



Brüssel, den 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 1/2

ARBEITSUNTERLAGE DER KOMMISSIONSDIENSTSTELLEN
BERICHT ÜBER DIE FOLGENABSCHÄTZUNG (ZUSAMMENFASSUNG)

Zusammenfassung der Folgenabschätzung

Begleitunterlage zum

Vorschlag für eine Richtlinie des Europäischen Parlaments und des Rates zur Schaffung eines Unionskodexes für Humanarzneimittel und zur Aufhebung der Richtlinie 2001/83/EG und der Richtlinie 2009/35/EG

Vorschlag für eine Verordnung des Europäischen Parlaments und des Rates zur Festlegung der Verfahren der Union für die Zulassung und Überwachung von Humanarzneimitteln und zur Festlegung von Vorschriften für die Europäische Arzneimittel-Agentur, zur Änderung der Verordnung (EG) Nr. 1394/2007 und der Verordnung (EU) Nr. 536/2014 sowie zur Aufhebung der Verordnung (EG) Nr. 726/2004, der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 und der Verordnung (EG) Nr. 1901/2006

{COM(2023) 192 final} - {COM(2023) 193 final} - {SEC(2023) 390 final} -
{SWD(2023) 191 final} - {SWD(2023) 192 final}

1. Handlungsbedarf

Worin besteht das Problem und warum muss ihm auf EU-Ebene begegnet werden?

Das EU-Arzneimittelrecht hat die Zulassung sicherer, wirksamer und hochwertiger Arzneimittel ermöglicht. Allerdings gibt es im Hinblick auf den EU-weiten Zugang der Patienten zu Arzneimitteln und die Versorgungssicherheit zunehmende Bedenken, die in aktuellen Schlussfolgerungen des Rates und Entschlüssen des Europäischen Parlaments zum Ausdruck kommen. Das Arzneimittelrecht enthält regulatorische Anreize und fördert Innovationen, doch diese Innovationen sind nicht immer auf die medizinischen Versorgungslücken ausgerichtet, und es gibt Fälle von Marktversagen, insbesondere bei der Entwicklung neuartiger antimikrobieller Mittel, die zur Bekämpfung antimikrobieller Resistenzen beitragen können. Das Potenzial wissenschaftlicher und technologischer Entwicklungen und der Digitalisierung wird nicht ausgeschöpft, während größeres Augenmerk auf die Umweltauswirkungen von Arzneimitteln gelegt werden muss. Das Zulassungssystem selbst könnte sinnvoll vereinfacht werden, damit es mit dem globalen Regulierungswettbewerb Schritt halten kann. Die Probleme werden durch Faktoren verschärft, die nicht in den Geltungsbereich des Arzneimittelrechts fallen, wie z. B. globale Forschungs- und Innovationstätigkeiten oder nationale Entscheidungen über Preisfestsetzung und Kostenerstattung. Daher können nicht alle Probleme allein durch die Überarbeitung der Rechtsvorschriften gelöst werden. Dennoch kann das Arzneimittelrecht der EU ein förderndes Element und Anknüpfungspunkt für Innovation, Zugang, Erschwinglichkeit und Umweltschutz sein.

Was soll erreicht werden?

Die Initiative baut auf dem hohen Niveau auf, das beim Schutz der öffentlichen Gesundheit und der Harmonisierung der Arzneimittelzulassung besteht, sodass Patienten in der gesamten EU frühzeitigen und gleichen Zugang zu den benötigten Arzneimitteln haben und zuverlässig mit ihnen versorgt werden können. Um die globale Wettbewerbsfähigkeit und Innovationskraft des Sektors zu unterstützen, ist ein ausgewogenes Verhältnis zwischen Innovationsanreizen, auch in Bezug auf die medizinischen Versorgungslücken, und Maßnahmen zur Sicherstellung des Zugangs und der Erschwinglichkeit erforderlich. Der Rechtsrahmen muss vereinfacht und an den wissenschaftlichen und technologischen Wandel angepasst werden und dazu beitragen, dass die Umweltauswirkungen von Arzneimitteln verringert werden.

Worin besteht der Mehrwert des Tätigwerdens auf EU-Ebene (Subsidiarität)?

Die Sicherstellung des Zugangs zu Arzneimitteln liegt eindeutig im Interesse der öffentlichen Gesundheit in der EU. Der derzeitige Stand der Harmonisierung zeigt, dass die Zulassung von Arzneimitteln auf EU-Ebene wirksam geregelt werden kann. Unkoordinierte Maßnahmen der Mitgliedstaaten können bei Produkten, die für die gesamte EU relevant sind, zu Wettbewerbsverzerrungen und Hemmnissen für den Handel innerhalb der EU führen. Im Rahmen der Initiative bleibt die ausschließliche Zuständigkeit der Mitgliedstaaten bei Gesundheitsdienstleistungen sowie Preisfestsetzung und Kostenerstattung gewahrt.

2. Lösungen

Worin bestehen die Optionen zur Verwirklichung der Ziele? Wird eine dieser Optionen bevorzugt? Falls nicht, warum nicht?

