

# Stellungnahme

Stellungnahme des

Bundesverbandes der Pharmazeutischen Industrie (BPI) e. V

zum Referentenentwurf einer

Ersten Verordnung zur Änderung der Arzneimittel-  
Nutzenbewertungsverordnung

Stand: Januar 2025

Der Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e.V. (BPI) ist als Interessenvertretung ein wichtiger Teil der pluralistischen Gesellschaft. Er artikuliert die vielfältigen, konkurrierenden und autonomen Interessen seiner rund 260 Mitgliedsunternehmen mit ihren ca. 78.000 Mitarbeitern. Seine Aufgabe als Verband ist es, die gemeinsamen wirtschaftlichen Interessen der pharmazeutischen Industrie zu vertreten. Die für ihn wichtigen Themen wie Gesundheits- und Standortpolitik, Versorgungssicherheit und Arzneimittelgesetzgebung vertritt der BPI auf Landes- und Bundesebene, sowie in Europa.

## Allgemeine Stellungnahme

Der BPI dankt dem Bundesministerium für Gesundheit (BMG) für die Stellungnahmemöglichkeit zu dem vorliegenden Verordnungsentwurf.

Der BPI unterstützt die Einführung der gemeinsamen klinischen Bewertung von innovativen Arzneimitteln auf EU-Ebene und die damit verfolgten Ziele. Das europäische Verfahren soll einheitlich strukturierte, hochwertige und transparente Informationen für die klinische Entscheidungsfindung für Patientinnen und Patienten in der EU zur Verfügung stellen und eine geeignete Grundlage für Entscheidungen der nationalen Gesundheitssysteme bilden.

Für pharmazeutische Unternehmer soll der bürokratische Aufwand bei der Einreichung der Daten vermindert werden. Für den BPI ist dies eines der wesentlichen politischen Ziele, anhand dessen sich der Erfolg des neuen Rechtsrahmens messen lassen muss.

Wesentliche aus Sicht des BPI zu berücksichtigende Aspekte in der Umsetzung der europäischen Regelungen auf europäischer und nationaler Ebene sind in einem [Positionspapier zur Umsetzung der EU-HTA-Verordnung](#) zusammengefasst.

Wesentliche Aspekte sind hier auf der nationalen Ebene:

- Umfassende Nutzung der europäischen Bewertung gewährleisten

Zur Vermeidung von Doppelarbeit müssen die Ergebnisse der europäischen Bewertung im deutschen AMNOG-Prozess umfassend genutzt werden. Folglich müssen Verwendung und Übernahme der gemeinsamen europäischen Arbeitsergebnisse im nationalen Prozess für den G-BA verpflichtend werden.

- Anforderungen an zusätzliche Analysen reduzieren

Die Anforderungen in den nationalen Dossievorlagen im AMNOG-Prozess, insbesondere an Subgruppen- und bestimmte Arzneimittelsicherheitsanalysen, bedürfen insoweit einer Überprüfung, dass sie deutlich effizienter auszugestalten sind. Hierbei sollte man sich an europäischen Leitlinien orientieren, um die EU-HTA-Bewertung ohne Qualitätsverlust zu erreichen.

- G-BA-Beratungen bezüglich nationaler Zusatzanalysen stärken

Für ein optimales Zusammenspiel des AMNOG-Verfahrens mit dem EU-HTA müssen die nationalen G-BA-Beratungen gestärkt werden. Dies betrifft insbesondere zusätzliche Beratungen zu nationalen klinischen Zusatzanalysen in Ergänzung zum EU-HTA. Diese sollten sich auf wenige und absolut notwendige Analysen beschränken.

