

Die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln im Kontext der EU-Arzneimittelstrategie

Schlussbericht Ressortforschungsmandat

Im Auftrag des Bundesamtes für Gesundheit (BAG)

Autorinnen und Autoren:

Anatolij Guggenbühl, MA (Projektleitung, Interface)

Aline Hänggli, MSc (Projektmitarbeit, Interface)

Anina Hanimann, Dr. (Qualitätssicherung, Interface)

Claudia Seitz, Prof. Dr. iur. (juristische Expertise, UFL Triesen)

Luzern, den 21. Mai 2024



I INTERFACE Politikstudien
Forschung Beratung AG

Seidenhofstrasse 12
CH-6003 Luzern
Tel +41 (0)41 226 04 26

Rue de Bourg 27
CH-1003 Lausanne
Tel +41 (0)21 310 17 90

guggenbuehl@interface-pol.ch
www.interface-pol.ch

I Vertragsnummer
142006389 072-25/3/1

I Laufzeit des Ressortforschungsmandats
Oktober 2023 bis Juni 2024

I Datenerhebungsperiode
November 2023 bis März 2024

I Leitung Ressortforschungsmandat im BAG
Jenny Prodanovic, Fachstelle Evaluation und Forschung (E + F)

I Meta-Evaluation

Der vorliegende Bericht wurde vom BAG extern in Auftrag gegeben, um eine unabhängige und wissenschaftlich fundierte Antwort auf zentrale Fragen zu erhalten. Die Interpretation der Ergebnisse, die Schlussfolgerungen und allfällige Empfehlungen an das BAG und andere Akteure können somit von der Meinung respektive dem Standpunkt des BAG abweichen.

Der Entwurf des Berichts war Gegenstand einer Meta-Evaluation durch die Fachstelle Evaluation und Forschung des BAG. Die Meta-Evaluation (wissenschaftliche und ethische Qualitätskontrolle einer Evaluation) stützt sich auf die Qualitätsstandards der Schweizerischen Evaluationsgesellschaft (SEVAL-Standards). Das Ergebnis der Meta-Evaluation wurde dem Projektteam mitgeteilt und fand Berücksichtigung im vorliegenden Bericht.

I Bezug

Bundesamt für Gesundheit, 3003 Bern
<https://www.bag.admin.ch/bag/de/home/medizin-und-forschung/heilmittel/kinderarzneimittel.html>

| Zitiervorschlag

Guggenbühl, Anatolij; Hänggli, Aline; Hanimann, Anina; Seitz, Claudia (2024): Die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln im Kontext der EU-Arzneimittelstrategie, Schlussbericht zum Ressortforschungsmandat zuhanden des Bundesamts für Gesundheit (BAG), Interface Politikstudien Forschung Beratung AG, Luzern und Private Universität Fürstentum Liechtenstein (UFL), Triesen.

| Steuergruppe

Edith Luginbühl (Leiterin Sektion Heilmittelrecht, BAG, Vorsitz Steuergruppe), Matthias Enderle (Leiter Abteilung Biomedizin, BAG), Roseline Porchet Glauser (Wissenschaftliche Mitarbeiterin Sektion Heilmittelrecht, BAG), Nevesthika Muralitharan (Wissenschaftliche Mitarbeiterin Sektion Heilmittelrecht, BAG), Murielle Bächler (Wissenschaftliche Mitarbeiterin Sektion Arzneimittelaufnahmen, BAG), Amedeo Cianci (Leiter Rechtsbereich 2, BAG)

| Projektreferenz

Projektnummer: 23-102

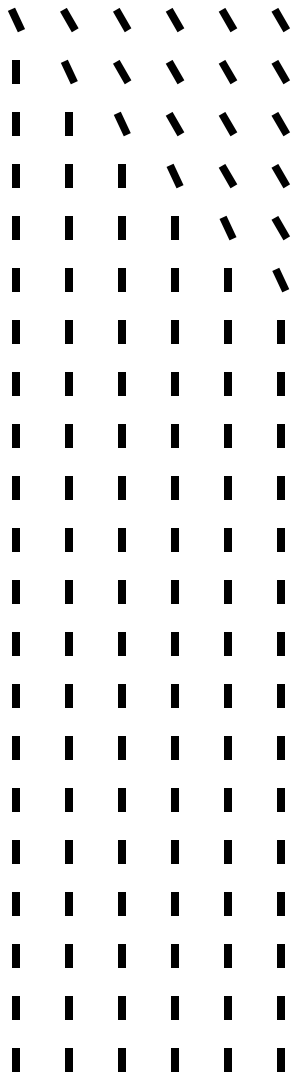
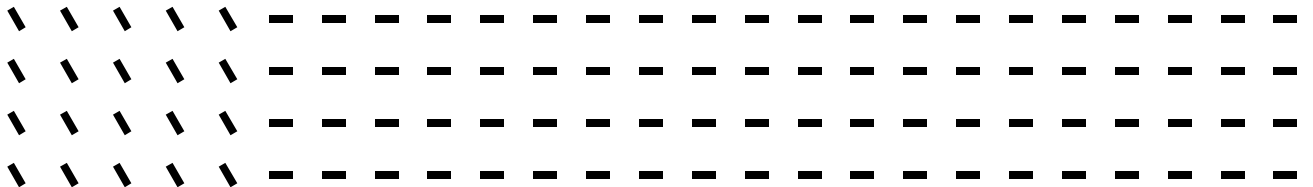
Abstract	5
1. Einleitung	6
1.1 Relevante Entwicklungen in der Schweiz	7
1.2 Gegenstand und Forschungsfragen	9
1.3 Methodik	10
1.4 Grenzen der Studie	11
2. Modul 1: EU-Arzneimittelstrategie und ihre Auswirkungen auf die Schweiz	13
2.1 Geplante Massnahmen der EU im Bereich Forschung und Entwicklung	15
2.2 Geplante Massnahmen der EU im Bereich Zulassung	24
2.3 Geplante Massnahmen der EU im Bereich Vergütung und finanzielle Anreize	28
2.4 Geplante Massnahmen der EU im Bereich Vertrieb	36
2.5 Beantwortung Forschungsfragen	37
3. Modul 2: Zusammenspiel der Massnahmen in der Schweiz	42
3.1 Versorgungs- und Anwendungssicherheit: aktuelle Situation	43
3.2 Wirkungsmodell: Übersicht der Massnahmen	45
3.3 Ziele der Massnahmen und Beschreibung Zielerreichung	47
3.4 Beantwortung Forschungsfragen	58
4. Gesamtbetrachtung, Handlungsbedarf und Handlungsvorschläge	61
4.1 Stellschrauben (Handlungsbedarf)	62
4.2 Stossrichtungen (Handlungsvorschläge)	65
4.3 Beantwortung Forschungsfragen	73
Anhang	76
A 1 Analytierte Dokumente	77
A 2 Interviewpartnerinnen und Interviewpartner	79
A 3 Teilnehmende Workshop	79

Abstract

Im Ressortforschungsmandat wurden die Auswirkungen der geplanten Massnahmen der EU zur Umsetzung der EU-Arzneimittelstrategie auf die Schweiz und das Zusammenspiel der bestehenden Massnahmen zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der Schweiz untersucht. Hierfür wurden Dokumente analysiert, ein Rechtsvergleich, Interviews und ein Workshop mit ausgewählten Wissensträgerinnen und -trägern durchgeführt sowie ein Wirkungsmodell erstellt. Die geplanten Massnahmen der EU könnten die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der Schweiz mehrheitlich verbessern. Überdies ergäbe sich für die Schweiz aus den geplanten Massnahmen kaum unmittelbarer Handlungsbedarf. Weiter zeigt das Ressortforschungsmandat auf, dass die Schweiz über 17 Massnahmen zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit verfügt. Trotz dieser Massnahmen werden in pädiatrischen Bereichen mit hohem therapeutischem Bedarf noch immer zu wenig Arzneimittel erforscht, entwickelt und zugelassen. Die Anwendung von Arzneimitteln ausserhalb der behördlich genehmigten Fachinformation bleibt bei Kindern und Jugendlichen verbreitet (Off-Label-Use). Während einzelne Massnahmen optimiert werden können, zeigt das Ressortforschungsmandat, dass die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen ganzheitlich und nachhaltig verbessert werden muss.

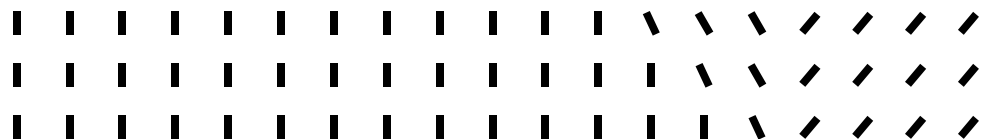
| Schlüsselwörter

Kinderarzneimittel
Arzneimittel für seltene Krankheiten
Versorgungssicherheit
Anwendungssicherheit
EU-Arzneimittelstrategie
Kinder und Jugendliche
Ressortforschungsmandat



1. Einleitung

In diesem Kapitel präsentieren wir die Ausgangslage, die Forschungsfragen und das gewählte methodische Vorgehen für das Ressortforschungsmandat.



Verschiedene Massnahmen sollen die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der Schweiz sicherstellen. Trotz dieser Massnahmen kam es in den letzten Jahren immer wieder zu Schwierigkeiten in beiden Bereichen. Zudem wird der Schweizer Arzneimittelmarkt stark durch den internationalen Kontext beeinflusst. Insbesondere Entscheide und neue Regulierungen in der EU – wie aktuell die Reform der Arzneimittelregulierung im Zuge der EU-Arzneimittelstrategie – beeinflussen die Arzneimittelversorgung in der Schweiz.

Das Bundesamt für Gesundheit (BAG) hat deshalb Interface Politikstudien Forschung Beratung AG mit der Durchführung eines Ressortforschungsmandats beauftragt, um einen Überblick über die Gesamtsituation der Anwendungs- und Versorgungssicherheit von Kinderarzneimitteln zu erhalten und um allfälligen Handlungsbedarf zu identifizieren. Das Ressortforschungsmandat soll erstens aufzeigen, welche Auswirkungen die EU-Arzneimittelstrategie auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der Schweiz haben. Zweitens soll das Zusammenspiel der Massnahmen zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der Schweiz analysiert werden. Schliesslich sollen dem BAG mögliche Stossrichtungen aufgezeigt werden, wie die Versorgungs- und Anwendungssicherheit verbessert werden kann.

1.1 Relevante Entwicklungen in der Schweiz

Im Rahmen des Ressortforschungsmandats sollen die aktuellen Entwicklungen in der Schweiz berücksichtigt werden: insbesondere die laufende dritte Revision des Heilmittelgesetzes (HMG3)¹ und die Umsetzung des BAG-Berichts Arzneimittelversorgungsgänge.² In der dritten HMG-Revision wurden bis anhin die folgenden Änderungen in die Vernehmlassung geschickt:³

- *Arzneimittel für neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products [ATMP])*: Für ATMP ist geplant, einen einheitlichen rechtlichen Rahmen im HMG unter Berücksichtigung der Regelungen in der EU⁴ zu schaffen.
- *Elektronische Rezepte für Arzneimittel (Verschreibung)*: Ärztinnen und Ärzte sollen verpflichtet werden, Humanarzneimittel und Medizinprodukte elektronisch zu verschreiben.
- *Medikationsplan*: Gesundheitsfachpersonen sollen verpflichtet werden, einen elektronischen Medikationsplan (d.h. eine Liste der verschriebenen, abgegebenen oder angewendeten Arzneimittel) bei der Verschreibung, Abgabe oder Anwendung von

¹ BAG 2023b.

² BAG 2022.

³ Zudem sind im Bereich der Tierarzneimittel Änderungen geplant, die in diesem Bericht jedoch nicht näher untersucht werden.

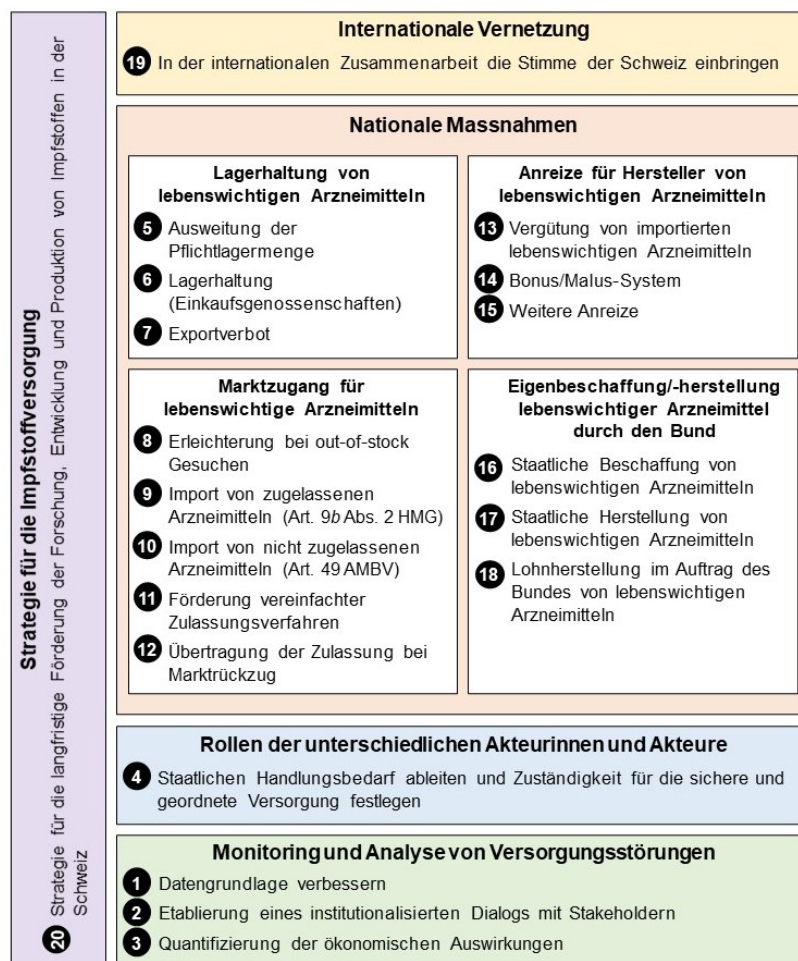
⁴ Verordnung (EG) Nr. 1394/2007.

Arzneimitteln zu erstellen sowie einen Medikationsabgleich (d.h. Prüfung der Gesamtheit der Arzneimittel, die die Patientin oder der Patient erhält) durchzuführen und diesen zu dokumentieren.

- *Dosierungsrechner*: Einrichtungen, die stationäre pädiatrische Behandlungen durchführen, sollen verpflichtet werden, ein elektronisches System zur Berechnung von Arzneimitteldosierungen (Dosierungsrechner) zu verwenden. Der Dosierungsrechner soll in der Pädiatrie auf harmonisierten Dosierungsempfehlungen basieren. Der Bundesrat kann unter anderem die Verpflichtung auf Einrichtungen im ambulanten pädiatrischen Bereich und Apotheken ausweiten.

Das BAG hat im Frühjahr 2022 in seinem Bericht zu den Arzneimittelversorgungsempfehlungen 20 Massnahmen in fünf Handlungsfeldern präsentiert, mit denen die Versorgungssituation mit Arzneimitteln in der Schweiz verbessert werden kann. Der Massnahmenkatalog wird seit 2022 konkretisiert und konkrete Umsetzungsvorschläge werden erarbeitet. Diese Vorschläge wurden in acht Teilprojekte gegliedert und sollen schrittweise umgesetzt werden (vgl. Darstellung D 1.1). Die vorläufigen Ergebnisse dieser Arbeiten sind Interface zur Beurteilung der Kompatibilität dieser geplanten Umsetzungsvorschlägen und der geplanten Massnahmen der EU vertraulich zur Verfügung gestellt worden.

D 1.1: Handlungsfelder, Teilprojekte (TP) und Katalog zu prüfender Verbesserungsmassnahmen



Quelle: *Webseite Bundesamt für Gesundheit, Sicherheit in der Arzneimittelversorgung*, Zugriff am 16. Januar 2024.

1.2 Gegenstand und Forschungsfragen

Das Ressortforschungsmandat beinhaltet zwei Module sowie die Gesamtbetrachtung der Massnahmen für Kinderarzneimittel in der Schweiz.⁵ Wir untersuchen zehn Forschungsfragen: für die beiden Module untersuchen wir jeweils drei und für die Gesamtbetrachtung vier Forschungsfragen.

I Modul 1 – EU-Arzneimittelstrategie und ihre Auswirkungen

Die EU plant, mit verschiedenen legislativen Massnahmen die EU-Arzneimittelstrategie umzusetzen. Hierfür hat die Europäische Kommission Vorschläge für eine Verordnung⁶ und eine Richtlinie⁷ erarbeitet und im Frühling 2023 der EU-Legislative eingereicht. Zum Zeitpunkt der Berichtlegung befinden sich die beiden Vorschläge noch immer in der EU-Legislative.

Im Modul 1 werden die Auswirkungen der geplanten Massnahmen auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten (AMSK) in der Schweiz analysiert.⁸ Die Analyse zeigt erstens, welche Massnahmen die EU bezüglich Kinderarzneimittel und AMSK mit der Umsetzung der EU-Arzneimittelstrategie plant. Zweitens wird analysiert, wie diese Massnahmen im Lichte des geltenden Rechts sowie der geplanten Änderungen der dritten HMG-Revision und der geplanten Umsetzung der Empfehlungen des BAG-Berichts Arzneimittelversorgungsgänge zu beurteilen sind (vgl. Abschnitt 1.1). Schliesslich wird aufgezeigt, welcher rechtliche Anpassungsbedarf für die Schweiz hieraus resultiert. Dies untersuchen wir entlang der folgenden drei Forschungsfragen:

1. Welche Massnahmen (Neuerungen und Änderungen) plant die EU bezüglich Kinderarzneimittel und Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten (AMSK), welche Ziele verfolgt die EU mit diesen Massnahmen und welche Auswirkungen auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von solchen Arzneimitteln auf die Schweiz sind zu erwarten?
2. Inwiefern sind die geplanten EU-Massnahmen mit dem geltenden Recht und den geplanten Änderungen der dritten HMG-Revision beziehungsweise mit der geplanten Umsetzung der Empfehlungen des BAG-Berichts Arzneimittelversorgungsgänge kompatibel?
3. Welcher Anpassungsbedarf resultiert aus den geplanten Massnahmen zur Revision des EU-Arzneimittelrechts für die Regulierung von Kinderarzneimitteln und AMSK in der Schweiz?

⁵ BAG 2023a.

⁶ Vorschlag für eine Verordnung des europäischen Parlaments und des Rates zur Festlegung der Verfahren der Union für die Zulassung und Überwachung von Humanarzneimitteln und zur Festlegung von Vorschriften für die Europäische Arzneimittel-Agentur, zur Änderung der Verordnung (EG) Nr. 1394/2007 und der Verordnung (EU) Nr. 536/2014 sowie zur Aufhebung der Verordnung (EG) Nr. 726/2004, der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 und der Verordnung (EG) Nr. 1901/2006 (nachfolgend «geplante Verordnung»).

⁷ Vorschlag für eine Richtlinie des europäischen Parlaments und des Rates zur Schaffung eines Unionskodexes für Humanarzneimittel und zur Aufhebung der Richtlinie 2001/83/EG und der Richtlinie 2009/35/EG (nachfolgend «geplante Richtlinie»)

⁸ Die Umsetzung der EU-Arzneimittelstrategie beinhaltet legislative und nicht-legislative Massnahmen. Modul 1 fokussiert hier ausschliesslich auf die legislativen Massnahmen, die in der durch die Europäische Kommission vorgeschlagenen neuen Richtlinie und neuen Verordnung enthalten sind.

I Modul 2 – Zusammenspiel Massnahmen Kinderarzneimittel Schweiz

Im Modul 2 wird das Zusammenspiel der Massnahmen im Bereich Kinderarzneimittel in der Schweiz untersucht. Dazu wird zuerst die aktuelle Situation der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK dargestellt. Weiter wird die Eignung der folgenden drei zentralen Massnahmen zur Sicherstellung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit überprüft:

- *SwissPedDose*: Die Nationale Datenbank zur Dosierung von Arzneimitteln bei Kindern.
- *Pädiatrisches Prüfkonzept*: Die Verpflichtung, beim Zulassungsgesuch eines Arzneimittels ein pädiatrisches Prüfkonzept einzureichen.
- *Vereinfachte Zulassung/AMSK-Status*: Die Möglichkeit eines vereinfachten Zulassungsverfahrens für neue AMSK und einer Statusänderung für bereits zugelassene wichtige AMSK.⁹

Folgende Forschungsfragen ergeben sich für dieses Modul 2:

4. Wie gestaltet sich aktuell die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der Schweiz?
5. Inwiefern können die drei Massnahmen SwissPedDose, pädiatrisches Prüfkonzept und vereinfachte Zulassung AMSK/AMSK-Status wirksam zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche beitragen?
6. Welche weiteren Massnahmen, die zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche beitragen, gibt es in der Schweiz?
7. Wie ist das Zusammenspiel aller Massnahmen in der Schweiz, die zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche beitragen, zu beurteilen?

