

# Zusammenfassung der Veranstaltung “Werkstattgespräch zum EU Pharma Package“

**Online-Diskussionsveranstaltung am  
13.06.2024, 17:30 – 19:00 Uhr der  
Veranstaltungsreihe „Forschungsstandort  
Deutschland“**

## Executive Summary

Während der Pandemie haben die EU-Regulatorien gezeigt: Die EU kann prinzipiell ein attraktiver Forschungs- und Entwicklungsstandort sein. So wurden Impfstoffe schnell eingeführt und Daten mit europäischen Nachbarländern ausgetauscht. Dennoch schränken anhaltende Bürokratie, mangelnde Flexibilität und fehlende Rechtssicherheit die Attraktivität Europas als führender Innovationsstandort für Arzneimittel ein. Das EU Pharma Package, das als umfassendste Reform seit zwei Jahrzehnten gilt, zielt darauf ab, den Zugang zu Medikamenten zu verbessern, Innovationen zu fördern und Versorgungssicherheit zu gewährleisten, um die Wettbewerbsfähigkeit Europas auf dem globalen Markt zu stärken.

Am 13.06.2024 diskutierten Dr. Siiri Doka (Referatsleiterin Gesundheitspolitik und Selbsthilfeförderung bei der BAG SELBSTHILFE e.V.), Alexander Föhr, MdB (Mitglied des Ausschusses für Bildung, Forschung und Technikfolgenabschätzung), Dr. Alexander Natz (Geschäftsführer von EUCOPE - European Confederation of Pharmaceutical Entrepreneurs) und Dr. André Schmidt (Chief Medical Officer, Novartis Deutschland) das EU Pharma Package und mögliche Verbesserungsvorschläge.

Ein Vorschlag ist eine patientenzentrierte, flexible **Definition** des "signifikanten Nutzens/High Unmet Medical Need" für **Orphan Drugs**. Die Expert\*innen empfehlen dies, um die Forschung zu fördern und die Bedürfnisse von Patient\*innen besser zu erfüllen. Zudem sollen "Real World Evidence" und Fallbeispiele in die Definition einbezogen werden.

Um die Entwicklung von Medikamenten für seltene Erkrankungen zu fördern, sind verlässliche und attraktive Regeln für den **Unterlagenschutz** notwendig. Die Expert\*innen schlagen vor, den Unterlagenschutz für Orphan Drugs durch Verlängerungsmöglichkeiten attraktiver zu gestalten. Änderungen der Auflagen und Genehmigungen für den Unterlagenschutz könnten zu Unsicherheit in der Forschungs- und Entwicklungslandschaft führen und somit Innovationen hemmen.

Die Expert\*innen sind sich einig, dass das HTA-Verfahren besser organisiert und erklärt werden muss, um eine **zeitgleiche Markteinführung in allen 27 EU-Mitgliedstaaten** sicherzustellen. Sie schlagen vor, den Ansatz des "Joint Procurement" auch auf allgemeine Arzneimittel auszuweiten. Dieser Ansatz half während der COVID-Pandemie, medizinische Produkte gemeinsam zu beschaffen und Kosten zu reduzieren. Durch die Ausweitung soll die Verfügbarkeit von Produkten auf nationalen Märkten beschleunigt und bürokratische Hürden verringert werden.

Verbesserungspotenzial besteht darin, mehr Flexibilität durch Regulatory Sandboxes und "Conditional Marketing Authorisations" zu schaffen, um Innovationen zu fördern. Zulassungsprozesse können beschleunigt und Europa attraktiver für Innovationen gestaltet werden, indem Behörden enger zusammenarbeiten und Real-World-Daten genutzt werden.

Konsens besteht auch darin, deutsche und europäische **Forschungsprogramme** zu synchronisieren. Expert\*innen betonen, dass durch **flexibleres Agieren der EMA** bei "Companion Diagnostics" die Abhängigkeit von externen Märkten reduziert werden kann.