- Schnellen Marktzugang absichern

Eine Herausforderung für den schnellen Start des AMNOG-Prozesses ist der späte Zeitpunkt des Vorliegens des europäischen HTA-Bewertungsberichts erst mehrere Wochen nach Zulassung. Die AMNOG-Regelung bezüglich ihrer schnellen Marktzugangsmöglichkeit mit Vorliegen der Zulassung ist im Verfahren abzusichern, damit Innovationen auch zukünftig schnellstmöglich zur Verfügbarkeit stehen.

- Nationale Orphan-Drug-Regelung passgenau verzahnen

Die Orphan-Drug-Regelung im AMNOG ist zu bestärken, indem festgehalten wird, dass auch im Kontext des EU-HTA der Zusatznutzen für Orphan Drugs als belegt gilt und Nachweise gegenüber einer Vergleichstherapie im nationalen Prozess erst nach der Überschreitung der Umsatzschwelle von 30 Mio. Euro erbracht werden müssen. Dies sichert den schnellen Zugang zu neuen Orphan Drugs in Deutschland weiterhin ab.

Es wird der Analyse des BMG zugestimmt, 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.

Es ist daher auch aus Sicht des BPI sachgerecht, zunächst für eine Einführungsphase lediglich geringfügige Anpassungen der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung vorzunehmen, um das europäische und das nationale Verfahren sachgerecht zu verzahnen. Allerdings impliziert dies auch, dass weitere Anpassungen der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung rasch erfolgen, sollten diese aus den vorgenannten Lernprozessen abzuleiten sein.

Lernprozesse gelten im Übrigen auch für die pharmazeutischen Unternehmen, so dass hier gerade mit Blick auf die Verweislösung und die Vollständigkeitsprüfung des G-BA auch vor dem Hintergrund möglicherweise erst verspätet vorliegender EU-HTA-Dokumente ein pragmatisches Vorgehen bspw. hinsichtlich der Vorlage ergänzender Informationen durch den pharmazeutischen Unternehmer seitens des G-BA unerlässlich ist.

Neben der im Verordnungsentwurf primär adressierten prozeduralen bzw. zeitlichen Vernetzung ist auch die inhaltliche Vernetzung von EU-Verfahren und den aus diesen resultierenden Dokumenten auf der einen Seite und dem nationalen Bewertungsverfahren andererseits ein wichtiger Aspekt. Grundlegende inhaltliche Aspekte, die bspw. die Themen Umgang mit dem PICO-Prozess, Umgang mit Endpunkten aus dem EU-Dossier im nationalen Bewertungsverfahren sowie adäquate Berücksichtigung des EU-Berichts und weiterer, auf der europäischen IT-Plattform zur Verfügung gestellter Dokumente im nationalen Bewertungsverfahren betreffen, sollten grundlegend auch im Rahmen der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung adressiert werden.

Das BMG wird mit Blick auf die vorgenommenen Änderungen gebeten zu prüfen, ob nicht insbesondere mit Blick auf die Veränderungen der Verfahrensabläufe auch im Sozialgesetzbuch V ergänzender Anpassungsbedarf besteht.

Im Hinblick auf die Neugestaltung des Zusammenwirkens des EU-HTA-Prozesses mit dem nationalen Bewertungsverfahren sind in vielen Fällen Verfahrensaussetzungsentscheidungen des G-BA zu erwarten. Aus diesen resultieren im Ergebnis in höherem Maße als bisher Rückausgleiche im Hinblick auf den Erstattungsbetrag. Durch jüngere gesetzliche Anpassungen wurde der pharmazeutische Unternehmer verpflichtet, über Ausgleichs auf der Ebene des Erstattungsbetrags hinaus auch für Ausgleichs auf der Ebene der Handelsstufen und der Umsatzsteuer eintreten zu müssen. Diese Ausgleichs betreffen bereits jetzt Zahlungen, die vom pharmazeutischen Unternehmer vorab nie vereinnahmt worden sind. Es ist aus Sicht des BPI nicht sachgerecht, dass nun auch noch weitergehende Ausgleichs auf der Ebene der Handelsstufen und der Umsatzsteuer, die sich aus der Umsetzung der Verordnung (EU) 2021/2282 (EU-HTA-Verordnung) in Deutschland ergeben, ausschließlich vom pharmazeutischen Unternehmer zu tragen sind. Das BMG wird vor diesen Hintergrund gebeten, über eine gesetzliche Anpassung Abhilfe zu schaffen.

