



Rat der  
Europäischen Union

Brüssel, den 31. August 2020  
(OR. en)

10304/20  
ADD 6

PHARM 34  
SAN 284  
MI 292  
COMPET 366

### ÜBERMITTLUNGSVERMERK

---

Absender:	Herr Jordi AYET PUIGARNAU, Direktor, im Auftrag der Generalsekretärin der Europäischen Kommission
Eingangsdatum:	11. August 2020
Empfänger:	Herr Jeppe TRANHOLM-MIKKELSEN, Generalsekretär des Rates der Europäischen Union
Nr. Komm.dok.:	SWD(2020) 164 final
Betr.:	ARBEITSUNTERLAGE DER KOMMISSIONSDIENSTSTELLEN EVALUIERUNG (ZUSAMMENFASSUNG) Gemeinsame Evaluierung der Verordnung (EG) Nr. 1901/2006 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 12. Dezember 2006 über Kinderarzneimittel und der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden

---

Die Delegationen erhalten in der Anlage das Dokument SWD(2020) 164 final.

Anl.: SWD(2020) 164 final

Brüssel, den 11.8.2020  
SWD(2020) 164 final

**ARBEITSUNTERLAGE DER KOMMISSIONSDIENSTSTELLEN**

**EVALUIERUNG (ZUSAMMENFASSUNG)**

**Gemeinsame Evaluierung der Verordnung (EG) Nr. 1901/2006 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 12. Dezember 2006 über Kinderarzneimittel und der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden**

{SEC(2020) 291 final} - {SWD(2020) 163 final}

## 1. HINTERGRUND

In den 1980er und 1990er Jahren verbreitete sich die Erkenntnis, dass es für Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen und für Kinder in der EU zu wenig zufriedenstellende Behandlungen gab.

Die pharmazeutische Industrie war nicht ausreichend daran interessiert, in die Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Leiden und von Kinderarzneimitteln zu investieren. Ärzten standen für die Behandlung ihrer Patientinnen und Patienten mit seltenen Leiden häufig keine Arzneimittel zur Verfügung, und bei der Behandlung von Kindern war die Lage ähnlich. In den Jahren 2000 und 2007 erließ die EU daher zwei Verordnungen, mit denen sie die Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Leiden<sup>1</sup> und von Arzneimitteln für Kinder<sup>2</sup> fördern wollte.

Die Überlegungen zu künftigen Änderungen des Rechtsrahmens werden sich an den Ergebnissen der Evaluierung orientieren. Sie wird auch in die Arzneimittelstrategie der EU einfließen, die den Zugang der Patientinnen und Patienten zu sicheren, wirksamen und erschwinglichen Arzneimitteln verbessern und beschleunigen, aber auch Innovationen im Arzneimittelsektor der EU fördern soll.

## 2. EVALUIERUNG

Im Zuge der Evaluierung wurden die Stärken und Schwächen der beiden Verordnungen im Zeitraum 2000–2017 (Arzneimittel für seltene Leiden) und 2007–2017 (Kinderarzneimittel) bewertet. Sie beruht auf einer faktengestützten Analyse der Funktionsweise der beiden Instrumente im Hinblick auf die öffentliche Gesundheit und aus sozioökonomischer Sicht. Beide Verordnungen wurden gemeinsam bewertet, da die meisten seltenen Erkrankungen bereits bei Kindern auftreten können und auch viele Kinderkrankheiten selten sind.

Es wurden drei unabhängige Studien<sup>3</sup> sowie Berichte der Europäischen Kommission<sup>4</sup> und der Europäischen Arzneimittel-Agentur<sup>5</sup> herangezogen. Im Rahmen der Evaluierung wurden auch Informationen im Rahmen von Workshops sowie von öffentlichen und gezielten Konsultationen bei allen einschlägigen Interessenträgern eingeholt. Durch den Einsatz

---

<sup>1</sup> Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden.

<sup>2</sup> Verordnung (EG) Nr. 1901/2006 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 12. Dezember 2006 über Kinderarzneimittel und zur Änderung der Verordnung (EWG) Nr. 1768/92, der Richtlinien 2001/20/EG und 2001/83/EG sowie der Verordnung (EG) Nr. 726/200.

