



Bundesministerium
für Gesundheit

Medizinforschungsgesetz – Was ändert sich?

Dr. Lars Nickel, Leiter Unterabteilung 11, Arzneimittel

Inhalt

1. Ausgangslage und Entstehung der Pharmastrategie
2. Umsetzung der Pharmastrategie im Medizinforschungsgesetz
Übersicht u.a. zu
 - a) Ethik-Kommissionen
 - b) Standardvertragsklauseln
 - c) Vereinfachungen und Harmonisierung
 - d) Änderungen bei den Erstattungsbeträgen
3. Ausblick

1. Ausgangslage und Entstehung der Pharmastrategie

1.1 Ausgangslage/Problembeschreibung

Auf der einen Seite: Bedeutung des Pharmastandortes **DEU**

Pharmaindustrie ist
forschungintensivste
Branche in DEU
(gemessen an Anteil
der Aufwendungen für
F & E)

DEU ein wichtiger
Biotech-Standort
weltweit, hoher
Stellenwert für Wachstum
und Beschäftigung

In Europa:
DEU an Platz 1 (Umsatz)

Global: viertgrößter
Pharmamarkt
(Marktanteil von rd. 4 %)

Auf der anderen Seite: Attraktivitätsverlust

→ Attraktivitätsverlust des F & E- und Produktionsstandortes
DEU in den vergangenen Jahren (international, aber auch
im europäischen Vergleich)

1.4 Überblick über die vorgeschlagenen Maßnahmenfelder



2. Umsetzung der Pharmastrategie im Medizinforschungsgesetz

2. Umsetzung der Pharmastrategie im Medizinforschungsgesetz

➤ Ziele:

- Verbesserung der Rahmenbedingungen für die Entwicklung, Zulassung und Herstellung von Arzneimitteln und Medizinprodukten
- Stärkung der Attraktivität des Standorts Deutschland im Bereich der medizinischen Forschung
- Beschleunigung des Zugangs zu neuen Therapieoptionen für Patientinnen und Patienten
- Förderung von Wachstum und Beschäftigung

➤ Aber: Bund hat keine Gesetzgebungskompetenz für Studien außerhalb des Rechts der Arzneien und der Medizinprodukte (vergleiche Artikel 74 Absatz 1 Nummer 19 des Grundgesetzes).

2. Umsetzung der Pharmastrategie im Medizinforschungsgesetz

➤ Maßnahmen (Auswahl):

- Integration des Strahlenschutzverfahrens in das arzneimittelrechtliche Genehmigungsverfahren klinischer Prüfungen
- Spezialisierung und Harmonisierung im Bereich der Ethik-Kommissionen
- Beschleunigung mononationaler klinischer Prüfungen
- Standardvertragsklauseln für klinische Prüfungen
- Stärkung der Zulassungsbehörden BfArM & PEI
- Harmonisierung im Bereich der Herstellungserlaubnisse bei bestimmten Arzneimittelgruppen
- Förderung von Investigator Initiated Trials
- Ermöglichung des vertraulichen Erstattungsbetrages
- Ausnahme von den Leitplanken für Erstattungsbeträge
- ATMP-Register

2.1 Strahlenschutz

2.1 Strahlenschutz

- Verzahnung des strahlenschutzrechtlichen Anzeige- und Genehmigungsverfahren von Anwendungen radioaktiver Stoffe oder ionisierender Strahlung am Menschen zum Zweck der medizinischen Forschung mit den Verfahren der klinischen Prüfung von Arzneimitteln und Medizinprodukten.
- Wichtigste Änderungen:
 - Einführung eines **Single-Gate-Ansatzes** für das strahlenschutzrechtliche Anzeige- oder Genehmigungsverfahren: Nutzung derselben elektronischen Einreichungsportale wie für die medizinprodukte- und arzneimittelrechtlichen Verfahren.

2.1 Strahlenschutz

- Prüfung der strahlenschutzrechtlichen **Anzeigeverfahren** durch die Ethik-Kommissionen (EK):
 - BfArM/PEI werden formell verfahrensführende Behörden.
 - Vorteil: Abbau von Doppelprüfungen, BfS prüft nicht mehr.

- Für das strahlenschutzrechtliche **Genehmigungsverfahren**:
 - Bundesamt für Strahlenschutz (BfS) ist weiterhin zuständig.
 - Parallele Prüfung durch BfS und EK bei Arzneimitteln.
 - Angleichung der Fristen an die arzneimittelrechtlichen Fristen.

- Die Regelungen stellen weiterhin sicher, dass das bewährte hohe Niveau des Strahlenschutzes aufrechterhalten wird.

