

STELLUNGNAHME

des Pharma Deutschland e.V.

zum Referentenentwurf vom 2. Januar 2025

für eine Erste Verordnung zur Änderung der Arzneimittel-
Nutzenbewertungsverordnung

Stand der Stellungnahme: 16. Januar 2025

Pharma Deutschland e.V. vertritt die Interessen der Arzneimittel- und Medizinprodukteindustrie sowohl auf Bundes- als auch Landesebene gegenüber der Politik, Behörden und Institutionen im Gesundheitswesen. Mit rund 400 Mitgliedsunternehmen ist er der mitgliederstärkste Verband im Arzneimittel- und Medizinproduktebereich. Die politische Interessenvertretung und die Betreuung der Mitglieder erstrecken sich auf das Gebiet der verschreibungspflichtigen und nicht verschreibungspflichtigen Arzneimittel sowie auf Medizinprodukte, wie z. B. Medical Apps und digitale Gesundheitsanwendungen.

Hinweis: Aus Gründen der besseren Lesbarkeit wird bei Personen- oder Berufsbezeichnungen die maskuline Form verwendet. Jedoch gelten sämtliche Bezeichnungen gleichermaßen für alle Geschlechter.

Vorbemerkung

Am 2. Januar 2025 hat das Bundesministerium für Gesundheit (BMG) den betroffenen Verbänden einen Referentenentwurf für eine Erste Verordnung zur Änderung der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) zur Stellungnahme übermittelt. Mit den in der Verordnung vorgeschlagenen Änderungen sollen die Änderungen in § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V durch das Medizinforschungsgesetz vom 23. Oktober 2024 in die AM-NutzenV übernommen werden und die zeitlichen Abläufe des europäischen Nutzenbewertung gemäß der Verordnung (EU) 2021/2282 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 15. Dezember 2021 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien (nachfolgend EU-HTA-Verordnung) und nationalen Nutzenbewertungsverfahren gemäß § 35 a SGB V geregelt werden.

Pharma Deutschland e.V. (nachfolgend Pharma Deutschland) bedankt sich für die Möglichkeit, zu dem Referentenentwurf Stellung zu nehmen.

Allgemeine Anmerkungen

In diesem Abschnitt werden vorrangig einige übergeordnete Aspekte kommentiert, da im nachfolgenden Abschnitt auf die Regelungen im Einzelnen eingegangen wird.

Einführungsphase nicht zu Lasten der pharmazeutischen Unternehmer

Im Einführungstext der Verordnung wird unter „B. Lösung“ die Erwartung betont, „[...] dass auf EU-Ebene und im Zusammenspiel zwischen europäischen und nationalen Verfahren in der Einführungsphase noch Lernprozesse stattfinden werden hinsichtlich der Durchführung der Bewertungen, insbesondere bei der Zusammenarbeit der Mitgliedstaaten untereinander und mit den Entwicklern von Gesundheitstechnologien. Vor diesem Hintergrund werden zunächst für eine Einführungsphase lediglich geringfügige Anpassungen der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung vorgeschlagen.“

Es ist immanent für die Einführung neuer Prozesse, dass spezifische Detailfragen erst während der praktischen Umsetzung im Zusammenspiel von neuen und etablierten Verfahren zutage treten. Vor diesem Hintergrund ist es nachvollziehbar, dass zunächst lediglich geringfügige Anpassungen der AM-NutzenV vorgeschlagen werden und die Einführungs-/Lernphase der europäischen Bewertungen intensiv begleitet und ausgewertet wird, um daraus gegebenenfalls notwendige Änderungen abzuleiten. Ziel dieser Vorgehensweise sollte es sein, insbesondere Doppelarbeiten zu vermeiden und das Verfahren effizient zu gestalten.

Jedoch ist es unabdingbar, dass nicht nur den durchführenden Institutionen, sondern gleichermaßen der pharmazeutischen Industrie eine solche Lernphase zugestanden wird. In dieser Phase wäre es unverhältnismäßig, potenzielle Verfahrensmängel oder Unklarheiten, die sich aus nicht eindeutig

formulierten Anforderungen ergeben, nachteilig für die betroffenen Unternehmen auszulegen. Dies betrifft insbesondere die Beurteilung der Vollständigkeit der einzureichenden Unterlagen oder mögliche Nachteile, die sich aus Verzögerungen bei der Bereitstellung der EU-HTA-Dokumente ergeben können.

