



Der EU-HTA-Prozess sollte als lernendes System begriffen werden

Heike Kielhorn. Foto: SKC Beratungsgesellschaft

Mit der neuen EU-HTA-Verordnung wird die Nutzenbewertung von neuen Therapien erstmals auf europäischer Ebene geregelt. Dieser Prozess wird parallel zur europäischen Zulassung durchgeführt. Heike Kielhorn, Gründerin und Geschäftsführerin der SKC Beratungsgesellschaft mbH, macht im Interview deutlich, vor welchen Herausforderungen die Pharmaindustrie durch die EU-HTA-Verordnung steht. Doch bei allen noch offenen Fragen und Aufgaben, die gelöst werden müssen, sieht Kielhorn auch zahlreiche Vorteile sowohl für die pharmazeutischen Unternehmen als auch die Patientinnen und Patienten in der Europäischen Union.

Frau Kielhorn, wo sehen Sie beim EU-HTA-Prozess derzeit die größten Herausforderungen für Ihre Kunden aus der Pharmaindustrie?

Die Etablierung eines harmonisierten EU-HTA-Prozesses ist offenkundig ein ambitioniertes Ziel. Das ergibt sich zum einen inhaltlich aus der zugrundeliegenden Problematik wesentlich unterschiedlich aufgestellter Mitgliedstaaten: Während etwa die Zulassung nur ein allgemein gültiges positives Nutzen-Schaden-Verhältnis bestätigt, wird der HTA-Prozess von einer anderen Forschungsfrage bestimmt. Um einen fairen Preis zu bestimmen, müssen zahlreiche Aspekte berücksichtigt werden, die sich je nach Mitgliedstaat grundlegend unterscheiden können, zum Beispiel der aktuelle Versorgungsstandard, die Therapiekosten und die Behandlungslandschaft. Der derzeit kommunizierte Stand des EU-HTA-Prozesses kann die verbleibenden Unsicherheiten letztlich noch nicht vollends ausräumen. Vollständige Klarheit ist allerdings auch nicht zwingend notwendig. Das optimale Umgehen mit Unsicherheiten ist immer ein zentraler Erfolgsbaustein.

Sehen Sie noch weitere Schwierigkeiten, die gelöst werden müssen?

Im Prozess selbst bleibt für die jeweiligen Hersteller grundsätzlich nur wenig Zeit zur strategischen und organisatorischen Vorbereitung. Wenig Vorbereitungszeit ist per se nichts Neues, allerdings braucht es hier bei diesem sehr umfassenden Gesamtkonstrukt gut vorbereitete und funktionierende Prozesse, um etwa notwendige Schritte rechtzeitig anzustoßen, die parallel und sich gegenseitig beeinflussenden Prozesse zu orchestrieren und die potenziell enormen Datenmengen operativ und strategisch optimal verarbeiten zu können. Einige wesentliche Aspekte im EU-HTA-Prozess sind derzeit allerdings schlichtweg noch nicht klar, etwa inwiefern der JCA-Report in den nachfolgenden nationalen Verfahren berücksichtigt wird oder ob und welche Strafen bei Nichterfüllung von einzelnen PICO-Forderungen etabliert werden. Auch hier sollte man sich auf Basis von Hypothesen durch Erfahrungen in vergleichbaren Prozessen mit denselben HTA-Behörden vorbereitet werden. Ein Abwarten an der Seitenlinie ist nicht zielführend – manche Komponenten des Gesamtprozesses bis zur Preisverhandlung werden erst klar definiert sein, während die ersten Verfahren bereits laufen.

Was sind dabei die drängendsten offenen Fragen, die Ihrer Einschätzung nach zeitnah gelöst werden müssten, was zum Beispiel PICO-Schema und die Zeitschiene des vorgesehenen Prozesses betrifft?