I Gesamtbetrachtung

Basierend auf den Ergebnissen der zwei Module soll eine Gesamtbetrachtung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der Schweiz vorgenommen werden. Daraus soll möglicher Handlungsbedarf abgeleitet werden:

8. Gibt es Lücken im bestehenden Zusammenspiel der Massnahmen hinsichtlich der Gewährleistung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln? Falls ja, wo gibt es Lücken und wie könnten sie geschlossen werden?
9. Welcher (rechtliche) Handlungsbedarf ergibt sich für die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der Schweiz (z.B. neue Massnahmen, Veränderung im Zusammenspiel bestehender Massnahmen)?

1.3 Methodik

Für die Beantwortung der Fragestellungen stützen wir uns auf fünf methodische Zugänge:

- *Dokumentenanalyse*: Sowohl für Modul 1 als auch für Modul 2 haben wir die zentralen Dokumente analysiert. Dazu gehören für das Thema relevante wissenschaftliche Studien sowie Evaluations- und Forschungsberichte. Eine Liste der analysierten Dokumente findet sich in Abschnitt A 1 im Anhang.
- *Wirkungsmodell*: Um eine Gesamtsicht über die aktuellen Massnahmen, ihr Zusammenspiel und ihre Wirkungsweise auf die Anwendungs- und Versorgungssicherheit zu erhalten, haben wir uns auf die Methodik des Wirkungsmodells gestützt. Das

⁹ Mehr als die Hälfte aller AMSK kommen in der Versorgung von Kindern zur Anwendung (Hannemann et al. 2022a, S. 23).

Wirkungsmodell stellt die unterschiedlichen Stufen der Wirkungsentfaltung der einzelnen Massnahmen prozessorientiert dar und hat dadurch eine ganzheitliche Sichtweise auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit ermöglicht.¹⁰

- *Leitfadengestützte Interviews*: Für beide Module haben wir leitfadengestützte Interviews durchgeführt. Für diese Interviews haben wir insbesondere Personen berücksichtigt, die ausgewiesene Expertise zum Thema besitzen. Die Interviews haben wir anhand eines Leitfadens geführt und anschliessend entlang der Untersuchungsfragen ausgewertet. Wir haben sechs Interviews durchgeführt. Die Liste der interviewten Personen findet sich in Abschnitt A 2 im Anhang.
- *Rechtsvergleich*: Für das Modul 1 haben wir die geplanten legislativen Massnahmen der EU analysiert und mit dem geltenden EU-Arzneimittelrecht sowie dem geltenden Recht, den geplanten Änderungen der dritten HMG-Revision und der geplanten Umsetzung der Empfehlungen des BAG-Berichts Arzneimittelversorgungsengpässe in der Schweiz verglichen. Die Liste der analysierten Gesetzestexte findet sich im Abschnitt A 1 im Anhang.
- *Workshop*: Um die Ergebnisse der Studie zu validieren und zu diskutieren, haben wir nach Abschluss der erwähnten Methoden und gegen Projektende einen halbtägigen Workshop durchgeführt. Ziel des Workshops war insbesondere, den identifizierten Handlungsbedarf und mögliche Stossrichtungen zu diskutieren. Es haben zwölf Personen am Workshop teilgenommen: sechs Wissensträgerinnen und -träger im Bereich Kinderarzneimittel, zwei Mitglieder der BAG-internen Steuergruppe, die Projektleiterin seitens BAG und drei weitere interessierte Personen vom BAG. Drei weitere Wissensträgerinnen und -träger mussten sich kurzfristig vom Workshop entschuldigen, gaben jedoch teilweise schriftlich Rückmeldung. Die Liste der Workshop-Teilnehmenden findet sich in Abschnitt A 3 im Anhang.

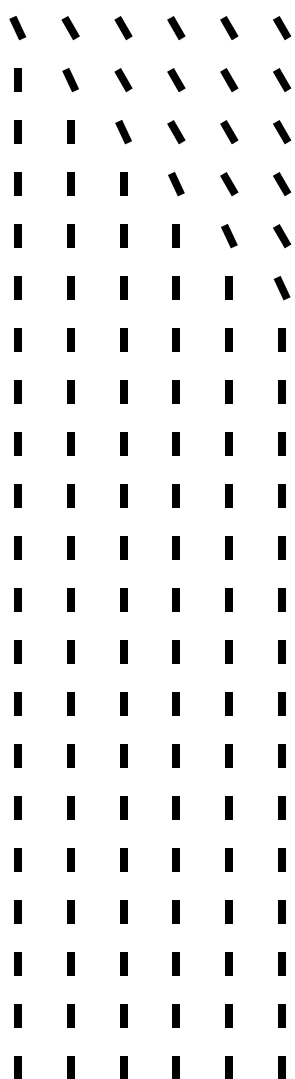
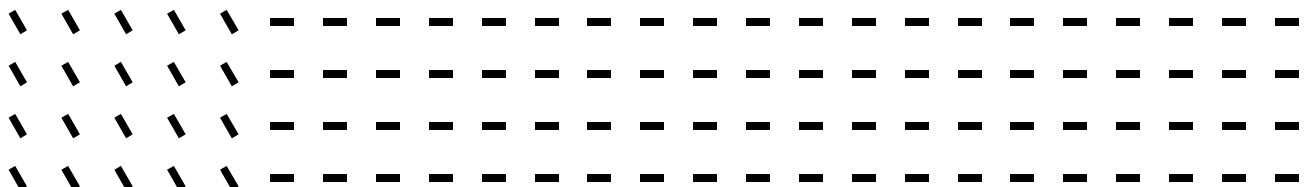
1.4 Grenzen der Studie

Die Studie weist die folgenden Grenzen auf:

- *Rechtsvergleich, nicht-juristisches Gutachten*: Die Analyse der rechtlichen Grundlagen ist nicht mit einem juristischen Gutachten zur Kompatibilität der europäischen und schweizerischen Kinderarzneimittelregulierung gleichzusetzen. Ein solches müsste von Juristinnen und Juristen durchgeführt werden, was mit den verfügbaren Ressourcen nicht durchführbar war. Unser Ansatz erlaubte die Identifizierung der wichtigsten legislativen Neuerungen und Änderungen zur Umsetzung der EU-Arzneimittelstrategie und eine juristische Validierung durch Prof. Dr. iur. Claudia Seitz. Dadurch können erste Aussagen zur Kompatibilität der geplanten Massnahmen der EU mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen der Schweiz gemacht werden. Allfälliger Anpassungsbedarf bei den rechtlichen Grundlagen müsste juristisch untersucht werden.
- *Geplante Massnahmen der EU noch nicht definitiv verabschiedet*: Die vorgeschlagene Richtlinie und Verordnung zur Reform und die Überarbeitung der bestehenden EU-Arzneimittelregulierung sind noch nicht definitiv und müssen in einem nächsten Schritt durch die beiden legislativen Kammern der EU (Europäisches Parlament und Europäischer Rat) verabschiedet werden. Dieser Prozess kann mehrere Monate andauern. Es kann daher sein, dass es zu Anpassungen kommen wird und die Ergebnisse zum Modul 1 nach Abschluss des europäischen Gesetzgebungsverfahrens an Gültigkeit einbüßen.
- *Keine vollständige Abdeckung aller Stakeholder*: Die Studie fokussierte darauf, die Meinung zentraler Wissensträgerinnen und -träger im Feld zu spiegeln. Entsprechend wurden die Interviews und der Workshop nur mit einer selektiven Auswahl von

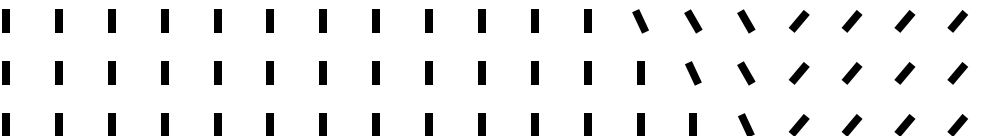
¹⁰ Balthasar 2000.

Akteuren durchgeführt und nicht sämtliche Stakeholder einbezogen. Die Resultate sind entsprechend zu interpretieren.



2. Modul 1: EU-Arzneimittelstrategie und ihre Auswirkungen auf die Schweiz

In diesem Kapitel finden sich die Ergebnisse der Analyse der geplanten Massnahmen im EU-Arzneimittelrecht im Bereich Kinderarzneimittel und AMSK sowie deren möglichen Auswirkungen auf die Schweiz.



In diesem Kapitel präsentieren wir die Ergebnisse der Analyse der geplanten Massnahmen der EU. Bei der Analyse haben wir auf die Massnahmen mit direktem Bezug zu Kinderarzneimitteln und AMSK fokussiert. Wir haben aber auch wichtige Neuerungen und Änderungen berücksichtigt, die nicht direkt auf Kinderarzneimittel und AMSK zielen, deren Versorgungs- und Anwendungssicherheit jedoch beeinflussen. Im Zentrum der analysierten Gegenstände stehen die Forschungsfragen 1 bis 3.

1. Welche Massnahmen (Neuerungen und Änderungen) plant die EU bezüglich Kinderarzneimitteln und Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten (AMSK), welche Ziele verfolgt die EU mit diesen Massnahmen und welche Auswirkungen auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von solchen Arzneimitteln auf die Schweiz sind zu erwarten?
2. Inwiefern sind die geplanten EU-Massnahmen mit dem geltenden Recht und den geplanten Änderungen der dritten HMG-Revision beziehungsweise mit der geplanten Umsetzung der Empfehlungen des BAG-Berichts Arzneimittelversorgungengpässe kompatibel?
3. Welcher Anpassungsbedarf resultiert aus den geplanten Massnahmen zur Revision des EU-Arzneimittelrechts für die Regulierung von Kinderarzneimitteln und AMSK in der Schweiz?

In den folgenden Abschnitten beschreiben wir zunächst die geplanten Änderungen und Neuerungen entlang der folgenden vier Phasen eines Arzneimittels: Forschung und Entwicklung, Zulassung, Vergütung und finanzielle Anreize, Vertrieb. Da die EU im Bereich der Anwendung keine Neuerungen und Änderungen plant, führen wir zu dieser Phase auch keine Massnahmen auf. Für die Beschreibung der Massnahmen in den anderen Bereichen stützen wir uns auf den *Rechtsvergleich*. Danach zeigen wir auf, welche Auswirkungen von diesen Massnahmen auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK zu erwarten sind. Dafür nutzen wir den *Rechtsvergleich* und die *Dokumentenanalyse*, bringen aber auch *unsere eigene Einschätzung* ein. Im Anschluss beurteilen wir die Kompatibilität der geplanten Massnahmen der EU mit geltendem Recht in der Schweiz sowie mit den geplanten Änderungen der HMG-Revision und der geplanten Umsetzung der Empfehlungen des BAG-Berichts Arzneimittelversorgungengpässe. Dazu stützen wir uns auf den *Rechtsvergleich*, die *Dokumentenanalyse*, auf ein *leitfadengestütztes Interview* und auf *unsere eigene Einschätzung*.

Als kompatibel beurteilen wir eine Massnahme dann, wenn sie nicht im Widerspruch zu geltendem Recht oder zu geplanten Änderungen der HMG-Revision und der geplanten Umsetzung der Empfehlungen des BAG-Berichts Arzneimittelversorgungengpässe in der Schweiz steht. Ein Widerspruch kann beispielsweise bestehen, wenn die geplante Massnahme der EU zu unmittelbaren Schwierigkeiten beim Vollzug des Schweizer Rechts führt. Unterschiedliche Anreizsysteme in der EU und der Schweiz hingegen

müssen nicht zwingend einen Widerspruch bedeuten. Am Ende dieses Kapitels, in Abschnitt 2.5, beantworten wir die drei Forschungsfragen zu diesem Modul.

2.1 Geplante Massnahmen der EU im Bereich Forschung und Entwicklung

Im Bereich der Forschung und Entwicklung plant die EU die Einführung einer neuen Massnahme und Änderungen an sechs Massnahmen.

2.1.1 AMSK für medizinische Versorgungslücken (Neuerung EU)

Die EU plant, eine Erweiterung des AMSK-Status einzuführen. Neu soll ein spezieller Status für AMSK geschaffen werden, die eine grosse medizinische Versorgungslücke für seltene Krankheiten schliessen. Solche Arzneimittel müssten folgende Anforderungen erfüllen:¹¹

- *Neue Therapiemöglichkeit oder aussergewöhnlicher therapeutischer Fortschritt:* In der EU ist noch kein Arzneimittel für die entsprechende seltene Krankheit zugelassen oder das neue AMSK bringt einen aussergewöhnlichen therapeutischen Fortschritt im Vergleich zu bereits zugelassenen AMSK mit sich.
- *Verringerung der Morbidität oder Mortalität:* Das neue AMSK verringert die mit der Krankheit einhergehende Morbidität oder Mortalität bei der betreffenden Patientengruppe signifikant.

Die Einführung dieser Erweiterung würde Entwickler von AMSK und die European Medicines Agency (EMA), die die Erweiterung prüft und gewährt, betreffen. AMSK, die diesen erweiterten Status erlangen, sollen dann auch von speziellen Anreizen profitieren, die über die Anreize der gewöhnlichen AMSK hinausgehen – namentlich vom Zugang zum PRIME-Programm (vgl. Abschnitt 2.1.6), zum beschleunigten Zulassungsverfahren (vgl. Abschnitt 2.2.2) und zu umfassenderen Marktexklusivitätsrechten (vgl. Abschnitt 2.3.5). Dadurch sollen Innovationen in Bereichen ermöglicht werden, in denen es keine oder erst wenige Therapiemöglichkeiten gibt.¹² Das zweite Kriterium betreffend die Morbidität und Mortalität soll zudem dazu führen, dass nur jene AMSK von dem erweiterten Status profitieren, die einen massgeblichen Einfluss auf den Gesundheitszustand der Patientinnen und Patienten haben.¹³

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Falls durch die Einführung des erweiterten AMSK-Status und die damit verbundenen Anreize mehr AMSK für medizinische Versorgungslücken erforscht, entwickelt und in der EU auf den Markt gebracht werden, würde sich die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von solchen AMSK in der EU verbessern. Auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von solchen AMSK für Kinder und Jugendliche würde sich die geplante Massnahme dann auswirken, wenn diese AMSK auch bei Kindern und Jugendlichen erforscht und bei Wirksamkeit für diese Zielgruppe zur Zulassung gebracht würden. Damit die Massnahme auch zu einer Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der Schweiz beitragen könnte, müssten die neu entwickelten AMSK auch in der Schweiz für Kinder und Jugendliche zugelassen werden beziehungsweise müssten die Erkenntnisse aus den pädiatrischen Studien in den Fachinformationen von für Kinder und Jugendliche nicht zugelassenen Arzneimitteln aufgenommen werden.

¹¹ Art. 70 Abs. 1 Bst. a–b der geplanten Verordnung

¹² S. 1–2 der geplanten Verordnung.

¹³ Vorbemerkung 100 der geplanten Verordnung.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «AMSK für medizinische Versorgungslücken» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- *Geltendes Recht*: kompatibel (auch wenn die Schweiz eine solche Erweiterung des AMSK-Status nicht kennt)
- *HMG3*: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.1.2 Europäisches Netz (Änderung EU)

Die EU plant ein europäisches Netz aus Patientenvertretenden, Akademikerinnen und Akademikern, Arzneimittelentwicklern sowie Prüferinnen und Prüfern und Prüfzentren mit Sachkenntnis im Bereich der Durchführung von pädiatrischen Studien aufzubauen.¹⁴ Das Netzwerk soll erstens Studien über Kinderarzneimittel koordinieren, zweitens die notwendige wissenschaftliche und administrative Kompetenz auf europäischer Ebene aufbauen und drittens dazu beitragen, dass unnötige Mehrfachstudien bei Kindern und Jugendlichen vermieden werden. Viertens soll das Netzwerk über die Prioritäten bei der klinischen Entwicklung von Kinderarzneimitteln beraten.¹⁵

Die EU kennt mit dem Europäischen Netzwerk für pädiatrische Forschung bei der Europäischen Arzneimittelagentur (European Network of Paediatric Research at the European Medicines Agency [Enpr-EMA]) bislang bereits ein Netzwerk, das eine ähnliche Funktion und ähnliche Ziele wie das geplante Netzwerk hat. Es sollen jedoch wichtige Änderungen am Netzwerk vorgenommen werden: Im Vergleich zum aktuellen Netzwerk (Enpr-EMA) soll das geplante neue Netzwerk auch aus Vertretenden von Patientenorganisationen und Arzneimittelentwicklern bestehen und nicht nur aus Forschenden, Prüferinnen und Prüfern und Prüfzentren wie bis anhin. Die EU will damit auf die Kritik reagieren, wonach die Enpr-EMA zu stark akademisch ausgerichtet sei und die Bedürfnisse aus der Praxis zu wenig berücksichtigt würden.¹⁶ Neu soll das Netzwerk auch eine beratende Funktion betreffend die Prioritäten in der Forschung und Entwicklung von Kinderarzneimitteln übernehmen. Das neue Netzwerk würde primär die vorgängig genannten Akteure betreffen.

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Diese Massnahme soll die Forschung und Entwicklung von Kinderarzneimitteln fördern, was sich positiv auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der EU auswirken würde. Die Schweiz würde von dieser geplanten Massnahme zweifach profitieren: Falls die Schweiz weiterhin Teil der Enpr-EMA beziehungsweise des neuen Europäischen Netzwerks bleibt, wird dadurch mutmasslich auch die Forschung und Entwicklung von Kinderarzneimitteln in der Schweiz gefördert. Zudem würde mehr Forschung und Entwicklung von Kinderarzneimitteln im Ausland auch die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von diesen Arzneimitteln in der Schweiz verbessern, sofern die daraus gewonnen Erkenntnisse in die Fachinformation von für Kinder und Jugendliche nicht zugelassenen Arzneimitteln aufgenommen oder neue Kinderarzneimittel in der Schweiz zugelassen werden würden.

¹⁴ Art. 95 Abs. 1 der geplanten Verordnung.

¹⁵ Art. 95 Abs. 2 der geplanten Verordnung.

¹⁶ Hanimann et al. 2022a, S. 37.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz
Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Europäisches Netz» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- Geltendes Recht: kompatibel
- HMG3: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengepässe: kompatibel¹⁷

2.1.3 Pädiatrisches Prüfkonzept (Änderung EU)

Die bestehende Pflicht zur Entwicklung von pädiatrischen Prüfkonzepten (Paediatric Investigation Plan [PIP]) und die Umsetzung der darin beschriebenen Massnahmen soll auch in der neuen EU-Arzneimittelregulierung beibehalten werden. In der neuen EU-Regelung soll es jedoch unter bestimmten Bedingungen die Möglichkeit geben, PIPs schrittweise zu erstellen. Arzneimittelentwickler sollen in einem ersten Schritt ein sogenanntes «erstes pädiatrisches Prüfkonzept» bei der EMA einreichen können. Dieses soll den Zeitplan und die Einzelheiten der vorgeschlagenen Massnahmen enthalten, mit denen die Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit eines Arzneimittels bei Kindern und Jugendlichen überprüft werden sollen. Zudem soll nebst dem Zeitplan für die Massnahmen auch der Zeitplan für die Einreichung des vollständigen PIP enthalten sein. Demgegenüber sollte dieses erste PIP noch keine Informationen zu Massnahmen für die Anpassung der Darreichungsform, Dosierung, den Verabreichungsweg oder die Verabreichungsvorrichtung für eine sichere, einfache, annehmbare oder wirksame Anwendung bei Kindern enthalten müssen.¹⁸ Arzneimittelentwickler sollen in zwei Fällen ein erstes PIP einreichen können:¹⁹

- *Neuer Wirkstoff*: Sofern der betroffene Wirkstoff noch in keinem Arzneimittel in der EU zugelassen und für die Behandlung einer neuen pädiatrischen Krankheit bestimmt ist.
- *Wissenschaftliche Gründe*: Wenn es aus wissenschaftlichen Gründen nicht möglich ist (z.B., wenn ein Molekül noch nie zuvor verwendet wurde), vor Beginn der klinischen Unbedenklichkeits- und Wirksamkeitsstudien ein vollständiges PIP einzureichen.

Arzneimittelentwickler sollen ein allfälliges erstes PIP vor der Einleitung der klinischen Unbedenklichkeits- und Wirksamkeitsstudien bei der EMA vorlegen müssen, damit die Ergebnisse der Studien zum Zeitpunkt der Zulassung vorliegen.²⁰ Bereits heute müssen vollständige PIP sowie Anträge auf Freistellung oder Zurückstellung vor Beginn der klinischen Studien bei der EMA vorliegen.

Von diesen Änderungen wären hauptsächlich Arzneimittelentwickler und die EMA, die die PIP prüft und bewilligt, betroffen. Mit dieser Massnahme soll die Erarbeitung eines PIP besser auf die dynamischen Prozesse der Arzneimittelentwicklung ausgerichtet und berücksichtigt werden, dass gewisse Inhalte des PIP von den Ergebnissen laufender Studien abhängig sind.²¹ Zudem soll der Verwaltungsaufwand verringert werden, da

¹⁷ Im Rahmen der geplanten Umsetzung der Empfehlungen des BAG-Berichts soll geprüft werden, ob die Schweiz sich bei internationalen Initiativen, insbesondere zur Rückholung der Produktion relevanter Wirkstoffe nach Europa, engagieren soll (BAG 2022, S. 35).

¹⁸ Art. 74 Abs. 2 der geplanten Verordnung.

¹⁹ Art. 74 Abs. 2–3 der geplanten Verordnung.

²⁰ Art. 76 Abs. 1 und Art. 74 Abs. 2 der geplanten Verordnung.