Es wurden drei Optionen geprüft, die alle durch eine Reihe gemeinsamer Elemente ergänzt werden:

1. gestraffte Regulierungsverfahren;
2. Maßnahmen, die auf den technologischen und wissenschaftlichen Fortschritt, einschließlich neuer Konzepte (z. B. Evidenz aus der Praxis), die Verwendung von Gesundheitsdaten sowie elektronische Einreichungen und elektronische Produktinformationen, ausgerichtet sind;
3. verstärkte Zusammenarbeit mit anderen Regulierungssystemen und frühzeitiger Dialog mit Akteuren, die im Lebenszyklus von Arzneimitteln tätig sind, z. B. in Bezug auf Medizinprodukte und die Bewertung von Gesundheitstechnologien;
4. angepasste Anforderungen an die Umweltrisikobewertung von Arzneimitteln, die genetisch veränderte Organismen enthalten oder aus solchen bestehen;
5. Maßnahmen zur umsichtigen Verwendung antimikrobieller Mittel.

Bei **Option A** wird das derzeitige System des rechtlichen Schutzes für innovative Arzneimittel (Originalpräparate) (acht Jahre Datenschutz plus zwei Jahre Marktschutz) beibehalten, und es wird ergänzt durch einen Schutz von einem Jahr für Arzneimittel, die eine medizinische Versorgungslücke schließen, sowie sechs Monaten für vergleichende klinische Prüfungen. Außerdem wird der rechtliche Schutz um sechs Monate verlängert, wenn ein innovatives Arzneimittel innerhalb von fünf Jahren nach der Zulassung in allen Mitgliedstaaten zugänglich gemacht wird. Für neuartige antimikrobielle Mittel, die antimikrobielle Resistenzen verringern, wird ein übertragbarer Gutschein für den Unterlagenschutz gewährt. Mit dem Gutschein wird der regulatorische Schutz um ein Jahr verlängert. Er kann an ein anderes Unternehmen zur Verwendung für ein Produkt in dessen Portfolio verkauft werden. Die derzeitigen Anforderungen an die Versorgungssicherheit werden beibehalten (Meldung von Rücknahmen mindestens zwei Monate im Voraus). Die bestehenden Anforderungen an die Umweltrisikobewertung gelten weiterhin und werden durch zusätzliche Informationspflichten ergänzt.

Option B sieht für alle innovativen Arzneimittel sechs Jahre Datenschutz plus zwei Jahre Marktschutz vor. Hinzu kommt für Arzneimittel, die eine medizinische Versorgungslücke schließen oder durch die nachweislich keine Kapitalrendite erwirtschaftet wird, ein regulatorischer Schutz von weiteren zwei Jahren. Unternehmen müssen entweder ein antimikrobielles Mittel in ihrem Portfolio haben oder in einen Fonds einzahlen, aus dem die Entwicklung neuer antimikrobieller Mittel finanziert wird. Unternehmen werden verpflichtet, Arzneimittel mit EU-weiter Zulassung in der Mehrheit der Mitgliedstaaten (einschließlich kleiner Märkte) einzuführen und in Bezug auf die erhaltenen öffentlichen Mittel transparent sein. Die derzeitigen Anforderungen an die Versorgungssicherheit werden beibehalten, und die Unternehmen sind verpflichtet, Zulassungen vor deren Rücknahme einem anderen Unternehmen zur Übertragung anzubieten. Die Umweltrisikobewertung geht mit zusätzlichen Pflichten für Unternehmen einher.

Option C sieht Zeiträume variierender Dauer für den rechtlichen Datenschutz kombiniert mit Pflichten vor. Der rechtliche Schutz von Originalpräparaten wird in Standardzeiträume und bedingte Zeiträume aufgeteilt. Der Standardzeitraum beträgt sechs Jahre Datenschutz plus zwei Jahre Marktschutz, der um einen (bedingten) Zeitraum von einem Jahr oder zwei Jahren verlängert werden kann, wenn das Arzneimittel in allen Mitgliedstaaten zugänglich gemacht wird. Für Originalpräparate, die eine medizinische Versorgungslücke schließen, kann der Schutz auch um ein Jahr bzw. um sechs Monate für vergleichende Prüfungen verlängert werden. Anreize können kombiniert werden, dürfen aber den derzeitigen rechtlichen Schutz

(acht plus zwei Jahre) nicht überschreiten. Zur Bekämpfung antimikrobieller Resistenzen werden übertragbare Gutscheine für den Unterlagenschutz wie in Option A geprüft. Unternehmen müssen Informationen über die öffentliche Finanzierung klinischer Prüfungen bereitstellen. Die Regelungen für die Meldung von Engpässen werden harmonisiert, und nur kritische Engpässe werden auf EU-Ebene gemeldet. Die Unternehmen werden verpflichtet, mögliche Engpässe früher zu melden und Zulassungen vor deren Rücknahme einem anderen Unternehmen zur Übertragung anzubieten. Die Anforderungen an die Umweltrisikobewertung und die Verwendungsbedingungen werden wie in Option B verschärft, wobei zusätzlich Aspekte bezüglich antimikrobieller Resistenz in die Gute Herstellungspraxis aufgenommen werden.