Pharma Deutschland regt daher an, analog zur Einführung des AMNOG-Verfahrens, eine klar definierte Übergangsphase festzulegen. Innerhalb dieser Phase sollten beispielsweise **Nachreichungen von Unterlagen über einen verlängerten Zeitraum** ermöglicht, **verstärkte Beratungen zu den einzureichenden Unterlagen** angeboten und Lerneffekte im Rahmen von Informationsveranstaltungen oder Veröffentlichung von Fragensammlungen weitergegeben werden, damit sich auch weniger erfahrene Unternehmen über mögliche Fehlerquellen bei der Erfüllung der Anforderungen informieren können.

Eine solche Übergangsphase würde nicht nur zur Verfahrenssicherheit beitragen, sondern auch den beteiligten Akteuren die notwendige Flexibilität einräumen, um sich auf die neuen Anforderungen einzustellen und die Umsetzung der europäischen Bewertungen optimal in das nationale Verfahren zu integrieren.

Klärungsbedarf hinsichtlich der inhaltlichen Verknüpfung des europäischen HTA-Berichtes und der Beschlussfassung nach § 35 a SGB V

Der vorliegende Referentenentwurf regelt vorwiegend den zeitlichen Ablauf und die Verweismöglichkeit auf das Europäische Dossier im einzureichenden AMNOG-Dossier, um das terminliche Ineinandergreifen der nationalen und europäischen Nutzenbewertungen zu ermöglichen und dem Doppelreinreichungsverbot gemäß EU-HTA-Verordnung Rechnung zu tragen. Offen bleiben hingegen Konkretisierungen **hinsichtlich der inhaltlichen Berücksichtigung der europäischen Nutzenbewertung, dem Verhältnis von dem von Deutschland eingebrachten Bewertungsumfangs im Europäischen Verfahren und der in der deutschen Nutzenbewertung zu beantwortenden Fragestellung**. Um weiterhin den Weg zu einer Harmonisierung der HTA-Anforderungen auf europäischer Ebene zu unterstützen und eine bessere Planbarkeit auf Seiten der pharmazeutischen Unternehmer für die Dossiererstellung zu gewährleisten, wird angeregt, in die AM-NutzenV solche Vorgaben aufzunehmen,

- **Zeitpunkt und Form** der Übermittlung der Fragestellung (PICO, Population-Intervention-Comparator-Outcome) für das AMNOG regeln,
- die den Umgang mit den in der europäischen Nutzenbewertung bewerteten **Endpunkten** klarstellt und
- in welcher Form der europäische Nutzenbewertungsbericht gemäß EU-HTA-Verordnung in **angemessener Weise Berücksichtigung** im nationalen Verfahren findet.

Zu den Regelungen im Einzelnen

Zu Artikel 1: Änderung der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung

Zu Nummer 1:

Regelung aus dem Referentenentwurf:

Dem § 2 wird folgender Absatz 6 angefügt:

„(6) Gemeinsame klinische Bewertung ist die Bewertung eines Arzneimittels nach Artikeln 7 bis 15 der Verordnung (EU) 2021/2282 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 15. Dezember 2021 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien und zur Änderung der Richtlinie 2011/24/EU (ABl. L 458 vom 22.12.2021, S. 1).“

Bewertung:

Die eingeführte Begriffsbestimmung beschränkt sich ausschließlich auf die Definition von gemeinsamen klinischen Bewertungen. Pharma Deutschland regt an, weitere Begriffsbestimmungen zu ergänzen, um Klarstellungen für das Zusammenspiel von europäischen Anforderungen aus der EU-HTA-Verordnung und dem AMNOG-Verfahren vorzunehmen.

Dies betrifft insbesondere eine Definition für gemeinsame wissenschaftliche Beratungen (siehe auch Änderungsvorschlag unter „weitere Änderungsvorschläge“)

Ergänzungsvorschlag:

Dem § 2 werden folgende Absätze 6 und 7 angefügt:

(6) „Gemeinsame klinische Bewertung ist die Bewertung eines Arzneimittels nach Artikeln 7 bis 15 der Verordnung (EU) 2021/2282 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 15. Dezember 2021 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien und zur Änderung der Richtlinie 2011/24/EU (ABl. L 458 vom 22.12.2021, S. 1).