²¹ Vorbemerkung 108 der geplanten Verordnung.

vollständig erarbeitete PIPs nach dem Vorliegen der Ergebnisse der laufenden Studien nicht nochmals überarbeitet werden müssen.²²

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Die Massnahme könnte dazu führen, dass es künftig weniger Änderungen an bereits bewilligten PIPs braucht.²³ Dies wiederum würde mutmasslich die Kosten für die Forschung und Entwicklung von Arzneimitteln senken und die Dauer der Zulassungsverfahren verkürzen. Gleichzeitig würden PIPs nach wie vor umgesetzt und Studiendaten zu Kindern und Jugendlichen generiert werden. Dadurch soll die Massnahme einen Beitrag zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK leisten.

Sollte sich diese Wirkungshypothese tatsächlich einstellen, so würde mutmasslich auch die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von solchen Arzneimitteln in der Schweiz verbessert werden. Bedingung hierfür ist, dass die Erkenntnisse der pädiatrischen Studien in die Fachinformation von für Kinder und Jugendliche nicht zugelassenen Arzneimitteln fliessen beziehungsweise die neu entwickelten Kinderarzneimittel und AMSK auch in der Schweiz zur Zulassung gebracht werden würden.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Pädiatrisches Prüfkonzept» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- *Geltendes Recht*: inkompatibel. Die geplante Massnahme könnte Schwierigkeiten mit geltendem Recht der Schweiz verursachen. Aktuell müssen Arzneimittelentwickler in der Schweiz bei einem Zulassungsgesuch ein pädiatrisches Prüfkonzept einreichen, können dabei aber ein bestehendes ausländisches pädiatrisches Prüfkonzept verwenden, beispielsweise ein europäisches PIP. Ein vollständiges PIP könnte in der Schweiz auch unter der geplanten EU-Regelung anerkannt werden. Es müsste jedoch geklärt werden, ob Arzneimittelentwickler künftig auch erste PIPs einreichen können und wie der Prozess zur Einreichung der vollständigen PIPs aussehen würde.
- *HMG3*: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.1.4 Freistellungen und Zurückstellungen (Änderung EU)

Auch in der neuen EU-Regelung sollen Arzneimittelentwickler für die Einreichung eines PIP eine Freistellung (d.h. Befreiung von der PIP-Pflicht) oder Zurückstellung (d.h. pädiatrische Studien können später als Studien an Erwachsenen durchgeführt oder abgeschlossen werden) beantragen können. Eine Änderung ist jedoch für die Kriterien für eine Freistellung geplant: Eine Freistellung bei Krankheiten, die nur bei Erwachsenen auftreten, würde neu nicht mehr gewährt, wenn bestehende wissenschaftliche Evidenz darauf hinweist, dass das Arzneimittel aufgrund seines molekularen Wirkungsmechanismus bei einer anderen Krankheit bei Kindern wirksam sein könnte.²⁴ Darüber hinaus soll bei gesundheitlichen Notlagen eine befristete Freistellung gewährt werden können, sofern das betroffene Arzneimittel für die Behandlung, Prävention oder Diagnose der Krankheit bestimmt wäre, die die Notlage verursacht hat. Nach Ablauf der Frist beziehungsweise der Notlage soll der Arzneimittelentwickler allerdings ein PIP oder einen Antrag auf

²² S. 25 der geplanten Verordnung.

²³ Zahlen von 2015 zeigen, dass es bei rund jedem vierten PIP Änderungen gibt (Hanimann et al 2022a, S. 32).

²⁴ Art. 75 Abs. 1 Bst. b und Vorbemerkung 110 der geplanten Verordnung.

Freistellung vorlegen müssen.²⁵ Die Änderung bei den Kriterien der Freistellung soll dazu beitragen, dass die Zahl erforschter Kinderarzneimittel und AMSK – insbesondere in der Onkologie²⁶ – erhöht und die Forschung und Innovation gefördert werden.

Die Kriterien für eine Zurückstellung sollen unverändert bleiben. In der neuen Regelung ist jedoch vorgesehen, dass eine Zurückstellung höchstens fünf Jahre dauern darf.²⁷ Die Dauer der Zurückstellung variiert von Fall zu Fall,²⁸ wobei die EMA über die Dauer entscheidet.²⁹ Die Dauer der Zurückstellung soll auf Antrag hin verlängert werden können, wobei die Dauer (inkl. Verlängerung) nicht länger als fünf Jahre betragen darf.³⁰ Die EU will durch die Einführung der Frist lange Zurückstellungen vermeiden und die Entwicklung von pädiatrischen Arzneimitteln beschleunigen.³¹

Von diesen geplanten Änderungen wären insbesondere Arzneimittelentwickler und die EMA, die Freistellungen und Zurückstellungen erteilt, betroffen.

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Folgende Auswirkungen dieser beiden Änderungen können erwartet werden:

- *Freistellungen*: Diese Massnahme würde erstens zur Anwendungssicherheit in der EU beitragen, weil für mehr Arzneimittel Daten bei Kindern und Jugendlichen erhoben werden müssten.³² Sie würde aber zweitens auch zur Versorgungssicherheit in der EU beitragen, weil mutmasslich mehr Arzneimittel für Kinder und Jugendliche weiterentwickelt werden würden. Auch in der Schweiz würde sich die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche mutmasslich verbessern, falls die Erkenntnisse aus den pädiatrischen Studien in der Fachinformation von für Kinder und Jugendliche nicht zugelassenen Arzneimitteln aufgenommen beziehungsweise die Arzneimittel auch für Kinder und Jugendliche zugelassen werden würden (vgl. hierzu auch die folgende Beurteilung der Kompatibilität und den Anpassungsbedarf für die Schweiz in Abschnitt 2.5).
- *Zurückstellungen*: Diese neue Regelung könnte zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der EU beitragen, da Kinder und Jugendliche möglicherweise einfacher in klinische Studien rekrutiert werden könnten. Ist nämlich ein zurückgestelltes Arzneimittel für Erwachsene bereits zugelassen, ist die Rekrutierung von Kindern und Jugendlichen für klinische Studien schwieriger, da das Arzneimittel trotz fehlender Zulassung bereits bei Kindern und Jugendlichen angewendet wird (sog. Off-Label-Use).³³ Eine Befristung der Zurückstellungen könnte dazu führen, dass Arzneimittel für Erwachsene noch in Entwicklung

²⁵ Art. 83 Abs. 1–3 der geplanten Verordnung.

²⁶ European Commission 2020, S. 50.

²⁷ Zurückstellungen, die vor dem Inkrafttreten der geplanten Verordnung bewilligt wurden, würden keiner zeitlichen Frist unterliegen. Solche unbefristeten Zurückstellungen werden durch die Europäische Kommission veröffentlicht (Art. 98 Bst. g der geplanten Verordnung).

²⁸ Es ist uns nicht bekannt, wie lange eine Zurückstellung durchschnittlich dauert.

²⁹ Art. 81 Abs. 2 der geplanten Verordnung.

³⁰ Art. 81 Abs. 3 und Art. 82 Abs. 1 der geplanten Verordnung.

³¹ In der geplanten Verordnung nennt die EU keine Gründe dafür, weshalb diese Anpassung vorgenommen werden soll. In ihrer Evaluation der EU-Kinderarzneimittelverordnung und der EU-Verordnung über AMSK schreibt die Europäische Kommission jedoch, dass die EMA Massnahmen prüft, um lange Zurückstellungen zu verhindern (European Commission 2020, S. 51).

³² Im bisherigen System werden Freistellungen gewährt, obwohl die Umsetzung eines PIP für den pädiatrischen Bereich wertvoll wäre (Hanemann et al. 2022a, S. 34).

³³ Hanemann et al 2022a, S. 32.

sind, wenn die Frist der Zurückstellung ausläuft, und entsprechend die Rekrutierung von Kindern in Studien fördern. Es könnte jedoch auch der Fall eintreten, dass ein zurückgestelltes PIP nicht innerhalb der Frist umgesetzt wird. Was in diesem Fall passieren würde, ist uns unklar. In der Schweiz könnte sich die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche durch diese Massnahmen ebenfalls verbessern, sofern die Erkenntnisse aus den pädiatrischen Studien auch in die Fachinformation von für Kinder und Jugendliche nicht zugelassenen Arzneimitteln integriert beziehungsweise Arzneimittel in der Schweiz auch für Kinder und Jugendliche zugelassen werden würden. Die Auswirkungen einer Verfristung in der EU auf die Schweiz können nicht abgeschätzt werden.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Freistellungen und Zurückstellungen» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- *Geltendes Recht*: Freistellungen kompatibel / Zurückstellungen kompatibel. Die Schweiz stützt sich bei den Kriterien für die Freistellung grundsätzlich auf die geltenden Kriterien in der EU. Die Schweiz kennt jedoch keine abschliessende Liste an Kriterien³⁴, daher hat Swissmedic bei der (Nicht-)Gewährung von Freistellungen einen gewissen Spielraum. Die geplanten Massnahmen der EU im Bereich «Freistellung» stünden daher nicht im Widerspruch zu geltendem Recht der Schweiz. Die geplanten Massnahmen betreffend die Einführung einer Frist bei Zurückstellungen beurteilen wir ebenfalls als kompatibel mit geltendem Recht in der Schweiz. Arzneimittelentwickler müssen Swissmedic bereits heute unverzüglich über die Erfüllung eines ausländischen Prüfkonzepts benachrichtigen.³⁵ Da in der Schweiz mehrheitlich PIPs eingereicht werden, würde die neue Regelung implizit auch durch die Schweiz übernommen werden, selbst wenn die Schweiz die Frist nicht einführt.
- *HMG3*: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.1.5 AMSK-Status (Änderung EU)

Die EU plant auch Änderungen an den Kriterien für die Erteilung des AMSK-Status. Das Kriterium der ungenügenden Gewinnaussichten soll gestrichen werden, da es nie angewandt wurde.³⁶ Arzneimittel, die ohne Anreize nicht genügend Gewinn erzielen, um die für die Arzneimittelentwicklung notwendigen Investitionen zu rechtfertigen, würden entsprechend keinen AMSK-Status mehr erhalten. Das Seltenheitskriterium³⁷ soll beibehalten werden. Allerdings könnte die Europäische Kommission neu weitere spezifische Kriterien für bestimmte Krankheiten festlegen.³⁸ Dadurch könnten Krankheiten, die zwar ebenfalls selten sind, nicht jedoch das Seltenheitskriterium erfüllen, ebenfalls den AMSK-

³⁴ Art. 5 Abs. 4 VAM

³⁵ Art. 5 Abs. 3 VAM.

³⁶ Vorbemerkung 89 der geplanten Verordnung.

³⁷ Ein Arzneimittel erhält den AMSK-Status, wenn zum Zeitpunkt des Zulassungsantrags des Arzneimittels in der EU nicht mehr als 5 von 10'000 Personen von der Krankheit betroffen sind.

³⁸ Art. 63 Abs. 2 der geplanten Verordnung.

Status erhalten.³⁹ Damit will die EU auf den Umstand reagieren, dass die Anzahl der von der Krankheit betroffenen Individuen teilweise schwierig zu ermitteln ist.⁴⁰

Beim Prozess für den Erhalt des AMSK-Status soll es ebenfalls Änderungen geben. Neu soll die EMA auch für den Entscheid der Anträge zuständig sein und nicht nur für deren Prüfung.⁴¹ Davor traf die Europäische Kommission den Entscheid über den Antrag. Durch diese Übertragung der Zuständigkeiten soll das Verfahren erleichtert und beschleunigt werden.⁴² Neu soll auch die *Gültigkeitsdauer* des AMSK-Status auf sieben Jahre begrenzt werden.⁴³ Die alte Regelung sah keine zeitliche Beschränkung des Status vor. Die Gültigkeitsdauer soll durch die EMA verlängert werden können, wenn die klinischen Studien für den Erhalt der Zulassung noch laufen und erfolgsversprechend sind. Die Verlängerung soll zeitlich begrenzt sein.⁴⁴ Bei der Zulassung soll der Antragsteller nachweisen müssen, dass das Arzneimittel den AMSK-Status besitzt und dass es die Kriterien hierfür erfüllt.⁴⁵ Sobald ein AMSK zugelassen werden würde, soll das Arzneimittel seinen AMSK-Status verlieren.⁴⁶ Das AMSK hätte jedoch noch immer Anrecht auf das Marktexklusivitätsrecht (vgl. Abschnitt 2.3.5).

Von den genannten Änderungen wären besonders die Entwickler von AMSK betroffen sowie die EMA, die die Kriterien prüft.

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Wir beurteilen die Auswirkungen der Massnahme auf die EU wie folgt:

- *Kriterien*: Die Erweiterung der Kriterien für den AMSK-Status könnte zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von AMSK⁴⁷ in der EU beitragen, weil mehr Arzneimittel sich für den AMSK-Status und die entsprechenden Anreize qualifizieren und dadurch für Arzneimittelhersteller in der Forschung, Entwicklung und Zulassung attraktiver werden würden.
- *Prozess*: Diese Massnahme könnte einen Beitrag zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von AMSK in der EU leisten, weil die Dauer des Verfahrens und somit die Kosten für die Forschung und Entwicklung gesenkt werden würden, wodurch die Entwicklung solcher Arzneimittel für die Entwickler attraktiver werden würde.
- *Gültigkeitsdauer*: Die beschränkte Gültigkeitsdauer soll dazu führen, dass Arzneimittelentwickler schneller eine Zulassung für ihre AMSK beantragen.⁴⁸ Dies würde entsprechend auch einen Beitrag zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von AMSK in der EU leisten.

³⁹ Ein Beispiel dafür wären Krankheiten mit kurzem Verlauf und hoher Sterblichkeit, bei denen besser die Anzahl zu einem bestimmten Zeitpunkt neu erkrankter Personen (Inzidenz) statt betroffener Personen (Prävalenz) verwendet wird, um die Seltenheit der Krankheit zu beurteilen (Vorbemerkung 91 der geplanten Verordnung).

⁴⁰ Hanimann et al 2022b, S. 20.

⁴¹ Art. 64 Abs. 4 der geplanten Verordnung.

⁴² Vorbemerkung 94 der geplanten Verordnung.

⁴³ Art. 66 Abs. 1 der geplanten Verordnung.

⁴⁴ Art. 66 Abs. 2 der geplanten Verordnung.

⁴⁵ Art. 69 Abs. 2 der geplanten Verordnung.

⁴⁶ Art. 66 Abs. 1–2 und 4 der geplanten Verordnung.

⁴⁷ Es ist uns nicht bekannt, ob dadurch Arzneimittel, die besonders in der Pädiatrie zur Anwendung kommen, neu den AMSK-Status erhalten und von den Anreizen profitieren würden.

⁴⁸ Vorbemerkung 95 der geplanten Verordnung.

Die geplante Massnahme würde sich auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der Schweiz dann positiv auswirken, wenn in der Entwicklung dieser AMSK Daten zu dieser Zielgruppe erhoben werden würden und diese Daten in die Fachinformation von für Kinder und Jugendliche nicht zugelassenen AMSK einfließen beziehungsweise wenn die betreffenden AMSK auch in der Schweiz für Kinder und Jugendliche zugelassen werden würden.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «AMSK-Status» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- *Geltendes Recht*: kompatibel. Der AMSK-Status wird in der Schweiz aufgrund des Seltenheitskriteriums oder des Auslandskriteriums gewährt.⁴⁹ Letzteres besagt, dass ein Arzneimittel den AMSK-Status erhalten kann, wenn es bereits in einem anderen Land mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle den AMSK-Status besitzt. Entsprechend könnten sich Arzneimittelentwickler beim Antrag um einen AMSK-Status auch mit den geplanten Änderungen auf dieses zweite Kriterium stützen und so den Status erhalten, selbst wenn die Schweiz die Kriterien nicht analog der EU anpasst. Schliesslich kennt die Schweiz das Kriterium betreffend Gewinn nicht, der Wegfall dieses Kriteriums hätte entsprechend keine Konsequenzen.
- *HMG3*: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.1.6 Klassifizierung als Arzneimittel für neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP) (Änderung EU)

Die EU kennt unterschiedliche wissenschaftliche und regulatorische Unterstützungsmassnahmen. Namhafte⁵⁰ Änderungen im Zuge der Reform des Arzneimittelrechts sind jedoch lediglich bei der Klassifizierung als ATMP geplant: Arzneimittelentwickler können aktuell für Arzneimittel, die auf der Grundlage von Genen, Zellen oder Geweben entwickelt wurden, eine Empfehlung von der EMA dazu einholen, ob es sich beim Arzneimittel um ein ATMP handelt. Dieses Unterstützungsangebot soll erweitert werden. Neu sollen unter anderem Arzneimittelentwickler von Kinderarzneimitteln und AMSK eine wissenschaftliche Empfehlung darüber einholen können, ob es sich beim Produkt um ein Arzneimittel – einschliesslich eines ATMP – handelt oder nicht.⁵¹ Die EMA würde diese Beratung erteilen, ohne Gebühren zu erheben.⁵²

Die Änderungen würden hauptsächlich die EMA und die Arzneimittelentwickler betreffen. Die Ziele dieser Anpassung werden in den Erläuterungen der EU zur geplanten Verordnung und Richtlinie nicht genannt. Da es aber bei ATMP teilweise unklar sein kann, ob es sich beim Produkt um ein Arzneimittel, ein Medizinprodukt oder eine Kombination⁵³ davon handelt, plant die EU aus unserer Sicht, ihre bestehende Massnahme

⁴⁹ Art. 4 Abs. 1 Bst. a^{decies} HMG.

⁵⁰ Weitere Änderungen: Die EU plant, das bereits bestehende PRIME-Programm ins europäische Recht zu kodifizieren und die ebenfalls bereits bestehende Unterstützung bei der Erstellung des Prüfplans im EU-Recht zu konkretisieren. Bei beiden Massnahmen führen diese rechtlichen Anpassungen jedoch zu keinen Änderungen am Inhalt der Massnahmen, weshalb keine Änderungen betreffend die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von AMSK zu erwarten sind.

⁵¹ Art. 61 Abs. 1 der geplanten Verordnung.

⁵² Art. 89 der geplanten Verordnung.

⁵³ Kombinierte ATMP können beispielsweise ein oder mehrere Medizinprodukte als integralen Bestandteil des Arzneimittels aufweisen (vgl. [Website EMA: Advanced therapy medicinal products: Overview](#), Zugriff am 30. Januar 2024).

auszuweiten, um bereits früh im Forschungs- und Entwicklungsprozess die Arzneimittelentwickler auf den korrekten Zulassungsweg zu leiten.

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Die Auswirkungen dieser Anpassung auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK in der EU und der Schweiz sind schwierig einzuschätzen: Die Massnahme könnte theoretisch dazu beitragen, die Kosten der Zulassung von solchen Arzneimitteln in der EU zu senken, wodurch diese Arzneimittel für die Entwickler attraktiver werden würden, was mutmasslich auch zu mehr Zulassungen in der Schweiz führen könnte. Die bisherigen Erfahrungen der EU mit dieser Massnahme zeigen jedoch, dass nur wenige Arzneimittelentwickler diese Unterstützung der EU nutzen.⁵⁴ Aus der Klassifizierung als ATMP ergeben sich keine weiteren Anreize, da im aktuellen System der EU der Entscheid, ob es sich beim Arzneimittel um ein ATMP handelt, nicht bindend ist. Ob daran Änderungen geplant sind, ist uns nicht bekannt.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Klassifizierung als ATMP» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- Geltendes Recht: kompatibel
- HMG3: kompatibel. Es ist möglich, dass sich durch die Abgabe der wissenschaftlichen Empfehlungen die EU-Definition von ATMP mittelfristig ändert. Weil die dritte HMG-Revision jedoch vorsieht, dass der Bundesrat den Begriff der ATMP auf Verordnungsstufe punktuell abweichend definieren kann, sollte die Schweiz auf Änderungen in der Definition der EU flexibel reagieren können.⁵⁵
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungspässe: kompatibel

2.1.7 Umweltverträglichkeitsprüfung (Änderung EU)

Die Anforderungen an die Umweltverträglichkeitsprüfung bei der Zulassung von Arzneimitteln sollen in der neuen EU-Regelung verschärft und auf neue Schutzziele ausgeweitet werden (z.B. Schutz vor antimikrobiellen Resistenzen).⁵⁶ Zulassungsanträge, die die Anforderungen der Umweltverträglichkeitsprüfung nicht erfüllen, könnten neu abgelehnt werden.⁵⁷ Zudem soll die Umweltverträglichkeitsprüfung aktualisiert werden müssen, sofern neue Informationen dazu vorliegen.⁵⁸ Dadurch sollen potenzielle nachteilige Auswirkungen auf die Umwelt und die öffentliche Gesundheit bewertet und begrenzt werden können.⁵⁹ Von dieser Regelung wären Arzneimittelentwickler betroffen, die die Umweltverträglichkeitsprüfungen durchführen müssten, sowie die Prüfinstitutionen, die die Prüfungen auswerten würden.

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Inwiefern sich die geplante Verschärfung betreffend die Umweltverträglichkeitsprüfung auf den Aufwand der Erforschung und Entwicklung von Arzneimitteln auswirkt, ist schwierig abzuschätzen. Bereits heute müssen Arzneimittelentwickler Umweltverträglichkeitsprüfungen durchführen. Falls die geplante Verschärfung dazu führt, dass sich die Forschungs- und Entwicklungskosten erhöhen, kann dies dazu führen, dass die Margen

⁵⁴ Hanimann et al. 2022b, S. 23.