## Key Facts

- Panelist\*innen: **Dr. Siiri Doka** (Referatsleiterin Gesundheitspolitik und Selbsthilfeförderung bei der BAG SELBSTHILFE e.V.), **Alexander Föhr, MdB** (Mitglied des Ausschusses für Bildung, Forschung und Technikfolgenabschätzung), **Dr. Alexander Natz** (Geschäftsführer von EUCOPE - European Confederation of Pharmaceutical Entrepreneurs) und **Dr. Andre Schmidt** (Chief Medical Officer, Novartis Deutschland).
- Moderatorin: Julia Vismann
- Thematischer Ausgangspunkt: Vorschlag der EU-Kommission zum EU Pharma Package
- Fragestellungen aus dem Gespräch
  1. Wie wird das EU Pharma Package die Versorgungssicherheit für Patient\*innen in Europa gewährleisten?
  2. Welche rechtlichen Anpassungen sind notwendig, um Europa wieder an die Spitze des globalen Innovations- und Investitionswettbewerbs zu bringen?
  3. Welche konkreten Maßnahmen können die angestrebten Änderungen auf nationaler Ebene praktisch umsetzen?
  4. Wie kann eine wissenschaftlich fundierte Definition des „signifikanten Nutzens/High Unmet Medical Needs“ gestaltet werden?
  5. Welche regulatorischen Hürden müssen abgebaut werden, um eine zeitgleiche Markteinführung von Arzneimitteln in allen 27 EU-Staaten zu gewährleisten?
  6. Wie können Patient\*innen besser in Entscheidungsprozesse einbezogen werden, um Gesetzesentwürfe an ihre Bedürfnisse anzupassen?
  7. Wie kann Rechtssicherheit für Unternehmen geschaffen werden?
  8. Wie können wir die Verfügbarkeit eines zentral zugelassenen Arzneimittels in europäischen Ländern verbessern?
- Ziele:
  1. Herausforderungen der Umsetzung des EU Pharma Packages aufzeigen und Verbesserungsmöglichkeiten identifizieren, um den Forschungs- und Innovationsstandort Europa langfristig wieder attraktiv(er) zu gestalten
  2. Förderung eines konstruktiven und weiterführenden Dialogs zwischen politischen Entscheidungsträger\*innen, Forschungseinrichtungen und Wirtschaftsakteuren
  3. Aufzeigen der entstehenden neuen Problematik für Patient\*innen, Betroffene, Forschung und Wirtschaft

## Themenblöcke der Diskussion

### 1. Orphan Drugs – Patient\*innenbeteiligung als Schraubstelle

- Orphan Drugs sind aufgrund der vielen seltenen Erkrankungen und der medizinischen Versorgung eine Herausforderung für Forschung und Diagnostik. Die Bestimmung des „signifikanten Nutzens/High Unmet Medical Need“ von Orphan Drugs und die erforderlichen rechtlichen Anpassungen sind angesichts der circa 8.000 seltenen Erkrankungen anspruchsvoll. Dabei spielt die Patient\*innenbeteiligung eine Schlüsselrolle, um den Versorgungskontext besser zu verstehen. Der Ausschuss für Humanarzneimittel kann in Betracht gezogen werden, um die Perspektiven von Patient\*innen systematisch in die Entscheidungsprozesse einzubinden.
- Bisher konnten bereits für 5% der Erkrankungen Therapien entwickelt werden. Eine Änderung der Regulierungen führt dazu, dass die Attraktivität für die Entwicklung neuer Therapien sinkt.
- Eine patientenzentrierte, umfassende Definition des ungedeckten medizinischen Bedarfs ((high) unmet medical need) soll Anreize für die Forschung schaffen, um den Bedürfnissen von Menschen mit seltenen Krankheiten gerecht zu werden. Die von der EU-Kommission vorgeschlagene restriktive Definition des „signifikanten Nutzens/High Unmet Medical Need“ kann die Entwicklung von Innovation behindern.
- Preisverhandlungen sind komplex, wenn keine klare Zuordnung zu einer seltenen Erkrankung erfolgt. Ohne den „passenden“ medizinischen Bedarf wird es aus Sicht der Industrie schwierig, angemessene Preise zu erzielen, was die Innovation hemmen kann.
- Expert\*innen halten es für schwierig, frühzeitig die Exklusivität eines Arzneimittels im Zusammenhang mit "High Unmet Medical Need" festzulegen. Die Wirksamkeit eines Arzneimittels ist zum Zeitpunkt der Zulassung oft noch nicht vollständig erforscht.
- Für eine wissenschaftlich fundierte Definition von „signifikanter Nutzen/High Unmet Medical Need“ schlagen Expert\*innen folgende Ansätze vor:
  - o Der Einsatz von „Real World Evidence“/Fallbeispielen hilft, die zunächst unbekanntesten Aspekte von Arzneimitteln und Erkrankungen zu entdecken. Diese Erkenntnisse sollten in eine umfassende Definition einfließen.
  - o Ein adaptives Definitionssystem bietet Pharmaunternehmen und Betroffenen Sicherheit und Flexibilität bei der Entwicklung neuer Wirkstoffe.
  - o Ein Beispiel ist Mukoviszidose: Für Unterformen besteht noch ein hoher medizinischer Bedarf, da gängige Medikamente nicht wirken. Man muss die Unterschiede erkennen können – der Begriff "signifikanter Nutzen/High Unmet Medical Need" sollte flexibel und lernfähig gestaltet sein.