Mit Blick auf die nachfolgenden Anpassungen der Verfahrensordnung (VerfO) des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) möchte der BPI daran erinnern, dass komplexere Anpassungen von Abläufen zu erwarten sind, die direkten Einfluss auf die pharmazeutischen Unternehmen haben. Erfahrungen der Vergangenheit - bspw. im Hinblick auf Beschlüsse des G-BA zu Änderungen der Dossievorlagen - haben gezeigt, dass es in einer derartigen Situation vorteilhaft ist, wenn es vor der Beschlussfassung des G-BA zu einem Austausch des G-BA mit den Herstellerverbänden zu den geplanten Änderungen kommt, auch wenn für Änderungen der VerfO kein formales Stellungnahmeverfahren vorgesehen ist. Unterbleibt ein frühzeitiger Austausch, verbleibt als einzige Aktionsmöglichkeit der Herstellerverbände, Unzulänglichkeiten in den Beschlüssen des G-BA dem BMG im Rahmen seiner Fach- und Rechtsaufsicht vorzutragen. Fälle der Vergangenheit haben dann zu weiteren Iterationsstufen und nachgelagertem Austausch geführt. Der Aufwand war für alle Beteiligten deutlich erhöht. Der BPI hält einen frühzeitigen Austausch zu den geplanten Änderungen der VerfO daher im Hinblick auf die Verfahrensökonomie für zielführend.

Zuletzt noch der Hinweis auf einen redaktionellen Fehler im Kapitel „A. Problem und Ziel“. Im Satz *„Ab 12. Januar 2024 unterliegen Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen zur Behandlung von Krebs sowie Arzneimittel für neuartige Therapien der gemeinsamen klinischen Bewertung, ab 13. Januar 2028 zusätzlich (sonstige) Arzneimittel für seltene Leiden und ab 13. Januar 2030 schließlich sämtliche Arzneimittel im zentralen Zulassungsverfahren.“* muss es „12. Januar 2025“ heißen.

## **Besondere Stellungnahme**

### Darstellung der Anzahl der Personen in klinischen Prüfungen im Dossier nur im Bedarfsfall

Eine Darstellung der Anzahl der Prüfungsteilnehmer an den vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen des Arzneimittels, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des Sozialgesetzbuch V teilgenommen haben, und der Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer erfolgt vor dem Hintergrund der Befreiung von der Geltung der so genannten „AMNOG-Leitplanken“.

Zur Vermeidung unnötiger Bürokratie auf Seiten des G-BA und der pharmazeutischen Unternehmer sollte die Vorlagepflicht auf die Fälle begrenzt sein, in denen der pharmazeutische Unternehmer eine Befreiung von den AMNOG-Leitplanken erreichen will. In vielen Fällen wird dem pharmazeutischen Unternehmer bekannt sein, dass aufgrund der vorzulegenden Informationen eine Befreiung von der Geltung der „AMNOG-Leitplanken“ nicht erreicht werden kann.

Vor diesem Hintergrund ist es ohne erkennbare Nachteile für den G-BA bzw. den GKV-Spitzenverband sachgerecht, die Vorlage in das Ermessen des pharmazeutischen Unternehmers zu stellen und nicht regelhaft – insb. nicht in aussichtslosen Fallkonstellationen – zu verlangen.

Legt der pharmazeutische Unternehmer keine Darstellung der Anzahl der Prüfungsteilnehmer vor, wäre eine Befreiung von den AMNOG-Leitplanken nicht möglich. Es resultiert somit automatisch für den GKV-Spitzenverband das mit Blick auf die Erstattungsbetragsverhandlung bestmögliche Ergebnis.