<sup>3</sup> „Study on the economic impact of the Paediatric Regulation, including its rewards and incentives“ (Studie über die ökonomischen Folgen der Verordnung über Kinderarzneimittel); Bericht über die Studie zu seltenen Leiden (2019); „Study on the economic impact of supplementary protection certificates, pharmaceutical incentives and rewards in Europe“ (Studie über die wirtschaftlichen Auswirkungen von ergänzenden Schutzzertifikaten sowie von Anreizen und Vorteilen im pharmazeutischen Bereich in der EU), (2018).

<sup>4</sup> Bericht der Kommission über die Kinderarzneimittel-Verordnung, COM(2017) 626.

<sup>5</sup> Allgemeiner Bericht über die bei der Anwendung der Verordnung über Kinderarzneimittel gewonnenen Erfahrungen (Zehnjahresbericht der EMA an die Europäische Kommission, 2017); Allgemeiner Bericht über die bei der Anwendung der Verordnung über Kinderarzneimittel gewonnenen Erfahrungen (Fünfjahresbericht der EMA an die Europäische Kommission, 2012) sowie Jahresberichte der Agentur.

verschiedener Informationsquellen und die Einbeziehung einer großen Zahl von Interessenträgern wurde eine Datentriangulation angestrebt. In einigen Bereichen ist die Evidenzlage allerdings schlechter als in anderen. Dies traf insbesondere auf das Basisszenario und die Kosten-Nutzen-Analyse zu.

### 3. WICHTIGSTE ERKENNTNISSE

Die Evaluierung hat ergeben, dass beide Verordnungen die **Entwicklung und Verfügbarkeit** von Arzneimitteln sowohl für Patientinnen und Patienten mit seltenen Leiden als auch für Kinder fördern konnten. Sie haben eine Umlenkung privater und öffentlicher Investitionen in bisher vernachlässigte Bereiche bewirkt, und zwar durch Anreize, Verpflichtungen und Vergünstigungen. Die Mitgliedstaaten alleine wären aufgrund der geringen Zahl der betroffenen Patientinnen und Patienten und der Fragmentierung des Marktes nicht in der Lage gewesen, dieses Ergebnis zu erzielen.

Die Rechtsvorschriften wurden sowohl auf EU-Ebene als auch in den Mitgliedstaaten durch eine Reihe von Forschungsprogrammen im Bereich der seltenen Leiden ergänzt. Allerdings lässt sich anhand der verfügbaren Informationen kein direkter Zusammenhang zwischen der öffentlichen Finanzierung und den tatsächlich entwickelten Arzneimitteln herstellen.

Die Anzahl der Arzneimittel für Patienten mit seltenen Leiden und für Kinder ist gestiegen. Arzneimittel für Patienten mit seltenen Leiden sind nun auch schneller erhältlich und haben in den Mitgliedstaaten eine höhere Zahl von Patientinnen und Patienten erreicht. In ähnlicher Weise hat die Verordnung über Kinderarzneimittel zu mehr klinischen Prüfungen an Kindern und somit auch zu einer stärkeren Entwicklung neuer Arzneimittel für Kinder geführt. Durch sie ging die „Off-Label“-Anwendung (die Anwendung von für Erwachsene bestimmten Arzneimitteln bei Kindern, obwohl sie nicht speziell dafür getestet oder an Kinder angepasst wurden) zurück, und es wurde die Entstehung eines „pädiatrischen Forschungsumfelds“ in Europa gefördert.

Dennoch ist es mit keiner der beiden Verordnungen ausreichend gelungen, die **Entwicklung in jenen Bereichen** zu fördern, **in denen der Bedarf an Arzneimitteln am größten ist**. Arzneimittel werden in der Regel in bestimmten rentableren Therapiefeldern entwickelt, in denen die Anzahl verfügbarer Therapien steigt.

Die Evaluierung betraf hauptsächlich die Fragestellung, ob die Schwelle von weniger als 5 von 10 000 Patienten das richtige Kriterium für die Ermittlung seltener Leiden mit besonderem Unterstützungsbedarf bei der Arzneimittelentwicklung ist. Wissenschaftliche Fortschritte wie die personalisierte Medizin und der Einsatz von Biomarkern könnten die Komplexität des derzeitigen Rechtsrahmens noch erhöhen. Mit solchen Entwicklungen kann zwar ein großes Potenzial für eine optimale Abstimmung der Therapie auf die Krankheit verbunden sein, sie sollten aber weder dazu führen, dass geläufige Krankheiten unnötig oft zu seltenen Leiden erklärt werden, noch dazu, dass sich die Ausschließlichkeitsfristen häufen.