Welchen Standpunkt vertreten die verschiedenen Interessenträger? Wer unterstützt welche Option?

Es gibt eine weitgehende Übereinstimmung dahin gehend, dass das derzeitige Arzneimittelsystem ein hohes Maß an Patientensicherheit gewährleistet, auf dem die Überarbeitung aufbauen kann, um neue Herausforderungen zu bewältigen sowie die Versorgung mit sicheren und erschwinglichen Arzneimitteln und den Zugang der Patienten zu verbessern und Innovationen zu fördern, insbesondere in Bereichen, in denen Lücken bei der medizinischen Versorgung von Patienten bestehen. Bürger, Patientenorganisationen und Organisationen der Zivilgesellschaft erwarten, dass EU-weit für gleichen Zugang zu innovativen Therapien – auch in Bereichen mit medizinischen Versorgungslücken – und eine kontinuierliche Versorgung mit den benötigten Arzneimitteln gesorgt wird. Behörden und Patientenorganisationen sprechen sich dafür aus, beim derzeit wichtigsten Anreiz eine variable Laufzeit vorzusehen, wie es bei der Option C der Fall ist. Die Arzneimittelindustrie spricht sich gegen eine Abstufung oder Verkürzung der Anreize aus und befürwortet die Einführung zusätzlicher oder neuartiger Anreize. Zudem wurde seitens der Industrie betont, dass die derzeitigen rechtlichen Rahmenbedingungen stabil und die Anreize vorhersehbar bleiben müssten. Die in der Option C vorgesehenen Elemente zum Umweltschutz, zur regulatorischen Unterstützung von Einrichtungen ohne Erwerbszweck und zum Drug Repurposing (Verwendung vorhandener Arzneimittel für neue Indikationen) wurden von wichtigen Interessenträgern wie Gesundheitsdienstleistern, Wissenschaftseinrichtungen und Umweltorganisationen unterstützt.

3. Auswirkungen der bevorzugten Option

Worin bestehen die Vorteile der bevorzugten Option bzw. der wesentlichen Optionen?

Die abgestufte Anreizregelung stellt einen Ausgleich zwischen attraktiven Anreizen für Innovationen und der Förderung eines zeitnahen Zugangs der Patienten zu innovativen Behandlungen in der gesamten EU her. Der zusätzliche Anreiz im Bereich der medizinischen Versorgungslücken wird zu mehr Arzneimitteln führen, was der öffentlichen Gesundheit zugutekommt. Maßnahmen zur Förderung der Entwicklung neuartiger antimikrobieller Mittel und zur umsichtigen Verwendung werden das Problem der zunehmenden Antibiotikaresistenz bekämpfen. Maßnahmen zur Erleichterung eines früheren Markteintritts von Generika und Biosimilars werden die Erschwinglichkeit fördern. Durch eine zukunftssichere Gestaltung des Rahmens werden bahnbrechende Technologien und die Digitalisierung berücksichtigt. Durch Maßnahmen zur Versorgungssicherheit werden Engpässe verringert. Die Vereinfachung und die langfristigen Vorteile der Digitalisierung sorgen für Einsparungen (die für die Industrie in den nächsten 15 Jahren zwischen 525 und 1050 Mio. EUR liegen werden) und dürften alle neuen Verwaltungskosten kompensieren und zu einer schnelleren Zulassung und effizienteren Nutzung von Ressourcen führen. Die öffentlichen Gesundheitshaushalte würden von einem

stärkeren Wettbewerb und von Transparenzmaßnahmen im Bereich der öffentlichen Finanzierung klinischer Prüfungen profitieren. Eine solidere Umweltrisikobewertung wird Umweltziele unterstützen.

Welche Kosten entstehen bei Umsetzung der bevorzugten Option bzw. der wesentlichen Optionen?

Der Industrie werden Kosten durch die strengeren Anforderungen hinsichtlich der Meldung von Engpässen und Umweltrisiken sowie durch die Umsetzung der Marktzugangsbedingungen entstehen. Unternehmen, die nicht sicherstellen, dass ihre Arzneimittel zu Patienten in allen Mitgliedstaaten gelangen, erwirtschaften möglicherweise eine geringere Kapitalrendite. Option C würde einen deutlich besseren Zugang der Patienten zu innovativen Arzneimitteln (+ 8 bis + 15 %) und einen höheren Anteil von Arzneimitteln, mit denen medizinische Versorgungslücken geschlossen werden, bieten.

Die öffentlichen Mittel für Investitionen in antimikrobielle Mittel werden sich auf ungefähr 500 Mio. EUR belaufen, und die Kosten für die Gesundheitssysteme würden sich durch die Generikaindustrie und vergleichende Prüfungen, die Entscheidungen über Preisfestsetzung und Kostenerstattung unterstützen, erhöhen (um 326 bis 408 Mio. EUR). Diese Kosten würden jedoch durch die Kosteneinsparungen ausgeglichen werden, die sich aus den abgestuften Anreizen und Vorteilen ergeben, wie z. B. schnellere und bessere Entscheidungen über die Kostenerstattung aufgrund vergleichender Prüfungen. Neue Verpflichtungen zur Vermeidung von Engpässen und zur Einhaltung von Umweltstandards werden zusätzliche Kosten für die Unternehmen mit sich bringen (30 Mio. EUR pro Jahr). Die Generika- und Biosimilars-Industrie wird von Maßnahmen für einen früheren Markteintritt, der Vereinfachung der Anforderungen und der Straffung der Verfahren profitieren.

