



Brüssel, den 28. April 2023  
(OR. en)

---

---

**Interinstitutionelles Dossier:  
2023/0132(COD)**

---

---

8759/23  
ADD 7

SAN 217  
PHARM 63  
MI 340  
COMPET 372  
ENV 428  
PI 51  
CODEC 726  
IA 84

### ÜBERMITTLUNGSVERMERK

---

Absender:	Frau Martine DEPREZ, Direktorin, im Auftrag der Generalsekretärin der Europäischen Kommission
Eingangsdatum:	26. April 2023
Empfänger:	Frau Thérèse BLANCHET, Generalsekretärin des Rates der Europäischen Union

---

Nr. Komm.dok.:	SWD(2023) 193 final PART 2/2
Betr.:	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

---

Die Delegationen erhalten in der Anlage das Dokument SWD(2023) 193 final PART 2/2.

---

Anl.: SWD(2023) 193 final PART 2/2



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.