

Prof. Dr. med. Andreas Hochhaus
Geschäftsführender Vorsitzender

Prof. Dr. med. Claudia Baldus
Vorsitzende

Prof. Dr. med. Martin Bentz
Mitglied im Vorstand

Dr. med. Carsten-Oliver Schulz
Mitglied im Vorstand

Bauhofstraße 12 • 10117 Berlin
Tel.: 030 27876089-0
info@dgho.de

DGHO e.V. • Bauhofstraße 12 • 10117 Berlin

Berlin, 20. März 2024

Referentenentwurf des Medizinforschungsgesetzes (MFG)
Ergänzung der Stellungnahme der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie
vom 20. Februar 2024

Wir danken Ihnen für die konstruktive Diskussion über unsere Ergänzungsvorschläge zum Referentenentwurf des Medizinforschungsgesetzes während der Frühjahrstagung der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie am Freitag, 15. März 2024 in Berlin.

Konkret beziehen sich unsere Ergänzungsvorschläge auf:

1. Erwähnung der Bedeutung der wissenschaftsgetriebenen klinischen Forschung
2. Harmonisierung der Auslegung des AMG, der EU-Direktive (2014) und der Regularien zur GCP/ICH bei der Risikobewertung wissenschaftsgetriebener klinischer Studien zur pragmatischen Begrenzung des logistischen und finanziellen Aufwandes mit Blick auf die Sicherstellung von Datenqualität und Patientensicherheit
3. Erwähnung der wissenschaftsgetriebenen Register zur raschen Erfassung der Evidenz innovativer Therapien in der klinischen Praxis

Dem Ausschuss ist das vorliegende Dokument
in nicht barrierefreier Form zugeleitet worden.

Da die Regularien der EU-Direktive zu klinischen Studien (2014) und der GCP/ICH durch deutsche Rechtsnormen nicht modifiziert werden können, ist eine Ermächtigung der Bundesbehörden zur Harmonisierung der Bewertung von akademischen Studien auf Ebene der Bundesländer anzustreben. Dadurch würde Rechtssicherheit für den jeweiligen akademischen Sponsor multizentrischer Studien erreichbar.

In der Anlage senden wir Ihnen unsere konkreten Vorschläge für die Kapitel A und B und die Begründung des Gesetzes.

Mit freundlichen Grüßen

Prof. Dr. med. Andreas Hochhaus
Geschäftsführender Vorsitzender

Prof. Dr. med. Claudia Baldus
Vorsitzende

Prof. Dr. med. Martin Bentz
Mitglied im Vorstand

Dr. med. Carsten-Oliver Schulz
Mitglied im Vorstand

Prof. Dr. med. Anke Reinacher-Schick
Vorsitzende der Arbeitsgemeinschaft Internistische Onkologie
in der Deutschen Krebsgesellschaft e.V.

Referentenentwurf

des Bundesministeriums für Gesundheit und des Bundesministeriums für Umwelt, Naturschutz, nukleare Sicherheit und Verbraucherschutz¹

Entwurf eines Medizinforschungsgesetzes

(MFG)

A. Problem und Ziel

Arzneimittel und Medizinprodukte sind unabdingbar für die Gesundheit der Menschen und wesentlicher Faktor des medizinischen Fortschritts. Zuletzt hat der Forschungs- und Entwicklungsstandort Deutschland im internationalen Vergleich aber an Attraktivität verloren. Daher hat die Bundesregierung am 13. Dezember 2023 mit ihrem Strategiepapier „Verbesserung der Rahmenbedingungen für den Pharmabereich in Deutschland“ ein umfassendes Handlungskonzept für den Forschungs- und Produktionsstandort Deutschland beschlossen. Das Medizinforschungsgesetz ist ein wichtiger Teil dieses Handlungskonzepts.

Mit dem Medizinforschungsgesetz werden die Rahmenbedingungen für die Entwicklung, Zulassung und Herstellung von Arzneimitteln und Medizinprodukten verbessert **und patientenzentrierte, versorgungsnahe, wissengenerierende Therapiestandards optimiert**. Dies stärkt die Attraktivität des Standorts Deutschland im Bereich der medizinischen Forschung, beschleunigt den Zugang zu neuen Therapieoptionen für Patientinnen und Patienten und fördert Wachstum und Beschäftigung.