### 2. Unterlagenschutz

- Der Schutz von Unterlagen geht mit dem Ziel eines adaptiven Definitionssystems für den „signifikanten Nutzen/High Unmet Medical Need“ im Bereich seltener Erkrankungen einher. Ein attraktiver Unterlagenschutz mit der Möglichkeit zur Verlängerung ist wichtig, wenn ein Arzneimittel erfolgreich entwickelt wird.
- Änderungen der Auflagen und Genehmigungen für den Unterlagenschutz führen zu Unsicherheit in der Forschungs- und Entwicklungslandschaft und hemmen Innovationen.
- Die vorgeschlagenen Regelungen sehen einen zehnjährigen Unterlagenschutz für Orphan Drugs vor. Für jede zusätzliche Indikation kommt es allerdings nur zu einer einjährigen Verlängerung des Unterlagenschutzes.
- Aus Sicht von Forschung & Entwicklung ist dies unattraktiv, da der Aufwand und die Kosten

- enorm sind und entsprechend vergütet werden müssen. Klare, verlässliche und attraktive Regeln sind nötig, um die Entwicklung mehrerer Medikamente zu fördern.
- Die Marktexklusivität für Orphan Drugs soll Investitionen in diesem Bereich attraktiver machen. Die ursprüngliche Verkürzung der Exklusivitätsdauer wird unter bestimmten Auflagen teilweise rückgängig gemacht, wenn spezifische Bedingungen erfüllt sind. Dies könnte die Sicherheit für Investoren erhöhen, da sie klarere Informationen darüber erhalten, wann und wie sie von ihrer Investition profitieren können.
- Diese Balance zwischen klaren Anreizen und der Erfüllung notwendiger Bedingungen ist entscheidend, um sowohl Investitionen zu fördern als auch sicherzustellen, dass die Medikamente einen hohen medizinischen Bedarf decken.