(7) Gemeinsame wissenschaftliche Beratung ist die Beratung eines pharmazeutischen Unternehmers nach Artikeln 16 bis 21 der Verordnung (EU) 2021/2282 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 15. Dezember 2021 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien und zur Änderung der Richtlinie 2011/24/EU (ABl. L 458 vom 22.12.2021, S. 1).“

Zu Nummer 2 b:

Regelung aus dem Referentenentwurf:

2. § 4 wird wie folgt geändert:

a) [...]

b) Nach Absatz 2 wird folgender Absatz 2a eingefügt:

„(2a) Wurde für das Arzneimittel nach Artikel 10 Absatz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282 ein Dossier zur Durchführung einer gemeinsamen klinischen Bewertung vorgelegt und wurde die Bewertung nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, sind die im vorgelegten Dossier enthaltenen sowie die gemäß Artikel 10 Absatz 5 Satz 2 oder Artikel 11 Absatz 2 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 nachgereichten Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise (europäisches Dossier) nicht an den Gemeinsamen Bundesausschuss zu übermitteln. Der pharmazeutische Unternehmer bestimmt im Dossier, inwieweit das europäische Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein soll, indem er auf die dortigen Informationen, Daten, Analysen oder sonstigen Nachweise Bezug nimmt.“

Bewertung:

Pharma Deutschland begrüßt ausdrücklich die vorgesehene Regelung, da durch die Möglichkeit, auf das EU-HTA-Dossier zu verweisen, die Nachweisanforderungen auf die national erforderlichen ergänzenden Informationen und Analysen reduziert werden. Damit entspricht diese Regelung in angemessener Weise dem Verbot der Doppeleinreichung klinischer Daten auf nationaler Ebene. Sie ermöglicht es pharmazeutischen Unternehmen, die bereits auf europäischer Ebene eingereichten Daten effizient zu nutzen und den administrativen Aufwand zu minimieren.

Die Verantwortung für die Verweise auf relevante Abschnitte des EU-HTA-Dossiers, die zur Beantwortung der Fragestellung der nationalen Nutzenbewertung herangezogen werden sollen, liegt dabei vollständig beim pharmazeutischen Unternehmer. Pharma Deutschland geht davon aus, dass diese Verweise mit größter Sorgfalt vom pharmazeutischen Unternehmer vorgenommen und einer Qualitätsprüfung unterzogen werden. Es ist jedoch zu berücksichtigen, dass angesichts des voraussichtlich erheblichen Umfangs der europäischen Dossiers nicht ausgeschlossen werden kann, dass in Einzelfällen Verweise auf Daten übersehen werden könnten, die für die Bewertung im nationalen Verfahren relevant sind. In solchen Fällen dürfen den pharmazeutischen Unternehmen keine Nachteile entstehen, da die betreffenden Informationen bereits auf europäischer Ebene eingereicht und geprüft wurden. Ein in Folge als unvollständig bewertetes Dossier wäre nicht nur unverhältnismäßig, sondern auch ein Verstoß gegen die Pflicht zur Berücksichtigung des auf EU-Ebene eingereichten Dossiers.

Zur Sicherstellung eines fairen und transparenten Verfahrens sowie im Interesse der Verfahrenssicherheit schlägt Pharma Deutschland vor, die AM-NutzenV dahingehend zu ergänzen, dass bei der Überprüfung der Vollständigkeit eines nationalen Dossiers das europäische Dossier berücksichtigt wird. Diese Ergänzung würde sicherstellen, dass Daten, die auf europäischer Ebene bereits vorliegen, im nationalen Verfahren nicht unberücksichtigt bleiben und somit eine konsistente Bewertung auf beiden Ebenen gewährleistet ist.

Zudem ist für eine korrekte Verweisung innerhalb des deutschen Dossiers auf die relevanten Abschnitte des europäischen Dossiers essenziell, dass der pharmazeutische Unternehmer über die nationale Fragestellung informiert ist und die entsprechenden Analysen im europäischen Dossier eindeutig identifizieren kann. Daher ist es unerlässlich, dass für das nationale Verfahren das geltende PICO rechtzeitig an den Unternehmer kommuniziert wird. Pharma Deutschland sieht daher die Notwendigkeit der Etablierung einer regelhaften Information an den Unternehmer, spätestens unmittelbar nachdem die Übermittlung des europäischen Dossiers auf EU-Ebene erfolgt ist.

