterstützen sowie die nationalen Spielräume zur Entbürokratisierung – insbesondere bei klinischen Prüfungen und gentechnischen Verfahren – konsequent zu nutzen. Ziel muss ein „Fast-Track-Standort“ Deutschland sein, ohne gleichzeitig die Qualität der Studien und die Sicherheit der Prüfungsteilnehmer zu vernachlässigen.

---

## 1. Trends und Zukunftsszenarien für biotechnologische Arzneimittel-Innovationen

Die Biotechnologie ist kein Nischensegment mehr, sondern der Motor der modernen Medizin. Das Wachstum des Sektors in der EU war im letzten Jahrzehnt doppelt so hoch wie das der Gesamtwirtschaft. Für die kommenden Jahre identifizieren wir drei zentrale Trends:

- **Präzisionsmedizin & Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs):** Gen- und Zelltherapien, Radioligandentherapie, sowie mRNA-Ansätze transformieren die Onkologie und auch Behandlungen seltener Erkrankungen von der Symptomlinderung zur potenziellen Heilung. Um auch zukünftig eine Rolle zu spielen, muss in Deutschland die Zeitspanne vom Labor zum Patienten verkürzt werden.

- **Nationale Strategie für Gen- und Zelltherapien weiterführen und stärken:** Die Nationale Strategie für Gen- und Zelltherapien (GCT) adressiert gleichermaßen medizinische Innovationspotenziale, industriepolitische Chancen und die strukturellen Voraussetzungen für eine verbesserte Patientenversorgung. Durch den systemischen Ansatz schafft sie erstmals einen kohärenten Rahmen für Forschung, Translation, klinische Anwendung und regulatorische Fragen und verknüpft Exzellenzstandorte, klinische Zentren, Produktionskapazitäten und Behörden zu einem leistungsfähigen Innovationsökosystem. Damit wird eine tragfähige Grundlage geschaffen, um Innovationspfade zu beschleunigen und die internationale Sichtbarkeit des Standorts Deutschland zu stärken. Die Strategie mit den enthaltenen Maßnahmen sollte deshalb konsequent fortgeführt, politisch verbindlich weiterentwickelt und strukturell langfristig abgesichert werden.
- **KI-gestützte Wirkstoffentwicklung:** Die Integration von Künstlicher Intelligenz in die F&E-Prozesse verkürzt Entwicklungszeiten signifikant. Hierzu sind „Regulatory Sandboxes“ (Reallabore) essenziell, um KI-Anwendungen im Gesundheitswesen sicher und schnell zu erproben.
- Im Rahmen der Umsetzung der allgemeinen Pharmagesetzgebung **Einführung von Biotech-Sandboxes** für eine Flexibilisierung der CMC und GMP-Anforderungen bei Zell- und Gentherapeutika für innovative Produktgruppen, auf die, die aktuellen Guidelines, Monographien und GMP-Anforderungen nicht passen.
- **Biomanufacturing & Resilienz:** Die Sicherung der Produktion hochkomplexer Biologika in Europa ist auch eine Frage der strategischen Autonomie. Der EU Biotech Act muss hier Anreize setzen, damit Kapazitäten und Expertise in der EU gehalten und zur Sicherung der EU-Wettbewerbsfähigkeit weiter auf- und ausgebaut werden.
- **Innovationstreiber Biotech-Start-ups:** Kleine und mittelständische Biotech-Unternehmen haben sich in den meisten Bereichen der biomedizinischen Entdeckungen in Ergänzung zu forschenden Arzneimittelherstellern als Innovationstreiber erwiesen. Ausgründungen aus der Akademie, der Aufbau von regionalen und europäischen Ökosystemen sowie der bürokratische Aufwand und die Geschwindigkeit müssen bei Bewilligungen und öffentlicher Förderung sowie der Skalierung der Situation der jungen Betriebe angepasst werden. Der Abbau von diesen Hürden kann sich auch positiv auf die Ansiedlung internationaler Unternehmen sowie Attraktivität des Standorts für internationale Investoren auswirken.

## 2. Regulatorische Rahmenbedingungen (National / EU)

Der regulatorische Rahmen ist aktuell das größte Hindernis für den Standort Deutschland. Wir identifizieren dringenden Handlungsbedarf auf zwei Ebenen:

### A. Die europäische Ebene: Unterstützung des EU Biotech Act

Die Verbände begrüßen den Verordnungsvorschlag der EU-Kommission (COM(2025) 1022 final) und unterstützen eine umfassende und zeitnahe Umsetzung in Unionsrecht. Deutschland sollte sich im EU-Rat insbesondere für folgende Punkte stark machen:

- **Stärkung des Reporting Member State (RMS):** Der RMS sollte bei multinationalen Studien die federführende Bewertung (Part I) einschließlich des Ethikvotums übernehmen. Um die derzeitige Zersplitterung der Voten zu beenden, ist in der Verordnung klarzustellen, dass die mitgliedstaatliche Prüfung multinationaler Studien in Part II sich nicht auf bereits in Part I geprüfte ethische Aspekte beziehen kann.
- **Harmonisierung der Clinical Trials Regulation (CTR):** Die Anpassung der Prozesse im Koordinations- und Beratungsausschuss muss die Abläufe beschleunigen, statt neue Bürokratie zu schaffen.
- **Verkürzung der Zeitleisten:** Die Verkürzung der Genehmigungsfristen für multinationale Studien und der Wegfall der Zusatzfrist für ATMP-Studien sind essentiell, für die Beschleunigung von Innovationsprozessen und die Wettbewerbsfähigkeit des Studienstandortes.
- **Parallele Einreichung von substantiellen Änderungen:** Für die weitere Verfahrensbeschleunigung im Genehmigungsverlauf ist es wesentlich, dass von einander sachlich unabhängige substantielle Änderungen (substantial modifications) parallel eingebracht und geprüft werden können.
- **Kombinierte Studien (CTR und IVDR):** Personalisierte Therapien sind der Schlüssel zu einer gezielteren Behandlung und effizienteren Medizin. Neben klassischen Formen des verbundenen Einsatzes eines Arzneimittels mit einem Medizinprodukt werden immer mehr Arzneimittelstudien daher von Anfang an auch in Kombination mit einem Biomarker-Test (CDx) oder digitalem Medizinprodukt (DTx) aufgesetzt. Umso wichtiger ist es, diese kombinierten Studien zukünftig in einem gemeinsamen widerspruchsfreien Verfahren zu genehmigen.
- **Anpassung der „Unternehmen in Schwierigkeiten“-Regelung:** Da Biotech-Unternehmen hohe F&E-Investitionen oft über Wandelanleihen finanzieren, gelten sie bilanziell schnell als kapitalarm. Die Einstufung als „Unternehmen in Schwierigkeiten“ schließt sie jedoch von Forschungszulagen und Projektförderungen aus. Um die Förderfähigkeit zu sichern, muss die aktuelle Drei-Jahres-Frist für junge KMU an die realen, langjährigen Entwicklungszyklen der Biomedizin angepasst werden.

## B. Umsetzung der SoHO-Verordnung

Die Umsetzung der neuen EU-SoHO-Verordnung in nationales Recht muss bürokratieentlastend ausgestaltet werden. Positiv ist, dass die Verordnung ein **eigenständiges, europaweit harmonisiertes System** für die Zulassung und Herstellung von SoHO-Einrichtungen vorsieht. Entscheidend ist jedoch, dass diese Harmonisierung in der nationalen Umsetzung auch tatsächlich gelebt wird.

- Aus Industriesicht ist dabei vor allem eines zentral: **keine Doppelregulierung.** Tätigkeiten, die bereits unter eine SoHO-Zulassung fallen, dürfen nicht zusätzlich eine Herstellungserlaubnis nach AMG erfordern. Ein gutes Beispiel sind Plasma-Zentren: Für die industrielle Fraktionierung ist nicht der einzelne Spendeort entscheidend, sondern die weiterverarbeitende Herstellstufe. Hier sollte klar die Betreibergesellschaft als Hersteller gelten – nicht jeder physische Standort.
- Zugleich bietet die geplante EU-SoHO-Plattform die Chance, ein **digitales, effizientes und verlässliches System** zu etablieren. Wenn bestehende behördliche Aufgaben konsequent integriert werden, lassen sich Doppelstrukturen vermeiden. Das wäre ein echter Fortschritt für alle Beteiligten.

## C. Die nationale Ebene: Mut zur Zentralisierung und Digitalisierung

Deutschland leidet unter seiner föderalen Fragmentierung. Wir fordern:

- **Harmonisierung der Ethik-Voten:** Die Heterogenität der Ethik-Voten aus dezentralen Ethikkommissionen führt zu unvorhersehbaren Zeitlinien und divergierenden Anforderungen an identische Studien z.B. in mehreren Anwendungsgebieten. Wir fordern eine weitere Harmonisierung im Sinne von zentralisierten **Ethik-Voten** für multinationale klinische Studien.
- **Schnittstelle zwischen ATMP-Regulierung und Gentechnikrecht:** Viele ATMP-Entwicklungen unterliegen zusätzlich den GMO-Vorgaben – mit umfangreichen Umweltprüfungen, die häufig keinen zusätzlichen Sicherheitsgewinn bringen. Für risikoarme Anwendungen, etwa nicht-replikationsfähige virale Vektoren, sollten deshalb Ausnahmen von der Umwelt-GMO-Bewertung ermöglicht werden. Das würde Entwicklungs- und Genehmigungszeiten deutlich verkürzen, ohne Abstriche bei der Sicherheit.
- **Kombinationsprodukte:** Moderne ATMPs werden zunehmend gemeinsam mit Diagnostika oder Medizinprodukten eingesetzt. Parallele Verfahren nach unterschiedlichen Regelwerken führen hier zu erheblichen Verzögerungen. Eine integrierte, einheitliche Antragsstrecke wäre ein entscheidender Schritt nach vorn.
- **Ressourcen für Bundesoberbehörden:** Das BfArM und das PEI müssen personell so ausgestattet werden, dass „Scientific Advices“ flexibel, schnell und kostengünstig angeboten werden können, insbesondere im Vorfeld von klinischen

Studien. Deutschland muss wieder aktiv an Formaten wie den *Simultaneous National Scientific Advices (SNSA)* teilnehmen.