⁵⁵ BAG 2023b, S. 24.

⁵⁶ S. 21 der geplanten Richtlinie.

⁵⁷ Art. 15 Abs. 1 Bst. d der geplanten Verordnung.

⁵⁸ Art. 22 Abs. 6 der geplanten Richtlinie.

⁵⁹ S. 21 der geplanten Richtlinie.

der Arzneimittelentwickler sinken – sofern sie die Zusatzkosten nicht einpreisen und an die Patientinnen und Patienten beziehungsweise die Krankenversicherungen weitergeben können. Durch tiefere Margen könnten Arzneimittel, die ohnehin weniger profitabel sind (wie Kinderarzneimittel oder AMSK), für die Arzneimittelentwickler noch weniger attraktiv werden. Dies hätte einen negativen Einfluss auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK in der EU. Dies würde sich auch auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit in der Schweiz mutmasslich negativ auswirken, da insgesamt weniger Arzneimittel für Kinder und Jugendliche erforscht, entwickelt und auf den Markt gebracht werden würden.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Umweltverträglichkeitsprüfung» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- *Geltendes Recht*: kompatibel. Auch in der Schweiz müssen Arzneimittelentwickler teilweise eine Umweltverträglichkeitsprüfung durchführen. So müssen bei Wirkstoffen, die zum ersten Mal als Bestandteil eines Arzneimittels zugelassen werden, die Umweltrisiken beurteilt werden. Diese Beurteilung richtet sich nach der Leitlinie der EMA vom 1. Juni 2006 über die Beurteilung des Umweltrisikos von Arzneimitteln zum menschlichen Gebrauch.⁶⁰ Wir gehen davon aus, dass die EU bei der Umsetzung der geplanten Massnahmen diese EMA-Leitlinie ebenfalls anpassen würde.
- *HMG3*: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.2 Geplante Massnahmen der EU im Bereich Zulassung

Im Bereich der Zulassung plant die EU die Einführung zwei neuer Massnahmen sowie Änderungen an zwei Massnahmen.

2.2.1 Einführung der Bolar-Ausnahmeregelung (Neuerung EU)

Im alten System der EU gewähren einzelne Mitgliedstaaten die Möglichkeit, die durch ein Patent geschützten eingereichten Unterlagen (d.h. Studien, Versuche und Tätigkeiten zur Generierung von Daten) für die Beantragung einer Zulassung für Nachahmerprodukte verwenden zu dürfen (sog. Bolar-Ausnahme). Diese Regelung soll neu in der gesamten EU gelten.⁶¹ Zudem soll die Regelung dahingehend erweitert werden, dass die Unterlagen auch zur Unterstützung der Preisfestsetzung und Kostenerstattung sowie zur Bewertung von Gesundheitstechnologien verwendet werden dürfen.⁶² Dadurch sollen Generika und Biosimilars schneller auf den Markt kommen und der Wettbewerb gefördert werden.⁶³ Die Massnahme würde insbesondere die Entwickler von Originalpräparaten und Hersteller von Generika und Biosimilars betreffen. Die EMA wäre ebenfalls von der Regelung betroffen, da sie potenziell mehr Zulassungsanträge prüfen müsste.

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Diese Massnahme könnte unserer Ansicht nach einen ambivalenten Einfluss auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK in der EU haben. Einerseits könnte die schnellere Verfügbarkeit von Nachahmerprodukten dazu beitragen, dass mehr (und auch erschwinglichere) Produkte auf dem Markt verfügbar wären. Dadurch könnten möglicherweise Lieferengpässe reduziert und der Zugang zu

⁶⁰ Art. 81 VAM.

⁶¹ Art. 85 Bst. a Ziff. 1 der geplanten Richtlinie.

⁶² Art. 85 Bst. a Ziff. 2-3 der geplanten Richtlinie.

⁶³ S. 20 der geplanten Richtlinie.

Arzneimitteln verbessert werden, was sich positiv auf die Versorgungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK in der EU auswirken würde. Andererseits könnte die Entwicklung von Kinderarzneimitteln und AMSK dadurch (noch) weniger profitabel werden, weil Nachahmerprodukte mutmasslich schneller auf den Markt kommen würden. Dies würde sich negativ auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK in der EU auswirken. Die Auswirkungen auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK in der Schweiz würden voraussichtlich davon abhängen, ob die positiven oder die negativen Auswirkungen in der EU überwiegen: Falls mehr Nachahmerprodukte von Kinderarzneimitteln und AMSK in der EU verfügbar wären, gäbe es auch in der Schweiz mehr Nachahmerprodukte – sofern diese in der Schweiz eine Zulassung anstreben würden. Falls jedoch weniger Kinderarzneimittel und AMSK entwickelt werden würden, würden auch der Schweiz weniger solcher Arzneimittel zur Verfügung stehen.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Einführung der Bolar-Ausnahmeregelung» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- *Geltendes Recht*: kompatibel. Die Schweiz kennt bereits eine Bolar-Ausnahmeregelung.⁶⁴ Allerdings geht die Regelung in der Schweiz nicht so weit, dass die Unterlagen auch für die Preisfestsetzung und Kostenerstattung und zur Bewertung von Gesundheitstechnologien genutzt werden dürfen.
- *HMG3*: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.2.2 Befristete Notfallzulassung (Neuerung EU)

Es gibt unterschiedliche vereinfachte Zulassungsverfahren, zu denen Kinderarzneimittel und AMSK grundsätzlich Zugang haben können. Die EU plant jedoch keine namhaften⁶⁵ Änderungen an den bestehenden Verfahren, sondern will stattdessen mit der befristeten Notfallzulassung für den Fall einer gesundheitlichen Notlage eine neue Möglichkeit einführen, um Arzneimittel für einen befristeten Zeitraum zuzulassen. Damit sollen Arzneimittel, die für die Behandlung, Prävention oder Diagnose einer schweren oder lebensbedrohenden Krankheit im Zusammenhang mit der gesundheitlichen Notlage gedacht sind, ohne umfassende nicht-klinische und klinische Daten zur Qualität sowie ohne vollständige Umweltdaten befristet zugelassen werden können, solange eine gesundheitliche Notlage vorliegt.⁶⁶ Die Gültigkeit der befristeten Notfallzulassung soll enden, sobald die Europäische Kommission die gesundheitliche Notlage aufheben würde.⁶⁷ Die Neuerung soll auf Arzneimittelentwickler und die EMA als Zulassungsinstanz zielen und soll dazu

⁶⁴ Art. 9 Abs. 1 Bst. c PatG.

⁶⁵ Weitere Änderungen: Beim beschleunigten Zulassungsverfahren sollen neu AMSK, die geeignet sind, eine grosse medizinische Versorgungslücke zu schliessen (vgl. Abschnitt 2.1.2), explizit als Zielgruppe aufgeführt werden (Art. 6 Abs. 7 i.V.m. Art. 60 der geplanten Verordnung). Die bedingte Zulassung, die im Gegensatz zur befristeten Notfallzulassung an Auflagen geknüpft ist, soll neu in Krisensituationen erteilt werden, selbst wenn noch keine nicht-klinischen oder pharmazeutischen Daten vorliegen würde (Art. 19 Abs. 1 der geplanten Verordnung). Beides würde jedoch unserer Einschätzung nach zu keinen Änderungen bei der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK führen.

⁶⁶ Art. 30 der geplanten Verordnung.

⁶⁷ Art. 34 der geplanten Verordnung.

beitragen, die Versorgung mit Arzneimitteln während gesundheitlichen Notlagen sicherzustellen.⁶⁸

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Die geplante Massnahme würde sich in entsprechenden Notlagen positiv auf die Versorgungssicherheit mit Kinderarzneimitteln in der EU auswirken. Auf die Versorgung mit AMSK hätte diese Massnahme mutmasslich keine Auswirkungen, da davon ausgegangen werden kann, dass seltene Krankheiten keine gesundheitliche Notlage auslösen können. Auf die Versorgungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der Schweiz hätte diese Massnahme mutmasslich keine Auswirkungen, da die Notfallzulassung in der Schweiz nicht gelten würde.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Befristete Notfallzulassung» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- Geltendes Recht: kompatibel⁶⁹
- HMG3: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.2.3 Einstellung des Vertriebs eines Kinderarzneimittels (Änderung EU)

Plant ein Arzneimittelentwickler, der von der Verlängerung eines bestehenden ergänzenden Schutzzertifikats oder vom Unterlagenschutz⁷⁰ bei der Genehmigung für die pädiatrische Verwendung (paediatric-use marketing authorization [PUMA]) profitierte und bei dem diese Schutzrechte abgelaufen sind, den Vertrieb eines zugelassenen Kinderarzneimittels einzustellen, so muss der Arzneimittelentwickler die Zulassung an einen Dritten übertragen. Diese Regelung gab es bereits im alten System. Neu soll der Arzneimittelentwickler die Einstellung spätestens zwölf (statt sechs) Monate davor den zuständigen Behörden kommunizieren müssen.⁷¹ Damit soll dazu beigetragen werden, dass bei einer Einstellung ein bestimmtes Kinderarzneimittel schneller wieder auf dem Markt verfügbar ist, da ein potenzieller Nachfolger früher gefunden werden könnte und dieser mehr Vorlaufzeit hätte, um die Produktion und den Vertrieb des besagten Arzneimittels zu übernehmen. Ob zwölf Monate Vorlaufzeit für den Start der Produktion und des Vertriebs tatsächlich ausreichen, ist jedoch unklar.

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Die geplante Massnahme könnte eine positive Wirkung auf die Versorgungssicherheit mit Kinderarzneimitteln haben, sofern die längere Vorlaufzeit tatsächlich ausreichend ist für den Start der Produktion und des Vertriebs. Die Auswirkungen der Massnahme auf die Versorgungssicherheit mit Kinderarzneimitteln in der Schweiz sind mutmasslich gering, da in der Schweiz die entsprechende Frist drei Monate beträgt und es somit für potenzielle Nachfolger schwierig abzuschätzen wäre, ob der Vertrieb auch in der Schweiz eingestellt werden würde.

⁶⁸ S. 6 der geplanten Richtlinie.

⁶⁹ Die Schweiz kennt die Möglichkeit einer Notfallzulassung nicht.

⁷⁰ Die EU verwendet den Begriff Datenschutz statt Unterlagenschutz. Die Schutzwirkung ist jedoch dieselbe.

⁷¹ Art. 60 der geplanten Richtlinie.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Einstellung des Vertriebs eines Kinderarzneimittels» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- *Geltendes Recht*: kompatibel. In der Schweiz beträgt die entsprechende Frist heute drei Monate und unterscheidet sich demnach bereits jetzt von den Regelungen in der EU.
- *HMG3*: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.2.4 Zulassungsprozess (Änderung EU)

Neu sollen Arzneimittel mit einer pädiatrischen Indikation, ausschliesslich für die pädiatrische Verwendung bestimmte Arzneimittel und AMSK zwingend über das zentralisierte Verfahren zur Zulassung gebracht werden müssen.⁷² Die geplante Massnahme sieht zudem vor, die Struktur der EMA zu vereinfachen. Neu sollen für die Beurteilung von Arzneimitteln einzig der Ausschuss für Humanarzneimittel (Committee for Medicinal Products for Human Use [CHMP]) und der Ausschuss für die Risikobewertung im Bereich der Pharmakovigilanz (Pharmacovigilance Risk Assessment Committee [PRAC]) verantwortlich sein. Der Ausschuss für Arzneimittel für seltene Leiden (Committee for Orphan Medicinal Products [COMP]) und der Pädiatrieausschuss (Paediatric Committee [PDCO]), die im alten System wichtige Aufgaben im Zusammenhang mit AMSK respektive Kinderarzneimitteln übernommen haben, sollen in Form von Arbeitsgruppen und einem Verzeichnis von Sachverständigen neu organisiert werden.⁷³

Von dieser Änderung wären Arzneimittelentwickler und die EMA betroffen. Durch die Änderungen an der EMA-Struktur soll der Zulassungsprozess effizienter gestaltet werden und gleichzeitig soll der Zugang zum Fachwissen erhalten bleiben.⁷⁴

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Aus unserer Sicht würde die geplante Massnahme dazu führen, dass sichere Kinderarzneimittel und AMSK schneller zugelassen und auf den Markt gebracht werden würden. Durch die Pflicht der zentralisierten Zulassung für Kinderarzneimittel und AMSK soll ein hohes Niveau der wissenschaftlichen Beurteilung aufrechterhalten werden.⁷⁵ Diese «Pflicht» würde aus unserer Sicht zudem die Zulassungskosten der Arzneimittelentwickler reduzieren, da nur noch eine Zulassung gestellt werden müsste. Die Änderung der EMA-Struktur und die Pflicht der zentralisierten Zulassung könnten sich aus unserer Sicht positiv auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit mit Kinderarzneimitteln und AMSK in der EU auswirken. Auch in der Schweiz würde sich dies mutmasslich auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit mit Kinderarzneimitteln und AMSK auswirken. Würden Kinderarzneimittel und AMSK künftig schneller zugelassen und bliebe die Dauer zwischen der Einreichung bei der EMA und der Einreichung bei Swissmedic gleich (sog. «submission gap»), so würden die Arzneimittel auch in der Schweiz schneller zur Zulassung gebracht werden.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Zulassungsprozess» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

⁷² Art. 3 Abs. 1–2 der geplanten Verordnung.

⁷³ S. 23 der geplanten Verordnung.

⁷⁴ S. 23 der geplanten Verordnung.

⁷⁵ Vorbemerkung 10 der geplanten Verordnung.

- Geltendes Recht: kompatibel
- HMG3: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.3 Geplante Massnahmen der EU im Bereich Vergütung und finanzielle Anreize

Im Bereich der Vergütung und der finanziellen Anreize plant die EU die Einführung zwei neuer Massnahmen und Änderungen an drei Massnahmen.

2.3.1 Übertragbarer Gutschein für prioritäre antimikrobielle Mittel (Neuerung EU)

Die EU will neu einem Arzneimittelentwickler, der die Zulassung für ein prioritäres antimikrobielles Mittel⁷⁶ erhält, einen übertragbaren Gutschein für die Verlängerung des Unterlagenschutzes gewähren. Der Gutschein soll seinem Inhaber das Recht verleihen, den Unterlagenschutz eines zugelassenen Arzneimittels um zwölf Monate zu verlängern.⁷⁷ Der Gutschein soll einmalig weiterverkauft und nur verwendet werden dürfen, wenn die ersten vier Jahre des Unterlagenschutzes des betreffenden Arzneimittels noch nicht verstrichen sind.⁷⁸ Die EU plant, während 15 Jahren maximal zehn Gutscheine zu vergeben.⁷⁹ Nach diesem Zeitraum soll die Massnahme fortgesetzt oder überprüft werden.⁸⁰ Mit dieser Massnahme soll die Entwicklung prioritärer antimikrobieller Mittel gefördert werden, um antimikrobielle Resistenzen zu bekämpfen.⁸¹

Die geplante Massnahme zielt insbesondere auf Entwickler von solchen Mitteln. Zudem wären die EMA als Prüfinstanz und die Patentämter als Vollzugsbehörde des Unterlagenschutzes von dieser Massnahme betroffen.

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Die Massnahme könnte unserer Ansicht nach einen Beitrag zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der EU leisten, denn Kinder erhalten vor allem im ambulanten Bereich im Vergleich mit Erwachsenen überproportional viele Antibiotika.⁸² Durch den Gutschein könnte die Entwicklung von antimikrobiellen Mitteln für die Arzneimittelentwickler wirtschaftlich attraktiver werden, wodurch mehr solcher Produkte erforscht, entwickelt und auf dem Markt gebracht werden würden. Dies könnte sich auch auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit in der Schweiz auswirken, sofern die Erkenntnisse aus den pädiatrischen Studien in die entsprechende Fachinformation von für Kinder und Jugendliche nicht zugelassenen Arzneimitteln einfließen beziehungsweise die Arzneimittel auch in der Schweiz für Kinder und Jugendliche zur Zulassung gebracht werden würden. Ob die Massnahme die gewünschte Wirkung erzielen kann, bleibt abzuwarten: Die Erfahrungen aus den USA mit dem Gutschein für ein prioritäres

⁷⁶ Um als prioritäres antimikrobielles Mittel gelten zu können, müsste ein Arzneimittelentwickler belegen, dass das Mittel einen signifikanten klinischen Nutzen gegenüber antimikrobiellen Resistenzen aufweist. Zudem müsste das Mittel (i) eine neue Klasse antimikrobieller Mittel darstellen, (ii) einen deutlich anderen Wirkungsmechanismus als derjenige von den bereits zugelassenen antimikrobiellen Mitteln aufweisen oder (iii) einen neuen Wirkstoff enthalten, der gegen einen multiresistenten Organismus und eine schwere oder lebensbedrohende Infektion wirkt (Art. 40 Abs. 3 der geplanten Verordnung).

⁷⁷ Art. 40 Abs. 1–2 der geplanten Verordnung.

⁷⁸ Art. 41 Abs. 1 und 3 der geplanten Verordnung.

⁷⁹ Art. 43 der geplanten Verordnung.

⁸⁰ S. 20 der geplanten Verordnung.

⁸¹ S. 20 der geplanten Verordnung.

⁸² Vgl. [Website pädiatrie schweiz: Rationale Antibiotikatherapie in der pädiatrischen Praxis](#), Zugriff am 17. Januar 2024.

Zulassungsverfahren bei pädiatrischen AMSK zeigen jedoch, dass dadurch nicht zwingend mehr in AMSK investiert wird.⁸³

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Übertragbarer Gutschein für prioritäre antimikrobielle Mittel» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- *Geltendes Recht*: kompatibel. Die Schweiz kennt keinen solchen Anreiz im geltenden Recht.
- *HMG3*: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.3.2 Unterlagenschutz bei Zulassung patentfreier Arzneimittel für neue Indikationen (Neuerung EU)

In der neuen EU-Regelung soll ein neuer Anreiz für die Zulassung von neuen Indikationen bei patentfreien Arzneimitteln eingeführt werden (sog. Drug Repurposing). Generika, Biosimilars, Hybridarzneimittel und biohybride Arzneimittel sollen für eine neue therapeutische Indikation, für die sie davor in der EU nicht zugelassen waren, einen vierjährigen Unterlagenschutz erhalten.⁸⁴

Die Massnahme würde hauptsächlich Entwickler patentfreier Arzneimittel sowie die EMA, die für die Zulassung der neuen Indikation verantwortlich ist, betreffen. Durch diese Massnahme sollen Innovationen und die Zulassung neuer Indikationen gefördert werden, was grundsätzlich zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit in der EU beiträgt.⁸⁵

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK in der EU erwarten wir keine Auswirkungen: Hersteller von patentfreien Arzneimitteln haben bereits heute im Rahmen der PUMA beim Erhalt einer zusätzlichen Zulassung für die Pädiatrie ein Anrecht auf einen achtjährigen Unterlagenschutz und auf ein zweijähriges Marktexklusivitätsrecht. Der Unterlagenschutz der PUMA soll zwar um zwei Jahre reduziert werden (vgl. Abschnitt 2.3.4), wäre aber immer noch höher als der Unterlagenschutz beim Drug Repurposing und somit attraktiver für Arzneimittelentwickler. Auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK in der Schweiz erwarten wir daher ebenfalls keine Auswirkungen.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Unterlagenschutz bei Zulassung patentfreier Arzneimittel für neue Indikationen» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- *Geltendes Recht*: kompatibel. Der geplante neue Anreiz der EU ist mit der Verleihung des dreijährigen Unterlagenschutzes bei Zulassungserweiterungen der Schweiz vergleichbar.⁸⁶
- *HMG3*: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

⁸³ Hanimann et al. 2022b, S. 36.

⁸⁴ Art. 84 Abs. 1 der geplanten Richtlinie.

⁸⁵ S. 20 der geplanten Richtlinie.

⁸⁶ Gemäss Art. 11b Abs. 1 HMG.