2.2 Ethik-Kommissionen

2.2 Ethik-Kommissionen

1. Einrichtung einer Spezialisierten Ethik-Kommission für besondere Verfahren:

- Zuständig für folgende klinische Prüfungen:
 - Studien, die in der Notfall-Einsatzgruppe der EMA behandelt werden,
 - Masterprotokoll-Studien,
 - First-in-Human-Studien,
 - ATMP-Studien.
 - Bündelung der Ressourcen und der Fachkompetenz für diese besonders dringlichen oder komplexen Verfahren
- Berufung der Mitglieder durch BMG unter Berücksichtigung von Vorschlägen der Länder und im Benehmen mit BMBF und den Ländern
- Geschäftsstelle beim BfArM
- Gleiche Anforderung an Unabhängigkeit der Mitglieder wie bei den Ethik-Kommissionen der Länder

2.2 Ethik-Kommissionen

2. Spezialisierung einzelner Ethik-Kommissionen der Länder (EK) auf bestimmte Verfahren:

- Landes-Ethik-Kommissionen können sich spezialisieren, z.B. auf die besonders schutzbedürftige Gruppe der Kinder und Jugendlichen
- EK erstellen einen besonderen (nach Anhörung BfArM/PEI) und einen allgemeinen Geschäftsverteilungsplan.

3. Richtlinienkompetenz für Arbeitskreis Medizinischer Ethik-Kommissionen

- AKEK soll Richtlinien zur Anwendung und Auslegung der Vorgaben der Verordnung (EU) Nr. 536/2014 für alle Ethik-Kommissionen erlassen.
- Einhaltung ist Voraussetzung für Registrierung.
- Weitere Harmonisierung im Bereich der Landes-Ethik-Kommissionen.

2.3 Beschleunigung mononationaler klinischer Prüfungen

2.3 Beschleunigung mononationaler klinischer Prüfungen

- Bewertung mangelfreier Anträge innerhalb von 26 Tagen nach Validierung.
- Entscheidung über den Antrag innerhalb von 5 Tagen.
- Zeitgewinn von bis zu 19 Tagen: wichtiger Standortfaktor für Pharmaforschung.
- Kürzung um die Tage für die europäische Koordinierungsphase, da diese bei mononationalen klinischen Prüfungen entfällt.
 - Keine Kürzung der Tage der inhaltlichen Bewertungsphase.

2.4 Standardvertragsklauseln

2.4 Standardvertragsklauseln

Ausgangslage:

- Vertragsverhandlungen nach Genehmigung einer klinischen Prüfung dauern zu lange und verzögern Beginn.
- Bereits verfügbare Mustervertragsklauseln werden noch nicht ausreichend genutzt.

Rechtsverordnungsermächtigung:

- Rechtsverordnung der Bundesregierung mit Zustimmung Bundesrat
- Verbindliche Festlegung von Standardvertragsklauseln zur Durchführung klinischer Prüfungen
- Verpflichtende Verwendung, es sei denn beide Parteien vereinbaren abzuweichen
- Die betroffenen Verbände und Organisationen aus Industrie und Wissenschaft werden bei der Erstellung beteiligt.

2.4 Standardvertragsklauseln

Möglicher Inhalt der Rechtsverordnung:

- Standardvertragsklauseln zu
 - (Erst-)Veröffentlichung, Rechte an Ergebnissen und Erfindungen, Namens- und Markenrechte
 - Inspektionen & Audits, Dokumentation & Archivierung
 - Überlassene Geräte & Materialien, Haftung
 - Datenschutz, Vertrauliche Informationen
 - Beendigung & Kündigung des Vertrages
- Abweichungsmöglichkeiten

Verfahren:

- BMG prüft aktuell verschiedene Musterverträge aus Industrie und Wissenschaft und erstellt einen ersten Arbeitsentwurf.

2.5 Stärkung der Zulassungsbehörden

2.5 Stärkung der Zulassungsbehörden BfArM und PEI

Ziel: Es soll sichergestellt werden, dass die pharmazeutische Forschung in Deutschland von einer **rascheren** Verfahrensbearbeitung bei klinischen Prüfungen und Zulassungsverfahren bei **gleichzeitig hoher Qualität** profitiert.

Verfahrensabläufe zwischen dem Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) und dem Paul-Ehrlich-Institut (PEI) sollen verbessert werden und Synergien genutzt werden.

Neufassung bestehender Rechtsverordnungsermächtigung:

⇒ Ermöglicht Einrichtung einer Koordinierungsstelle beim BfArM zur Koordinierung und Harmonisierung der Zusammenarbeit der BOBn und soll Aufgaben dieser Koordinierungsstelle regeln.

2.6 Weitere Vereinfachung und Harmonisierung

2.6 Weitere Vereinfachungen

- **Dezentrale klinische Prüfungen:** Abgabe der Prüf- und Hilfspräparate an Prüfungsteilnehmende unter bestimmten Voraussetzungen und mit Erlaubnis von BfArM/PEI.
- Vereinfachungen der **Kennzeichnung** von Prüf- und Hilfspräparaten: englischsprachig bei unmittelbarer Anwendung ausreichend.
- Neben der schriftlichen Einwilligung in die klinische Prüfung Ermöglichung der **elektronischen Einwilligung nach EU-Vorgaben**.
- **Anerkennung von Inspektionen von Partnerstaaten in Drittländern:** führt zu Verfahrenserleichterungen, Ressourcenschonung und Kosteneinsparung bei den betroffenen Behörden und den Herstellerunternehmen
- **Ausnahme von der Herstellungserlaubnispflicht für nuklearmedizinische Einrichtungen** (bislang nur Apotheken) für die Zubereitung von radioaktiven Arzneimitteln als diagnostische Prüfpräparate