- **Digitale Vernetzung:** Ein „Once-Only-Prinzip“ bei der Datenabfrage zwischen Behörden muss Standard werden. Die digitale, d.h. ausschließlich die fortgeschrittene elektronische Signatur muss die händische Unterschrift in allen Genehmigungsverfahren (z. B. nach MPDG oder GenTSV) ersetzen. Dies erfordert oft einen Verzicht auf die Schriftform oder eine Klarstellung, dass die fortgeschrittene anstelle der qualifizierten elektronischen Signatur für das jeweilige Verfahren ausreichend ist.
- **Abschaffung doppelter Datenbanken auf EU-Ebene und national,** z.B. Streichung §42b AMG, Training der Überwachungsbehörden in der Nutzung der Datenbanken der EMA und Abschaffung redundanter nationaler Datenbanken.
- **Integration der anzeigepflichtigen klinischen Prüfungen für Klasse I Devices** ohne CE-Kennzeichen in die Genehmigung und in das Ethikvotum für die Arzneimittelstudie (Änderung §31 der der MPDG).
- **GMP-Überwachung:** Die Überwachung der GMP-Anforderungen liegt im Verantwortungsbereich der Länder. Aktuelle Richtlinien und Vorgaben werden von Behörde zu Behörde sehr unterschiedlich ausgelegt und bewertet. Für Firmen mit mehreren Standorten in verschiedenen Bundesländern wird durch die Vielzahl verantwortlicher Stellen die Zusammenarbeit am Standort Deutschland im Produktionsbetrieb erschwert. Hier wäre u.a. mehr Zentralisierung sowie eine bundesweit einheitliche Auslegung der GMP-Regularien wünschenswert. Generell gilt: Die Entwicklung und Produktion sollten durch eine regulatorische Umgebung gefördert werden, die eine flexible und dem Produkt angemessene Umsetzung der guten Praxis-Standards (GxP) erlaubt und dabei die erforderliche Produktqualität und Produktsicherheit garantiert.
- **Tierversuche:** Zentralisierung der Prüfung der Anträge bzw. Bewilligung und Förderung von Entwicklung und Evaluierung von Alternativen (Organ-on-a-Chip, Zellkultur).
- Um bestehende regulatorische Probleme kurzfristig lösen zu können, bedarf es neuer Ansätze, die greifen, wenn der bestehende Rahmen als nicht passend identifiziert wird. Die **Ausweitung von Regulatory Sandboxes** über den Regelungsbereich der EU-Pharmagesetzgebung (z.B. bei Medizinprodukten oder Fragen der Künstlichen Intelligenz) ist ein wichtiger Schritt. Gleichzeitig muss eine einheitliche Anwendung des Rechtsrahmens für biotechnologische Produkte und Dienstleistungen angestrebt werden, damit biotechnologische Innovationen auch schnell in allen Mitgliedstaaten ausgerollt werden können. Für Deutschland

bedarf es einer zentralen Stelle, die sich mit Lösung von regulatorischen Problemen dieser Produkte auseinandersetzt.

---

### 3. Spezifische Handlungsempfehlungen für die AG 5

Um die medizinischen Potenziale der Branche zu heben, schlagen die Verbände folgende konkrete Maßnahmen vor:

#### I. Optimierung Klinischer Prüfungen (CTA)

- **Parallele Bewertung des Antrags auf Genehmigung der Durchführung einer klinischen Prüfung mit Medizinprodukten und IVD:** Änderung des § 38 MPDG, um bei Medizinprodukten als auch In-vitro-Diagnostika (IVD) von der derzeitigen sequentiellen zur parallelen Bewertung der Anträge durch Ethikkommission und Bundesoberbehörde zurückzukehren. Das würde die Bearbeitungsfrist für die Anträge um bis zu 30 Tage verkürzen.
- **Fristenmanagement:** Einführung verbindlicher Service Level Agreements (SLAs) für Behördenantworten. Deutschland muss bei Studienstarts wieder unter die „Top 3“ in Europa kommen.
- **Erleichterung des Übergangs von Präklinik in die Klinik insbesondere bei KMU:** Phase 0 und *Microdosing* sowie Steuererleichterungen analog zur Forschungszulage sowie frühzeitige, verbindliche *scientific advice*-Formate (BfArM/PEI) speziell für innovative Therapeutika.

#### II. Modernisierung des Gentechnikrechts (GenTSV)

Die aktuelle Auslegung der Gentechnikrichtlinienverordnung ist ein Innovationskiller für die industrielle Biotechnologie. Kernziel des Gentechnikgesetzes war es, eine möglichst hohe wissenschaftliche und technische Sicherheit für die Produktion zu beschreiben und die mögliche unkontrollierte Verbreitung von GVO zu verhindern. Dieser Ansatz ist aber nicht für die pharmazeutische Produktion und die medizinische Nutzung von GVO geeignet. Sie behindert die Umsetzung wertvoller Therapiekonzepte und die Entwicklung lebensnotwendiger neuer Arzneimittel auf Basis von Gentechnologie.

- **S1-Anlagen entbürokratisieren:** Anlagen ohne Risiko für Mensch und Umwelt (S1) sollten lediglich anzeigepflichtig sein, ohne langwierige Genehmigungsverfahren.
- **Europäisches Gentechnikrecht.** Dieses ist historisch **umwelt- und sicherheitsrechtlich** ausgerichtet – auf industrielle oder akademische Forschung

mit gentechnisch veränderten Organismen. ATMPs hingegen sind **hochregulierte Arzneimittel**, die kontrolliert am Menschen angewendet werden.

- Trotzdem werden klinische Entwicklung und Herstellung von Gentherapeutika häufig wie ein Umwelt-Risiko behandelt. Das führt zu paralleler Geltung von Arzneimittel- und Gentechnikrecht, mit inhaltlichen Überschneidungen bei Sicherheitsbewertungen, Risikoanalysen und Dokumentationspflichten.
- Die Folge sind **redundante Prüfungen**, teils widersprüchliche Anforderungen und ein fragmentiertes Genehmigungssystem auf Länderebene. Was fehlt, ist eine klare Vorrangregel zugunsten des Arzneimittelrechts bei der klinischen Anwendung. Gentechnikrechtliche Pflichten sollten sich auf echte Umweltrisiken beschränken.
- Besonders deutlich wird die Überregulierung bei **ex-vivo-modifizierten Zellen**, etwa CAR-T-Therapien, oder bei nicht-replikationsfähigen Vektoren. Die Einstufung nach abstrakten Risikoklassen unterscheidet kaum zwischen Laborarbeit, klinischer Anwendung oder tatsächlichem Expositionsrisiko. Hier braucht es **ATMP-spezifische, produktbezogene Risikoklassen** und die Möglichkeit einer dynamischen Neubewertung.
- **Vereinfachte Sachkunde:** Anerkennung internationaler Studienabschlüsse (Bachelor) und Akzeptanz nicht-deutschsprachiger Projektleiter.
- **Abfallmanagement:** Gesetzliche Ermöglichung nicht-thermischer Inaktivierungsverfahren (statt energetisch aufwendigem Autoklavieren), um Nachhaltigkeitsziele zu erreichen.