Für Unternehmen, die medizinische Versorgungslücken schließen und den Zugang der Patienten in der gesamten EU sicherstellen, werden die derzeitigen Anreize weiterhin gelten. Die EU wird daher für Arzneimittelentwickler weiterhin ein attraktiver Markt bleiben, in dem die Anzahl entwickelter Arzneimittel zunimmt, insbesondere in Bereichen, in denen medizinische Versorgungslücken bestehen.

Welche Auswirkungen hat die Initiative auf kleine und mittlere Unternehmen (KMU)?

Für KMU ist es möglicherweise schwieriger, sich an die abgestuften Anreize im Zusammenhang mit der Markteinführung anzupassen, da sie oft nicht in der Lage sind, alle Mitgliedstaaten zeitnah zu beliefern. Allerdings könnten besondere Bedingungen für KMU ins Auge gefasst werden, um diese Auswirkungen abzumildern. Sie könnten auch stärker von den Anreizen im Bereich medizinischer Versorgungslücken profitieren, da sie stärker in die risikoreichere Forschung und Entwicklung in unversorgten Bereichen eingebunden sind. Aus denselben Gründen würde die Einführung übertragbarer Gutscheine für den Unterlagenschutz für neuartige antimikrobielle Mittel KMU dabei helfen, Investitionen in Forschung und Entwicklung anzuziehen. Zusätzliche (umwelt- und angebotsbezogene) Verpflichtungen würden den Verwaltungsaufwand sowie den Aufwand für die Einhaltung der Vorschriften erhöhen. Andererseits würden KMU eher von „systemischen“ Veränderungen profitieren. Die Vereinfachung der Verfahren, die breitere Nutzung elektronischer Verfahren und die Verringerung des Verwaltungsaufwands sind besonders wichtig und dürften die Kosten senken. Darüber hinaus werden KMU von verstärkter wissenschaftlicher Beratung, regulatorischer Unterstützung und Gebührenermäßigungen profitieren.

Wird es spürbare Auswirkungen auf nationale Haushalte und Behörden geben?

Maßnahmen, die den Zugang zu Arzneimitteln sowie Arzneimittel für medizinische Versorgungslücken betreffen, würden sich in monetärer Hinsicht positiv oder neutral auf nationale Gesundheitshaushalte auswirken. Darüber hinaus werden durch Einsparungen aufgrund vermiedener Krankenhausaufenthalte und ambulanter Behandlungen zusätzliche positive indirekte Auswirkungen auf die Haushalte erwartet. Übertragbare Gutscheine für den Unterlagenschutz würden die Kosten für Gesundheitssysteme erhöhen. Diese Kosten müssen vor dem Hintergrund der Bedrohung durch resistente Bakterien und der Kosten der Antibiotikaresistenz in Form von Todesfällen (33 000 jährlich), Gesundheitskosten und Produktivitätsverlusten (1,5 Mrd. EUR jährlich in der EU) betrachtet werden.

Wird es andere nennenswerte Auswirkungen geben?

Die wichtigste Auswirkung wird ein breiterer und schnellerer EU-weiter Zugang der Patienten zu innovativen Arzneimitteln sein. Darüber hinaus würden Investitionen in die Forschung und Entwicklung die Behandlungsmöglichkeiten verbessern und Patienten zugutekommen, insbesondere in Bereichen mit medizinischen Versorgungslücken. Es wird erwartet, dass sich strengere Anforderungen an die Umweltrisikobewertung positiv auf die Umwelt auswirken. Maßnahmen zur umsichtigen Verwendung antimikrobieller Mittel werden das Risiko einer Resistenzentwicklung verringern. Vergleichende Prüfungen und eine bessere Koordinierung hinsichtlich des Lebenszyklus würden eine bessere Evidenzbasis für Entscheidungen über Preisfestsetzung und Kostenerstattung auf nationaler Ebene schaffen und könnten zu einer besseren Verfügbarkeit von Arzneimitteln nach der Zulassung beitragen. Die horizontalen Elemente werden die Wirksamkeit des Systems erhöhen und die Kosten für Unternehmen und Verwaltungen senken.

Verhältnismäßigkeit?

Die Initiative geht nicht über das Maß hinaus, das zur Verwirklichung der Ziele der Überarbeitung erforderlich ist. Dabei wird in einer Weise vorgegangen, die nationalen Maßnahmen förderlich ist, die andernfalls nicht ausreichen würden, um diese Ziele in zufriedenstellender Weise zu erreichen.

4. Folgemaßnahmen

Wann wird die Maßnahme überprüft?