Neben den Projekten der pharmazeutischen Industrie sind akademische Studiengruppen und wissenschaftsgetriebene Studien Grundpfeiler der modernen evidenzbasierten Medizin und eine Voraussetzung für den Transfer von innovativen Therapien in die Versorgung.

Ein Kernstück ist die Verzahnung des strahlenschutzrechtlichen Anzeige- und Genehmigungsverfahrens von Anwendungen radioaktiver Stoffe oder ionisierender Strahlung am Menschen zum Zweck der medizinischen Forschung mit den medizinproduktrechtlichen Genehmigungs- oder Anzeigeverfahren und den Verfahren zur Genehmigung einer klinischen Prüfung mit Arzneimitteln im Sinne des § 4 Absatz 23 AMG. Diese Verzahnung ist auch im Strategiepapier der Bundesregierung „Verbesserung der Rahmenbedingungen für den Pharmabereich in Deutschland“ vorgesehen. Mit diesem Schritt wird einem wesentlichen Anliegen der forschenden Pharmaindustrie Rechnung getragen **und soll auch auf die versorgungsnahe akademische Forschung angewendet werden**. Die Antragseinreichung bei verschiedenen Behörden und das zeitliche Auseinanderfallen der unterschiedlichen Verfahren wurden insbesondere von Unternehmen der Pharmaindustrie als zeitintensiv und kostenaufwändig kritisiert.

Die zwischen pharmazeutischen Unternehmen und dem GKV-Spitzenverband verhandelten Erstattungsbeträge für patentgeschützte Arzneimittel sind öffentlich zugänglich. Aufgrund der internationalen Referenzwirkung des deutschen Erstattungsbetrags kann die erforderliche Flexibilität der Verhandlungspartner bei den Erstattungsbetragsverhandlungen eingeschränkt werden. Die Attraktivität des deutschen Arzneimittelabsatzmarktes soll sichergestellt werden.

Im Kontext mit dem Registergesetz sollen zur Schaffung einer transparenten wissenschaftlichen Evidenz die Etablierung von Registern unterstützt werden.

1)

Dieses Gesetz dient der Umsetzung der Richtlinie 2013/59/Euratom des Rates vom 5. Dezember 2013 zur Festlegung grundlegender Sicherheitsnormen für den Schutz vor den Gefahren einer Exposition gegenüber ionisierender Strahlung und zur Aufhebung der Richtlinien 89/618/Euratom, 90/641/Euratom, 96/29/Euratom, 97/43/Euratom und 2003/122/Euratom (ABl. L 13 vom 17.1.2014, S. 1).

B. Lösung

Die Genehmigungsverfahren für klinische Prüfungen und des Zulassungsverfahrens von Arzneimitteln und Medizinprodukten sollen bei gleichzeitiger Wahrung der hohen Standards für die Sicherheit von Patientinnen und Patienten vereinfacht, entbürokratisiert und beschleunigt werden. Dazu erfolgen Änderungen im Arzneimittelgesetz (AMG), Medizinprodukte-Durchführungsgesetz (MPDG), Strahlenschutzgesetz (StrlSchG) und in der Arzneimittel- und Wirkstoffherstellungsverordnung (AMWHV).

Insbesondere wird regulatorisch der Weg für die Durchführung dezentraler klinischer Prüfungen geebnet, indem der Sondervertriebsweg für Prüf- und Hilfspräparate in § 47 AMG erweitert und die elektronische Einwilligung in § 40b AMG ermöglicht werden. Zudem werden die Kennzeichnung von Prüf- und Hilfspräparaten in § 10a AMG erleichtert und die Genehmigung mononationaler klinischer Prüfungen in § 40 AMG beschleunigt. Schließlich werden in § 41b AMG eine Spezialisierung der registrierten Ethik-Kommissionen der Länder vorgesehen, in § 41c AMG für komplexe Prüfungen eine Bundes-Ethik-Kommission eingerichtet, und in § 41d AMG eine Richtlinienbefugnis des Arbeitskreises Medizinischer Ethik-Kommissionen in der Bundesrepublik Deutschland e.V. eingeführt. In § 42d AMG wird eine rechtliche Grundlage für die Veröffentlichung von Mustervertragsklauseln geschaffen.