2.3.3 Unterlagenschutz für neue Arzneimittel (Änderung EU)

Im aktuellen System erhalten Arzneimittelentwickler in der EU bei der Zulassung ihres Arzneimittels einen achtjährigen Unterlagenschutz für das betreffende Arzneimittel. Neu soll dieser Unterlagenschutz auf sechs Jahre verkürzt werden. Das würde bedeuten, dass andere Arzneimittelentwickler für ihre eigene arzneimittelrechtliche Zulassung zwei Jahre früher auf die mit der Zulassung des Originalpräparats eingereichten Daten zurückgreifen könnten, sofern kein immaterialgüterrechtlicher Schutz mehr bestehen würde.⁸⁷ Diese Änderung würde auch für Kinderarzneimittel gelten.⁸⁸

Zudem ist geplant, dass es zusätzliche Möglichkeiten zur Verlängerung des Unterlagenschutzes geben soll:⁸⁹

- *Verlängerung um zwei Jahre:* Wenn das Arzneimittel in ausreichender Menge und in der erforderlichen Aufmachung in allen Mitgliedstaaten den Patientenbedarf deckt, soll der Unterlagenschutz um zwei Jahre verlängert werden. Diese Bedingung soll innerhalb von zwei Jahren nach Erteilung der Zulassung erfüllt werden müssen – KMU, Einrichtungen ohne Erwerbszweck und Unternehmen mit höchstens fünf zentralisierten Zulassungen (d.h. das Unternehmen verfügt über höchstens fünf Arzneimittel, die über das zentralisierte Verfahren zugelassen worden sind) sollen hierfür drei Jahre Zeit haben.⁹⁰
- *Verlängerung um sechs Monate:* Wenn das Arzneimittel (i) eine medizinische Versorgungslücke schliessen⁹¹ oder wenn das Arzneimittel (ii) einen neuen Wirkstoff enthält und vergleichende klinische Prüfungen durchgeführt wurden, soll der Unterlagenschutz um sechs Monate verlängert werden.⁹²

Diese variierenden Verlängerungen würden auf Arzneimittelentwickler zielen und sollen Anreize bieten für Innovationen und für die Generierung von vergleichender klinischer Evidenz. Zudem soll die Arzneimittelverfügbarkeit in allen Mitgliedstaaten gefördert werden.⁹³

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Die Auswirkungen der geplanten Massnahmen auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit in der EU und der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- *Kürzere Schutzfrist:* Die Verkürzung des Unterlagenschutzes auf sechs Jahre soll dazu beitragen, dass (erschwinglichere) Nachahmerprodukte schneller auf dem Markt verfügbar sind und dadurch der Zugang der Patientinnen und Patienten zu den Arzneimitteln verbessert wird. Die kürzere Schutzfrist könnte möglicherweise die – ohnehin bereits geringe – wirtschaftliche Attraktivität von Originalpräparaten im Bereich der Kinderarzneimittel und AMSK jedoch reduzieren, weil weniger Zeit bleiben würde, um Forschungs- und Entwicklungskosten zu amortisieren. Diese Massnahme könnte entsprechend sowohl einen positiven als auch einen negativen Effekt auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK in der EU

⁸⁷ Art. 81 Abs. 1 der geplanten Richtlinie.

⁸⁸ Art. 93 der geplanten Verordnung.

⁸⁹ Eine Verlängerung um ein Jahr ist weiterhin unter den bereits existierenden Bedingungen möglich (Art. 10 Abs. 5 der Richtlinie 2001/83/EG).

⁹⁰ Art. 81 Abs. 2 Bst. a i.V.m. Art. 82 Abs.1 der geplanten Richtlinie.

⁹¹ Art. 83 Abs. 1 der geplanten Richtlinie. Für die Definition der medizinischen Versorgungslücke siehe Abschnitt 2.1.1.

⁹² Art. 81 Abs. 2 Bst. b-c der geplanten Verordnung.

⁹³ S. 13–14 und 19–20 sowie Vorbemerkung 52 der geplanten Richtlinie.

haben. Auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit in der Schweiz könnte sich diese Massnahme entsprechend ebenfalls ambivalent auswirken.

- *Verlängerung um zwei Jahre:* Die Wirkung der Verlängerung um zwei Jahre hängt von den Gewinnaussichten der Arzneimittel ab. Wenn diese Verlängerung die Kosten des raschen Inverkehrbringens des Arzneimittels in allen Mitgliedstaaten (z.B. tiefere Durchschnittspreise; Koordinationskosten des Unternehmens, damit es innerhalb von kurzer Zeit in mehreren Ländern den Vertrieb starten kann)⁹⁴ ausgleicht, könnte der Anreiz dazu beitragen, dass alle Mitgliedstaaten schneller mit dem Arzneimittel versorgt werden würden. Auf die Versorgungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK in der Schweiz könnte dies allerdings einen negativen Effekt haben. Arzneimittelentwickler könnten ihre Ressourcen unter diesen Umständen verstärkt auf das Inverkehrbringen in den Mitgliedstaaten ausrichten, wodurch eine Zulassung in der Schweiz weniger prioritär werden würde und das betreffende Arzneimittel in der Schweiz entsprechend später oder gar nicht auf den Markt kommen könnte. Falls die Arzneimittelentwickler das rasche Inverkehrbringen nicht anstreben, wären keine Auswirkungen auf die Versorgungssicherheit in der EU und in der Schweiz zu erwarten.⁹⁵
- *Verlängerung um sechs Monate:* Diese Verlängerung könnte insbesondere in jenen Bereichen der Pädiatrie eine positive Wirkung auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln haben, in denen medizinische Versorgungslücken existieren. Der Grund dafür ist, dass die Verlängerung die wirtschaftliche Attraktivität solcher Arzneimittel erhöht. Ob der Anreiz genügend gross wäre, um tatsächlich zu mehr Forschung, Entwicklung, Zulassung und Vertrieb von solchen Kinderarzneimitteln zu führen, ist unklar. Falls tatsächlich mehr Kinderarzneimittel für Bereiche mit medizinischen Versorgungslücken erforscht, entwickelt und in der EU auf den Markt gebracht werden würden, so würde sich dies auch positiv auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit in der Schweiz auswirken. Bedingung hierfür ist, dass die Erkenntnisse aus den pädiatrischen Studien in die entsprechende Fachinformation von für Kinder und Jugendliche nicht zugelassenen Arzneimitteln einfließen beziehungsweise die entwickelten Arzneimittel für Kinder und Jugendliche in der Schweiz zugelassen würden.

Grundsätzlich gilt es zu beachten, dass die Wirkung der Verlängerungen auch abhängig wäre vom Zeitpunkt des Zulassungsantrags im Verhältnis zum immaterialgüterrechtlichen Schutz. Würde eine allfällige Verlängerung des Unterlagenschutzes vor oder gleichzeitig mit dem immaterialgüterrechtlichen Schutz des Patentes oder des ergänzenden Schutzzertifikats ablaufen, so würde die Verlängerung keinen Anreiz für Arzneimittelentwickler bieten.

⁹⁴ Hanimann et al. 2022a, S. 43–44.

⁹⁵ An dieser Stelle ist darauf hinzuweisen, dass der ökonomische Wert eines Anreizes je nach Produkt und Land unterschiedlich ausfallen kann. So zeigt eine ökonomische Analyse der sechsmonatigen Verlängerung des ergänzenden Schutzzertifikats bei der Umsetzung eines PIP, dass der Wert dieses Anreizes je nach EU-Mitgliedstaat und Produkt unterschiedlich hoch ist. Grund dafür ist unter anderem, dass die Verfügbarkeit von Nachahmerprodukten und die dadurch ausgelöste Reduktion des Preises des Originalpräparats je nach Mitgliedstaat unterschiedlich verläuft – in bestimmten Ländern sind Nachahmerprodukte schneller verfügbar, lösen stärkere Preisreduktionen beim Originalpräparat aus und können höhere Marktanteile gewinnen (Varnai et al. 2016, S. 49–53).

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die von der EU geplante Massnahme «Unterlagenschutz für neue Arzneimittel» beurteilen wir als kompatibel mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz:

- *Geltendes Recht*: kompatibel. In der EU und der Schweiz sind die aktuellen immaterialgüterrechtlichen gleichwertig. Zwar unterscheidet sich die Dauer des Unterlagenschutzes der EU und der Schweiz (EU: 8 Jahre, Schweiz: 10 Jahre). Mit dem zweijährigen Marktexklusivitätsrecht in der EU und der Möglichkeit, in der Schweiz ein Gesuch um Zulassung eines Nachahmerproduktes zwei Jahre vor Ablauf des Unterlagenschutzes eines Originalpräparats zu stellen,⁹⁶ wirken der immaterialgüterrechtliche Schutz in der EU und in der Schweiz de facto gleich. Mit der Reduktion des Unterlagenschutzes auf sechs Jahre wäre der immaterialgüterrechtliche Schutz in der Schweiz neu zwei Jahre länger als in der EU. Daraus würde sich jedoch kein Widerspruch zwischen der EU-Regelung und der Regelung in der Schweiz ergeben. Die verschiedenen Möglichkeiten zur Verlängerung des Unterlagenschutzes sind ebenfalls kompatibel mit geltendem Recht in der Schweiz.
- *HMG3*: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.3.4 Genehmigung für die pädiatrische Verwendung (Änderung EU)

Im aktuellen System haben Arzneimittelentwickler für Arzneimittel, die bereits für Erwachsene zugelassen sind und nicht mehr durch ein Patent oder ein ergänzendes Schutz-zertifikat geschützt sind, ein Anrecht auf acht Jahre Unterlagenschutz und zwei Jahre Marktexklusivität, sofern das Arzneimittel auch für Kinder zugelassen wird (PUMA). Neu soll der Unterlagenschutz von solchen Arzneimitteln nur noch sechs Jahre betragen, jedoch würden die Arzneimittel von verschiedenen Verlängerungen profitieren können (vgl. Abschnitt 2.3.3).⁹⁷

Die Reduktion der Dauer des Unterlagenschutzes um zwei Jahre würde den Anreiz für Arzneimittelentwickler senken, für Erwachsene bereits zugelassene Arzneimittel auch für Kinder zur Zulassung zu bringen.

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Die geplante Massnahme könnte sich unserer Ansicht nach negativ auf die Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der EU auswirken, da solche Arzneimittel in diesem Fall oftmals Off-Label bei Kindern und Jugendlichen angewendet werden würden. Da jedoch bereits im aktuellen System nur wenige Arzneimittelentwickler ein PUMA beantragen,⁹⁸ erwarten wir durch die geplante Massnahme keine grösseren Auswirkungen auf die Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der EU. Das gleiche gilt für die Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der Schweiz. Für die möglichen Wirkungen auf die Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der EU und der Schweiz infolge der Möglichkeiten, den Unterlagenschutz zu verlängern, verweisen wir auf die Ausführungen im Abschnitt 2.3.3.

⁹⁶ Art. 30 Abs. 6 VAM.

⁹⁷ Art. 93 der geplanten Verordnung.

⁹⁸ Hanimann et al. 2022a, S. 35.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Genehmigung für die pädiatrische Verwendung» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- *Geltendes Recht*: kompatibel. Die Schweiz kennt keinen Unterlagenschutz für die Genehmigung zur pädiatrischen Verwendung. Am ehesten ist die Massnahme der EU mit dem zehnjährigen Unterlagenschutz in der Schweiz vergleichbar.
- *HMG3*: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.3.5 Marktexklusivität für AMSK (Änderung EU)

Aktuell erhalten Arzneimittelentwickler in der EU für ein Arzneimittel mit dem AMSK-Status mit der Zulassung ein zehnjähriges Marktexklusivitätsrecht. Enthält ein Zulassungsantrag für ein AMSK die Ergebnisse aller Studien eines bewilligten PIP, besteht für das Arzneimittel ein Anrecht auf zwei weitere Jahre Marktexklusivität. Dieses Anrecht auf zwei weitere Jahre ist in der geplanten EU-Regelung nicht mehr vorgesehen. Zudem sieht die EU vor, die Dauer der Marktexklusivität vom Typ des AMSK abhängig zu machen:⁹⁹

- *Fünf Jahre für AMSK zur allgemeinen medizinischen Verwendung*: Bei AMSK mit Wirkstoffen, die in der EU mit derselben therapeutischen Verwendung und demselben Verabreichungsweg seit mindestens zehn Jahren mit anerkannter Wirksamkeit und annehmbarem Sicherheitsniveau allgemein medizinisch verwendet werden, würde das Marktexklusivitätsrecht fünf Jahre betragen – sofern die Zulassung gemäss Art. 13 der geplanten Richtlinie erfolgte und dabei bibliografische Daten anstelle der Ergebnisse nicht-klinischer Tests oder klinischer Studien vorgelegt wurden.¹⁰⁰
- *Neun Jahre für gewöhnliche AMSK*: Die Marktexklusivität soll bei gewöhnlichen AMSK (d.h. AMSK mit neuem Wirkstoff, die aber nicht eine medizinische Versorgungslücke schliessen, vgl. nachfolgend) neun Jahre betragen.
- *Zehn Jahre für AMSK für grosse medizinische Versorgungslücken*: AMSK, die eine grosse medizinische Versorgungslücke schliessen (vgl. Abschnitt 2.1.1), sollen ein zehnjähriges Marktexklusivitätsrecht erhalten.

Darüber hinaus sollen ähnliche Arzneimittel, einschliesslich Generika und Biosimilars, in der neuen EU-Regelung die Möglichkeit erhalten, maximal zwei Jahre vor Ablauf des Marktexklusivitätsrechts des Originalpräparats einen Antrag auf Zulassung stellen zu können. Der Antrag würde anschliessend durch die EMA validiert und geprüft werden.¹⁰¹

Die geplanten Änderungen würden insbesondere Arzneimittelentwickler sowie die EMA betreffen. Die Änderungen sollen dazu beitragen, dass Generika und Biosimilars früher auf den Markt kommen und dadurch der Zugang der Patientinnen und Patienten zu AMSK verbessert wird. Zudem sollen Innovationen in Bereichen gefördert werden, in denen keine Behandlung verfügbar wäre oder aussergewöhnliche Fortschritte erzielt werden könnten.¹⁰²

⁹⁹ Art. 71 Abs. 2 Bst. a–c der geplanten Verordnung.

¹⁰⁰ Art. 13 der geplanten Richtlinie.

¹⁰¹ Art. 71 Abs. 6 der geplanten Verordnung.

¹⁰² S. 19 der geplanten Verordnung und Vorbemerkung 105.

Neben der Modulation der Marktexklusivität sieht die EU für gewöhnliche AMSK und AMSK für grosse medizinische Versorgungslücken neu die Möglichkeit vor, das Marktexklusivitätsrecht zu verlängern:

- *Verlängerung um ein Jahr*: Das Marktexklusivitätsrecht soll um ein weiteres Jahr verlängert werden, wenn das Arzneimittel in einer ausreichenden Menge und in der entsprechenden Aufmachung vertrieben werden würde, damit der Patientenbedarf in allen Mitgliedstaaten gedeckt werden könnte.¹⁰³ Diese Bedingung müsste innerhalb von zwei Jahren ab Zulassung erfüllt werden – KMU, Einrichtungen ohne Erwerbszweck und Unternehmen mit höchstens fünf zentralisierten Zulassungen hätten hierfür drei Jahre Zeit.¹⁰⁴

Verlängerung um bis zu zwei Jahre: Das Marktexklusivitätsrecht soll sich um ein Jahr verlängern, wenn das zugelassene Arzneimittel mindestens zwei Jahre vor Ablauf des Marktexklusivitätszeitraums eine Zulassung für eine oder mehrere neue therapeutische Indikationen in Bezug auf eine andere seltene Krankheit erhalten würde. Diese Verlängerung soll zwei Mal gewährt werden können, sofern beide zusätzlichen Indikationen jeweils eine andere Krankheit betreffen würden, wodurch die Marktexklusivität um bis zu zwei Jahre verlängert werden könnte.¹⁰⁵ Die Einführung dieser Verlängerungen soll erstens dazu beitragen, dass AMSK rasch in allen Mitgliedstaaten vertrieben werden. Zweitens soll die Weiterentwicklung bereits zugelassener AMSK unterstützt werden.¹⁰⁶

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Aus unserer Sicht könnte die geplante Modulation des Marktexklusivitätsrechts folgende Wirkung auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von AMSK in der EU und der Schweiz haben:

- Durch den *Wegfall der Verlängerung der Marktexklusivität um zwei Jahre bei Umsetzung eines PIP* würde für Arzneimittelentwickler ein Anreiz wegfallen, um Studien mit AMSK für Kinder und Jugendliche durchzuführen. Bis 2017 erhielten jedoch lediglich sieben Produkte eine solche Verlängerung.¹⁰⁷ Wir erwarten deshalb vom Wegfall der Verlängerung weder grössere Auswirkungen auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von AMSK in der EU noch in der Schweiz.
- Die *fünffährige Marktexklusivität* könnte bei den AMSK zur allgemeinen medizinischen Verwendung sowohl positive als auch negative Wirkungen auf die Versorgungssicherheit in der EU haben. Auf der einen Seite würden solche AMSK im Vergleich zu heute an wirtschaftlicher Attraktivität einbüßen. Auf der anderen Seite würde sich der Aufwand für die Erforschung und Entwicklung solcher AMSK reduzieren. Auf die Versorgungssicherheit von solchen AMSK für Kinder und Jugendliche würde sich die geplante Massnahme dann auswirken, wenn die betreffenden AMSK für sie zugelassen würden. Die Auswirkungen auf die Versorgungssicherheit mit AMSK in der Schweiz sind abhängig davon, ob nun mehr AMSK zur allgemeinen medizinischen Verwendung erforscht, entwickelt und in der EU auf den Markt gebracht werden und ob diese entwickelten AMSK auch in der Schweiz auf den Markt kommen. Auf die Anwendungssicherheit in der EU und der Schweiz würde die geplante Massnahme

¹⁰³ Art. 72 Abs. 1 der geplanten Verordnung i.V.m. Art. 81 Abs. 2 Bst. a und Art. 82 Abs. 1 der geplanten Richtlinie.

¹⁰⁴ Art. 81 Abs. 2 Bst. a der geplanten Richtlinie.

¹⁰⁵ Art. 72 Abs. 2 der geplanten Verordnung.

¹⁰⁶ S. 19 der geplanten Verordnung.

¹⁰⁷ Hanimann et al. 2022a, S. 36.

mutmasslich keine Auswirkungen haben, da keine neuen (nicht-)klinischen Daten generiert werden würden.

- Die *neunjährige Marktexklusivität* für gewöhnliche AMSK könnte sich negativ auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von den betroffenen AMSK in der EU sowohl bei Erwachsenen als auch bei Kindern und Jugendlichen auswirken. Solche AMSK würden im Vergleich zu heute an wirtschaftlicher Attraktivität verlieren, da die Marktexklusivität um ein Jahr reduziert werden soll. Dies könnte sich bei sonst gleichbleibenden Bedingungen negativ auf die Attraktivität der Forschung, Entwicklung und Zulassung von gewöhnlichen AMSK auswirken und hätte somit mutmasslich auch negative Auswirkungen auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von den betreffenden AMSK in der Schweiz.
- Durch die *zehnjährige Marktexklusivität* hätten AMSK für grosse medizinische Versorgungslücken – sowohl für Erwachsene als auch für Kinder und Jugendliche – längere Marktexklusivitätsrechte als andere AMSK und gewöhnliche Arzneimittel. Inwiefern sich die Änderung auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von AMSK zur allgemeinen medizinischen Verwendung, gewöhnlichen AMSK, AMSK für medizinische Versorgungslücken und gewöhnliche Arzneimittel in der EU und der Schweiz auswirken würde, ist schwierig abzuschätzen.
- Die neue Regelung betreffend die frühzeitige Behandlung von Zulassungsanträgen für *Nachahmerprodukte* könnte dazu führen, dass Konkurrenzprodukte in der EU früher auf dem Markt verfügbar wären. Auf der einen Seite könnte sich der Preis des betreffenden Arzneimittels dadurch reduzieren, wodurch mehr Patientinnen und Patienten Zugang zum Arzneimittel erhalten würden. Auf der anderen Seite würden originale AMSK an wirtschaftlicher Attraktivität verlieren, da mit ihnen weniger lang hohe Umsätze erzielt werden könnten. Dies könnte dazu führen, dass insbesondere AMSK mit tiefer Profitabilität weniger erforscht, entwickelt und in Verkehr gebracht werden würden. Dies könnte die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von solchen Arzneimitteln bei Erwachsenen, Kindern und Jugendlichen sowohl in der EU als auch in der Schweiz negativ beeinflussen.

Die geplanten Verlängerungen könnten folgende Wirkung auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von AMSK in der EU und der Schweiz haben:

- Die *Verlängerung um ein Jahr* soll dazu beitragen, dass sowohl Erwachsene als auch Kinder und Jugendliche aller Mitgliedstaaten möglichst rasch Zugang zum AMSK erhalten. Die Erreichung dieser Wirkung würde jedoch mutmasslich von den Gewinnaussichten des Arzneimittels abhängen (vgl. Abschnitt 2.3.3): Sind die Gewinnaussichten durch das Inverkehrbringen in den Mitgliedstaaten positiv, so könnte die Versorgung in den Mitgliedstaaten verbessert werden, während in der Schweiz das Arzneimittel verspätet auf den Markt kommen könnte. Ist der Aufwand hingegen zu hoch, würden die Arzneimittelentwickler von diesem Anreiz nicht Gebrauch machen.
- Die *Verlängerung um bis zu zwei Jahre* bei Zulassung einer neuen therapeutischen Indikation in Bezug auf eine andere seltene Krankheit könnte dazu führen, dass die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von AMSK für Kinder und Jugendliche in der EU positiv beeinflusst werden würden, da mehr AMSK für sie erforscht, entwickelt und in Verkehr gebracht werden würden. Dies würde sich mutmasslich auch positiv auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von solchen Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der Schweiz auswirken, falls die Erkenntnisse aus den pädiatrischen Studien in die Fachinformation von für Kinder und Jugendliche nicht zugelassenen Arzneimitteln einfließen beziehungsweise die entwickelten Arzneimittel für Kinder und Jugendliche zugelassen werden würden. Die bescheidene Nutzung der bisherigen Verlängerung der Marktexklusivität um zwei weitere Jahre bei Umsetzung

eines PIP deutet jedoch darauf hin, dass wohl nur wenige AMSK die Zulassung einer pädiatrischen Indikation anstreben würden.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Marktexklusivität für AMSK» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- *Geltendes Recht*: kompatibel. Die Schweiz kennt das Instrument der Marktexklusivität an sich nicht. Am ehesten ist die geplante Massnahme der EU mit dem 15-jährigen Unterlagenschutz in der Schweiz vergleichbar.
- *HMG3*: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.4 Geplante Massnahmen der EU im Bereich Vertrieb

Im Bereich des Vertriebs plant die EU die Einführung einer neuen Massnahme. Änderungen an bestehenden Massnahmen in diesem Bereich sind keine geplant.