Darüber hinaus sei darauf hingewiesen, dass die Formulierung in der Verordnungsbegründung missverständlich ist: *„Für die Einhaltung der Fristen nach § 4 Absatz 3 AM-NutzenV ist darauf abzustellen, ob sowohl die Angaben und Nachweise aus dem nationalen Dossier als auch die Inhalte aus dem europäischen Dossier, auf die der pharmazeutische Unternehmer Bezug nimmt, zu dem betreffenden Zeitpunkt übermittelt waren.“* § 4 Absatz 3 AM-NutzenV stellt auf die Einreichungsfristen des nationalen Dossiers ab. Diese werden auch durch die vorgeschlagenen Änderungen des vorliegenden Referentenentwurfes nicht geändert. Insofern ist missverständlich, was als Übermittlung der Inhalte des europäischen Dossiers zum Zeitpunkt der Einreichung des nationalen Dossiers anzusehen ist, um fristgerechte Einreichung gemäß § 4 Absatz 3 AM-NutzenV sicherzustellen. Es wird davon ausgegangen, dass nicht eine Übermittlung des europäischen Dossiers an den G-BA oder dessen Veröffentlichung auf der IT-Plattform gemeint sein kann, da dies nicht in der Verantwortung des pharmazeutischen Unternehmers liegt. Unseres Erachtens ist vorliegend die Übermittlung eines europäischen Dossiers auf EU – Ebene gemäß Artikel 10 Absatz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282 zu verstehen.

Darüber hinaus wäre zu prüfen, ob statt des Aussetzens des Verfahrensbeginns, die Einreichungsfrist für die Dossiervorlage anzupassen wäre.

Änderungsvorschlag:

2. § 4 wird wie folgt geändert:

„a) [...]

b) [...]

c) **Nach Absatz 5 wird folgender Absatz 5a eingefügt:**

(5a) Wurde für das Arzneimittel nach Artikel 10 Absatz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282 ein Dossier zur Durchführung einer gemeinsamen klinischen Bewertung vorgelegt und wurde die Bewertung nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, sind die im vorgelegten Dossier enthaltenen sowie die gemäß Artikel 10 Absatz 5 Satz 2 oder Artikel 11 Absatz 2 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 nachgereichten Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise (europäisches Dossier) im Rahmen der Vollständigkeitsprüfung nach Absatz 5 und bei der Feststellung der formalen und inhaltlichen Vollständigkeit des Dossiers nach § 7 Absatz 2 sachgerecht zu berücksichtigen.“

Zu Nummer 3 a:

Regelung aus dem Referentenentwurf:

3. § 7 wird wie folgt geändert:

a) Nach Absatz 1 Satz 2 wird folgender Satz eingefügt:

„Wurde für das Arzneimittel eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, sind zusätzlich

1. das europäische Dossier im nach § 4 Absatz 2a Satz 2 bestimmten Umfang,
2. die nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 vor Beginn der Nutzenbewertung veröffentlichten Berichte und
3. alle anderen auf der IT-Plattform gemäß Artikel 30 der Verordnung (EU) 2021/2282 verfügbaren Informationen

Grundlage für die Nutzenbewertung.“

Bewertung:

Pharma Deutschland begrüßt die in dem Entwurf vorgesehenen Regelungen zur Erweiterung der Grundlagen der Nutzenbewertung, da diese der Vorgabe Rechnung tragen, die auf europäischer Ebene eingereichten Unterlagen in das nationale Verfahren einzubeziehen. Diese Regelungen stellen einen wesentlichen Schritt dar, um eine kohärente und effiziente Nutzung der auf europäischer Ebene erarbeiteten Informationen zu gewährleisten.