Für die Bewertung von Leistungsstudien mit therapiebegleitenden Diagnostika, die für die sichere und wirksame Verwendung eines dazugehörigen Arzneimittels bestimmt sind, wird zukünftig jeweils die Ethik-Kommission zuständig sein, die auch für das dazugehörige Arzneimittel zuständig ist; die neu einzurichtende Bundes-Ethik-Kommission wird damit auch im Bereich der Medizinprodukte bestimmte Zuständigkeiten erhalten.

Die Zulassungsverfahren der für die Zulassung von Arzneimitteln zuständigen Bundesoberbehörden, das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) und das Paul Ehrlich-Institut (PEI), sollen besser koordiniert werden. Das Bundesministerium für Gesundheit (BMG) wird ermächtigt, Zuständigkeiten zwischen den Arzneimittelzulassungsbehörden zum Zweck der Verbesserung der Verfahrensabläufe durch Rechtsverordnung zu ändern. Beim BfArM wird eine übergreifende Koordinierungsstelle eingerichtet.

Zur Unterstützung der zuständigen Behörden der Länder bei der Harmonisierung der Auslegungspraxis für die Regularien der Durchführung klinischer Studien, insbesondere der risikobasierten Studienplanung einschließlich risikoadaptierter Monitoring-Modelle wird die zuständige Bundesbehörde ermächtigt, Empfehlungen zur Auslegung der EU-Grundsätze und der entsprechenden Leitlinien der guten klinischen Praxis (GCP/ICH) zu veröffentlichen. Der bürokratische und der finanzielle Aufwand bei der Durchführung multizentrischer wissenschaftsgetriebener versorgungsnaher Studien soll damit bei Beachtung der Patientensicherheit auf das entsprechend der Risikobewertung der geplanten Intervention erforderliche Maß gesenkt werden. Für multizentrische Studien, die in mehreren Bundesländern durchgeführt werden, soll dadurch die Rechtssicherheit des Sponsors nach AMG sowie der Studienteilnehmer gesichert und harmonisiert werden.

Zur Unterstützung der zuständigen Behörden der Länder bei der weiteren Harmonisierung der Auslegungspraxis in den Bereichen der Herstellung und der Prüfung von Arzneimitteln für neuartige Therapien, insbesondere von Gen- und Zelltherapeutika, wird die zuständige Bundesoberbehörde ermächtigt, Empfehlungen zur Auslegung der EU-Grundsätze und Leitlinien Guter Herstellungspraxis zu veröffentlichen. Des Weiteren erhalten die zuständigen Behörden der Länder ein Antragsrecht gegenüber der zuständigen Bundesoberbehörde für die Klärung von Fragen der Auslegung der Grundsätze und Leitlinien der Guten Herstellungspraxis für Arzneimittel für neuartige Therapien.

Die pharmazeutischen Unternehmer erhalten die Möglichkeit, vertrauliche Erstattungsbeiträge bei Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen zu vereinbaren. Die Vertraulichkeit gilt bis zum Wegfall des Unterlagenschutzes. Die pharmazeutischen Unternehmer werden den vertraulichen Erstattungsbeitrag den Anspruchsberechtigten mitteilen und die Differenz zum tatsächlich gezahlten Abgabepreis ausgleichen.

Mit der Änderung der Verordnung über das Verfahren zur Zusammenarbeit der Bundes-

oberbehörden und der registrierten Ethik-Kommissionen bei der Bewertung von Anträgen auf Genehmigung von klinischen Prüfungen mit Humanarzneimitteln (KPBV) werden die Bearbeitung der Verfahren nach den §§ 40 ff. AMG durch die Bundes-Ethik-Kommission und die Ethik-Kommissionen der Länder sowie eine kostendeckende Aufgabenwahrnehmung und möglichst einheitliche Gebührenpraxis der Bundes-Ethik-Kommission und der Ethik-Kommissionen der Länder sichergestellt.

Begründung

A. Allgemeiner Teil

I. Zielsetzung und Notwendigkeit der Regelungen

Mit dem Medizinforschungsgesetz werden die Rahmenbedingungen für die Entwicklung, Zulassung und Herstellung von Arzneimitteln und Medizinprodukten verbessert. Dies stärkt die Attraktivität des Forschungsstandorts Deutschland im internationalen Vergleich, beschleunigt den Zugang zu neuen Therapieoptionen für Patientinnen und Patienten und fördert Wachstum und Beschäftigung.