2.4.1 Inverkehrbringen von Kinderarzneimitteln (Neuerung EU)

Die geplante EU-Regelung sieht vor, dass bereits zugelassene Arzneimittel, die eine neue pädiatrische Indikation erhalten haben, innerhalb von zwei Jahren nach Zulassung der pädiatrischen Indikation in allen Mitgliedstaaten, in denen das Arzneimittel bereits in Verkehr gebracht wurde, mit der pädiatrischen Indikation auf den Markt gebracht werden müssen.¹⁰⁸

Diese neue Massnahme würde hauptsächlich Arzneimittelentwickler betreffen und soll sicherstellen, dass Kinder Zugang zu sicheren und wirksamen Arzneimitteln erhalten.¹⁰⁹

I Auswirkungen auf die EU und die Schweiz

Die Massnahme könnte aus unserer Sicht zur Versorgungssicherheit mit Kinderarzneimitteln in der EU beitragen, da die negativen Auswirkungen dieser Pflicht auf die Arzneimittelentwickler aus unserer Sicht eher gering ausfallen würden: Zwar könnten für die Arzneimittelentwickler aufgrund des raschen Inverkehrbringens in denjenigen Mitgliedstaaten, in denen das Arzneimittel bereits zugelassen ist, höhere Kosten anfallen (vgl. Abschnitt 2.3.3). Da die pädiatrische Indikation des Arzneimittels nur in denjenigen Mitgliedstaaten auf den Markt gebracht werden müsste, in denen das Arzneimittel für Erwachsene ohnehin bereits auf dem Markt verfügbar und der Vertrieb daher bereits etabliert ist, würden die zusätzlichen Kosten aus unserer Sicht jedoch eher gering ausfallen. Zudem wären die für die pädiatrische Indikationserweiterung erforderlichen Studien in der Regel bereits durchgeführt, da für die Erstzulassung des Arzneimittels ein PIP grundsätzlich umgesetzt werden muss. Die Gefahr, dass Arzneimittelentwickler aufgrund der neuen Pflicht auf die Zulassung einer pädiatrischen Indikation verzichten würden, erachten wir daher als gering. Auf die Versorgungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der Schweiz könnte die Massnahme hingegen negative Auswirkungen haben: Falls die Arzneimittelentwickler ihre Ressourcen auf das Inverkehrbringen in den Mitgliedstaaten konzentrieren würden, könnte das Kinderarzneimittel in der Schweiz verspätet auf den Markt kommen.

¹⁰⁸ Art. 59 der geplanten Richtlinie.

¹⁰⁹ Vorbemerkung 76 der geplanten Richtlinie.

I Kompatibilität mit geltendem Recht und mit geplanten Änderungen in der Schweiz

Die Kompatibilität der von der EU geplanten Massnahme «Inverkehrbringen von Kinderarzneimitteln» mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz beurteilen wir wie folgt:

- Geltendes Recht: kompatibel
- HMG3: kompatibel
- BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe: kompatibel

2.5 Beantwortung Forschungsfragen

Die Darstellung D 2.1 fasst die wichtigsten Erkenntnisse der Abschnitte 2.1 bis 2.4 in einer Übersicht zusammen. Nachfolgend beantworten wir basierend auf den Erkenntnissen die Forschungsfragen betreffend die geplanten Massnahmen der EU.

1. Welche Massnahmen (Neuerungen und Änderungen) plant die EU bezüglich Kinderarzneimittel und Arzneimittel gegen seltene Krankheiten (AMSK), welche Ziele verfolgt die EU mit diesen Massnahmen und welche Auswirkungen auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von solchen Arzneimitteln auf die Schweiz sind zu erwarten?

Die EU plant 17 Massnahmen zu Kinderarzneimitteln und AMSK. Sechs dieser geplanten Massnahmen sind neu. Bei elf Massnahmen handelt es sich um Änderungen an bestehenden Massnahmen. Entlang der Phasen eines Arzneimittels betreffen sieben geplante Massnahmen den Bereich Forschung und Entwicklung, vier die Zulassung, fünf die Vergütung und die finanziellen Anreize und eine den Vertrieb. Mit diesen Massnahmen zielt die EU insbesondere darauf ab, bestehende Schwächen bei der Regulierung von Kinderarzneimitteln und AMSK zu beheben, medizinische Versorgungslücken zu schliessen, prioritäre antimikrobielle Mittel zu fördern und das rasche Inverkehrbringen von Arzneimitteln in allen Mitgliedstaaten zu fördern.

Betreffend die möglichen Auswirkungen der geplanten Massnahmen erwarten wir für sieben Massnahme (eher) positive Auswirkungen auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK, bei drei Massnahmen könnten die Auswirkungen positiv oder negativ sein, bei zwei Massnahmen erwarten wir (eher) negative Auswirkungen und bei den übrigen fünf Massnahmen erwarten wir keine Auswirkungen (vgl. Darstellung D 2.1).

2. Inwiefern sind die geplanten EU-Massnahmen mit dem geltenden Recht und den geplanten Änderungen der dritten HMG-Revision beziehungsweise mit der geplanten Umsetzung der Empfehlungen des BAG-Berichts Arzneimittelversorgungsengpässe kompatibel?

Die geplanten Massnahmen der EU sind mehrheitlich kompatibel mit geltendem Recht und mit den geplanten Änderungen in der Schweiz. Lediglich eine geplante Massnahme steht im Widerspruch zum geltenden Recht der Schweiz, nämlich die Einführung erster PIPs (vgl. Darstellung D 2.1).

3. Welcher Anpassungsbedarf resultiert aus den geplanten Massnahmen zur Revision des EU-Arzneimittelrechts für die Regulierung von Kinderarzneimitteln und AMSK in der Schweiz?

Der Handlungsbedarf für die Schweiz hängt massgeblich davon ab, welche der geplanten Massnahmen tatsächlich umgesetzt werden. Zum Zeitpunkt der vorliegenden

Berichtlegung werden die geplanten Massnahmen in der EU-Legislative behandelt. Sollten die Massnahmen wie geplant umgesetzt werden, sehen wir in zwei Bereichen einen unmittelbaren Handlungsbedarf für die Schweiz:

- *Einführung erste PIPs (vgl. Abschnitt 2.1.3)*: Um zu verhindern, dass Arzneimittelentwickler die Zulassung eines Arzneimittels in der Schweiz zeitlich nach hinten verschieben, sollten die von der EMA genehmigten ersten PIPs auch in der Schweiz akzeptiert werden. Gemäss unserer Einschätzung braucht es dazu eine Anpassung auf Verordnungsstufe – namentlich der Arzneimittelverordnung, da der Bundesrat gemäss Art. 54a Abs. 2 HMG das Verfahren und die Anforderungen an das pädiatrische Prüfkonzept regelt.
- *Angleichung der Kriterien für Freistellungen (vgl. Abschnitt 2.1.4)*: Swissmedic hat einen gewissen Spielraum bei der Auslegung der Kriterien zur (Nicht-)Gewährung von Freistellungen. Dadurch kann verhindert werden, dass in der Schweiz Freistellungen gewährt werden, die in der EU nicht gewährt wurden. Dennoch ist es angezeigt, die Arzneimittelverordnung anzupassen, damit die geplanten Massnahmen der EU im Bereich der Freistellungen darin abgebildet werden.

Nachfolgend zeigen wir zudem auf, zu welchen Aspekten die Schweiz Überlegungen anstellen soll:

- *Partizipation am Europäischen Netz (vgl. Abschnitt 2.1.2)*: Aktuell ist die Schweiz bei der Enpr-EMA mit dem Netzwerk SwissPedNet vertreten.¹¹⁰ Die EU plant eine Änderung an diesem Netzwerk. Die Schweiz sollte sich überlegen, wie sie künftig in dieses Netz eingebunden und wie die Expertise dieses Netzwerks für die Schweiz genutzt werden kann. Eine aktive Teilnahme der Schweiz im geplanten Netzwerk wäre auch kohärent mit den vorgesehenen Massnahmen des BAG-Berichts Arzneimittelversorgungsempfänger.¹¹¹
- *Einführung AMSK-Status für medizinische Versorgungslücken (vgl. Abschnitt 2.1.1)*: Die EU plant, einen AMSK-Status für medizinische Versorgungslücken einzuführen. Die Schweiz könnte eine Einführung dieses neuen Status inklusive zugehöriger Anreize ebenfalls prüfen, um für die Entwickler entsprechender Arzneimittel attraktiv zu sein. Es kann auch abgewartet und beobachtet werden, ob die Massnahme tatsächlich zu mehr Entwicklungen und Zulassungen von solchen Arzneimitteln in der EU führt.
- *Angleichung der Kriterien zur Bestimmung der Seltenheit einer Krankheit (vgl. Abschnitt 2.1.5)*: In seltenen Fällen wird in der Schweiz der AMSK-Status nicht basierend auf dem Auslandskriterium beantragt. Die Schweiz könnte prüfen, ob bei bestimmten Krankheiten ebenfalls weitere spezifische Kriterien für die Bestimmung der Seltenheit verwendet werden sollen.¹¹²
- *Einführung der wissenschaftlichen Empfehlung über Arzneimittel-Status (vgl. Abschnitt 2.1.6)*: Die Schweiz kennt die Massnahme, ein Produkt als Arzneimittel beziehungsweise Medizinprodukt klassifizieren zu lassen, nicht. Die Schweiz könnte prüfen, ob eine solche Massnahme ebenfalls eingeführt werden soll.
- *Angleichung der Frist der Information bei Einstellung des Vertriebs eines Kinderarzneimittels (vgl. Abschnitt 2.2.3)*: Falls die EU Arzneimittelentwickler verpflichtet, über Vertriebseinstellungen zwölf Monate vorher zu informieren, hätte die EU eine

¹¹⁰ Vgl. [Website pädiatrie schweiz: SwissPedNet – das Netzwerk mit Vision und Mission](#), Zugriff am 12. Februar 2024.

¹¹¹ Massnahme 19 (BAG 2022, S. 35).

¹¹² Auf diesen Handlungsbedarf haben wir bereits in früheren Studien verwiesen (Hanemann et al. 2022b, S. 46).

restriktivere Regelung als die Schweiz. Das ist bereits jetzt so. Die Schweiz könnte prüfen, ob sie die Frist ebenfalls anpassen soll.

- *Anreize zum zeitnahen Inverkehrbringen in allen Mitgliedstaaten beobachten (vgl. Abschnitte 2.3.3, 2.3.5 und 2.4.1):* Die EU plant verschiedene Anreize, um den Zugang zu Arzneimitteln zu stärken. Dies könnte dazu führen, dass die Arzneimittel in der Schweiz erst verspätet auf den Markt kommen. Falls dies eintritt, müsste die Schweiz ihrerseits Massnahmen prüfen, die dem entgegenwirken könnten (z.B. Anreize für schnelles Inverkehrbringen in der Schweiz schaffen, Erhalt pädiatrisches ergänzendes Schutzzertifikat [PESZ]/pädiatrische Verlängerung eines ergänzendes Schutzzertifikats [PVESZ]/Unterlagenschutz an schnelles Inverkehrbringen knüpfen).
- *Angleichung an Anreize in der EU (vgl. Abschnitt 2.3):* Bereits heute gibt es bei den Anreizen Unterschiede zwischen der Schweiz und der EU betreffend Umfang und Ausgestaltung. Diese würden sich mit den geplanten Änderungen der EU verstärken (z.B. durch Gutscheine für prioritäre antimikrobielle Mittel). Die Schweiz könnte prüfen, wo sich eine Angleichung lohnen würde.

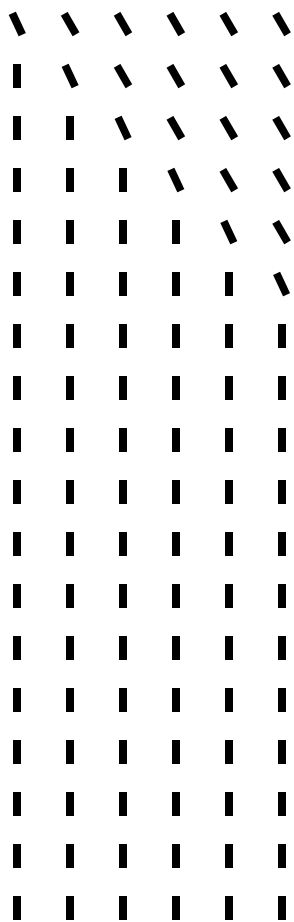
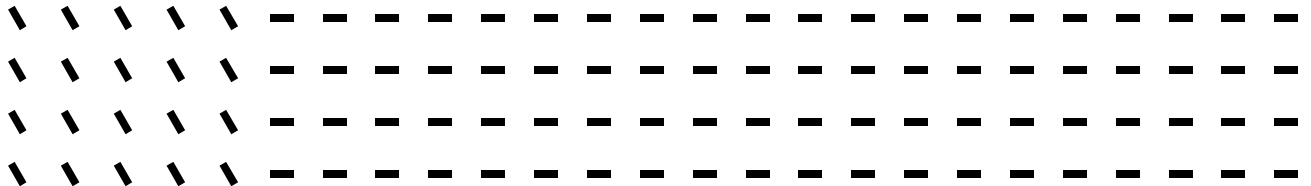
D 2.1: Synopsis der Ergebnisse der Analyse der geplanten Neuerungen und Änderungen in der EU

Massnahme	Erwartete Wirkung in der EU		Erwartete Wirkung in der Schweiz		Beurteilung Kompatibilität			Unmittelbarer Handlungsbedarf für die Schweiz?
	auf VS	auf AS	auf VS	auf AS	Geltendes Recht	3. Revision Heilmittelgesetz	BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsengpässe	
Forschung und Entwicklung								
AMSK für medizinische Versorgungslücken (N)	+ (AMSK)	+ (AMSK)	+ (AMSK)	+ (AMSK)	K	K	K	Nein, jedoch Auswirkungen des neuen AMSK-Status für medizinische Versorgungslücken in der EU beobachten und Einführung des neuen Status in der Schweiz prüfen.
Europäisches Netz (Ä)	+ (KiAM)	+ (KiAM)	+ (KiAM)	+ (KiAM)	K	K	K	Nein, allenfalls überlegen, wie sich die Schweiz einbringen kann (z.B. über SwissPedNet).
Pädiatrisches Prüfkonzept (Ä)	+ (KiAM und AMSK)	+ (KiAM und AMSK)	+ (KiAM und AMSK)	+ (KiAM und AMSK)	I	K	K	Ja, Einführung von ersten PIP erfordert eine Anpassung von Art. 5 VAM.
Freistellungen und Zurückstellungen (Ä)	+ (KiAM und AMSK)	+ (KiAM und AMSK)	+ (KiAM und AMSK)	+ (KiAM und AMSK)	K	K	K	Ja, Kriterien für Freistellungen anpassen.
AMSK-Status (Ä)	+ (AMSK)	+ (AMSK)	+ (AMSK)	+ (AMSK)	K	K	K	Nein, lediglich prüfen, ob neue Kriterien der EU ebenfalls übernommen werden sollen.
Klassifizierung als ATMP (Ä)	0	0	0	0	K	K	K	Nein, lediglich Auswirkungen der Massnahme in der EU beobachten und gegebenenfalls Einführung in der Schweiz prüfen.
Umweltverträglichkeitsprüfung (Ä)	(-) (KiAM und AMSK)	(-) (KiAM und AMSK)	(-) (KiAM und AMSK)	(-) (KiAM und AMSK)	K	K	K	nein
Zulassung								
Einführung Bolar-Ausnahmeregelung (N)	+/- (KiAM und AMSK)	+/- (KiAM und AMSK)	+/- (KiAM und AMSK)	+/- (KiAM und AMSK)	K	K	K	nein
Befristete Notfallzulassung (N)	+ (KiAM)	0	0	0	K	K	K	nein
Einstellung des Vertriebs eines Kinderarzneimittels (Ä)	(+) (KiAM)	0	0	0	K	K	K	Nein, lediglich Auswirkungen der Massnahme in der EU beobachten und gegebenenfalls Anpassung der Frist prüfen.
Zulassungsprozess (Ä)	+ (KiAM und AMSK)	+ (KiAM und AMSK)	+ (KiAM und AMSK)	+ (KiAM und AMSK)	K	K	K	nein

Massnahme	Erwartete Wirkung in der EU		Erwartete Wirkung in der Schweiz		Beurteilung Kompatibilität			Unmittelbarer Handlungsbedarf für die Schweiz?
	auf VS	auf AS	auf VS	auf AS	Geltendes Recht	3. Revision Heilmittelgesetz	BAG-Bericht Arzneimittelversorgungsgengpässe	
Vergütung und finanzielle Anreize								
Übertragbarer Gutschein für prioritäre antimikrobielle Mittel (N)	(+) (KiAM)	(+) (KiAM)	(+) (KiAM)	(+) (KiAM)	K	K	K	Nein, allenfalls prüfen, ob sich Angleichung an EU-Anreize lohnen würde.
Unterlagenschutz bei Zulassung patentfreier Arzneimittel für neue Indikationen (N)	0	0	0	0	K	K	K	Nein, allenfalls prüfen, ob sich Angleichung an EU-Anreize lohnen würde.
Unterlagenschutz für neue Arzneimittel (Ä)	+/- (KiAM und AMSK)	+/- (KiAM und AMSK)	+/- (KiAM und AMSK)	+/- (KiAM und AMSK)	K	K	K	Aktuell nicht, jedoch Auswirkungen der geplanten Anreize zum zeitnahen Inverkehrbringen in allen EU-Mitgliedstaaten auf die Versorgungssicherheit in der Schweiz beobachten und gegebenenfalls mit Massnahmen reagieren. Zudem bei Bedarf prüfen, ob sich Angleichung an EU-Anreize lohnen würde.
Genehmigung für die pädiatrische Verwendung (Ä)	0	0	0	0	K	K	K	Nein, allenfalls prüfen, ob sich Angleichung an EU-Anreize lohnen würde.
Marktexklusivität für AMSK (Ä)	+/- (AMSK)	+/- (AMSK)	+/- (AMSK)	+/- (AMSK)	K	K	K	Aktuell nicht, jedoch Auswirkungen der geplanten Anreize zum zeitnahen Inverkehrbringen in allen EU-Mitgliedstaaten auf die Versorgungssicherheit in der Schweiz beobachten und gegebenenfalls mit Massnahmen reagieren. Zudem bei Bedarf prüfen, ob sich Angleichung an EU-Anreize lohnen würde.
Vertrieb								
Inverkehrbringen von Kinderarzneimitteln (N)	+ (KiAM)	0	(-) KiAM	0	K	K	K	Aktuell nicht, jedoch Auswirkungen der geplanten Massnahme auf die Versorgungssicherheit in der Schweiz beobachten und gegebenenfalls mit Massnahmen reagieren.

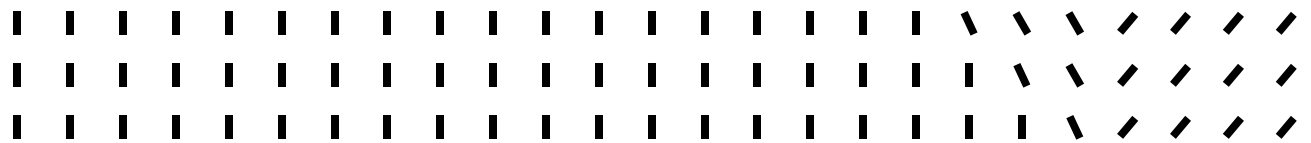
Quelle: Darstellung Interface

Legende: (Ä) = Änderung an Massnahme, (N) = Neue Massnahme; AS = Anwendungssicherheit, VS = Versorgungssicherheit; + = positive Wirkung, (+) = eher positive Wirkung, 0 = Keine Wirkung, (-) = eher negative Wirkung, +/- = positive und negative Wirkung möglich; k = Kompatibel, I = Inkompatibel; AMSK = Arzneimittel gegen seltene Krankheiten, ATMP = Arzneimittel für neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products), KiAM = Kinderarzneimittel, BAG = Bundesamt für Gesundheit, VAM = Arzneimittelverordnung.



3. Modul 2: Zusammenspiel der Massnahmen in der Schweiz

In diesem Kapitel finden sich die Ergebnisse der Analyse des Zusammenspiels der Massnahmen zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der Schweiz.



In diesem Kapitel finden sich die Ergebnisse der Analyse des Zusammenspiels der Massnahmen zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der Schweiz. Im Fokus stehen folgende Massnahmen: i) die Nationale Datenbank zur Dosierung von Arzneimitteln bei Kindern SwissPedDose, ii) die Verpflichtung, beim Zulassungsgesuch eines Arzneimittels ein pädiatrisches Prüfkonzept einzureichen und iii) die Möglichkeit eines vereinfachten Zulassungsverfahrens für neue sowie einer Statusänderung für bereits zugelassene wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten. In diesem Kapitel sollen die folgenden Forschungsfragen beantwortet werden:

4. Wie gestaltet sich aktuell die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der Schweiz?
5. Inwiefern können die drei Massnahmen SwissPedDose, pädiatrisches Prüfkonzept und vereinfachte Zulassung AMSK/AMSK-Status wirksam zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche beitragen?
6. Welche weiteren Massnahmen, die zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche beitragen, gibt es in der Schweiz?
7. Wie ist das Zusammenspiel aller Massnahmen in der Schweiz, die zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche beitragen, zu beurteilen?

