

POSITIONSPAPIER DER FDP-FRAKTION: ROADMAP FÜR EINEN PHARMASTANDORT AUF INTERNATIONALEM SPITZENNIVEAU

Eine qualitativ hochwertige medizinische Versorgung und eine starke forschende Pharmaindustrie sind zwei Seiten einer Medaille. Deshalb ist eine erstklassige Gesundheitsversorgung der Bevölkerung nach unserer Auffassung nur durch die Erforschung neuer Wirkstoffe und deren Bereitstellung durch die pharmazeutischen Unternehmen in Deutschland und Europa möglich. Pharmazeutische Unternehmer haben somit eine hohe wirtschaftliche, soziale und ökologische Verantwortung in unserer Gesellschaft. Mit einem Umsatz von rund 49 Mrd. Euro und fast 140.000 Beschäftigten allein in Deutschland ist sie zusätzlich ein bedeutender Wirtschaftsfaktor und Arbeitgeber und Motor für Innovation. Durch Einsatzmöglichkeiten innovativer Technologien und der daraus erfolgenden außerordentlichen Exportstärke ist die pharmazeutische Industrie ein tragender Pfeiler der deutschen Volkswirtschaft und für die künftige Sicherung der Wertschöpfung sowie Resilienz bzw. strategischer Unabhängigkeit gegenüber Drittstaaten unentbehrlich. Die forschenden Pharmaunternehmen sind somit ein sicherer wirtschaftlicher Garant für die Zukunftsfähigkeit Deutschlands. Die Verankerung dieser Schlüsselindustrie im sozialpolitischen Umfeld ist eine zentrale Herausforderung gesundheits- und wirtschaftspolitischer Entscheidungen. Es gilt, den stetigen Zielkonflikt zwischen bestmöglicher Versorgung und den begrenzten Ressourcen des Gesundheitssystems in ein ausgewogenes Miteinander zu führen.

Die Rolle Deutschlands als bedeutender Pharma-Standort (wie auch als Biotechnologie-Standort) auf internationalem Spitzenniveau kann durch die bessere Ausschöpfung des vorhandenen Potenzials noch deutlich optimiert werden.

Stabile gesundheitspolitische Rahmenbedingungen sind die Basis

Damit neue Arzneimittel bestmöglich erforscht werden und ihren Weg schnellstmöglich zu den Patientinnen und Patienten in Deutschland finden können, müssen vor allem die gesundheitspolitischen Rahmenbedingungen stimmen. Die Branche benötigt für ihre zukunftsweisenden Forschungsprojekte politische Verlässlichkeit. Die Pharmabranche steht unter ähnlichem Druck wie andere Industriezweige auch und ist von Inflation und steigenden Herstellungspreisen betroffen. Anders als in anderen Branchen können Kostensteigerungen jedoch aufgrund festgelegter Preise nicht am Markt über den unveränderbaren Abgabepreis refinanziert werden. Vor dem Hintergrund durchschnittlicher Entwicklungszeiten neuer Wirkstoffe von über 10 Jahren und damit verbundenen Forschungsinvestitionen sorgen einschneidende Änderungen der politischen Rahmenbedingungen für wirtschaftliche Unsicherheiten und schädigen somit das Investitionsklima und somit die Attraktivität des Standortes. Der maßgebliche Rahmen für Investitionsüberlegungen von pharmazeutischen Unternehmern bedarf einer grundsätzlichen, Verlässlichkeit darstellenden Beständigkeit.