Das Gesetz dient u.a. der Beschleunigung und Entbürokratisierung des strahlenschutzrechtlichen Anzeige- und Genehmigungsverfahrens von Anwendungen radioaktiver Stoffe oder ionisierender Strahlung am Menschen zum Zweck der medizinischen Forschung. Es soll Erleichterungen schaffen für alle Forschungsvorhaben, die einer strahlenschutzrechtlichen Zulassung bedürfen, unabhängig davon, ob diese Arzneimittel, Medizinprodukte oder andere Forschungsbereiche betreffen.

Die zwischen pharmazeutischen Unternehmen und dem GKV-Spitzenverband verhandelten Erstattungsbeträge für patentgeschützte Arzneimittel sind öffentlich zugänglich. Aufgrund der internationalen Referenzwirkung des deutschen Erstattungsbetrags können Verhandlungsspielräume zum Erstattungsbetrag eingeschränkt werden. Die Attraktivität des deutschen Arzneimittelabsatzmarktes soll sichergestellt werden.

Ziel der Änderung der KPBV ist es, die Bearbeitung der Verfahren nach den §§ 40 ff. AMG durch die Bundes-Ethik-Kommission und die Ethik-Kommissionen der Länder sowie eine kostendeckende Aufgabenwahrnehmung und möglichst einheitliche Gebührenpraxis der Bundes-Ethik-Kommission und der Ethik-Kommissionen der Länder sicherzustellen.

II. Wesentlicher Inhalt des Entwurfs

Vorgesehen sind die Vereinfachung, Beschleunigung und Entbürokratisierung des Genehmigungsverfahrens für klinische Prüfungen und des Zulassungsverfahrens von Arzneimitteln und Medizinprodukten bei gleichzeitiger Wahrung der hohen Standards für die Sicherheit von Patientinnen und Patienten. Dazu erfolgen Änderungen im AMG, MPDG, StrlSchG und in der AMWHV.

Deutschland ist in der Europäischen Union der einzige Mitgliedstaat, der über zwei Zulassungsbehörden mit unterschiedlichen Zuständigkeiten verfügt. Zwischen den beiden Bundesoberbehörden BfArM und PEI bestehen komplexe geteilte Zuständigkeiten. Das BMG wird ermächtigt, Zuständigkeiten zwischen den Arzneimittelzulassungsbehörden zum Zweck der Verbesserung der Verfahrensabläufe durch Rechtsverordnung zu ändern. Zum Zweck der übergreifenden Steuerung der Verfahren wird beim BfArM eine Koordinierungsstelle eingerichtet.

Zur Unterstützung der zuständigen Behörden der Länder bei der Harmonisierung der Auslegungspraxis für die Regularien der Durchführung klinischer Studien, insbesondere der risikobasierten Studienplanung einschließlich risikoadaptierter Monitoring-Modelle wird die zuständige Bundesbehörde ermächtigt, Empfehlungen zur Auslegung der EU-Grundsätze und der entsprechenden Leitlinien der guten klinischen Praxis (GCP/ICH) zu veröffentlichen. Der bürokratische und der finanzielle Aufwand bei der Durchführung multizentrischer wissenschaftsgetriebener versorgungsnaher Studien soll damit bei Beachtung der Patientensicherheit auf das entsprechend der Risikobewertung der geplanten Intervention erforderliche Maß gesenkt werden. Für multizentrische Studien, die in mehreren Bundesländern durchgeführt werden, soll dadurch die Rechtssicherheit des Sponsors nach AMG sowie der Studienteilnehmer gesichert und harmonisiert werden.

Zur Unterstützung der zuständigen Behörden der Länder bei der weiteren Harmonisierung der Auslegungspraxis in den Bereichen der Herstellung und der Prüfung von Arzneimitteln für neuartige Therapien, insbesondere von Gen- und Zelltherapeutika, wird die zuständige Bundesoberbehörde ermächtigt, Empfehlungen zur Auslegung der EU-Grundsätze und Leitlinien Guter Herstellungspraxis zu veröffentlichen. Des Weiteren erhalten die zuständigen Behörden der Länder ein Antragsrecht gegenüber der zuständigen Bundesoberbehörde für die Klärung von Fragen der Auslegung der Grundsätze und Leitlinien der Guten Herstellungspraxis für Arzneimittel für neuartige Therapien.

.....