### III. Zugang zu Forschungsdaten

- **FDZ-Praktikabilität:** Der Zugang zu pseudonymisierten Versorgungsdaten über das Forschungsdatenzentrum (FDZ) muss für die private Forschung massiv beschleunigt werden. Die Einbeziehung der gewerblichen Forschung muss diskriminierungsfrei erfolgen (analog zur Position zum Forschungsdatengesetz).

### IV. Genehmigungsverfahren für Tierversuche

- Trotz klarer gesetzlicher Fristen kommt es in der Praxis zu erheblichen Verzögerungen – teilweise bis zu einem Jahr. Uneinheitliche Verfahren, komplexe Gremienstrukturen und eine unklare Rechtslage beim „vernünftigen Grund“ führen zu Rechtsunsicherheit und Innovationshemmnissen.
- Gleichzeitig ist der Rückgang der Versuchstierzahlen kein Beleg für Fortschritt, wenn dadurch Forschungsaktivitäten ins Ausland verlagert werden. Auch validierte Alternativmethoden werden bislang nicht ausreichend akzeptiert.

## 4. Fazit und Appell

Deutschland verfügt über das wissenschaftliche Potenzial, eine globale Führungsrolle in der Biotechnologie einzunehmen. Doch dieses Potenzial wird durch überbordende Bürokratie, fragmentierte Zuständigkeiten und eine zögerliche Digitalisierung ausgebremst.

Wir appellieren an das BMG:

1. Unterstützen Sie den **EU Biotech Act** als Motor für europäische Harmonisierung.
2. Setzen Sie auf **Zentralisierung** und Harmonisierung dort, wo der Föderalismus die Forschung behindert (Ethikkommissionen, Behördenzuständigkeiten, heterogene Gesetzesauslegung der Überwachungsbehörden der Länder).
3. Schaffen Sie **Reallabore (Sandboxes)** nicht nur für die Anwendung von KI in der Biopharmaka-Entwicklung, einschließlich **Biotech-Sandboxes** für eine Flexibilisierung der Anforderungen bei Zell- und Gentherapeutika und etablieren Sie geeignete Modellvorhaben für eine wissensgenerierende Versorgung.

Nur durch ein gemeinsames Bekenntnis von Politik und Industrie zu Schnelligkeit und Innovation wird Deutschland vom Schlusslicht bei der Digitalisierung zum Leitmarkt für die Medizin der Zukunft.

---

**Kontakt bei Fragen:**

**Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI)**

Dr. Pablo Serrano

Geschäftsführer Innovation & Forschung Biotechnologie

Tel.: +49 30 27909-154

E-Mail: [pserrano@bpi.de](mailto:pserrano@bpi.de)

**Verband der forschenden Arzneimittelhersteller (vfa)**

Dr. Matthias Meergans

Geschäftsführer Forschungspolitik

Tel.: +49 30 206 04-300

E-Mail: [m.meergans@vfa.de](mailto:m.meergans@vfa.de)

**Pharma Deutschland**

Dr. Elmar Kroth

Stv. Hauptgeschäftsführer

Tel.: +49 228 9574539

E-Mail: [kroth@pharmadeutschland.de](mailto:kroth@pharmadeutschland.de)

**BIO Deutschland**

Dr. Viola Bronsema

Geschäftsführerin

Tel.: +49 30 233 216 438

E-Mail: [bronsema@biodeutschland.org](mailto:bronsema@biodeutschland.org)

**Deutsche Industrievereinigung Biotechnologie (DIB)**

Dr. Ricardo Gent

Geschäftsführer

Tel.: +49 69 2566 1459

E-Mail: [gent@dib.org](mailto:gent@dib.org)

## **Stellungnahme zu Klinische Forschung: der Verbände BPI, vfa und BVMA**

### **Handlungsempfehlung („2.0“)**

## **Deutschland droht noch immer den Anschluss zu verlieren – kaum noch Zeit für eine echte Wende in der klin. Forschung**

*Aus Gründen der besseren Lesbarkeit wird bei Personenbezeichnungen und personenbezogenen Hauptwörtern in diesem Protokoll vorwiegend die männliche Form verwendet. Entsprechende Begriffe gelten im Sinne der Gleichbehandlung grundsätzlich für alle Geschlechter.*

### **Deutschlands weiter schwindende Stärke als Forschungs nation**

Deutschland galt über Jahrzehnte als einer der führenden Standorte für pharmazeutische Innovation, Forschung und klinische Prüfungen und Studien. Doch heute ist das Bild ein anderes: Im internationalen Wettbewerb um klinische Prüfungen und Forschungsinvestitionen verliert das Land messbar an Boden. Während Länder wie Dänemark, Frankreich oder Spanien massiv in forschungsfreundlichkeit investieren, drohen in Deutschland bürokratische Fesseln, Fachkräftemangel und zersplitterte Zuständigkeiten die Innovationskraft endgültig zu bremsen.

Das Medizinforschungsgesetz hat international positive Aufmerksamkeit auf die Ambition des deutschen klinischen Forschungsstandortes gelenkt – diese gilt es zu nutzen. Anstrengungen der Sponsoren, zusätzliche Studien zu akquirieren und Rekrutierungsziele anzuheben, müssen auf wettbewerbsfähige Prozesse und eine leistungsfähige Forschungsinfrastruktur treffen. Es ist sicherzustellen, dass im deutschen und europäischen Versorgungskontext generierte klinische Evidenz, in HTA-Prozessen immer angemessen betrachtet wird.