Wie bereits zuvor dargelegt, ist es jedoch nicht ausreichend, ausschließlich das europäische Dossier im nach § 4 Absatz 2a Satz 2 bestimmten Umfang als Grundlage heranzuziehen. Es sind Fälle denkbar, in denen für die nationale Nutzenbewertung weitere Auswertungen oder Analysen aus dem europäischen Dossier erforderlich sind, auf die der pharmazeutische Unternehmer im nationalen Dossier versehentlich nicht verwiesen hat. In solchen Fällen wäre es unangemessen, diese Informationen zu ignorieren, da sie im europäischen Dossier bereits vorliegen. Die ausschließliche Abhängigkeit von den durch den pharmazeutischen Unternehmer definierten Verweisen könnte

somit zu Informationslücken im Bewertungsverfahren führen. Um dies zu vermeiden, schlägt Pharma Deutschland eine gezielte Änderung des Satzes 2 Nummer 1 vor, um sicherzustellen, dass relevante Inhalte des europäischen Dossiers herangezogen werden können, auch wenn diese nicht in den Verweisen aufgeführt sind.

Darüber hinaus sieht Pharma Deutschland kritisch, dass der europäische HTA-Bericht nur dann als Grundlage für die nationale Nutzenbewertung berücksichtigt werden soll, wenn seine Veröffentlichung vor Beginn der Nutzenbewertung erfolgt. In Fällen, in denen der Bericht nach Beginn der Nutzenbewertung, jedoch noch in einem zeitlichen Rahmen veröffentlicht wird, der eine Berücksichtigung im Verfahren sachgerecht ermöglicht, sollte dieser Bericht ebenfalls Eingang in die Nutzenbewertung finden. Eine Einschränkung auf Veröffentlichungen vor Beginn des Verfahrens könnte dazu führen, dass der europäische Bericht lediglich im Stellungnahmeverfahren zur Verfügung steht. Dies würde den pharmazeutischen Unternehmer in der Anhörung in die Lage versetzen, ohne hinreichende Kenntnis darüber Stellung zu nehmen, in welchem Umfang und in welcher Form der Bericht in die Nutzenbewertung einfließt.

Insbesondere vor dem Hintergrund, dass die nationale Nutzenbewertung den Feststellungen der europäischen Berichte zu relativen Effekten und deren Aussagesicherheit nicht widersprechen soll, erscheint es von großer Bedeutung, den europäischen Bewertungsbericht so früh wie möglich in den nationalen Kontext einzubinden, um Transparenz und Nachvollziehbarkeit des gesamten Bewertungsprozesses zu unterstützen.

Zur Sicherstellung eines informierten und fairen Stellungnahmeverfahrens, in dem der europäische Bewertungsbericht angemessen kontextualisiert wird, sollten alle Möglichkeiten ausgeschöpft werden, um den Einbezug des Berichts in die Nutzenbewertung zu ermöglichen. Pharma Deutschland empfiehlt daher, die Formulierung des § 7 Satz 2 Nummer 2 (neu) dahingehend zu überprüfen, ob die zeitliche Einschränkung auf „vor Beginn der Nutzenbewertung“ zwingend erforderlich ist. Es sollte geprüft werden, ob ein sachgerechter Zeitrahmen definiert werden kann, der eine Berücksichtigung des europäischen Bewertungsberichts auch nach Beginn der Nutzenbewertung ermöglicht.

Änderungsvorschlag:

§ 7 wird wie folgt geändert:

a) Nach Absatz 1 Satz 2 wird folgender Satz eingefügt:

„Wurde für das Arzneimittel eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, sind zusätzlich

1. das europäische Dossier, insbesondere im nach § 4 Absatz 2a Satz 2 bestimmten Umfang,

2. die nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 ~~vor Beginn der Nutzenbewertung~~ veröffentlichten Berichte und
3. [...]“

Zu Nummer 3 b:

Regelung aus dem Referentenentwurf:

- b) Absatz 3 wird wie folgt geändert:
- aa) Nach Satz 1 wird folgender Satz eingefügt:
„Wurde für das Arzneimittel eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt oder nach Artikel 12 Absatz 5 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 abgeschlossen, soll der Gemeinsame Bundesausschuss, sofern zu dem Zeitpunkt, der für die Einreichung der Nachweise nach § 4 Absatz 3 maßgeblich ist, noch keine Berichte nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht wurden, das Verfahren bis zu deren Veröffentlichung aussetzen, längstens jedoch bis zum Ablauf von drei Monaten ab der Zulassung des Arzneimittels oder seines neuen Anwendungsgebiets.“

Bewertung

Pharma Deutschland begrüßt die in diesem Entwurf vorgesehenen pragmatischen Regelungen zur Flexibilisierung des Verfahrensbeginns, die eine schnelle Marktzugangsmöglichkeit gewährleisten und gleichzeitig eine Gleichbehandlung pharmazeutischer Unternehmer mit Produkten mit und ohne vorangegangener europäischer Nutzenbewertung sicherstellen.