### Vermeidung von Doppeleinreichungen im Kontext des Erfordernisses der Vollständigkeit sehen

Artikel 10 Absatz 3 der EU-HTA-Verordnung besagt: *„Der Entwickler der Gesundheitstechnologie legt auf nationaler Ebene keine Informationen, Daten, Analysen oder sonstigen Nachweise vor, die bereits auf Unionsebene vorgelegt wurden. Diese Vorgabe berührt nicht die Anforderung zusätzlicher Informationen zu Arzneimitteln, die unter Programme für den frühzeitigen Zugang auf Ebene der Mitgliedstaaten fallen, die Patienten im Fall eines hohen ungedeckten medizinischen Bedarfs den Zugang zu Arzneimitteln ermöglichen sollen, bevor eine zentralisierte Zulassung erteilt wurde.“*

Soweit anerkannt wird, dass eine Doppeleinreichung von bereits im EU-Dossier enthaltenen Informationen im nationalen Dossier unerwünscht ist, bittet der BPI darum, in der Gesetzgebung eine mildere Sprache zu verwenden und Begriffe wie „untersagt“ und „Verbot“ zu vermeiden.

Durch die vorgesehene Lösung, Verweise auf das EU-Dossier mit etwaigen ergänzenden Daten im nationalen Dossier zu verbinden, werden sich Doppelungen nicht vollständig ausschließen lassen. Dies auch vor dem Hintergrund, dass der G-BA weiterhin eine Vollständigkeitsprüfung vornehmen wird, und der pharmazeutische Unternehmer insofern eine formale Unvollständigkeit vermeiden muss. Es muss zukünftig bspw. auch eine vernünftige Lesbarkeit des nationalen Dossiers gewährleistet sein.

#### Sondersituation der Orphan Drugs im Nutzenbewertungsprozess bei Verweisregelung berücksichtigen

Der BPI bittet um eine Klarstellung dahingehend, dass bei der Berücksichtigung der vom pharmazeutischen Unternehmer vorzunehmenden Verweisen im nationalen Dossier auf das EU-Dossier die Sondersituation der Orphan Drugs im nationalen Nutzenbewertungsverfahren durch den G-BA vollumfänglich zu berücksichtigen ist.

Diese Klarstellung ist geboten, da das EU-Dossier Informationen zu Vergleichstherapien enthalten kann, die im nationalen Nutzenbewertungsverfahren gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V für Orphan Drugs unterhalb einer Umsatzschwelle von 30 Mio. Euro nicht vorzulegen und vom G-BA daher auch nicht zu berücksichtigen sind.

#### Möglichkeit der Aussetzung des Verfahrens durch den G-BA flexibilisieren

Es wird dem G-BA die Möglichkeit eingeräumt, in Fällen, in denen der EU-Bericht zum nationalen Verfahrensstart noch nicht vorliegt, das nationale Bewertungsverfahren bis zu 3 Monate auszusetzen.

Es sollte eine Klarstellung dahingehend erfolgen, dass in dem Fall, in dem ein Verfahren ausgesetzt wird, das nationale Dossier bis zum Zeitpunkt der Wiederaufnahme vorgelegt werden muss.

Der Zeitraum für die Erstellung des nationalen Dossiers unter Berücksichtigung des EU-Dossiers und der Erkenntnisse des EU-Verfahrens ist sehr kurz, so dass dessen adäquate Erstellung eine Herausforderung für pharmazeutische Unternehmen darstellt, insbesondere da der G-BA weiterhin eine Vollständigkeitsprüfung durchführen wird.

Vor diesem Hintergrund sollte auch der Zeitraum der Aussetzung des Verfahrens vom pharmazeutischen Unternehmer genutzt werden können, das nationale Dossier zu erstellen bzw. zu optimieren.