Es braucht endlich eine echte Standortoffensive: politisch gewollt, strategisch gesteuert, handwerklich sauber, effektiv, prompt als auch gesamtgesellschaftlich umgesetzt.

### **Handlungsfeld 1: Fachkräftemangel entschlossen bekämpfen**

Klinische Forschung steht und fällt mit den Menschen. Doch in deutschen Kliniken, Praxen und MVZ fehlen Studienärzte, und insbesondere Studienkoordinatoren (vormals oft „Study Nurse genannt) – meist, weil Forschung als leidige Zusatzaufgabe und nicht als wertgeschätzte Kernkompetenz verstanden wird.

#### **Empfohlene Maßnahmen:**

- 1.1) Ausbau der medizinischen und naturwissenschaftlichen Studiengänge um praxisnahe Module zur klinischen Forschung und Einrichtung eines staatlich anerkannten Studiengangs „Klinische Forschung“ (alternativ „Clinical Research“) mit entsprechend anerkannten Berufsbildern der Klinischen Forschung, die zu Berufen wie Studienkoordinatoren, Studienleitern und Monitoren führen.
- 1.2) Attraktive Karrierepfade und Vergütungsstrukturen für das gesamte Studienpersonal schaffen – beispielhaft über Förderprogramme des BMFTR und der Länder. Man könnte dem Beispiel Frankreichs folgen, wo im Rahmen von France 2030 / Innovation Santé 2030 umfassende Reformen der öffentlichen Krankenhäuser gezielte Finanzierungsmechanismen eingeführt wurden, um zentrale klinische Forschungsprofile in Krankenhäusern zu unterstützen und zu halten (insbesondere klinische Forschungskräfte wie studienbezogene CRAs und Projektmanagern). Dies umfasst Maßnahmen zur langfristigen Absicherung dieser Positionen und zur Steigerung ihrer Attraktivität, da Personalfuktuation und unzureichende Kapazitäten an Studienzentren zentrale Engpässe für die Durchführung klinischer Studien und das Vertrauen der Sponsoren darstellen.
- 1.3) Universitätskliniken gezielt mit zusätzlichen, zweckgebundenen Stellen für klinische Forschung unterstützen.
- 1.4) Kompetenzerweiterung auf Ebene der Studienkoordinatoren/in prüfen, unter Berücksichtigung geltender Sicherheits- und Qualitätsstandards in der Klinischen Forschung.
- 1.5) Entwicklung und Implementierung eines Berufsbildes „Studienkoordinator/in“, das auch bisherige Study Nurses umfasst; Anerkennung dieses Berufsfeldes als eigenständigen Beruf im Bereich der Klinischen Forschung.
- 1.6) Für die Dokumentation in Registern, Datenbanken und den weiteren Ausbau von Gesundheitsdaten müssen im Sinne einer „Wissen generierenden Versorgung“ Leistungsziffern definiert und eine entsprechende Vergütung etabliert werden, die auch in niedergelassenen Versorgungszentren eine Basisfinanzierung von Studienpersonal ermöglicht. Diese GKV-finanzierte Infrastrukturmaßnahme wird entscheidend dazu beitragen, die versorgenden Zentren für mehr klinische Forschung zu gewinnen.

### **Optimierungsvorschlag:**

Die Schaffung eines nationalen „Programm Klinische Forschung 2030“ mit verbindlichen Ausbildungsquoten für Studienkoordinatoren und Prüfern (ärztlich und nichtärztlich), Schaffung von Ausbildungsstrukturen inkl. Digital-Trainings und einer zentralen Personalagentur zur Anwerbung internationaler Fachkräfte würde Deutschland nachhaltig stärken.

## **Handlungsfeld 2: Bürokratie abbauen – klinische Forschung beschleunigen**

Die regulatorische Enge Deutschlands ist eines der größten Hemmnisse deutscher Forschung. Unterschiedliche Datenschutzinterpretationen über die einzelnen Bundesländer hinweg, einzelne schwerfällige oder besonders formelle Ethik-Kommissionen und z. T. extrem lange Vertragsverhandlungen bremsen Studien und klinische Prüfungen oft um Monate aus oder lassen sie nicht mehr in Deutschland stattfinden, weil sie in anderen Ländern schon weit vorangeschritten sind.

### **Empfohlene Maßnahmen:**

- 2.1) Vorgaben bundesweit einheitlicher Datenschutzrichtlinien für klinische Prüfungen, gebündelt unter einer Bundesbehörde.
- 2.2) Standardisierung der Verfahren der Ethik-Kommissionen mit klaren Fristen, mit uneindeutig beschriebenen Versagungsgründen nach Maßgabe der EU-Verordnung 536/2014, mit vollständig digitalen Antragsprozessen und transparenter, barrierefreier Kommunikation in der Planungsphase für eine klinische Prüfung sowie in der Bewertungsphase eines Antrags auf Durchführung einer klinischen Prüfung. Die Kommunikation ist konsequent nach den Bedarfen der Antragsteller sowie am Prüfplan und Studiendesign auszurichten. Der bislang zufällige Geschäftsverteilungsplan ist fachlich und/oder regional neu zu ordnen.
- 2.3) Wir begrüßen die Vorschläge des Biotech Act mit deutlich verkürzten Fristen. Da die Umsetzung sicher noch einige Zeit dauern wird, ist es für Deutschland umso wichtiger, für mononationale Studien verkürzte Fristen zu bekommen. Andere Länder wie Dänemark praktizieren das ganz offensiv (z.B. 14 Tage für Phase I Studien). Parallel regen wir eine zügige Ausweitung von FAST-EU über die anfänglichen zwei Studien/Monat hinaus an.
- 2.4) Bundesweit einheitlicher Preiskatalog nach dem Prinzip „Leistung gegen Gegenleistung“ zur schnellen Abwicklung von Verhandlungen über Verträge zwischen Sponsoren und Prüfstellen bzw. Prüfern, die langwierige Verhandlungen über Honorare und Erstattungen der Sponsoren an die Prüfstellen von vornherein überflüssig machen. Budgetverhandlungen durch koordinierende Prüfzentren beschleunigen die Budgetprüfung zusätzlich. Dies folgt dem Beispiel aus Frankreich und UK.
- 2.5) Klare gesetzliche Regeln für die Legitimierung der fortgeschrittenen elektronischen Signaturen im Studienkontext, inkl. der informierten Einwilligung und Studienverträge; bindende Vorgabe zur Verwendung der fortgeschrittenen elektronischen Signatur wie im ursprünglichen Referentenentwurf des MFG vorgesehen.

