

From: [REDACTED]

Sent: Tuesday, 2 June 2026 17:19

To: [REDACTED]

Subject: RE: Pharma- und Medizintechnikdialog, Arbeitsgruppe 3 "Nutzenbewertung und EU-HTA":
Gelegenheit zu weiteren Stellungnahmen (Frist 03.06.2026)

Sehr geehrter [REDACTED],

vielen Dank für die Möglichkeit, unsere Vorschläge zu den Fragestellungen der 3. Sitzung der AG 3 einzureichen. Wir nehmen hierzu wie folgt Stellung:

Wir unterstützen den Ansatz des BMG, das Orphan-Drug-Privileg zu stärken. Um dies wirksam zu erreichen, sollten aus unserer Sicht die methodischen Anforderungen der Nutzenbewertung (national sowie EU-HTA) stärker an die Anforderungen der Zulassungsbehörden angeglichen werden. Dies umfasst unter anderem die bereits in der letzten Sitzung der AG 3 diskutierte Akzeptanz von einarmigen oder Placebo-kontrollierten Studien, sowie die Berücksichtigung historischer Vergleiche, auch wenn die Studienpopulationen nicht vollends übereinstimmen.

Zu den spezifischen Fragen:

- Zusatznutzenkategorien: Sollte die methodische Angleichung an die Zulassungsebene konsequent umgesetzt werden, halten wir die Einführung gesonderter ZN-Kategorien für Orphan Drugs für nicht erforderlich. Die adäquate Berücksichtigung der Evidenzlage im Rahmen der bestehenden Nutzenbewertung ist hierfür ausreichend.
- Dossieranforderungen EU-HTA: Aus unserer Sicht ist hier ebenfalls eine Anpassung der methodischen Guidelines notwendig, denn – wie oben ausgeführt – sollte sich die Darstellung des Vergleichs gegenüber gegenüber dem Therapiestandard an anderen methodischen Kriterien bemessen, als dies für Nicht-Orphan Drugs gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie gefordert ist.

Wir sind überzeugt, dass durch diese methodische Konsistenz zwischen Zulassung und Nutzenbewertung die Versorgung mit Orphan Drugs nachhaltig gestärkt wird.

Für eine weitere Diskussion dieser Punkte stehen wir Ihnen gerne zur Verfügung.

Mit freundlichen Grüßen

[REDACTED]