Durch die vorgeschlagene Regelung wird sichergestellt, dass die Erstellung und Einreichung der Dossiers für alle Produkte weiterhin zu den bislang geltenden maßgeblichen Zeitpunkten erfolgt, während der Beginn des Fristenlaufes der Nutzenbewertung an die Verfügbarkeit der europäischen Berichte angepasst wird. Allerdings handelt es sich hierbei um eine „Soll“ – Regelung. Somit ist anzunehmen, dass der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) unter bestimmten Bedingungen von dieser Möglichkeit abweichen darf und unter Umständen auch nicht aussetzen könnte. Die Kriterien für diese Ausnahmeregelung sollten definiert werden. Für pharmazeutische Unternehmer ist es von entscheidender Bedeutung, den EU-HTA-Bericht vor der Einreichung eines Dossiers zu kennen, um im nationalen Verfahren auf potenzielle Kritikpunkte zur Datenaufbereitung im Rahmen des EU-HTA-Verfahrens angemessen reagieren zu können.

Es ist bereits absehbar, dass der europäische Bericht, der frühestens 40 - 45 Tage nach Zulassung eines Arzneimittels oder eines neuen Anwendungsgebietes veröffentlicht wird, in bestimmten Verfahren nicht zu Beginn der nationalen Nutzenbewertung öffentlich verfügbar sein wird. Dies betrifft insbesondere Arzneimittel mit hohem medizinischem Bedarf, die im Rahmen eines beschleunigten Zulassungsverfahrens genehmigt werden, da deren Markteinführung oft bereits vor Ablauf der 40-Tage-Frist erfolgt. Ebenso ist bei neuen Anwendungsgebieten zu berücksichtigen,

dass ein Dossier spätestens 28 Tage nach Zulassungsentscheidung beim G-BA einzureichen ist. Vor diesem Hintergrund ist bereits jetzt ersichtlich, dass für bestimmte Verfahren regelmäßig eine Verschiebung des Verfahrensbeginns erforderlich sein wird. So sollte in bestimmten Verfahren regelhaft eine Aussetzung des Verfahrens ermöglicht werden, bestenfalls bereits vor der Einreichung des Dossiers, um etwaige Mängel in der Datenaufbereitung, auf die im EU-HTA-Bericht ggf. hingewiesen wurde, beheben können.

Pharma Deutschland geht davon aus, dass im Falle einer Verschiebung des Verfahrensstarts der Nutzenbewertung keine Verpflichtung zur Aktualisierung des bereits eingereichten Dossiers besteht, insbesondere nicht hinsichtlich der darin enthaltenen systematischen Literaturrecherchen. Es wird davon ausgegangen, dass die zum Zeitpunkt der Dossiereinreichung angefertigten und als aktuell geltenden Recherchen unverändert im Nutzenbewertungsverfahren Bestand haben und fortgelten.

Die Erstellung systematischer Literaturrecherchen erfordert einen erheblichen methodischen und zeitlichen Aufwand, der eng mit den geplanten Fristen für die Dossiereinreichung abgestimmt ist. Eine nachträgliche Verpflichtung zur Aktualisierung solcher Recherchen aufgrund einer Verschiebung des Verfahrensbeginns würde nicht nur den bürokratischen und administrativen Aufwand erheblich erhöhen, sondern auch die Verfahrensplanung der betroffenen Unternehmen erheblich erschweren.

Pharma Deutschland regt zudem an, klarzustellen, dass eine Verschiebung des Verfahrensbeginns und der Beschlussfassung keine Nachteile für die Erstattungsbetragsverhandlungen, beispielsweise durch Preisveränderungen, im Vergleich zur ursprünglich geplanten Beschlussfassung mit sich bringen darf. Die nicht fristgerechte Verfügbarkeit der europäischen Berichte liegt außerhalb der Verantwortung der pharmazeutischen Unternehmen und darf keine nachteiligen Konsequenzen für diese nach sich ziehen.