Die Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden kann auch Arzneimittel (etwa Antibiotika) fördern, bei denen die Unternehmen keine ausreichende Rendite erwarten können. Dieser Weg war jedoch nur schwer gangbar und wurde nie beschritten.

Durch die Verordnung über Kinderarzneimittel werden die Unternehmen verpflichtet, neue Arzneimittel auch bei Kindern zu testen, sie enthält jedoch kein eigenes Instrument dafür, die

Entwicklung in für Kinder relevante Bereiche zu lenken. Die Entwicklung neuer Arzneimittel für Kinder richtet sich daher nach wie vor hauptsächlich nach dem Bedarf bei den Erwachsenen. Dies führt dazu, dass die größten Therapielücken bei Kindern (z. B. die Behandlung von Krebserkrankungen bei Kindern und Behandlungen für Neugeborene) nicht unbedingt geschlossen werden.

Die Evaluierung hat ergeben, dass **Anreize** zur Förderung der Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Leiden nach wie vor relevant sind. Bei einigen seltenen Leiden hat sich der Markt jedoch allmählich dem Markt für „Standardarzneimittel“ angeglichen. Daher stellt sich die Frage, ob in solchen Fällen eine Marktexklusivität von zehn Jahren gerechtfertigt ist. Nach der Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden kann eine Marktexklusivitätsfrist verkürzt werden, sobald ein Arzneimittel kommerziell erfolgreich ist. Die Mitgliedstaaten haben das Verfahren in der Praxis jedoch nie eingeleitet, da der nötige Nachweis kaum zu führen ist.

Bei Kinderarzneimitteln können die Kosten für die Durchführung klinischer Studien an Kindern dadurch ausgeglichen werden, dass der Patentschutz (das ergänzende Schutzzertifikat) verlängert wird. Diese Vergünstigung erfüllt ihren Zweck zwar zum Teil, sie hat sich jedoch dabei als unwirksam erwiesen, die Entwicklung solcher Arzneimittel zu fördern, deren Entwicklung für Erwachsene nicht attraktiv ist. Die Verfahren für die Erlangung dieser Vergünstigung können komplex sein, da die Unternehmen sie einzeln bei den verschiedenen nationalen Patentämtern beantragen müssen.

Die Anreize und Vergünstigungen beider Verordnungen haben ihren Preis. Die Evaluierung hat ergeben, dass beide Verordnungen Kostensteigerungen in den **Gesundheitssystemen** mit sich brachten. Durch die Behandlung mit Arzneimitteln für seltene Leiden hat sich jedoch die Lebensqualität der Patientinnen und Patienten verbessert. Der Nutzen für Kinder, der mit den Rechtsvorschriften verbunden war, dürfte die Kosten sowohl für die Unternehmen als auch für die Gesellschaft aufwiegen.

Die Evaluierung ergab zudem, dass die aufgrund der beiden Verordnungen entwickelten Arzneimittel nicht in allen Mitgliedstaaten gleichermaßen für die Patientinnen und Patienten zugänglich sind. Dies ist überwiegend auf Faktoren zurückzuführen, die nicht unter die Verordnungen fallen, wie strategische Entscheidungen von Pharmaunternehmen betreffend die Markteinführung von Arzneimitteln, die Preispolitik und die Erstattungssysteme in den Mitgliedstaaten.

In Bezug auf beide Verordnungen wurden ineffiziente Mechanismen und unerwünschte Auswirkungen festgestellt. Bei jeder künftigen Lösung für die festgestellten Mängel wird ein Kompromiss zwischen der erforderlichen Innovationsförderung und der Verfügbarkeit der Arzneimittel für Patientinnen und Patienten mit seltenen Leiden und für Kinder sowie deren Zugang dazu zu finden sein. Diese Aspekte hängen eng mit den Hauptzielen der Arzneimittelstrategie für Europa zusammen, zu der die beiden Verordnungen gehören. Ziel der Strategie ist die Schaffung eines zukunftssicheren Rechtsrahmens durch eine ganzheitliche Betrachtung des Arzneimittelsektors.