- 2.6) Schaffung verlässlicher, regulatorischer Rahmenbedingungen für dezentrale und hybride Studienmodelle im Sinne der Empfehlungen der EU-Kommission sowie von Trials@home.
- 2.7) Bundesweit einheitliche Richtlinien zur Implementierung von Satellitenzentren und verwandten Modellen inklusive Definition, Anforderungen, SOPs, etc. (vgl. Norwegen, Vereinigtes Königreich)
- 2.8) Vorgezogene Anlaufstelle beim BfArM für kombinierte AMG/IVDR-Studien, um die zugewiesene Ethikkommission bereits vor EU CTR Einreichung zu erfahren.
- 2.9) Schaffung einer zentralen Anlaufstelle für internationale Sponsoren nach dem Vorbild von TrialNation in Dänemark.
- 2.10) Der Arbeitskreis Medizinischer Ethik-Kommissionen (AKEK) ist finanziell so auszustatten, dass dieser seiner Rolle entsprechend des MFG gerecht werden kann. Es besteht massiver Harmonisierungsbedarf zwischen den Ethik-Kommissionen, und bislang nach ca. 1.5 Jahren MFG gibt es gerade einmal eine gültige Richtlinie vom AKEK. Sollte eine Ethik-Kommission wiederholt Richtlinien nicht berücksichtigen, ist diese entsprechend sanktioniert werden und schließlich aus der Geschäftsverteilung auszuschließen.

#### **Optimierungsvorschlag:**

Schaffung eines „One-Stop-Shop für die Genehmigungsprozesse von Anträgen auf Durchführung einer klinischen Prüfung“ – zentral, digital, innerhalb von 30 Tagen entscheidungsfähig. Das würde Bürokratie abbauen und internationale Investoren nach Deutschland zurückholen, die durch bisherige unwirtschaftliche Prozesse vertrieben wurden.

### **Handlungsfeld 3: Studien und klinische Prüfungen sichtbarer machen – die Menschen in Deutschland mehr informieren und in die klinische Forschung einbinden**

Forschung scheitert mitunter daran, dass Patienten oft nichts oder nur zu wenig von geplanten oder laufenden klinischen Prüfungen erfahren und nur vereinzelt über Wissen zu klinischen Prüfungen verfügen. So ist das Deutsche Register Klinischer Studien (DRKS) kaum verständlich, in der Bevölkerung mehrheitlich unbekannt, zudem unvollständig und kaum up to date – ein Mangel, der Wissen, Vertrauen und Transparenz untergräbt.

### **Empfohlene Maßnahmen:**

- 3.1) Aufbau eines bundesweit zentralen, vollständig laienverständlichen, barrierefreien Studienregisters, das in Echtzeit alle laufenden klinischen Prüfungen/Studien in Deutschland aufführt.
- 3.2) Integration der Informationen zu klinischen Prüfungen in der EU aus dem CTIS und anderen nationalen (wie DIMIDS) und europäischen Quellen, später bei Funktionsfähigkeiten ihres Modul Klinische Prüfungen auch aus EUDAMED
- 3.3) Langfristige Öffentlichkeitskampagnen von BIÖG, BMG, BMFTR sowie BMWi zur Aufklärung der deutschen Bevölkerung über den Sinn, Zweck und Nutzen klinischer Forschung und der Teilnahme an klinischen Prüfungen – zwingend unter Einbindung von Patientenvertretungen und Schulen.

### **Optimierungsvorschlag:**

Zeitnahe Entwicklung und Freischaltung eines permanent zugänglichen, digitalen, barrierefreien und vollständig laienverständlichen „National Clinical Trial Portal“ (siehe 3. 1) mit interaktiver Suchfunktion, auch durchgängig in Laiensprache, regionalen Filteroptionen und direkter Kontaktaufnahme zu Prüfstellen könnte Patienten aktiv beteiligen und die Rekrutierung von potenziellen Prüfungsteilnehmern deutlich beschleunigen. Auch Ärzten und Ärztinnen stehen die Informationen des National Health (oder Clinical) Trial Portal kostenlos, voll automatisch, ohne Eigenrecherche und ohne zusätzlichen Personalaufwand, über PVS oder KIS zur Verfügung.

## **Handlungsfeld 4: Digitalisierung als Sprungbrett – nicht als Stolperstein**

Ob bei elektronischer Patientenakte, Real-World-Daten oder Biobanken und medizinischen Registern – Deutschland hinkt bei der digitalen Forschungsinfrastruktur gefährlich hinterher. Fehlende Interoperabilität und Datensilos machen aus einem potenziellen Innovationsvorteil einen Standortnachteil.