### 3. Zeitgleiche Markteinführung von Arzneimitteln in allen 27 EU-Staaten

- Um eine zeitgleiche Markteinführung in allen 27 EU-Mitgliedstaaten zu gewährleisten, muss das HTA-Verfahren besser organisiert und erklärt werden. Verbesserungen im Rahmen des „Joint Procurement“ sind ebenfalls denkbar.
  - o Während der Pandemie hat die EU gemeinsam Impfstoffe eingekauft („Joint Procurement“), da ein gemeinsames Verständnis über den Nutzen bestand. Expert\*innen sehen die Herausforderung, diesen Prozess auf allgemeine Arzneimittel zu übertragen, was ein gemeinsames HTA-Verfahren erfordert.
  - o Obwohl die EMA die Zulassung einheitlich regelt, variieren die Preisgestaltung und die Leistung der Medikamente auf nationaler Ebene erheblich.
- Es fehlt an einer EU-weiten Regulierung für den Value Access. Bürokratische Hürden verzögern die Verfügbarkeit von Produkten auf den nationalen Märkten.
- Das vorgeschlagene Access Proposal würde daher ohne weitere Anpassungen keine Verbesserungen bewirken. Eine Deregulierung wäre zunächst notwendig.
- Es braucht neue Ansätze, um zentral zugelassene Arzneimittel in weiteren Ländern auf den Markt zu bringen.
- „International Reference Pricing“ stellt eine Herausforderung hinsichtlich der Wettbewerbsfähigkeit von Produkten innerhalb Europas dar:
  - o Solange höherpreisige Länder wie Deutschland oder skandinavische Staaten die niedrigeren Preise in Ländern wie Griechenland und Rumänien subventionieren, wird die Wettbewerbsfähigkeit durch sinkende Preise negativ beeinträchtigt.
  - o Im Rahmen der Verabschiedung des EU Pharma Packages wird der Ministerrat nationale Komponenten wie Kostenerstattungen berücksichtigen. Reduzierte Exklusivität wird schneller zu Generika und niedrigeren Kosten führen, was generell von Staaten begrüßt wird, jedoch nicht von Unternehmen.

### 4. Regulatory Sandboxes

- Um Innovationen in Europa und Deutschland zu fördern, verlangen Unternehmen Flexibilität und Ansätze zur „conditional marketing authorisation“ (bedingte Marktzulassung) von Zulassungsbehörden.
- Eine „Regulatory Sandbox“ bietet Herstellern von Arzneimitteln mehr Flexibilität auf regulatorischer Ebene. Dieser Ansatz hat sich während der Pandemie bewährt, als Impfstoffe in kürzester Zeit entwickelt und zugelassen wurden – aber eben im Rahmen einer „conditional marketing authorization“. Diese Idee sollte weiterentwickelt werden und der Sandbox-Ansatz ist dabei eine wichtige Methode.
  - o Die europäische Union handelte während der Covid-Pandemie flexibel, indem sie „Advanced Therapy Medicinal Products“ (ATMPs) in den Markt einführte. Dies unterstreicht die theoretische Wettbewerbsfähigkeit der europäischen Union.

- Neben der FDA (USA) ist die EMA als weltweit führende Zulassungsbehörde etabliert, was die Bedeutung Europas für den Arzneimittelmarkt aufzeigt. Es ist jedoch notwendig, das Regelwerk kontinuierlich anzupassen und auch die Plattformtechnologien einzubeziehen.
  - o Hinsichtlich der Regulatory Sandboxes sollten auch sogenannte „Platform Approaches“ in Betracht gezogen werden. So können bereits erfasste Daten aus früheren Studien genutzt werden, um schnellstmöglich auf diesen Erkenntnissen für neue oder weiterentwickelte Krankheiten aufzubauen. Während der Pandemie nutzte man erfolgreich den Ansatz, um auf Basis der Wuhan-Virus-Daten schnell einen Impfstoff für den Omikron-Virus zu entwickeln und zuzulassen.
- Unternehmen benötigen regulatorische Rechtssicherheit, während Patient\*innen die Arzneimittelsicherheit betonen.
- Die Behörden sollten dabei eng zusammenarbeiten, um einen funktionierenden Regulatory Sandbox Approach sicherzustellen. Dadurch können Prozesse wie die sogenannte Rolling Review der EMA durchgeführt und Zulassungen basierend auf Real-World-Daten ermöglicht werden, was Europa als Standort für Innovationen attraktiver darstellt.