- **Verlässliche Erstattungsregeln:** In Deutschland gilt bei der Preisfindung für innovative Medikamente das Prinzip, dass der Erstattungspreis maßgeblich vom zusätzlichen Nutzen gegenüber der bisher gängigen Therapie abhängt – Besseres bekommt einen besseren Preis, gleich Gutes darf gleich viel kosten. Dieser bewährte und europaweit anerkannte Grundsatz darf nicht zugunsten kurzfristiger Einsparungsideen weiter aufgeweicht oder gar ganz aufgegeben werden. Die Sparinstrumente des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes beeinträchtigen dieses Prinzip, indem nur noch Sprunginnovationen finanziell belohnt werden. Dabei sind z.B. in der Onkologie Schrittinnovationen oftmals die Blockbuster von morgen für die effektive Bekämpfung von Krebs auf dem Weg zur Chronifizierung oder Heilung. Aus diesem Grund wollen wir die im Rahmen des GKV-FinStG eingeführten Leitplanken zurücknehmen. Ihre hemmende Wirkung gegenüber Innovationen, wirkt sich zunehmend negativ auf die Investitionsplanung von pharmazeutischen Unternehmen aus. Auch der im Rahmen dieses Gesetzes neu eingeführte Kombinationsrabatt sorgt langfristig für den Pharma-Standort Deutschland für einen Wettbewerbsnachteil und missachtet die Tatsache, dass der Einsatz von Arzneimitteln als Kombinationen bereits vorher Gegenstand der Erstattungsbetragsverhandlungen war.
- **Innovationen fördern / alternative Studiendesigns zulassen:** Im Kontext der voranschreitenden Entwicklung innovativer Therapien und der zunehmenden Ausrichtung auf kleinere und spezifischere Patientenpopulationen stellen sich im Bereich der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V im AMNOG Herausforderungen hinsichtlich der Anwendbarkeit randomisierter kontrollierter Studien (RCT). Insbesondere bei seltenen Erkrankungen oder in Bezug auf Gen- und Zelltherapien gestaltet sich die Durchführung solcher RCTs in kleinen Patientengruppen als problematisch. Um diesen neuen Gegebenheiten gerecht zu werden und den Zusatznutzen von schrittweisen Innovationen adäquat zu erfassen, empfehlen wir die Prüfung der Ermöglichung alternativer Studiendesigns außerhalb der klassischen RCTs. Dies sollte jedoch auf Ausnahmefälle beschränkt bleiben, um die Integrität des Nutzenbewertungssystems zu wahren. Die Einführung solcher alternativen Studiendesigns ermöglicht es dem AMNOG, als adaptives und "lernendes System" agieren zu können, um so flexibel auf den medizinischen Fortschritt zu reagieren. Gleichzeitig ist es von entscheidender Bedeutung sicherzustellen, dass die Zulassung solcher Ausnahmefälle nicht zu einer Kompromittierung der Evidenzansprüche führt. Die Evaluierung der Auswirkungen neuer Studiendesigns auf die Preisverhandlungen aus ökonomischer Perspektive ist dabei unerlässlich, um eine ausgewogene Balance zwischen Innovationsförderung und Wirtschaftlichkeitsanforderungen zu gewährleisten.
- **Erfolgsabhängige Bezahlmodelle:** Hochmoderne Behandlungsmethoden, wie Gen- und Zelltherapien, die Vorteile in der Behandlung für eine kleine Gruppe von Patientinnen und Patienten versprechen, können aufgrund ihrer aufwendigen Entwicklung und Produktion teuer werden. Dazu, weiterhin den Zugang aller zu diesen Zukunfts-Therapien zu ermöglichen, ohne dass die gesetzlichen Krankenkassen finanziell überfordert werden, kann eine Ausweitung der Möglichkeiten zum Abschluss von „Pay-for-Performance-Verträgen“ beitragen. Dabei würden diese Therapien nur dann bezahlt werden, wenn die Behandlung erfolgreich war. Die zentrale Herausforderung hierbei besteht darin, einen ausgewogenen Ansatz zu finden, der

sowohl die finanzielle Stabilität der gesetzlichen Krankenkassen sicherstellt als auch die Anreize für Pharmaunternehmen zur Entwicklung hochmoderner Therapien aufrechterhält. Eine zu starke Ausrichtung auf Kosteneinsparungen könnte langfristig die Innovationskraft der Branche hemmen und den Zugang der Patienten zu wichtigen medizinischen Fortschritten behindern. Daher ist eine sorgfältige Abwägung der Interessen aller Beteiligten erforderlich, um ein Gleichgewicht zwischen Kosteneffizienz und Innovation zu gewährleisten.

Mehr Forschung bedeutet mehr Zukunft

Deutschland hat seinen Platz unter den Spitzenreitern für klinische Studien verloren. Trotz der hohen Qualität der Wissenschaftseinrichtungen nimmt die Zahl der Studien seit 2015 kontinuierlich ab. Auf Zukunftsfeldern der Medizin wie der Gen- und Zelltherapien ist der Rückstand zu den führenden Nationen USA und China mittlerweile herausfordernd – nur 4,4 % der weltweiten Gentherapie-Studien werden hierzulande durchgeführt. Entbürokratisierung, schlankere Prozesse und ein forschungsfreundlicheres Umfeld sind Voraussetzung dafür, Deutschland wieder zum führenden Studienstandort zu machen. Mehr Forschung ermöglicht einen früheren Zugang für schwer erkrankte Patienten in Studien sowie den Anreiz für künftige industrielle Ansiedlung im Rahmen der Translation.