### **Empfohlene Maßnahmen:**

- 4.1) Elektronische Patientenakte (ePA) ist nach dem Opt-out-Prinzip zügig in die Praxis einzuführen. Dafür muss die bereits erfolgte technische Einführung flankiert werden durch eine zeitnahe Bereitstellung der ePA-Daten für Forschungszwecke, eine zeitnahe Erweiterung des Funktionsumfangs (elektronischer Medikationsplan, Volltextsuche), und eine standardmäßige Einbindung auch der PKV-Versicherten.
- 4.2) Es sind nationale und europäische Gesundheitsdatenräume aufzubauen, die rechtssicher Zugriff auf standardisierte klinische und Forschungsdaten geben. . Die Ansätze des Forschungsdatenzentrums Gesundheit (FDZ) und der

Medizininformatik-Initiative (MII) / Netzwerk Universitätsmedizin (NUM)-Infrastruktur sind miteinander zu verzahnen. Das heißt, Klinikdaten und Versichertendaten sind zu integrieren und für Forschungsvorhaben nutzbar zu machen

- 4.3) Der Ausbau interoperabler Systeme nach internationalen Standards (FHIR, OMOP) muss unverzüglich umgesetzt werden. Deutsche Studienzentren und Studiennetzwerke sollten in der Implementierung z.B. durch geeignete Drittmittelprogramme unterstützt werden.
- 4.4) Die Integration von Real-World-Daten in Studien und klinischen Prüfungen zur Vergleichsgruppenbildung ist zu fördern. Hierzu ist eine Ausweitung der bislang limitierten regulatorischen Akzeptanz (G-BA / IQWiG) in Deutschland zu stärken, z.B. durch eine klare G-BA/IQWiG-Richtlinie für externe Vergleichsgruppen. Studienzentren sind in der Entwicklung der Dateninfrastruktur und Datenintegration für eine höhere Datenverfügbarkeit und -qualität zu fördern.
- 4.5) Die Integration präzisionsmedizinischer Daten (z.B. molekulardiagnostische Daten) in KIS und Forschungsdatenrepositorien ist zu fördern, um Prüfzentren manuelle Recherche zu erleichtern und den Einschluss von Patienten zu fördern.
- 4.6) Die in Praxen und Krankenhäusern eingesetzte Software zur Verwaltung der Patientenakte muss Funktionalitäten für die klinischen Studien obligatorisch enthalten, so dass z.B. Monitoring mit maßgeschneidertem Zugriff für die Monitore möglich wird.
- 4.7) Eine Implementierung forschungszentrierter Tools zum Screening und zur Identifikation von Patienten durch Prüfzentren für Clinical Trials und Real-World-Studien ist staatlich zu fördern.

#### **Optimierungsvorschlag:**

Die zügige Schaffung eines „Digital Health Research Board“ unter gemeinsamer Federführung von BMG, BMFTR und BfArM sollte als strategische Plattform die Digitalisierung von klinischen Daten gezielt für Forschung, pharmazeutische Industrie sowie Medizinproduktehersteller öffnen – rechtskonform, effizient und auditierbar.

## **Handlungsfeld 5: Forschungsförderung verbessern für Innovationskraft und Wettbewerbsfähigkeit der deutschen klinischen Forschung**

Die deutsche Biotechnologiestrategie zielt darauf ab, Innovationen zu beschleunigen und die medizinische Souveränität zu stärken. Ein zentrales Instrument ist die 2020 eingeführte und mittlerweile auch stark ausgebauten Forschungszulage (steuerliche Forschungsförderung), die Unternehmen Planungssicherheit gibt und Investitionen in

Forschung und Entwicklung erleichtern soll. Gerade für die kapitalintensive Biotechnologie mit langen Entwicklungszyklen ist sie von entscheidender Bedeutung.

Mit dem Ausbau der Forschungszulage werden nun die ursprünglich förderfreundlich ausgelegten Bescheinigungs- und steuerrechtlichen Kriterien in der Prüfpraxis deutlich restriktiver gehandhabt. In der Folge werden essenzielle, häufig **ausgelagerte** Forschungs- und Entwicklungsleistungen – etwa Sequenzierungen, bioinformatische Analysen, proteinanalytische Verfahren oder zentrale Leistungen im Rahmen klinischer Studien (z.B. Monitoring, regulatorische Einreichungen, Projektmanagement) – zunehmend von der Förderung ausgeschlossen. Diese Leistungen sind für den Projekterfolg unverzichtbar und verursachen erhebliche Kosten, verbleiben jedoch vollständig bei den Unternehmen.

Besonders problematisch ist, dass Sachinvestitionen (Maschinen, Anlagen) förderfähig sind, während wissensintensive wissenschaftliche Dienstleistungen systematisch ausgeschlossen werden. Dies benachteiligt forschungsgetriebene Branchen wie die Biotechnologie und wirkt zunehmend innovationshemmend.

Ein internationaler Vergleich zeigt, dass es auch anders geht: Australien hat sich in den vergangenen Jahren zu einem der attraktivsten Standorte für klinische Studien entwickelt. Unternehmen mit einem Jahresumsatz unter 20 Mio. AUD erhalten dort bis zu 43,5 % der förderfähigen F&E-Kosten als direkte Cash-Rückerstattung, selbst wenn noch keine Gewinne erzielt werden. Beispiel: Bei 10 Mio. AUD förderfähigen klinischen Studienkosten fließen rund 4,35 Mio. AUD als Liquidität zurück. Auch größere Unternehmen profitieren mit Erstattungsquoten von rund 38,5–46,5 % (steuerlich verrechenbar). Diese klare, praxisnahe Förderung ist ein wesentlicher Grund, warum Australien für Biotech- und Clinical-Stage-Unternehmen hochattraktiv ist.

Deutschland läuft Gefahr, im internationalen Wettbewerb weiter an Boden zu verlieren, wenn zentrale wissenschaftliche Leistungen von der Förderung ausgeschlossen bleiben. Insbesondere ist es unverständlich, dass vom Sponsor erbrachte Leistungen voll angesetzt werden können, die an eine CRO ausgelagerte Leistung aber nur zu 70%. Gerade die klinischen Studien werden mehrheitlich von CROs durchgeführt.