Zu Nummer 3 c:

Regelung aus dem Referentenentwurf:

c) Absatz 4 wird wie folgt geändert:

aa) Nach Satz 1 wird folgender Satz eingefügt:

„Wurden nach dem Beginn, aber vor der Veröffentlichung der Nutzenbewertung zu dem Arzneimittel Berichte über eine gemeinsame klinische Bewertung nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht, stellt der Gemeinsame Bundesausschuss diese neben der Nutzenbewertung zur Anhörung.“

Bewertung:

Pharma Deutschland begrüßt ausdrücklich die Möglichkeit, europäische Berichte im Rahmen des nationalen Stellungnahmeverfahrens zur Nutzenbewertung zu kommentieren, insbesondere im Hinblick auf den in Deutschland anerkannten und etablierten Versorgungskontext. Es bleibt jedoch unklar, ob die Formulierung der Regelung dahingehend auszulegen ist, dass Berichte über eine gemeinsame klinische Bewertung nur dann im Stellungnahmeverfahren berücksichtigt werden, wenn ihre Veröffentlichung nach Beginn der nationalen Nutzenbewertung erfolgt ist.

Pharma Deutschland hält es für angemessen, diese Berichte – sofern verfügbar – grundsätzlich im Stellungnahmeverfahren zugänglich zu machen, unabhängig vom Zeitpunkt ihrer Veröffentlichung. Auch wenn bei einer Veröffentlichung vor Beginn der nationalen Nutzenbewertung eine Berücksichtigung dieser Berichte im Bewertungsbericht erwartet werden kann, sollte ein Ausschluss der Berichte aus dem Stellungnahmeverfahren vermieden werden. Zur Wahrung der Transparenz, wie sie bislang im Nutzenbewertungsverfahren praktiziert wurde, schlägt Pharma Deutschland daher eine entsprechende Anpassung des Regelungstextes vor.

Zudem wirft die Regelung die Frage auf, ob in den (hoffentlich seltenen) Fällen, in denen der europäische Bewertungsbericht bis zum Zeitpunkt des nationalen Stellungnahmeverfahrens oder der Beschlussfassung nicht vorliegt, eine nationale Nutzenbewertung nachträglich wiederholt oder ergänzt werden muss. Eine diesbezügliche Klärung wäre wünschenswert, um potenzielle Unsicherheiten im Verfahren zu vermeiden.

Änderungsvorschlag:

c) Absatz 4 wird wie folgt geändert:

aa) Nach Satz 1 wird folgender Satz eingefügt:

„Wurden ~~nach dem Beginn, aber vor der Veröffentlichung der Nutzenbewertung~~ zu dem Arzneimittel Berichte über eine gemeinsame klinische Bewertung nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht, stellt der Gemeinsame Bundesausschuss diese neben der Nutzenbewertung zur Anhörung.“

zu Nummer 4:**Regelungstext aus dem Referentenentwurf**

4. Nach § 9 Absatz 2 wird folgender Absatz 2a eingefügt:

„(2a) In den Fällen des § 4 Absatz 2a wird das europäische Dossier durch Verweis auf die öffentlich zugängliche Internetseite der IT-Plattform gemäß Artikel 30 Absatz 3 Buchstabe d der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht. Ist das europäische Dossier im Zeitpunkt nach Absatz 1 Satz 1 dort

nicht verfügbar, stellt der pharmazeutische Unternehmer dem Gemeinsamen Bundesausschuss innerhalb eines Tages eine Fassung des europäischen Dossiers zur Verfügung, mit deren Veröffentlichung er einverstanden ist. Der Gemeinsame Bundesausschuss veröffentlicht diese unverzüglich auf seiner Internetseite.“

Bewertung:

Pharma Deutschland begrüßt die vorgesehene Regelung, da sie als sachgerecht und praktikabel erachtet wird. Insbesondere gewährleistet sie in Fällen, in denen das europäische Dossier zum Zeitpunkt der Veröffentlichung der nationalen Nutzenbewertung noch nicht öffentlich zugänglich ist, die Nachvollziehbarkeit der Verweise im nationalen Dossier. Damit wird die gewohnte Transparenz im deutschen Bewertungsverfahren unter Wahrung der Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse des pharmazeutischen Unternehmers sichergestellt.