Die Entwicklung neuer Arzneimittel ist ein langwieriger Prozess, der bis zu 10 bis 15 Jahre dauern kann. Die Auswirkungen von Anreizen und Vergünstigungen zeigen sich daher erst viele Jahre nach dem Zeitpunkt der Zulassung. Auch der Nutzen für die Patienten muss über einen Zeitraum von mindestens fünf bis zehn Jahren nach der Zulassung eines Arzneimittels beurteilt werden. Die Kommission beabsichtigt, die Initiative regelmäßig zu überprüfen. Eine aussagekräftige Bewertung der Ergebnisse der überarbeiteten Rechtsvorschriften ist jedoch frühestens 15 Jahre nach deren Inkrafttreten möglich.



EUROPÄISCHE
KOMMISSION

Brüssel, den 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 2/2

ARBEITSUNTERLAGE DER KOMMISSIONSDIENSTSTELLEN
BERICHT ÜBER DIE FOLGENABSCHÄTZUNG (ZUSAMMENFASSUNG)

Zusammenfassung der Folgenabschätzung

Begleitunterlage zum

Vorschlag für eine Richtlinie des Europäischen Parlaments und des Rates zur Schaffung eines Unionskodexes für Humanarzneimittel und zur Aufhebung der Richtlinie 2001/83/EG und der Richtlinie 2009/35/EG

Vorschlag für eine Verordnung des Europäischen Parlaments und des Rates zur Festlegung der Verfahren der Union für die Zulassung und Überwachung von Humanarzneimitteln und zur Festlegung von Vorschriften für die Europäische Arzneimittel-Agentur, zur Änderung der Verordnung (EG) Nr. 1394/2007 und der Verordnung (EU) Nr. 536/2014 sowie zur Aufhebung der Verordnung (EG) Nr. 726/2004, der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 und der Verordnung (EG) Nr. 1901/2006

{COM(2023) 192 final} - {COM(2023) 193 final} - {SEC(2023) 390 final} -
{SWD(2023) 191 final} - {SWD(2023) 192 final}

A. Handlungsbedarf

Worin besteht das Problem und warum muss ihm auf EU-Ebene begegnet werden?

Die Evaluierung der Rechtsvorschriften über Kinderarzneimittel und Arzneimittel für seltene Leiden hat gezeigt, dass die beiden Verordnungen die Entwicklung von Arzneimitteln in den letzten 20 Jahren wirksam gefördert haben. Seit ihrem Erlass gab es in der Wissenschaft jedoch weitreichende Entwicklungen und Entdeckungen und es kam zu einer Globalisierung des Arzneimittelsektors. Diese Veränderungen, die die Aufmerksamkeit auf medizinische Versorgungslücken, den Zugang der Patienten und die Auswirkungen von Arzneimitteln auf den Haushalt gerichtet haben, erfordern eine Überprüfung der politischen Maßnahmen in den Bereichen Arzneimittel für seltene Leiden und Kinderarzneimittel.

Bei der im Jahr 2020 veröffentlichten Evaluierung der beiden Verordnungen wurden folgende Probleme festgestellt:

1. Die medizinische Versorgung von Kindern und Patienten mit seltenen Krankheiten ist häufig unzureichend.
2. Der Preis von Arzneimitteln stellt eine Herausforderung für die Gesundheitssysteme dar (Erschwinglichkeit).
3. Patienten haben innerhalb der EU nicht den gleichen Zugang zu Arzneimitteln.
4. Das System trägt Innovationen nicht ausreichend Rechnung und verursacht unnötige Belastungen.

1) Von den über 6000 anerkannten seltenen Leiden gibt es für 95 % immer noch keine Behandlungsmöglichkeit. Die Entwicklung von Kinderarzneimitteln hängt nach wie vor von der Entwicklung von Arzneimitteln für Erwachsene ab. Weicht der therapeutische Bedarf von Erwachsenen vom Bedarf von Kindern ab, ist die Zahl der verfügbaren Behandlungsmöglichkeiten begrenzt.

2) Entscheidungen über Preisfestsetzung und Kostenerstattung sowie Arzneimittelausgaben fallen in die Zuständigkeit der Mitgliedstaaten und nicht in den Anwendungsbereich des EU-Arzneimittelrechts. Der durchschnittliche Listenpreis für neue Arzneimittel steigt, insbesondere für Arzneimittel für seltene Leiden. Hohe Preise wirken sich auf die Erschwinglichkeit sowie auf die Tragfähigkeit der Gesundheitssysteme aus. Die in den Rechtsvorschriften vorgesehenen Anreize verzögern den Markteintritt günstigerer Versionen von Arzneimitteln (Generika und Biosimilars), die andernfalls Arzneimittel für die Gesundheitssysteme erschwinglicher machen könnten.

3) Nur etwa die Hälfte der auf dem Markt befindlichen Arzneimittel für seltene Leiden ist derzeit den Patienten in der Mehrzahl der Mitgliedstaaten zugänglich, und der allgemeine Zugang variiert sehr stark zwischen den Mitgliedstaaten. Damit ist die Situation schlimmer als bei Standardarzneimitteln. Der Zugang zu Kinderarzneimitteln ist häufig mit der Einführung des entsprechenden Arzneimittels für Erwachsene verknüpft.