Im Abschnitt 3.1 beschreiben wir zunächst die aktuelle Situation der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder in der Schweiz. Hierfür stützen wir uns auf die *Dokumentenanalyse*, die *leitfadengestützten Interviews* und den *Workshop*. Anschliessend präsentieren wir im Abschnitt 3.2 anhand eines *Wirkungsmodells* die Massnahmen der Schweiz, die zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK beitragen sollen. Im Abschnitt 3.3 beschreiben wir die Massnahmen anhand der *Dokumentenanalyse*, der *leitfadengestützten Interviews* und des *Workshops* und zeigen auf, inwiefern die Massnahmen zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit tatsächlich beitragen. Am Ende dieses Kapitels, in Abschnitt 3.4, beantworten wir die vier Forschungsfragen zu diesem Modul.

3.1 Versorgungs- und Anwendungssicherheit: aktuelle Situation

Die interviewten Personen beurteilen die Versorgungssicherheit bei Kinderarzneimitteln grundsätzlich kritischer als die Anwendungssicherheit. Die Ursachen für diese Versorgungsempässe bei Kinderarzneimitteln würden sich dabei nicht von den Versorgungsempässen bei Arzneimitteln für Erwachsene unterscheiden.¹¹³ Die Interviews und die Dokumentenanalyse haben jedoch gewisse Besonderheiten betreffend die Versorgungs- und

¹¹³ Für mehr Informationen zu den Ursachen von Versorgungsempässen mit Arzneimitteln siehe BAG 2022, S. 21.

Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln aufgezeigt, auf die wir nachfolgend eingehen.

I Versorgungssicherheit mit Kinderarzneimitteln

Betreffend die Versorgungssicherheit mit Kinderarzneimitteln lassen sich insbesondere drei Besonderheiten identifizieren:

- *Fehlende zugelassene Arzneimittel in pädiatrischen Bereichen mit hohem Therapiebedarf*: Gemäss Daten aus der Schweiz gibt es insbesondere in Bereichen mit grossem Therapiebedarf in der Pädiatrie, beispielsweise zur Behandlung von psychischen Störungen und Verhaltensstörungen, neonatalen Erkrankungen und Erkrankungen der Atemwege, wenig zugelassene Kinderarzneimittel. Grund dafür ist insbesondere, dass sich die Forschung und Entwicklung von Arzneimitteln noch immer hauptsächlich am Therapiebedarf von Erwachsenen orientieren¹¹⁴
- *Versorgungsprobleme bei Antibiotika und Schmerzmittel*: Besonders bei den Antibiotika und den Schmerzmitteln gibt es gemäss Aussagen aus den Interviews Versorgungsprobleme bei Kindern. Die Probleme verschärfen sich gemäss Aussagen aus den Interviews und aus dem Workshop zudem, wenn es sich um Nachahmerprodukte und Arzneimittel mit abgelaufenem immaterialgüterrechtlichem Schutz handelt, da die Preise solcher Arzneimittel zu wenig attraktiv für den Vertrieb seien. Es gilt jedoch zu beachten, dass das BAG 2023 Massnahmen ergriffen hat, um auf Versorgungsengpässe bei solch günstigen Produkten zu reagieren. Bei der regelmässigen Überprüfung des Arzneimittelpreises kann bei lebenswichtigen und günstigen Produkten auf eine Preissenkung verzichtet werden. Zudem hat das BAG entschieden, bei solchen Arzneimitteln die Preise zu erhöhen.¹¹⁵
- *Ersatzpräparate für Erwachsene können Versorgungsengpässe bei Kinderarzneimitteln verdecken*: Ein weiteres Problem ist die Verfügbarkeit von Ersatzpräparaten. Fehlt ein Originalpräparat, können bei Erwachsenen gemäss Aussagen aus den Interviews teilweise vergleichbare Ersatzpräparate angewendet werden, die jedoch nicht in jedem Fall auch für Kinder und Jugendliche zugelassen sind. Dieser Umstand kann demnach aus unserer Sicht zum Umstand führen, dass die Versorgung von Erwachsenen mit den entsprechenden Wirkstoffen zwar gesichert ist, nicht jedoch die Versorgung von Kindern und Jugendlichen.

I Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln

Betreffend die Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln lassen sich die folgenden Besonderheiten identifizieren:

- *Arzneimittel werden oft ausserhalb der zugelassenen Fachinformation Kindern und Jugendlichen verschrieben (Off-Label-Use)*: Gemäss einem Workshop-Teilnehmenden handelt es sich bei rund der Hälfte aller Arzneimittel, die Kindern und Jugendlichen verschrieben werden, um Arzneimittel, die für Kinder und Jugendliche nicht zugelassen sind. Laut Aussagen aus den Interviews ist dieser Off-Label-Use insbesondere bei alten Arzneimitteln ohne immaterialgüterrechtlichen Schutz verbreitet. Der Off-Label-Use ist gemäss Aussagen aus den Interviews mit Risiken verbunden, da in diesem Fall Studiendaten über die Anwendung (d.h. Dosierung, Verabreichung) und Wirksamkeit bei Kindern und Jugendlichen fehlen.
- *Ungeeignete Darreichungsformen können zu Dosierungsfehlern führen*: Laut Aussagen aus einem Interview werden Arzneimittel oftmals nicht in einer für Kinder und Jugendliche geeigneten Darreichungsform hergestellt. Arzneimittel müssten oft zuerst

¹¹⁴ Hanimann et al. 2022a, S. 41–42 und 53.

¹¹⁵ Vgl. [Website BAG: BAG stärkt Arzneimittelversorgung](#), Zugriff am 26. Februar 2024.

in eine geeignete Darreichungsform für Kinder und Jugendliche gebracht werden (z.B. als Suspension). Bei diesen Manipulationen würden Fehler bei der Dosierung passieren können.

- *Verabreichung von Ersatzpräparaten ohne Zulassung für die Anwendung bei Neugeborenen oder Kleinkindern birgt Risiken:* Bei Versorgungsengpässen eines Originalpräparats können gemäss Aussagen aus einem Interview die Ersatzpräparate, die für die Pädiatrie nicht zugelassen sind, insbesondere bei Neugeborenen und Kleinkindern nicht ohne weiteres angewendet werden, da die darin verwendeten Hilfsstoffe für diese Patientengruppe gefährlich sein könnten.

3.2 Wirkungsmodell: Übersicht der Massnahmen

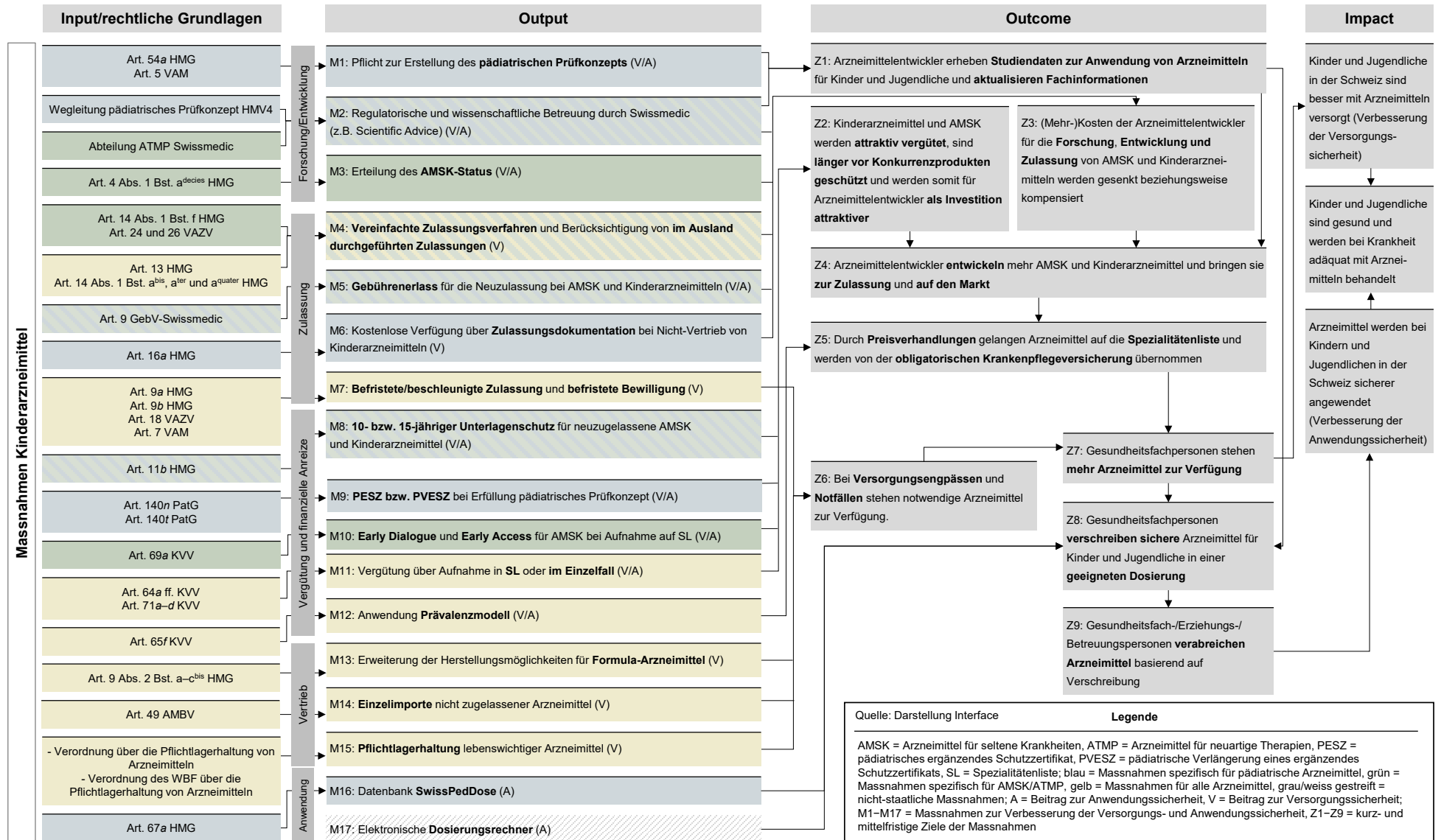
Das Wirkungsmodell in Darstellung D 3.1 zeigt auf, welche Ziele mit den aktuellen Massnahmen zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit erreicht werden sollen.

Horizontal unterscheiden wir zwischen dem Input (rechtliche Grundlagen der Massnahmen), dem Output (Massnahmen zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit), dem Outcome (kurz- und mittelfristige Ziele der Massnahmen) sowie dem Impact (langfristige Ziele der Massnahmen). Vertikal haben wir das Wirkungsmodell entlang der Phasen eines Arzneimittels nach Forschung und Entwicklung, Zulassung, Vergütung und finanzielle Anreize, Vertrieb sowie Anwendung gegliedert. Der Vollständigkeit halber haben wir dem Wirkungsmodell den «Kontext» hinzugefügt, der Informationen zu weiteren relevanten Entwicklungen mit Bezug zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln besitzt.

Wir haben 17 Massnahmen zur Verbesserung identifiziert: Sechs Massnahmen zielen auf die Verbesserung der Versorgungssicherheit, zwei Massnahmen auf die Verbesserung der Anwendungssicherheit und neun Massnahmen auf die Verbesserung beider Aspekte. Bei 16 dieser Massnahmen handelt es sich um staatliche Massnahmen und bei einer um eine nicht-staatliche¹¹⁶ Massnahme. Auf die Massnahmen gehen wir im folgenden Abschnitt 3.3 an entsprechender Stelle ein.

¹¹⁶ Die Einführung einer Pflicht, elektronische Systeme zur Berechnung von Arzneimitteldosierungen bei stationären und ambulanten Behandlungen zu verwenden, befindet sich aktuell in der Vernehmlassung (vgl. Abschnitt 1.1). Zum Stand der Berichtlegung existieren elektronische Dosierungsrechner, die von Privaten betrieben werden.

D 3.1: Wirkungsmodell zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche



3.3 Ziele der Massnahmen und Beschreibung Zielerreichung

In diesem Abschnitt beschreiben wir die Ziele auf der Outcome-Ebene des Wirkungsmodells, die mit den Massnahmen auf der Output-Ebene erreicht werden sollen. Zudem zeigen wir, welche Aspekte zur Erreichung der Ziele beitragen und welche Aspekte hinderlich für die Zielerreichung sind.

3.3.1 Ziel 1 – Erhebung von Studiendaten und Aktualisierung Fachinformation

Arzneimittelentwickler sollen dazu gebracht werden, Studiendaten zur Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen zu erheben und basierend darauf die Fachinformationen der Arzneimittel zu aktualisieren. Dazu tragen insbesondere zwei Massnahmen bei:

- *Massnahme 1 (M1) – Pflicht zur Erstellung eines pädiatrischen Prüfkonzepts (Forschung/Entwicklung):* Arzneimittelentwickler sind grundsätzlich verpflichtet, dem Zulassungsgesuch ein Forschungs- und Entwicklungsprogramm (pädiatrisches Prüfkonzept) zur Erhebung von Daten für die Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen beizulegen.
- *Massnahme 2 (M2) – Regulatorische und wissenschaftliche Betreuung durch Swissmedic (Forschung/Entwicklung):* Für die Konzeption von pädiatrischen Studien bietet die Swissmedic eine Beratung an («Scientific Advice»). Zusätzliche Beratung bietet die Abteilung ATMP bei Swissmedic für Arzneimittelentwickler von ATMP¹¹⁷.

I Beschreibung Zielerreichung

Seit Einführung der pädiatrischen Prüfkonzepte in der EU (Paediatric Investigation Plan, [PIP]) werden gemäss den analysierten Dokumenten mehr Studiendaten bei Kindern erhoben, insbesondere bei Neugeborenen und Jugendlichen hat sich die Datenlage mit Einführung der EU-Kinderarzneimittelverordnung¹¹⁸ 2007 verbessert.¹¹⁹ Diese Studiendaten fliessen in die Fachinformationen von Arzneimitteln ein. Dadurch wird deren Anwendung sicherer, selbst wenn das Arzneimittel nicht für Kinder zugelassen wird, weil verschreibende Gesundheitsfachpersonen dadurch mehr Informationen für einen allfälligen Off-Label-Use des betreffenden Arzneimittels bei Kindern haben. Allerdings zeigen die Erhebungen, dass es bei der Zielerreichung auch Schwierigkeiten gibt:

- *Umsetzung der eingereichten pädiatrischen Prüfkonzepte ist teilweise schwierig:* In der EU kommt es bei über 40 Prozent der PIPs zu Umsetzungsschwierigkeiten, insbesondere, weil sich die Rekrutierung von Studienteilnehmenden als schwierig gestaltet.¹²⁰ In der Schweiz dürfen Arzneimittelentwickler auch ausländische pädiatrische Prüfkonzepte einreichen, sofern das Land eine vergleichbare Arzneimittelkontrolle aufweist. Da dabei in der Schweiz am häufigsten PIPs eingereicht werden, wirken sich die Schwierigkeiten in der EU auch auf die Schweiz aus.¹²¹
- *Grosszügige Gewährung von Freistellungen verhindern Forschung an Kindern:* In der EU werden anteilmässig viele Freistellungen für die Einreichung eines PIP gewährt. Dadurch wird verhindert, dass Arzneimittel an Kindern und Jugendlichen erforscht werden.¹²²
- *Wenig pädiatrische Studiendaten für Fachgebiete mit hohem therapeutischem Bedarf:* Daten aus der EU und der Schweiz zeigen auf, dass in denjenigen Fachgebieten, in

¹¹⁷ ATMP werden häufig auch bei Kindern mit seltenen Krankheiten angewandt.

¹¹⁸ Verordnung (EG) Nr. 1901/2006.

¹¹⁹ Hanimann et al. 2022a, S. 41 und 62.

¹²⁰ Hanimann et al. 2022a, S. 32.

¹²¹ Hanimann et al. 2022a, S. 53.

¹²² Hanimann et al. 2022a, S. 32.

denen der therapeutische Bedarf in der Pädiatrie am höchsten ist, eher weniger pädiatrische Prüfkonzepte eingereicht werden.¹²³ Grund dafür ist, dass sich die Arzneimittelentwicklung nach wie vor am Therapiebedarf der Erwachsenen konzentriert und folglich wenig Forschung in Gebieten durchgeführt wird, die für Kinder und Jugendliche relevant wären.¹²⁴

- *Hinweise zur Anwendung bei Kindern, aber keine Zulassung*: Weil Daten aus Studien an Kindern in die Fachinformation einfließen müssen, kommt es vor, dass die Fachinformation Hinweise zur Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern enthält, selbst wenn das Arzneimittel für Kinder nicht zugelassen wurde (d.h. keine pädiatrische Indikationserweiterung beantragt wurde). Dies kann bei Anwenderinnen und Anwendern zu Unklarheiten führen.¹²⁵
- *Wenig pädiatrische Studiendaten bei «alten» Arzneimitteln*: Die Anreize der EU haben nicht dazu geführt, dass mehr pädiatrische Studiendaten bei «alten» Arzneimitteln generiert wurden. Das bedeutet, dass Arzneimittel, die seit längerer Zeit für Erwachsene zugelassen sind («alte» Arzneimittel), nicht für Kinder weiterentwickelt und zur Zulassung gebracht werden.¹²⁶

3.3.2 Ziel 2 – Höhere wirtschaftliche Attraktivität

Kinderarzneimittel und AMSK sollen attraktiv vergütet, länger vor Konkurrenzprodukten geschützt und dadurch als Investition für Arzneimittelentwickler attraktiver werden. Um dieses Ziel zu erreichen, sind drei Massnahmen wichtig:

- *Massnahme 8 (M8) – Zehn- beziehungsweise 15-jähriger Unterlagenschutz (Vergütung und finanzielle Anreize)*: Neuzugelassene Arzneimittel für die rein pädiatrische Anwendung und neuzugelassene AMSK können bei Swissmedic einen zehn- respektive 15-jährigen Unterlagenschutz beantragen.
- *Massnahme 9 (M9) – PESZ beziehungsweise PVESZ bei Erfüllung pädiatrisches Prüfkonzept (Vergütung und finanzielle Anreize)*: Arzneimittelentwickler, die die Vorgaben eines bewilligten pädiatrischen Prüfkonzepts erfüllen, können beim Eidgenössischen Institut für Geistiges Eigentum auf Gesuch hin ein bestehendes PVESZ oder, falls sie kein ergänzendes Schutzzertifikat besitzen, ein sechsmonatiges PESZ erhalten.
- *Massnahme 10 (M10) – Early Dialogue und Early Access für AMSK (Vergütung und finanzielle Anreize)*: Arzneimittelentwickler können zur Aufnahme auf die Spezialitätenliste bei AMSK mit dem BAG bereits vor der Gesuchseinreichung in Kontakt treten («Early Dialogue»). Zudem kann bei AMSK das Gesuch zur Aufnahme auf die Spezialitätenliste bereits während der Prüfung des Zulassungsgesuchs von Swissmedic eingereicht werden («Early Access»).
- *Massnahme M11 (M11) – Vergütung von Arzneimitteln über Aufnahme in Spezialitätenliste oder im Einzelfall (Vergütung und finanzielle Anreize)*: Arzneimittel, die auf die Spezialitätenliste aufgenommen wurden, werden durch die obligatorische Krankenpflegeversicherung vergütet. Im Einzelfall übernimmt die obligatorische Krankenpflegeversicherung auch dann die Kosten, wenn das Arzneimittel nicht in der Spezialitätenliste aufgenommen ist, beziehungsweise wenn das zugelassene Arzneimittel ausserhalb der genehmigten Indikation verwendet wird.

¹²³ Hanimann et al. 2022a, S. 53.

¹²⁴ Hanimann et al. 2022a, S. 41.

¹²⁵ Hanimann et al. 2022a, S. 54.

¹²⁶ Hanimann et al. 2022a, S. 35.

I Beschreibung Zielerreichung

Der Unterlagenschutz und das PESZ beziehungsweise PVESZ werden gemäss den analysierten Dokumenten grundsätzlich geschätzt und genutzt.¹²⁷ In den Interviews mit den ausgewählten Wissensträgerinnen und -trägern wurde insbesondere der Unterlagenschutz als wichtiges komplementäres Instrument hervorgehoben, sofern er sich nicht mit dem immaterialgüterrechtlichen Schutz überlappt. Positiv sei auch, dass die Beantragung des Unterlagenschutzes für Arzneimittelentwickler mit keinem grossen administrativen Aufwand verbunden sei. Im Workshop wurde zudem darauf hingewiesen, dass der Unterlagenschutz wichtiger sei als ein Marktexklusivitätsrecht, wie dasjenige in der EU. Im Workshop wurde zudem auch der «Early Access» als wichtige Massnahme für die Arzneimittelentwickler beurteilt. Der «Early Dialogue» sei auch wichtig, jedoch nur, wenn die Arzneimittelentwickler anschliessend auch Zugang zum «Early Access» erhalten würden. Darüber hinaus wurde im Workshop von einem Teilnehmenden die Relevanz der Vergütung im Einzelfall betont, da diese bei Kinderarzneimitteln und AMSK häufig zur Anwendung komme (vgl. auch Ziel 6).