- **Wagniskapital schaffen:** Die Schaffung optimaler Rahmenbedingungen für Wagniskapital stellt einen entscheidenden Faktor für den Erfolg von Start-ups im Pharma- und Biotechnologiesektor dar, insbesondere in Bezug auf ihre maßgebliche Bedeutung bei der Entwicklung innovativer Therapien. Um die Wettbewerbsfähigkeit des deutschen Pharma- und Biotechstandorts zu stärken, bedarf es einer gesteigerten Förderung von Kooperationen zwischen Wissenschaft und Industrie, Ausgründungen und dem Transfer von technologischem Knowhow. Dies kann durch gut verknüpfte Finanzierungsmöglichkeiten. Im Vergleich zu einigen anderen Ländern hinkt Deutschland in Bezug auf Umfang und Zugang zu Wagniskapital deutlich hinterher. Dies birgt das Risiko, dass Gründer gezwungen sind, für ihre Finanzierung in andere Länder wie die USA abzuwandern. Die derzeitige Initiative zur Erweiterung des Zugangs zu Wagniskapital im Rahmen der Innovationsförderungen durch das Wirtschaftsministerium ist ein positiver Schritt in die richtige Richtung und sollte weiter ausgebaut werden. Die Fortführung und Intensivierung dieser Maßnahmen sind von entscheidender Bedeutung, um die Attraktivität des deutschen Standorts für innovative Unternehmen zu steigern und sicherzustellen, dass vielversprechende Start-ups ausreichend finanzielle Unterstützung erhalten, um ihre Potenziale voll auszuschöpfen. Eine breitere und effizientere Verfügbarkeit von Wagniskapital fördert nicht nur die Innovationskraft der Branche, sondern stärkt auch die Position Deutschlands im internationalen Wettbewerb.
- **Harmonisierte Ethik-Standards:** In Deutschland gibt es 52 Ethik-Kommissionen, die klinischen Studien zustimmen bzw. sie überwachen müssen. Daraus ergibt sich für die Beantragung von Studien ein hoher bürokratischer Aufwand. Die Anforderungen von Ethik-Kommissionen im Bewertungsverfahren sind deshalb dringend zu harmonisieren. Dies ist vor dem Hintergrund des kommenden EU-Genehmigungsverfahrens für klinische Prüfungen von besonderer Bedeutung. Die Ethik-Kommissionen haben bereits verschiedene Handlungsempfehlungen publiziert.

Es ist darauf zu achten, grundsätzlich die europäisch harmonisierten Dokumente in englischer Sprache zu verwenden und auf nationale Sonderauslegungen/Kommentierungen zu verzichten, um multinationale Studien zu vereinfachen.