4) Fortschritte in der Wissenschaft, wie Arzneimittel für neuartige Therapien und das Konzept der personalisierten Medizin, haben für Patienten mit seltenen Leiden bereits eine Verbesserung in Bezug auf zielgerichtete Behandlungen bewirkt. Angesichts dieser neuen Arzneimittel wurde das derzeitige System der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden infrage gestellt, in dem die Kriterien festgelegt sind, die ein Arzneimittel erfüllen muss, um eine Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden zu erhalten. Darüber hinaus stützt sich die Verordnung über Kinderarzneimittel auf bestimmte Verfahren (Billigung eines pädiatrischen Prüfkonzepts in einem frühen Entwicklungsstadium), die sich bisweilen als aufwendig und ineffizient erwiesen haben.

Was soll erreicht werden?

Das übergeordnete Ziel dieser Initiative besteht darin, ein hohes Gesundheitsschutzniveau für alle EU-Bürger zu gewährleisten und sicherzustellen, dass Kinder und Patienten mit seltenen Leiden Zugang zu erschwinglichen hochwertigen Arzneimitteln sowie zu sicheren und wirksamen Therapien haben, um ihrem medizinischen Bedarf gerecht zu werden.

Worin besteht der Mehrwert des Tätigwerdens auf EU-Ebene (Subsidiarität)?

Es wird erwartet, dass die Initiative durch die Verbesserung des Systems der Anreize, Vergünstigungen und Verpflichtungen im Zusammenhang mit der Erforschung und Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Leiden und von Kinderarzneimitteln zu erheblichen Effizienzgewinnen führen und dazu beitragen wird, diese Arzneimittel für alle Patienten in der gesamten EU erschwinglicher und zugänglicher zu machen. Darüber hinaus könnte diese Überarbeitung das Funktionieren des Wettbewerbs auf dem Markt verbessern, indem andere Maßnahmen zur Erleichterung des Markteintritts von Generika und Biosimilars geprüft werden. Dies würde den Zugang für Patienten und die Erschwinglichkeit der Arzneimittel verbessern. Da der Markt für Arzneimittel für seltene Leiden und für Kinderarzneimittel sogar in größeren EU-Mitgliedstaaten klein ist, dürfte nur ein harmonisierter Ansatz auf EU-Ebene erfolgreich sein. Die vorgeschlagene Maßnahme ist mit anderen europäischen und nationalen Maßnahmen vereinbar.

B. Lösungen

Worin bestehen die Optionen zur Verwirklichung der Ziele? Wird eine dieser Optionen bevorzugt? Falls nicht, warum nicht?

Die Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden. Alle Optionen werden ergänzt durch eine Reihe gemeinsamer Elemente, die eine schnellere Einführung von Generika gewährleisten, durch Maßnahmen, damit Arzneimittel für seltene Leiden auf dem Markt bleiben und damit die notwendige Flexibilität für die Berücksichtigung technologischer und wissenschaftlicher Fortschritte geschaffen wird, sowie durch eine Vereinfachung der Verfahren.

Option A: Die zehnjährige Marktexklusivität wird beibehalten, und zusätzlich wird ein Gutschein für Arzneimittel eingeführt, die eine große medizinische Versorgungslücke bei Patienten schließen. Der Gutschein ermöglicht eine Verlängerung des rechtlichen Schutzes um ein Jahr. Er kann an ein anderes Unternehmen verkauft oder für ein Produkt im Portfolio dieses Unternehmens verwendet werden. **Option B:** Die derzeitige Marktexklusivität von zehn Jahren wird abgeschafft. **Option C:** Es sind Zeiträume *variierender* Dauer der Marktexklusivität von zehn, neun oder fünf Jahren vorgesehen, die sich nach der Art des Arzneimittels für seltene Leiden richtet (zur Schließung einer großen medizinischen Versorgungslücke, mit neuen Wirkstoffen, bzw. zur allgemeinen medizinischen Verwendung). Werden Arzneimittel zur Schließung großer medizinischer Versorgungslücken oder Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen in allen relevanten Mitgliedstaaten zur Verfügung gestellt, wird die Marktexklusivität für diese Arzneimittel um ein Jahr verlängert.

Option C ist die bevorzugte Option.

Die Verordnung über Kinderarzneimittel. Alle Optionen werden durch eine Reihe gemeinsamer Elemente ergänzt, die die Entwicklung von Arzneimitteln zum Schließen medizinischer Versorgungslücken bei Kindern unterstützen und die Verfahren zur Vereinbarung darüber, welche klinischen Studien bei Kindern durchgeführt werden müssen, straffen und erforderlichenfalls vereinfachen. Ziel ist es, wissenschaftlichen Innovationen besser Rechnung zu tragen und die Verfahren zu beschleunigen, um Arzneimittel für Kinder

schneller zugänglich zu machen.