2.6 Weitere Harmonisierung

- Förderung von **Investigator Initiated Trials**:
 - BfArM/PEI können Empfehlungen zur Auslegung der rechtlichen Grundlagen veröffentlichen.
 - Landesbehörden können in einer Auslegungsfrage eine Stellungnahme von BfArM/PEI beantragen.
 - Rechtssicherheit für nichtkommerzielle Sponsoren insb. bei multizentrischen Studien, die in mehreren Bundesländern durchgeführt werden.
- Weitere Harmonisierung im Bereich der **Herstellungserlaubnisse** bei bestimmten Arzneimittelgruppen (ATMP und Bakteriophagen):
 - BfArM/PEI können Empfehlungen zur Auslegung der Grundsätze und Leitlinien Guter Herstellungspraxis veröffentlichen.
 - Landesbehörden können in einer GMP-Auslegungsfrage eine Stellungnahme von BfArM/PEI beantragen.

2.7 Vertrauliche Erstattungsbeträge

2.7 Vertraulichen Erstattungsbetrag ermöglichen

- Aktuell: Erstattungsbeträge für patentgeschützte Arzneimittel sind über Preisdatenbanken zugänglich; internationale Referenzwirkung schränkt Verhandlungsspielräume ein.
- MFG: pharmazeutischen Unternehmer können bis Ende Unterlagenschutz auf Meldung in Preisdatenbanken verzichten.
- Voraussetzung:
 - Preisnachlass auf den Erstattungsbetrag um 9%,
 - pU kann Arzneimittelforschungsabteilung und relevante eigene Projekte und Kooperationen mit öffentlichen Einrichtungen in präklinischer oder klinischer Arzneimittelforschung in DEU nachweisen,
 - pU muss Differenz zum tatsächlich gezahlten Abgabepreis sowie zu erhöhten Handelsmargen und MWSt. ausgleichen.

2.8. Ausnahme von den Leitplanken

2.8. Ausnahme von den Leitplanken bei Erstattungsbeträgen

- Schaffung einer Ausnahme von der Leitplanken-Regelung bei der Verhandlung des Erstattungsbetrags
 - Voraussetzung: pU hat relevanten Anteil klinischer Prüfungen in DEU durchgeführt (mind. 5% der Probanden).
 - Gilt für drei Jahre, es sei denn der pU kann eine Arzneimittelforschungsabteilung und relevante eigene Projekte oder Kooperationen mit öffentlichen Einrichtungen in präklinischer oder klinischer Arzneimittelforschung nachweisen.

Umsetzung der Ausnahme bei den Leitplanken

- Konkretisierung der Anforderungen zum Nachweis des relevanten Anteils klinischer Prüfungen in DEU:
 - Obliegt dem G-BA
 - Ggf. Ergänzung der Verfahrensordnung 5. Kapitel
- Konkretisierung der F&E-Tätigkeiten des pharmazeutischen Unternehmers:
 - Obliegt dem GKV-SV bzw. der Schiedsstelle im Verwaltungsverfahren

2.9. ATMP-Register

2.9. ATMP-Register

- Registerdaten können bei bestimmten ATMP zu einem Wissensgewinn und zur Reduktion von Unsicherheiten in der Erkenntnislage beitragen;
 - insbesondere für den Zulassungsprozess, die Nutzenbewertung sowie die Bewertung von Wirksamkeit und Sicherheit.
- BMG erarbeitet Konzept zur Schaffung eines indikationsbezogenen ATMP-Registers.

3. Ausblick

3. Ausblick

Medizinforschungsgesetz:

- Beratung im Bundesrat am 27. September 2024
- Inkrafttreten im Herbst 2024, zum Teil ab 1. Juli 2025.
- Im Anschluss: Umsetzung der vorgesehenen Maßnahmen, insb. Rechtsverordnung für Standardvertragsklauseln und Errichtung SEKbV.

Geplante Dialoge und Veranstaltungen:

- 1) **Zukunftsforum** „Zeitenwende in der Biotechnologie: Gentherapien, Tumorstoffe, Antikörper-Wirkstoff-Kombinationen“ am 21. November 2024 in Berlin:
High-Level Veranstaltung mit Bundesgesundheitsminister Prof. Lauterbach, Vertreterinnen und Vertreter aus Forschung, Entwicklung und Versorgung

3. Ausblick

- 2) **Best-Practice-Dialog** (siehe Pharmastrategie):
BMG und BMWK erörtern gemeinsam mit Vertretern der Industrie und weiteren Beteiligten Handlungsbedarfe und Verbesserungsmöglichkeiten,
Fokus: AMNOG-Reformbedarf,
Format: 3 halbtägige Fachgespräche, startet nach Zukunftsforum

- 3) **Generika-Fachgespräch** (vss. Anfang November 2024):
Aktuelle Herausforderungen sowie künftige Auswirkungen auf die Versorgung mit generischen Arzneimitteln.

Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit!

Kontakt:
Bundesministerium für Gesundheit
11@bmg.bund.de