### **Empfohlene Maßnahme**

Um Innovationskraft und Wettbewerbsfähigkeit der deutschen Biotechnologie und der klinischen Forschung zu sichern, fordern wir

- 5.1) eine praxisnahe und innovationsfreundliche Auslegung der Forschungszulage;
- 5.2) alle für den Projekterfolg essenziellen Forschungs- und Entwicklungsleistungen – einschließlich **externer** Analysen, bioinformatischer Leistungen, Sequenzierungen und klinischer Studien – müssen wieder vollumfänglich förderfähig sein.

## **Handlungsfeld 6: Regelmäßige Evaluation der Umsetzung und Effekte der Handlungsfeldes 1 bis 5**

Nur die regelmäßige Überwachung der empfohlenen Maßnahmen und der daraus resultierenden und umgesetzten Korrekturmaßnahmen gewährleistet, sicher und erfolgreich die oben genannten Ziele zu erreichen: die Wende in der klinischen Forschung Deutschlands.

### **Empfohlene Maßnahmen**

- 6.1) Es muss regelmäßig bis zum Erreichen des Zieles und darüber hinaus eine Evaluation mindestens jedes zweite Jahr stattfinden. Die Evaluation muss innerhalb von 8 Wochen abgeschlossen sein. Nach anschließenden weiteren 4 Wochen liegen die Ergebnisse der Evaluation inklusive daraus resultierenden Handlungsempfehlungen vor. Deren Umsetzung schließt sich unmittelbar daran an. Nach wiederum 2 Jahren sind auch diese neuen Handlungsempfehlungen in die nachfolgende Evaluation mit einzubeziehen. Dieser Evaluationsmechanismus mit seinen vorgeschlagenen Zeitschienen ist mindestens bis zum Erreichen und mindestens 3jährigen Haltens eines Platzes unter den ersten 3 Nationen im globalen Ranking aufrechtzuerhalten.

### **Optimierungsvorschlag:**

Die Konsultationsgruppen „Klinische Prüfungen mit Arzneimitteln“ und „Klinische Prüfungen mit Medizinprodukten“ erarbeiten gemeinsam mit dem BMG einen Maßnahmenplan zur zügigen Umsetzung der Evaluationsmaßnahmen. Ein „National Evaluation Board“, zusammengesetzt aus Mitgliedern der beiden Konsultationsgruppen und dem BMG (ggf. erweitert mit weiteren Ministerien wie BMFTR, BMWi) überprüft den Erfolg der Maßnahmen und diskutiert ggf. notwendige weitere Schritte zur Erreichung der Ziele.

### **Schlussfolgerung: Jetzt ist das Zeitfenster noch offen – nicht erst 2030**

Deutschland steht an einem Scheideweg: Entweder gelingt nun die glaubhafte Wende zur klinischen Forschungsnation, oder das Land bleibt zukünftig Zulieferer statt Innovationsführer. Das Medizinforschungsgesetz war ein Anfang, aber kein Durchbruch. Was jetzt zählt, sind Mut, Geschwindigkeit und Pragmatismus:

Weniger Bürokratie, mehr Vertrauen in Wissenschaft;

Weniger Zuständigkeiten, mehr zentrale Steuerung;

Weniger Stillstand, mehr digitale Infrastruktur.

Wenn diese Handlungsempfehlungen entschlossen angegangen – und kontinuierlich überprüft – werden, kann Deutschland seine Rolle als Innovationsführer und -motor Europas zurückgewinnen.

### **Vorschläge zur Optimierung des Gesamtmaßnahmenpakets**

- Regelmäßige Erfassung des Istzustandes: Jährliche Standortberichte mit Kennzahlen zu Studienanzahl, Dauer von Antragseingang bis Genehmigung, Fachkräftebesetzung in den Prüfstellen sowie bei Sponsoren und CROs.
- Public-Private-Partnerschaften stärken: Gemeinsame Projekte zwischen Staat, pharmazeutischer Industrie sowie den Medizinprodukteherstellern, Auftragsforschungsinstituten und medizinischen Universitäten/Fakultäten inkl. privater Klinik- und Universitätsstrukturen.
- Modellregionen etablieren: regionale Pilotprojekte (z. B. NRW, Berlin, Bayern) können zeigen, wie Entbürokratisierung, Digitalisierung und Fachkräftestrategie konkret wirken; erste Bundesländer sind dazu bereit
- Langfristige, ausdrucksstarke Kommunikationsstrategie starten: Eine nationale Kampagne „Deutschland forscht für Dich, für mich, für uns“ fördert Bewusstsein und Akzeptanz für klinische Studien und Prüfungen.
- Klare Orientierung, Anlehnung und Ausrichtung am Programm Dänemarks „Trial Nation“; in der deutschen Version als „Trial Nation Germany“; ergänzt um Erfolgsfaktoren aus anderen europäischen Studienstandorten wie Frankreich oder Spanien

---

### **Kontakt bei Fragen**

#### **Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI)**

Prof. Dr. Jens Peters  
Geschäftsfeldleiter Klinische Forschung  
Tel.: +49 30 27909-115  
E-Mail: [jpeters@bpi.de](mailto:jpeters@bpi.de)

#### **Verband der forschenden Pharma-Unternehmen (vfa)**

Dr. Matthias Meergans  
Geschäftsführer Forschungspolitik  
Tel.: +49 30 206 04–300  
E-Mail: [m.meergans@vfa.de](mailto:m.meergans@vfa.de)

#### **Bundesverband Medizinischer Auftragsinstitute (BVMA)**

Martin Krauss  
Vorstandsvorsitzender  
Tel.: +49 89 893119-188  
E-Mail: [martin.krauss@bvma.de](mailto:martin.krauss@bvma.de)