Option A: Die Verlängerung des Rechts des geistigen Eigentums (ergänzendes Schutzzertifikat) um sechs Monate wird für alle Arzneimittel beibehalten, deren Verwendung bei Kindern untersucht wird. Für Arzneimittel, die medizinische Versorgungslücken bei Kindern schließen, wird eine zusätzliche Vergünstigung *entweder* in Form einer zusätzlichen Verlängerung des ergänzenden Schutzzertifikats um sechs Monate *oder* in Form eines Gutscheins für eine Verlängerung des rechtlichen Schutzes um ein Jahr gewährt. Dieser Gutschein kann an ein anderes Unternehmen verkauft oder für ein Produkt im Portfolio dieses Unternehmens verwendet werden. **Option B:** Die Verlängerung des ergänzenden Schutzzertifikats um sechs Monate wird abgeschafft. **Option C:** Die Verlängerung des ergänzenden Schutzzertifikats um sechs Monate wird beibehalten.

Option C ist die bevorzugte Option.

Welche Standpunkte vertreten die verschiedenen Interessenträger? Wer unterstützt welche Option?

Die Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden. Alle Interessenträger sind sich darin einig, dass die Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Leiden weiterhin mit spezifischen Anreizen unterstützt werden muss, da es andernfalls erneut zu einem Marktversagen kommen könnte. Behörden und Patientenorganisationen sprechen sich für eine Differenzierung des derzeit wichtigsten Anreizes aus, wie es bei Option C der Fall ist. Die Arzneimittelindustrie könnte die Abstufung der Anreize unterstützen, aber nicht ihre generelle Kürzung. Aus der Industrie kam der Vorschlag, im Vergleich zur derzeitigen Situation zusätzliche Anreize oder einen neuartigen Anreiz wie einen übertragbaren Gutschein für den Unterlagenschutz einzuführen. Vonseiten der Industrie wurde auch betont, dass die derzeitige Verordnung stabil bleiben muss und Vorhersehbarkeit in Form der derzeitigen Kriterien für die Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden erforderlich ist, da Investitionsentscheidungen getroffen werden, lange bevor die Anreize für eine erfolgreiche Entwicklung zum Tragen kommen können.

Die Verordnung über Kinderarzneimittel. Die Notwendigkeit, die bestehende Verpflichtung zur Prüfung aller neuen Arzneimittel zur Anwendung bei Kindern beizubehalten, wird von allen Interessenträgern allgemein befürwortet. In der Arzneimittelindustrie und der Wissenschaft wird generell die Verbesserung der Verfahren begrüßt. Die Verkürzung der Verlängerung des ergänzenden Schutzzertifikats wird von keiner Interessengruppe unterstützt. In der Industrie wird die Beibehaltung des bestehenden Systems befürwortet, es wird aber auch die Einführung zusätzlicher Vergünstigungen gefordert, um spezifische Entwicklungen in Bereichen mit medizinischen Versorgungslücken bei Kindern zu unterstützen. Die Behörden erkennen an, dass medizinische Versorgungslücken bei Kindern besser ermittelt werden müssen. Sie stimmen zu, dass das bestehende System der Verpflichtungen und Vergünstigungen relativ gut funktioniert hat, sind jedoch besorgt über eine Einführung neuartiger Vergünstigungen und deren Auswirkungen auf die Tragfähigkeit der nationalen Gesundheitssysteme.

C. Auswirkungen der bevorzugten Option

Worin bestehen die Vorteile der bevorzugten Option bzw. der wesentlichen Optionen?

Die Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden. Die bevorzugte Option C wird die Lebensqualität von Patienten mit seltenen Leiden und ihrer Familien verbessern, da die Patienten im Durchschnitt von ein bis zwei neuen Arzneimitteln pro Jahr profitieren werden, insbesondere in Bereichen, in denen derzeit keine Behandlung verfügbar ist. Originalpräparatehersteller profitieren aufgrund einer Verlängerung der Marktexklusivität für

Arzneimittel zum Schließen großer medizinischer Versorgungslücken. Generikahersteller profitieren von einem früheren und besser vorhersehbaren Markteintritt. Darüber hinaus dürfte die Vorhersehbarkeit für Generikahersteller steigen, da sie ihre Arzneimittel am Tag des Ablaufs der Marktexklusivität in **Verkehr** bringen können. Die Patienten werden aufgrund eines früheren Markteintritts von Generika einen besseren Zugang erhalten, was auch zu einer Kostensenkung für die Gesundheitssysteme der Mitgliedstaaten führen wird. Durch Vereinfachungsmaßnahmen würden jährlich Verwaltungskosten in Höhe von 3,3 Mio. EUR eingespart. Die Anreize speziell für Arzneimittel zum Schließen großer medizinischer Versorgungslücken werden Innovationen fördern und sollten Forschungsinvestitionen in die Bereiche umleiten, in denen sie am dringendsten benötigt werden. Somit werden sie die Wettbewerbsfähigkeit steigern.