Eine größere Flexibilität im Hinblick auf den Zeitraum der Verfahrensaussetzung wäre zudem wünschenswert, um dem pU eine sachgerechte und qualitativ hochwertige Erstellung des nationalen Dossiers auch unter Berücksichtigung der Erkenntnisse des EU-Prozesses zu ermöglichen.

Das betrifft auch einen Zeitraum über die aktuell vorgesehenen drei Monate hinaus.

In jedem Fall sollte aber sichergestellt werden, dass beim Vorliegen des EU-Berichts vor Ablauf der drei Monaten auf Verlangen des pharmazeutischen Unternehmers der vorgesehene Zeitraum von drei Monaten ausgeschöpft werden kann.

#### Berücksichtigung des EU-Berichts nach Verfahrensstart bis zum spätmöglichen Zeitraum ermöglichen

Eine Berücksichtigung eines verspäteten EU-Berichts in einem nationalen Verfahren sollte so lange wie möglich noch erfolgen.

Aus Sicht des BPI kann eine Berücksichtigung auch noch erfolgen, nachdem der nationale Nutzenbewertungsbericht zur Stellungnahme vorgelegt wurde, also während des laufenden Stellungnahmeverfahrens. Ein Bemühen, den EU-Bericht bestmöglich einzubinden, ergibt sich auch aus dem in der EU-HTA-Verordnung normierten Berücksichtigungserfordernis des EU-Berichts in den nationalen HTA-Prozessen.

#### Veröffentlichung von europäischem Dossier ausschließlich auf europäischer IT-Plattform

Die Vorgabe, dass der G-BA nach Beendigung des nationalen Nutzenbewertungsverfahrens über einen Verweis auf die europäische IT-Plattform gemäß Artikel 30 Abs. 3 der EU-HTA-Verordnung seiner Veröffentlichungspflicht bezüglich des europäischen Dossiers nachkommt, ist sachgerecht.

Sollte im Einzelfall zu diesem Zeitpunkt das europäische Dossier auf der IT-Plattform nicht zur Verfügung stehen, soll geregelt werden, dass das europäische Dossier auf den Webseiten des G-BA veröffentlicht wird. Dies ist nicht sachgerecht.

Die europäische IT-Plattform sollte die einzige Quelle sein, auf der das europäische Dossier verfügbar ist. Nur an dieser Stelle ist sichergestellt, dass die aktuelle Version verfügbar ist. Zudem wird nur so ein für die gesamte EU einheitlicher Umgang mit aus Sicht des pharmazeutischen Unternehmers kommerziell zu schützenden Informationen im Dossier gewährleistet.

Ginge jeder Mitgliedstaat dazu über, europäische Dossiers auf den Webseiten der nationalen HTA-Organisationen zu veröffentlichen und dabei bspw. auch eigene Standards zum Schutz kommerziell zu schützender Informationen im Dossier anzulegen, resultierten unterschiedliche Versionen des EU-Dossiers. Zudem würde sich der Schutz kommerziell zu schützender Informationen faktisch nicht mehr an einem einheitlichen europäischen Standard orientieren.

Es ist u. a. die Aufgabe der Koordinierungsgruppe in Zusammenarbeit mit der EU-Kommission dafür Sorge zu tragen, dass das EU-Dossier zum erforderlichen Zeitpunkt auf der europäischen IT-Plattform zur Verfügung steht. In der Koordinierungsgruppe ist das BMG vertreten.

Sollte das BMG an der aktuellen Lösung festhalten, ist darauf hinzuweisen, dass es einem pharmazeutischen Unternehmer nicht möglich ist, dem G-BA innerhalb eines Tages eine

Fassung des europäischen Dossiers zur Verfügung zu stellen, mit deren Veröffentlichung er einverstanden ist.

Hierfür ist wegen umfassender Prüfungen eine Frist von 10 Tagen vorzusehen.