Es ist jedoch zu berücksichtigen, dass die Erstellung einer Fassung des europäischen Dossiers, deren Veröffentlichung durch das pharmazeutische Unternehmen genehmigt wird, aufgrund von Wochenenden, Feiertagen, internen Abstimmungsprozessen in global agierenden Unternehmen sowie interner Qualitätssicherung mitunter mehr als 24 Stunden in Anspruch nehmen kann.

Vor diesem Hintergrund schlägt Pharma Deutschland vor, die Frist auf drei Werkstage zu verlängern. Dies wird als ein für das Bewertungsverfahren ausreichend zügiger Zeitraum angesehen, der gleichzeitig den betroffenen Unternehmen eine angemessene Bearbeitungszeit einräumt.

Änderungsvorschlag:

4. Nach § 9 Absatz 2 wird folgender Absatz 2a eingefügt:

„(2a) In den Fällen des § 4 Absatz 2a wird das europäische Dossier durch Verweis auf die öffentlich zugängliche Internetseite der IT-Plattform gemäß Artikel 30 Absatz 3 Buchstabe d der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht. Ist das europäische Dossier im Zeitpunkt nach Absatz 1 Satz 1 dort nicht verfügbar, stellt der pharmazeutische Unternehmer dem Gemeinsamen Bundesausschuss innerhalb **von drei Werktagen** eine Fassung des europäischen Dossiers zur Verfügung, mit deren Veröffentlichung er einverstanden ist. Der Gemeinsame Bundesausschuss veröffentlicht diese unverzüglich auf seiner Internetseite.“

Weitere Änderungsvorschläge

Änderungsvorschlag zur Klarstellung des Verhältnisses von nationalen und gemeinsamen wissenschaftlichen Beratungen

5. Nach § 8 Absatz 1 wird folgender Absatz 1a eingefügt:

„(1a) Der Gemeinsame Bundesausschuss berät den pharmazeutischen Unternehmer aufgrund dessen Anforderung auch in den Fällen, in denen bereits eine gemeinsame wissenschaftliche Beratung auf europäischer Ebene durchgeführt wurde, sofern die Fragestellungen nicht inhaltsgleich der gemeinsamen wissenschaftlichen Beratung sind oder die Sach- und Rechtslage verändert ist. Eine durchgeführte Beratung nach Absatz 1 schließt eine gemeinsame wissenschaftliche Beratung nicht aus.“

Begründung:

Eine Beratung zur Planung klinischer Studien sowie zu den einzureichenden Unterlagen stellt ein bewährtes und erfolgreiches Instrument im Rahmen des AMNOG-Verfahrens dar. Diese Beratungen ermöglichen es dem pharmazeutischen Unternehmer in besonderer Weise, qualitativ hochwertige Dossiers zu erstellen, klinische Studien entsprechend den Anforderungen des G-BA zu planen und diese Anforderungen innerhalb der Unternehmen nachvollziehbar zu kommunizieren.

Um den Erfolg dieses Verfahrensmodells nicht zu beeinträchtigen, schlägt Pharma Deutschland vor, in der AM-NutzenV das Recht auf Beratung durch den G-BA ausdrücklich auch für den Fall einer bereits erfolgten gemeinsamen europäischen Beratung festzuschreiben.

Abschließend wird darauf hingewiesen, dass in der Verordnung zwei redaktionelle Versehen in der Angabe des Datums für den Beginn der europäischen Nutzenbewertung vorliegen, welcher irrtümlich mit dem 12. Januar 2024 angegeben wurde. Zudem wird angegeben, dass nur bis zum Ende des Übergangszeitraums am 13. Januar 2030 parallel zu den Bewertungen nach vorangegangenem JCA rein nationale Bewertungsverfahren stattfinden. Für Bewertungen von neuen Anwendungsgebieten von Arzneimitteln, für die keine initiale europäische Nutzenbewertung durchgeführt wurde, werden allerdings weiterhin rein nationale Bewertungen erfolgen, auch wenn diese Bewertungen nicht den Großteil an der Gesamtbewertungsanzahl ausmachen werden. Eine entsprechende Korrektur wird angeregt.

Bonn/Berlin, 16. Januar 2025

Pharma Deutschland e.V.