Wie gesagt, es wird wahrscheinlich noch recht lange keine vollständige Klarheit geben, und das muss es auch nicht. Dennoch sollte ein derartiger Prozess mit seinen weitreichenden Folgen nicht erst kurz vor dem Start im Januar 2025 klar und hinreichend verlässlich definiert sein. Die meisten involvierten HTA-Behörden und insbesondere die beiden deutschen Vertreter G-BA und IQWiG geben sich dankenswerterweise größte Mühe, hier für die Hersteller transparent zu sein, auch wenn es um das Nichtwissen bezüglich bestimmter Aspekte geht. Ob sich der Prozess tatsächlich so umsetzen lässt, wie er nun insbesondere zeitlich definiert wurde, wird sich sicher schnell zeigen.

Wir schätzen, es wird wie bei der europäischen Zentralisierung der Zulassung und bei der Etablierung des AMNOG in Deutschland zu Beginn etwas holprig. Ein weiterer viel besungener offener Punkt ist die potenziell große Menge abzubildender PICOs, da hier an der exemplarischen PICO-Definition von EUnetHTA 21 bisher nur etwa ein Drittel der Mitgliedstaaten überhaupt teilgenommen hat. Nach unserer Einschätzung sollte bei all der berechtigten Diskussion nicht das übergeordnete strategische Ziel vergessen werden. Denn es geht nicht darum, alle PICOs operativ zu erfüllen, sondern letztendlich um die erfolgreiche Behandlung der Patientinnen und Patienten zum gewünschten Erstattungspreis.

Welche Aufgaben könnten die Unternehmen bereits konkret angehen?

In puncto nationale Preisverhandlung muss die Verknüpfung der klinischen Prüfung auf EU-Ebene mit den national folgenden HTA-Bewertungen geregelt werden. Sowohl inhaltlich in Bezug auf die Berücksichtigung des JCA-Reports als auch strukturell sind noch Fragen offen. Da sich alle Prozesse gegenseitig erheblich beeinflussen können, ist insbesondere relevant, wie auf einseitige Verzögerungen reagiert wird. Daher stellen sich viele pharmazeutische Unternehmer derzeit die Frage „Was kann und muss ich jetzt tun, wie muss ich mich aufstellen?“. Das im Detail auszuführen, geht hier sicherlich zu weit. Eine ehrliche Abschätzung des Status quo und eine dazu passende Vorbereitung sind entscheidend. Zusätzlich sollten weitere Neuerungen beziehungsweise Anpassungen, etwa durch das EU-Pharmapaket oder nachträgliche methodische Anpassungen für Orphan Drugs und ATMPs, im Blick behalten werden.

Welche konkreten Verbesserungsvorschläge haben Sie, damit der angedachte europäische Prozess einen nachhaltigen Nutzen generiert und zum Erfolg wird?

Grundsätzlich sollte der EU-HTA-Prozess als ein lernendes System verstanden und anerkannt werden, dass es immer Potenzial zur Verbesserung gibt. Zumindest der G-BA hat auch bereits zu verstehen gegeben, dass er diese Perspektive in Anlehnung an den AMNOG-Prozess teilt. Zugleich darf die Harmonisierung der europäischen HTA-Systeme auch nicht ohne Rücksicht auf Verluste erfolgen und muss auch vermeintliche Rückschritte zulassen, falls sich zeigt, dass etwa bestimmte Anforderungen nicht zweckmäßig sind. Das zugrundeliegende Ziel eines schnellen und zuverlässigen Zugangs zu neuen effektiven Therapien für Patientinnen und Patienten in Europa sollte stets über dem politischen Erfolg der Implementierung eines neuen harmonisierten Systems stehen. Da die Industrie ebenfalls unermüdlich auf dieses Ziel hinarbeitet, sollte in unseren Augen die Zusammenarbeit von Behörden und Pharmaunternehmen im Prozess eine noch zentralere Rolle einnehmen. So ist es beispielsweise unabdingbar, dass für die Joint Scientific Consultations als frühes Beratungsformat zur Generierung der richtigen Evidenz für