Die Verordnung über Kinderarzneimittel. Mit der bevorzugten Option C wird die Zahl der Kinderarzneimittel erhöht, was die Lebensqualität der Kinder und ihrer Familien verbessern wird. Diese Option wird die Entwicklung von Arzneimitteln fördern, die medizinische Versorgungslücken bei Kindern schließen, indem klare Kriterien für die Ermittlung solcher Arzneimittel festgelegt werden. Außerdem wird die Anforderung eingeführt, dass bei Arzneimitteln, die nur für Erwachsene entwickelt wurden, auch die Anwendung bei Kindern geprüft werden muss, wenn es wissenschaftliche Evidenz gibt, dass diese Arzneimittel auch gegen eine Krankheit bei Kindern wirksam sein könnten. Verfahrensvereinfachungen und Anpassungen werden das System innovationsfreundlicher machen und zu einer rascheren Ausführung von pädiatrischen Prüfkonzepten und der Zulassung von Arzneimitteln führen. Die Prüfung der Anwendung eines Arzneimittels bei Kindern wird nur um höchstens fünf Jahre (derzeit unbegrenzt) zurückgestellt werden können, sodass die Arzneimittel für Kinder schneller zur Verfügung stehen werden als heute.

Welche Kosten entstehen bei der bevorzugten Option bzw. den wesentlichen Optionen?

Ein schnellerer Markteintritt für Generika wird zu gewissen Verlusten für Originalpräparatehersteller führen. Insgesamt wird das System jedoch ausgewogener sein, einen besseren Zugang zu erschwinglicheren Arzneimitteln gewährleisten und gleichzeitig Anreize dort setzen, wo sie am dringendsten benötigt werden, und dadurch Innovationen fördern.

Welche Auswirkungen hat die Initiative auf kleine und mittlere Unternehmen (KMU)?

Die prozeduralen Verbesserungen (wie die Vereinfachung und verstärkte Unterstützung durch die Europäische Arzneimittel-Agentur) und die Verringerung des Verwaltungsaufwands werden angesichts der geringen Größe von KMU für diese besonders wichtig sein. Darüber hinaus werden KMU weiterhin von Gebührenermäßigungen für Verfahren der Agentur profitieren. Da KMU im Bereich seltener Leiden häufig innovative Konzepte (Ausweisung von Arzneimitteln für seltene Leiden) auf den Weg bringen, sollten sie von der Abstufung der Dauer der Marktexklusivität profitieren, indem für Arzneimittel, die eine große medizinische Versorgungslücke schließen, Vergünstigungen gewährt werden.

Wird es spürbare Auswirkungen auf nationale Haushalte und Behörden geben?

Für die nationalen Gesundheitssysteme werden keine nennenswerten Kosten erwartet. Da mehr Arzneimittel entwickelt werden, werden für die nationalen Gesundheitssysteme zusätzliche Kosten im Zusammenhang mit Kostenerstattungen erwartet, aber dies wird durch Einsparungen aufgrund eines früheren Markteintritts von Generika ausgeglichen werden.

Wird es andere nennenswerte Auswirkungen geben?

Von dieser Initiative werden positive Auswirkungen auf die öffentliche Gesundheit und die Gesellschaft insgesamt erwartet. Mit der Initiative sollte sichergestellt werden, dass durch eine größere Zahl von Arzneimitteln für seltene Leiden und von Kinderarzneimitteln neue therapeutische Lösungen für Patienten zugänglich werden, insbesondere in Bereichen, in denen es keine Behandlung gibt. Im Rahmen der Arzneimittelstrategie für Europa wird die Überarbeitung der Rechtsvorschriften über Arzneimittel für seltene Leiden und Kinderarzneimittel sowie des allgemeinen Arzneimittelrechts kumulierte positive Auswirkungen auf den Zugang zu und die Erschwinglichkeit von Arzneimitteln für alle Patienten und auf die Tragfähigkeit der Gesundheitssysteme haben.

Verhältnismäßigkeit?

Keine der Optionen für die Überarbeitung der Rechtsvorschriften über Arzneimittel für seltene Leiden oder Kinderarzneimittel geht über das Maß hinaus, das zur Verwirklichung der Ziele erforderlich ist. Die Initiative ist auf diejenigen Aspekte beschränkt, die von den Mitgliedstaaten nicht in zufriedenstellender Weise selbst erreicht werden können und bezüglich derer die EU mehr erreichen kann. Die bevorzugten Optionen sind aufgrund der erwarteten Vorteile für Patienten, Gesundheitssysteme und die Industrie und da sie auf den Säulen eines etablierten Systems aufbauen und diese beibehalten sowie gezielte Anpassungen vorschlagen, verhältnismäßig.

D. Folgemaßnahmen

Wann wird die Maßnahme überprüft?

Die Entwicklung neuer Arzneimittel für seltene Leiden ist ein langwieriger Prozess, und die Ausführung eines klinischen Entwicklungsplans für Kinderarzneimittel kann sogar 10 bis 15 Jahre dauern. Anreize und Vergünstigungen entfalten daher viele Jahre nach dem Datum der Zulassung ihre Wirkung. Auch der Nutzen für die Patienten muss über einen Zeitraum von mindestens fünf bis zehn Jahren nach der Zulassung eines Arzneimittels beurteilt werden. Die Kommission beabsichtigt, die Initiative regelmäßig zu überprüfen. Eine aussagekräftige Bewertung der Ergebnisse der überarbeiteten Rechtsvorschriften ist jedoch frühestens 15 Jahre nach deren Inkrafttreten möglich.