- **Bessere personelle Ausstattung von Zulassungsbehörden:** Die Zulassungsbehörden auf Bundes- und Landesebene benötigen größere personelle Ressourcen, um Wartezeiten für Beratungstermine und Studiengenehmigungen deutlich zu reduzieren und die Expertise für innovative Verfahren, Arzneimittel und Medizinprodukte auszubauen. Erst kürzlich ist das Aufgabenspektrum des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) durch die im Rahmen des Arzneimittel-Lieferengpassbekämpfungs- und Versorgungsverbesserungsgesetzes (ALBVG) beschlossenen Maßnahmen erweitert worden. Eine Behörde dieses Stellenwertes muss für die qualitativ hochwertige und effiziente Erfüllung ihrer Aufgaben personell jederzeit ausreichend ausgestattet sein.
- **Optimierung der steuerlichen Forschungsförderung:** Wir streben eine Erweiterung der steuerlichen Forschungszulage an. Für die Wettbewerbsfähigkeit des F&E-Standortes Deutschland ist sie von hoher Bedeutung, da sie ein in der Breite wirksames und bürokratiearmes Instrument darstellt. Damit das bis 2025 von der Koalition gesteckte Ziel, den Anteil der Forschungs- und Entwicklungsausgaben am BIP auf 3,5 % zu steigern, erreicht werden kann, ist eine Erweiterung der Bemessungsgrundlage ergebnisoffen zu diskutieren. Sie würde dazu beitragen, auch für große Standortinvestitionen interessant zu sein, denn bisher ist die Bemessungsgrenze gedeckelt und neben Personalkosten findet keine Berücksichtigung weiterer Investitionen in Forschungsinfrastrukturen oder Entwicklung statt.
- **Förderung der Grundlagenforschung an Universitäten:** Die Schaffung von Möglichkeiten für Joint Ventures zwischen Universitäten und Unternehmen. Dies könnte in Form von geförderten Zentren an Universitäten als sogenannte Exzellenzstandorte umgesetzt werden.
- **Vereinfachung des nationalen Rechtsrahmens für klinische Studien:** Es braucht die Etablierung konsistenter und unbürokratischer Genehmigungsverfahren und die Vereinfachung und Beschleunigung von Vertragsabwicklungen zwischen Studienzentren und Unternehmen sowie der Verordnung (EU) 2017/746 über In-vitro-Diagnostika (IVDR). Wenngleich im Mai 2019 erstmals Mustervertragsklauseln von Deutscher Hochschulmedizin e.V., der KKS (Koordinierungszentren für klinische Studien-Netzwerk e.V.) und dem Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V. (vfa) veröffentlicht worden sind, werden diese bislang nicht umfassend genutzt. Dieser Standortnachteil Deutschlands muss ausgeräumt werden, denn im EU-Vergleich dauern die Vertragsverhandlungen hier deutlich länger. Eine Erweiterung der bestehenden Mustervertragsklauseln, insbesondere in häufig strittigen Bereichen, kann die Situation verbessern. Eine konstruktive Unterstützung des Bundesministeriums für Gesundheit sowie des Bundesministeriums für Bildung und Forschung können ebenfalls zu einer Verbesserung der Situation beitragen.
-

- **Strahlenschutz vereinfachen:** Das separate Genehmigungsverfahren für Strahlenschutz am Bundesamt für Strahlenschutz (BfS) sollte Teil des regulären Genehmigungsprozesses beim BfArM oder Paul Ehrlich Institut (PEI) werden. Auch die Schaffung gesetzlicher Rahmenbedingungen für die Durchführung von dezentralen/hybriden klinischen Studiendesigns und die verstärkte Nutzung digitaler Technologien (z. B. Wearables) kann Deutschland als Standort für klinische Studien stärken.
- **Registerlandschaft stärken:** Ein zentrales Studienregister, welches für Bevölkerung und Ärzteschaft Transparenz über laufende Studien in Deutschland schafft, existiert bisher nicht. Zudem fehlt es an grundlegender Aufklärung der Bevölkerung über Nutzen und Risiken einer Studienteilnahme. Hier kann durch die Schaffung von zentralen Anlaufstellen sowie Aufklärungskampagnen Verbesserung erreicht werden. Auch muss eine nachhaltige Registerlandschaft aufgebaut werden, welche die zentralisierte Aufbereitung von Gesundheitsdaten zu Forschungszwecken ermöglicht. Bereits vorhandene Register müssen zu diesem Zwecke nutzbar und verknüpfbar gemacht werden, etwa durch Nutzung eines Forschungspseudonyms.

Daten sind der Treibstoff für Forschung und ein gesünderes Leben

Der Verwendung von digitalen Daten für die Forschung und Entwicklung neuer Therapien und die zielgerichtete Versorgung von Patientinnen und Patienten gehört die medizinische Zukunft. Durch das restriktive Verständnis von Datenschutz, ineffiziente Strukturen und unentschlossene Entscheidungsfindung in der Vergangenheit besteht die Gefahr, international den Anschluss zu verlieren. Um die Potentiale der Digitalisierung voll ausschöpfen zu können, ist eine effektive Nutzung von Forschungsdaten unerlässlich.