alle Interessenten genug Kapazitäten zur Verfügung stehen. Ebenso sollte ähnlich zum deutschen Ansatz auch ein Beratungsgespräch kurz vor Beginn des JCA ermöglicht werden, um Unternehmen die Chance zu geben, sich auf den finalen PICO-Scope einzustellen. Dazu sollte es möglich sein, sich am Ende des Prozesses in einer schriftlichen Stellungnahme über die „faktische Richtigkeit“ hinaus zum JCA-Report zu äußern, da es hier erfahrungsgemäß Erklärungsbedarf geben wird. Zudem wird für den Erfolg des Prozesses insbesondere zu Beginn der Implementierung ein pragmatischer Umgang aller involvierten Parteien mit den Gegebenheiten entscheidend sein.

Bei allen kritischen und zum Teil noch offenen Punkten: Wo sehen Sie die Vorteile des EU-HTA-Prozesses für die pharmazeutischen Unternehmen?

Die Kernziele der EU-HTA-Verordnung sind zunächst einmal überzeugend und nachvollziehbar: Den Zugang zu innovativen Therapien in Europa zu verbessern und den bürokratischen Aufwand für Unternehmen und HTA-Behörden zu reduzieren. Insbesondere kleinere Mitgliedstaaten können sich keine derartig aufgestellten HTA-Behörden zur klinischen Prüfung leisten und dürften dadurch von der Expertise erheblich profitieren. Gleichzeitig bleibt es fraglich, ob insbesondere kleinere pharmazeutische Unternehmen alleine durch die Harmonisierung des Prozesses den Markteintritt in historisch eher sekundären Mitgliedstaaten nun signifikant früher anstreben können. Hier soll das EU-Pharmapaket über die Schutzrechte weitere Anreize schaffen, allerdings erscheint auch die derzeitige geplante Umsetzung dieses Ansatzes zumindest fragwürdig.

Gibt es noch weitere positive Aspekte?

Die Reduktion des Aufwandes für pharmazeutische Unternehmen und HTA-Behörden durch Harmonisierung aller Mitgliedstaaten wie bei der Zulassung ist sicherlich für beide Seiten ein willkommenes Ziel. Wie bereits zu Beginn ausgeführt, ist die angestrebte Harmonisierung im HTA ein völlig anderer Ansatz und lässt sich nicht ohne Weiteres durchführen. Zahlreiche zentrale Aspekte wie der aktuelle Versorgungsstandard und die Kosten können fundamental voneinander abweichen. Zusätzlich bleibt in jedem Fall ein national folgender Prozess. Derzeit erscheint die tatsächliche Ersparnis der notwendigen Ressourcen für den pharmazeutischen Unternehmer durch die Harmonisierung noch nicht bedeutsam, sondern wird tatsächlich von einigen Herstellern sogar unter dem Strich als zusätzlicher Aufwand angesehen; in jedem Fall steigen Komplexität und Zeitdruck.

Wo liegen die Vorteile für die Patienten sowie die Gesundheitsversorgung auf europäischer Ebene?

Eine Verfehlung der Ziele wäre sicherlich sehr zu bedauern. Insbesondere nach dem Brexit stellt sich für viele der in den USA ansässigen Hersteller die Frage, welcher Markt nach dem heimischen als Zweites angesteuert werden sollte. Für einen schnellen Zugang zu innovativen Arzneimitteln für die Patientinnen und Patienten darf die EU nicht unattraktiver werden – im Gegenteil. Generell bleibt es abzuwarten, wie sich die Situation nach Etablierung des Prozesses darstellt, um dann die richtigen Anpassungen vorzunehmen. Wie bei der Etablierung des AMNOG freuen wir uns auch hier von Anfang an dabei zu sein und mit unseren Klienten gemeinsam dafür zu arbeiten, dass der Prozess ein Erfolg für alle Beteiligten und insbesondere für die Patientinnen und Patienten wird.

Vielen Dank für Ihre Einschätzungen, Frau Kielhorn.