## **5. Zukunftsweisende Entwicklungen und Herausforderungen in Forschung, Medizin und Pharmaindustrie in Europa**

- Die Forschungsförderung hat innerhalb der EU einen hohen Stellenwert. Das Horizon Europe Forschungsprogramm ist mit über 95 Millionen Euro das weltweit größte Programm. Es startete 2021 mit einer Laufzeit von sechs Jahren und zielt darauf ab, bahnbrechende Forschung und Innovation in Europa zu fördern, um globale Herausforderungen zu bewältigen und die Wettbewerbsfähigkeit Europas zu stärken.
  - o Ein Viertel der Programme umfasst deutsche Forschungsinstitute, 37% sind deutsche Unternehmen und über 30% der deutsche Hochschulsektor.
  - o Allerdings wurde erst 2023 die deutsche Komponente hierzu verabschiedet. Daher soll zukünftig die Synchronisation zwischen deutschen und europäischen Programmen verbessert und effektiver genutzt werden.
- Die Fokussierung auf „Companion Diagnostics“, insbesondere bei Orphan Drugs, ist entscheidend für die Zukunft. Dafür benötigt die EMA mehr Flexibilität. Dies kann die Attraktivität des europäischen Standorts erhöhen und die Arzneimittelproduktion in Europa sichern.
- Zugleich reduziert sich so die Abhängigkeit von China. Die Planungssicherheit sowie Flexibilität der Unternehmen im internationalen Wettbewerb werden erhöht.
- Die Summe der regulatorischen Anforderungen beeinflusst die Bewertung von Unternehmen, die in einem Land investieren möchten. Im Falle einer Überregulierung wird die Innovationsfähigkeit beeinträchtigt und sorgt für einen verspäteten Marktzugang für investierende Unternehmen.
- Für die Patient\*innenbeteiligung liegen Herausforderungen in:
  - o begrenztem Zugang zu Informationen.
  - o der Notwendigkeit strukturierter Daten, ähnlich wie in den nordischen Staaten während der Pandemie.
  - o einer breiten Beteiligung am HTA-Verfahren beteiligt.
- Die verschiedenen Gesundheitssysteme und Versorgungsstrukturen der EU-Länder erschweren eine einheitliche Bewertung des Medikamentennutzens und machen die Preisgestaltung schwieriger. Die Markteinführung von Medikamenten in der EU nach Zulassung und Preisverhandlungen verläuft in der Regel reibungslos, birgt jedoch spezielle Herausforderungen, wie z.B. unterschiedliche Regulierungen und Erstattungsverfahren in den EU-Mitgliedsstaaten.
- Die Durchführung von Studien in Deutschland ist für Pharmaunternehmen komplex. Das liegt

- unter anderem daran, dass Genehmigungen, Rekrutierungen und Studien unterschiedlich schnell ablaufen und Patient\*innen für klinische Studien unterschiedlich verfügbar sind.
  - o In Deutschland ist eine heterogene Entscheidungskultur bei der Bewertung von Anträgen auf klinische Prüfungen zu beobachten, die zu unterschiedlichen Entscheidungen in verschiedenen Bundesländern für ein und dieselbe Studie führen kann. Eine Vereinheitlichung der Entscheidungsfindung ist daher anzustreben. Als Lösung schlägt das Medizinforschungsgesetz (MfG) eine zentrale Ethikkommission vor.
  - o Studien bieten Patient\*innen ohne Therapieoptionen Hoffnung auf eine längere Lebensdauer. Patientenorganisationen unterstützen sie dabei mit eigenen Studienregistern und indem sie selbst Forschung initiieren. Allerdings müssen dabei relativ hohe Anforderungen erfüllt werden.
  - o Beschleunigte Verfahren für Studien und Zulassungen müssen besser in das regulatorische System integriert werden, um den Bedarf an Medikamentenzulassungen zu decken.
  - o Die neue Bundesdatenschutzbeauftragte, Prof. Dr. Louisa Specht-Riemenschneider, will nicht nur Daten weiterhin schützen, sondern auch Datenschutz und Innovation fördern.
- Trotz der aufgeführten Herausforderungen bleibt Europa prinzipiell ein attraktiver und robuster Standort für Forschung und Entwicklung in der Pharmazie. Es ist entscheidend, Unternehmen flexibles und sicheres Agieren zu ermöglichen, um Innovationen voranzutreiben und Europa als führenden internationalen Standort in der Forschung und Entwicklung von Arzneimitteln zu erhalten.
  - o