- **Harmonisierte Datenschutzregeln in der medizinischen Forschung:** Derzeit gibt es in Deutschland sehr unterschiedliche Anforderungen an den Datenschutz im Rahmen klinischer Prüfungen. In Deutschland existieren 17 Datenschutzbehörden, denen es bisher nicht gelungen ist, klare und einheitliche Vorgaben zu definieren. Vereinheitlichte Standards müssen erreicht werden.
- **Aufbau eines Forschungsdatenzentrums:** Das Forschungsdatenzentrum beim BfArM befindet sich bereits im Aufbau. Es muss mit einer leistungsstarken Governance und ausreichend spezialisiertem Personal ausgestattet werden. Anträge auf Sekundärdatennutzung müssen unbürokratisch gestellt werden können und die Zeitspanne von Eingang des Antrags bis zum Bescheid muss möglichst kurz sein. Hier kann der Einsatz von künstlicher Intelligenz zur Unterstützung bei der Antragsbearbeitung nützlich sein.
- **Interoperable Datenplattformen:** Daten müssen strukturiert gesammelt und zu Forschungszwecken nutzbar gemacht werden. Dazu bedarf es u.a. einer gezielten Umsetzung von internationalen Anforderungen an IT-Architekturen. Dazu zählen z. B. strukturierte, normierte/standardisierte, maschinenlesbare Datenobjekte, vereinheitlichte Datenformate, Kodierungshomogenität, Schnittstellenmanagement, Sicherstellung von Datenqualität und -quantität. Wichtig ist in diesem Zusammenhang die Sicherstellung von Interoperabilität der Dateninfrastruktur.

Europäische Nutzenbewertung

Ab Januar 2025 startet die Nutzenbewertung auf europäischer Ebene für die ersten Medikamente. Die Zusammenarbeit auf EU-Ebene kann Europa als Pharmastandort und die globale Wettbewerbsfähigkeit des Sektors stärken. Es ist wichtig, dass Deutschland darauf hinwirkt, Divergenzen bei der klinischen Bewertung innovativer Therapien in Europa abzubauen, ohne dass die nationale Souveränität in Erstattungsfragen und der schnelle Zugang zu innovativen Therapien in Frage gestellt wird. Um eine optimale Integration in das AMNOG-Verfahren zu gewährleisten, müssen die zeitlichen Vorgaben der EU-Prozesse präzise festgelegt werden. Die in Europa eingereichten Daten sollten Grundlage für das AMNOG-Stellungnahme-Verfahren sein. Nationale Nachforderungen müssen hierbei für die Hersteller vorhersehbar und innerhalb angemessener zeitlicher Vorgaben realisierbar sein. Für Planungssicherheit sollte die Anpassung nationaler Verfahrensgrundlagen außerdem frühzeitig unter Einbindung der Industrie umgesetzt werden.

AMNOG 2.0

Um die Erfolgsgeschichte des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes (AMNOG) langfristig fortzuschreiben, zeigt sich inzwischen dringender Bedarf, einzelne Vorgaben und Verfahren an neue Entwicklungen und Herausforderungen anzupassen. Das AMNOG, konzipiert als „lernendes System“, muss im zweiten Jahrzehnt seiner Anwendung modernisiert werden. Ein Grund dafür ist der rasante wissenschaftliche Fortschritt, der sich in den kommenden Jahren voraussichtlich noch beschleunigen wird. Gen- und Immuntherapien, zielgerichtet wirkende Arzneimittel, die mRNA-Technologie, die Chancen der digitalisierten Life Sciences mit der Nutzung von Gesundheitsdaten aus dem Versorgungsalltag – dies alles sind Möglichkeiten der modernen Präzisionsmedizin, die bisher nicht die Grundlage der Verfahren war und für deren Nutzenbewertung die klassischen Pfade der Evidenzgenerierung an ihre Grenzen stoßen. Modernisieren bedeutet, dass es für neue Therapien, neue Evidenzanforderungen und neue Vertragsmodelle geöffnet werden muss, damit der schnelle Zugang zu neuen Therapien für Patientinnen und Patienten in Deutschland auch zukünftig erhalten bleibt. AMNOG-untypische Elemente wie unflexible Verhandlungskorridore sind nicht innovationsfreundlich und müssen beseitigt werden („Leitplanken“ und Kombi-Abschlag). Zudem müssen deren Auswirkungen auf Forschung und Versorgung ausgewertet werden. Nur ein 360-Grad-Blick, welcher auch die Folgen für Markteinführungen in Deutschland beachtet, liefert ein ganzheitliches Bild der Wirkung innovationsfeindlicher Sparinstrumente.