Allerdings zeigen die Erhebungen auch Aspekte auf, die für die Zielerreichung hinderlich sind:

- *Anreize in der Schweiz können Forschung und Entwicklung nicht beeinflussen:* Die Dokumentenanalyse zeigt, dass die Anreize in der Schweiz nicht dazu führen, dass mehr in die Forschung und Entwicklung von Kinderarzneimitteln und AMSK investiert wird, da der Schweizer Markt zu wenig attraktiv ist für die Arzneimittelentwickler.¹²⁸ Diese Erkenntnis wurde auch in den Interviews und im Workshop nochmals bestätigt.
- *Erhalt eines PVESZ/PESZ ist nicht an die Zulassung für die Pädiatrie geknüpft:* In einzelnen Interviews wurde kritisiert, dass Arzneimittelentwickler von einem verlängerten immaterialgüterrechtlichen Schutz profitieren können, ohne dass das betreffende Arzneimittel für Kinder zugelassen wird. Ein PVESZ oder PESZ kann beantragt werden, sobald Studiendaten zu Kindern in die Fachinformation aufgenommen wurden. Das PVESZ und PESZ bieten entsprechend keine Anreize, um mehr Arzneimittel für Kinder zur Zulassung zu bringen (vgl. auch Beschreibung Zielerreichung Ziel 4 und 5).
- *Späterer Wettbewerb und höhere Preise:* Durch die Vergabe von zusätzlichen Schutzrechten in Form des zehn- und 15-jährigen Unterlagenschutzes sowie des PESZ beziehungsweise PVESZ können aus unserer Sicht Nachahmerprodukte erst später entwickelt und auf den Markt gebracht werden. Die Inhaber der Zulassung des Originalpräparats können dadurch länger höhere Preise am Markt durchsetzen.¹²⁹ Fehlen Ersatzpräparate, so können Versorgungsentpässe beim Originalpräparat schwieriger mit Alternativen überbrückt werden, wodurch die Versorgungssicherheit bei diesen Arzneimitteln eingeschränkt werden würde.
- *PESZ und PVESZ besonders für Blockbuster und grosse Arzneimittelentwickler attraktiv:* Gemäss Aussagen aus einem Interview sind PESZ und PVESZ besonders für Arzneimittel, die hohe Umsätze generieren (sog. «Blockbuster»), attraktiv. Der Grund dafür sei, dass es bei verlängerten Schutzzertifikaten häufiger zu immaterialgüterrechtlichen Auseinandersetzungen komme als bei Patenten. Der damit verbundene

¹²⁷ Hanimann et al. 2022a, S. 56–57

¹²⁸ Hanimann et al. 2022a, S. 56–57 ; Hanimann et al. 2022b, S. 45.

¹²⁹ Insbesondere AMSK verursachen hohe Kosten für das Gesundheitswesen. So betragen in den USA die Kosten für AMSK pro Patientin bzw. Patient im Median 98'500 Dollar und für Nicht-AMSK im Median 5'100 Dollar pro Patientin bzw. Patient. Zudem besaßen 2015 sieben der zehn umsatzstärksten Arzneimittel in den USA den AMSK-Status (Daniel et al. 2016, S. 211).

potenzielle Aufwand würde Arzneimittelentwickler tendenziell davon abhalten, bei Arzneimitteln mit weniger hohen Umsätzen eine Verlängerung des immaterialgüterrechtlichen Schutzes anzustreben. Zudem seien die PESZ und PVESZ besonders für grosse Arzneimittelentwickler attraktiv, da kleinere Unternehmen oftmals ihre Produkte vor der Zulassung an ein Grossunternehmen verkaufen würden.

- *Längerer immaterialgüterrechtlicher Schutz kompensiert Mehrkosten in der Regel nicht:* Die Erarbeitung und Umsetzung eines pädiatrischen Prüfkonzepts verursacht bei Arzneimittelentwicklern zusätzliche Kosten. Eine Studie zur Situation in der EU zeigt, dass die zusätzlichen Erträge aus dem verlängerten immaterialgüterrechtlichen Schutz – namentlich durch die Verlängerung eines ergänzenden Schutzzertifikats – diese Mehrkosten in der Regel nicht kompensieren.¹³⁰
- *Keine Preisfestlegung spezifisch für Kinderarzneimittel:* Die Teilnehmenden des Workshops hoben hervor, dass spezifische Massnahmen für eine attraktive Festlegung der Preise von Kinderarzneimitteln fehlen würden. Kinderarzneimittel würden bei der Preisfestlegung gleich behandelt werden wie gewöhnliche Arzneimittel. Zwar gibt es mit dem Prävalenzmodell eine Massnahme, die dazu beitragen soll, dass Arzneimittelentwickler Indikationserweiterungen mit tiefer Prävalenzzahl auf den Markt bringen. Diese Massnahme scheint jedoch für Arzneimittelentwickler zu wenig attraktiv zu sein (vgl. Abschnitt 3.3.5). Die Vergütung über die Aufnahme in die Spezialitätenliste und die Vergütung im Einzelfall stelle für Arzneimittelentwickler kein attraktives Vergütungsmodell dar. Bei der Vergütung im Einzelfall komme hinzu, dass es keine Erstattungspflicht durch die obligatorische Krankenpflegeversicherung gebe, was den Zugang zu den betreffenden Arzneimitteln für die Patientinnen und Patienten erschwere (vgl. auch Ziel 6).

3.3.3 Ziel 3 – Reduktion der Forschungs-, Entwicklungs- und Zulassungskosten

Die Pflicht zur Erfüllung eines *pädiatrischen Prüfkonzepts* hat auch den nachteiligen Effekt, dass sie bei den Arzneimittelentwicklern im Vergleich zu früher zusätzliche Kosten verursacht, da ein *pädiatrisches Prüfkonzept* erstellt und Studien bei Kindern und Jugendlichen durchgeführt werden müssen. Zudem ist die Forschung und Entwicklung bei Kinderarzneimitteln und AMSK im Vergleich zu Arzneimitteln für Erwachsene tendenziell aufwändiger, da sich die Rekrutierung von Studienteilnehmenden schwieriger gestaltet. Die folgenden (Gegen-)Massnahmen zielen vor diesem Hintergrund darauf ab, die Kosten der Arzneimittelentwickler bei der Forschung, Entwicklung und Zulassung von Kinderarzneimitteln und AMSK zu senken beziehungsweise die Mehrkosten zu kompensieren:

- Massnahme 2 (M2) – Regulatorische und wissenschaftliche Betreuung durch Swissmedic (Forschung/Entwicklung): vgl. Ziel 1.
- *Massnahme 3 (M3) – Erteilung AMSK-Status (Forschung/Entwicklung):* Erfüllt ein Arzneimittel das Seltenheits- oder Auslandskriterium, so kann der Arzneimittelentwickler bei Swissmedic den AMSK-Status beantragen.
- Massnahme 4 (M4) – Vereinfachte Zulassungsverfahren und Berücksichtigung der Ergebnisse von ausländischen Zulassungen (Zulassung): Arzneimittelentwickler können für AMSK sowie für Arzneimittel, die seit längerer Zeit in der EU, der EFTA oder in einem Kanton zugelassen sind, ein vereinfachtes Zulassungsverfahren bei Swissmedic beantragen. Zudem berücksichtigt Swissmedic bei Arzneimitteln, die in einem Land mit einer vergleichbaren ausländischen Arzneimittelkontrolle zugelassen wurden, die Ergebnisse der durchgeführten Prüfungen.

¹³⁰ Die Kosten der EU-Kinderarzneimittelverordnung werden auf rund 17 Milliarden Euro für den Zeitraum zwischen 2008 und 2015 geschätzt. Die zusätzlichen Erträge aus den verlängerten ergänzenden Schutzzertifikaten betragen demgegenüber nur rund 1 Milliarde Euro (Varnai et al. 2016, S. 8).

- *Massnahme 5 (M5) – Gebührenerlass bei Neuzulassungen (Zulassung):* Für die Neuzulassung von AMSK und Kinderarzneimitteln erhebt Swissmedic keine Gebühren.
- *Massnahme 6 (M6) – Kostenlose Verfügung über Zulassungsdokumentation bei Nicht-Vertrieb (Zulassung):* Wird ein Kinderarzneimittel, das ein PESZ, eine PVESZ oder einen zehnjährigen Unterlagenschutz erhalten hat, nach Zulassung nicht in Vertrieb gebracht oder wird der Vertrieb eingestellt, können andere Arzneimittelentwickler kostenlosen Zugang zu den für die Zulassung relevanten Dokumenten erhalten.

I Beschreibung Zielerreichung

Unsere Dokumentenanalyse zeigt, dass die folgenden Punkte für die Erreichung des Ziels 3 förderlich sind:

- *Schliessung von Lücken in der Versorgung:* Die Einführung des vereinfachten Zulassungsverfahrens nach Art. 14 Abs. 1 Bst. a^{bis-quater} HMG für Arzneimittel, die seit längerem in der EU, der EFTA oder in einem Kanton zugelassen sind, hat dazu geführt, dass Arzneimittelentwickler einfacher beziehungsweise kostengünstiger eine Zulassung in der Schweiz beantragen können. Dadurch wurden mehr Arzneimittel zur Zulassung gebracht und es konnten Lücken in der Versorgung von Kindern und Jugendlichen geschlossen werden – insbesondere im Bereich von seltenen Stoffwechselerkrankungen.¹³¹
- *Erlass Zulassungsgebühren ist unterschiedlich relevant:* Der Erlass der Zulassungsgebühren bei AMSK und Kinderarzneimitteln ist insbesondere für kleine Unternehmen attraktiv. Für grössere Firmen spielen die Schweizer Zulassungsgebühren keine grosse Rolle.¹³²

Allerdings muss auch auf einen hinderlichen Punkt hingewiesen werden: Bei AMSK besteht die Gefahr, dass Arzneimittelentwickler für häufige Erkrankungen mithilfe des «Slicing»¹³³ (auch unter «Orphanisierung» bekannt) in bestimmten Ländern – insbesondere in den USA¹³⁴ – den AMSK-Status erhalten. Aufgrund des Auslandskriteriums muss Swissmedic in solchen Fällen den AMSK-Status vergeben und vergibt den Status damit auch an Arzneimittel, die möglicherweise nicht auf die Behandlung einer seltenen Krankheit abzielen. Die Arzneimittelentwickler profitieren infolgedessen ungerechtfertigt von den entsprechenden Anreizen und tragen damit zur Kostensteigerung im Gesundheitswesen bei.¹³⁵

Zum vereinfachten Zulassungsverfahren für AMSK können keine Aussagen über die Wirkungen gemacht werden.

3.3.4 Ziel 4 – Entwicklung, Zulassung und Inverkehrbringung

Arzneimittelentwickler sollen mehr AMSK und Kinderarzneimittel entwickeln, dafür die Zulassung beantragen und diese schlussendlich auf den Markt bringen. Um dieses Ziel zu

¹³¹ Hanimann et al. 2022a, S. 57–58.

¹³² Hanimann et al. 2022a, S. 58.

¹³³ Unter «Slicing» versteht man die Strategie von Arzneimittelentwicklern, aus grösseren Anwendungsgebieten Untergruppen herauszuschneiden, damit künstlich kleine Subpopulationen entstehen, die die Bedingungen des AMSK-Status erfüllen.

¹³⁴ In den USA sind 15 Prozent aller Arzneimittel mit einem AMSK-Status für mehr als eine Indikation zugelassen. Viele AMSK werden zuerst für eine seltene Erkrankung und später für eine häufige Erkrankung, die bei einer grossen Patientenpopulation vorkommt, zugelassen (Daniel et al. 2016, S. 212).

¹³⁵ Hanimann et al. 2022b, S. 44–45.

erreichen, sind die Massnahmen zur Erreichung der Ziele 1 bis 3 wichtig (vgl. vorangehend).

I Beschreibung Zielerreichung

Unsere Dokumentenanalyse zeigt, dass es seit 2011 tatsächlich zu mehr Markteintritten von Arzneimitteln gekommen ist, allerdings vor allem bei AMSK. Insbesondere zwischen 2019 und 2021 wurden mehr AMSK zugelassen, was durch die Einführung des vereinfachten Zulassungsverfahrens nach Art. 14 Abs. 1 Bst. a^{ter}–a^{quater} HMG ausgelöst wurde und dazu beitrug, dass mehr Arzneimittel für seltene Stoffwechselerkrankungen bei Kindern und Jugendlichen zugelassen wurden.¹³⁶ Wie viele Kinderarzneimittel in den letzten Jahren in der Schweiz neu zugelassen wurden, kann diese Studie nicht beantworten. Zahlen aus der EU zeigen jedoch, dass sich mit Einführung der EU-Kinderarzneimittelverordnung 2007 die Anzahl zugelassener Arzneimittel, Indikationen und Dosierungen für Kinder verdoppelt hat.¹³⁷

Unsere Erhebungen zeigen allerdings auch Punkte auf, die für die Zielerreichung hinderlich sind:

- *Pädiatrische Indikationserweiterung werden nicht immer gestellt:* Die analysierten Dokumente zeigen auf, dass Gesuche um eine pädiatrische Indikationserweiterung in der Schweiz nicht immer gestellt werden, auch wenn die Studiendaten aus einem pädiatrischen Prüfkonzept eine Zulassung ermöglichen würden. Grund dafür sind die Preisverhandlungen, die der Antrag auf Indikationserweiterung auslöst. Diese führen oft zu tieferen Preisen für die entsprechenden Arzneimittel, was für Arzneimittelentwickler unattraktiv ist.¹³⁸

3.3.5 Ziel 5 – Aufnahme auf Spezialitätenliste und Kostenübernahme durch OKP

Durch Preisverhandlungen zwischen Arzneimittelentwicklern und dem BAG sollen die Arzneimittel im Anschluss an die Zulassung auf die Spezialitätenliste gelangen – sofern das Arzneimittel wirksam, zweckmässig und wirtschaftlich ist –, damit sie von der obligatorischen Krankenpflegeversicherung vergütet werden. Auch hierfür sind die Massnahmen zur Erreichung der Ziele 1 bis 3 (vgl. vorangehend) sowie eine weitere Massnahme wichtig:

- *Massnahme 12 (M12) – Prävalenzmodell:* Im Falle der Beantragung einer pädiatrischen Indikationserweiterung kann die Neuberechnung des Preises auf der Spezialitätenliste mittels des Prävalenzmodells erfolgen. Dabei wird der Preis basierend auf dem Vergleich der neuen Prävalenz mit der bisherigen Anwendung des Arzneimittels berechnet. Dies soll dazu beitragen, dass Arzneimittelentwickler kleine Indikationserweiterungen auf den Markt bringen, die durch die obligatorische Krankenpflegeversicherung übernommen werden.

I Beschreibung Zielerreichung

Die Erhebungen zeigen Punkte auf, die für die Zielerreichung hinderlich sind:

- *Prävalenzmodell wenig attraktiv für Arzneimittelentwickler:* Das Prävalenzmodell kommt gemäss den analysierten Dokumenten nur selten zur Anwendung. Es ist für die Arzneimittelentwickler aufgrund der Schwierigkeit, künftige Umsatzentwicklungen

¹³⁶ Hanimann et al. 2022b, S. 39–40; Hanimann et al. 2022a, S. 62.

¹³⁷ Hanimann et al. 2022a, S. 43.

¹³⁸ Hanimann et al. 2022a, S. 54–55.

vorauszusehen, wenig attraktiv.¹³⁹ Auch im Workshop wurde darauf hingewiesen, dass das Prävalenzmodell bei pädiatrischen Indikationserweiterungen nicht attraktiv sei.

- *Langwierige Preisverhandlungen*: Langwierige und erst nach der Zulassung startende Preisverhandlungen zwischen den Arzneimittelentwicklern und dem BAG können ebenfalls zu Verzögerungen beim Vertrieb von Kinderarzneimitteln führen.¹⁴⁰ Dieses Erkenntnis aus der Dokumentenanalyse wurde in den Interviews nochmals bestätigt. Im Bereich der AMSK hat das BAG auf diesen Umstand mittlerweile reagiert und per Anfang 2024 die Möglichkeit eines «Early Dialogue» und eines «Early Access» geschaffen (vgl. Ziel 3). Die Wirkungen dieser beiden Massnahmen können zum Zeitpunkt der Berichtlegung jedoch noch nicht eruiert werden.

3.3.6 Ziel 6 – Notwendige Arzneimittel stehen bei Versorgungsengpässen und Notfällen zur Verfügung

Ein weiteres Ziel ist, dass bei Versorgungsengpässen und Notfällen bestimmte Arzneimittel Kindern und Jugendlichen zur Verfügung stehen. Dazu sind folgende Massnahmen zentral:

- *Massnahme 7 (M7) – Befristete/beschleunigte Zulassung und befristetes Inverkehrbringen (Zulassung)*: Swissmedic kann unter bestimmten Bedingungen Arzneimittel befristet oder beschleunigt zulassen. Zudem kann Swissmedic bewilligen, dass ein in der Schweiz bereits zugelassenes Arzneimittel befristet in einer ausländischen Aufmachung vertrieben wird.
- *Massnahme 13 (M13) – Herstellung von Formula-Arzneimitteln (Vertrieb)*: Berechtigte öffentliche Apotheken, Spitalapotheken und Herstellerbetriebe im Lohnauftrag für Apotheken und Spitalapotheken sowie – bei nicht verschreibungspflichtigen Arzneimitteln – abgabeberechtigte Personen können unter Einhaltung bestimmter Bedingungen zulassungsbefreite Arzneimittel (Formula-Arzneimittel) herstellen.
- *Massnahme 14 (M14) – Einzelimporte nicht zugelassener Arzneimittel (Vertrieb)*: Ärztinnen und Ärzte sowie Apothekerinnen und Apotheker mit einer kantonalen Abgabebewilligung dürfen Arzneimittel, die zwar in der Schweiz nicht zugelassen sind, dafür jedoch in Ländern mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle, in kleinen Mengen unter bestimmten Bedingungen importieren.
- *Massnahme 15 (M15) – Pflichtlagerhaltung lebenswichtiger Arzneimittel (Vertrieb)*: Der Zulassungsinhaber, der als erstes ein lagerpflichtiges¹⁴¹ Arzneimittel in der Schweiz vertreibt, ist für die Pflichtlagerung des betreffenden Arzneimittels verantwortlich.

I Beschreibung Zielerreichung

Die Interviews und die analysierten Dokumente weisen auf die folgenden Punkte hin, die zur Zielerreichung beitragen:

- *Formula-Arzneimittel mit hoher Bedeutung*: Formula-Arzneimittel werden häufig in der Pädiatrie angewendet und leisten somit einen wichtigen Beitrag zur Versorgungssicherheit.¹⁴² Gemäss Aussagen aus den Interviews ist der Einsatz von Formula-Arzneimitteln für die Gesundheitsfachpersonen attraktiv, da bei solchen Arzneimitteln

¹³⁹ Hanimann et al. 2022a, S. 54–55.

¹⁴⁰ Hanimann et al. 2022a, S. 58.

¹⁴¹ Gemäss der Verordnung des WBF vom 20. Mai 2019 über die Pflichtlagerhaltung von Arzneimitteln (SR 531.215.311).

¹⁴² Ernst Basler + Partner AG 2014, S. 21–22.

unter bestimmten Bedingungen¹⁴³ keine Kostengutsprache beantragt werden muss und die administrativen Hürden gering sind.

- *Einzelimport ist wichtig für stationären Bereich:* Versorgungsengpässe lassen sich teilweise durch Einzelimporte überbrücken. Im stationären Bereich machen diese gemäss Aussagen aus einem Interview bis zu 10 Prozent der in der Spitalapotheke gelagerten Kinderarzneimittel aus. Diese Erkenntnis wurde durch einen Workshop-Teilnehmenden bestätigt: Besonders AMSK würden häufig einzelimportiert werden und auch Kinderarzneimittel, wie Antibiotika und Schmerzmittel, hätten bereits einzelimportiert werden müssen. Diese Ergebnisse wurden in einem weiteren Interview als plausibel eingeschätzt mit der Begründung, dass einige Arzneimittelentwickler die Zulassung in der Schweiz vermeiden würden. Mit der temporären Aufhebung der Verpflichtung, eine Kostengutsprache bei der Verabreichung von einzelimportierten Arzneimitteln, die wirkstoffgleich und gleich indiziert sind, sowie vergleichbare Darreichungsformen und Packungsgrössen aufweisen, zu beantragen,¹⁴⁴ seien die Einzelimporte noch attraktiver geworden, weil die administrativen Hürden dadurch gesenkt worden seien.
- *Befristete Zulassung wirkt sich nicht negativ auf Anwendungssicherheit aus:* Bei der befristeten Zulassung kann grundsätzlich die Gefahr bestehen, dass sich der erwartete Nutzen nach Abschluss der klinischen Studien nicht bestätigt und die Anwendungssicherheit möglicherweise nicht gegeben ist. Zahlen von 2022 zeigen jedoch, dass seit Einführung des Verfahrens 2019 bei allen befristet zugelassenen Arzneimitteln die Sicherheit und Wirksamkeit mit Abschluss der klinischen Studien bestätigt werden konnten.¹⁴⁵
- *Befristete Bewilligungen werden genutzt:* Gemäss Aussagen aus den Interviews werden auch in der Pädiatrie in der Schweiz zugelassene Arzneimittel mit ausländischer Aufmachung vertrieben.

Folgende Punkte haben wir als hinderlich für die Zielerreichung identifiziert:

- *Einzelimportierte Arzneimittel vs. Formula-Arzneimittel:* Gemäss Aussagen aus einem Interview gelten die Arzneimittel, die über einen Einzelimport in die Schweiz eingeführt werden, als sicherer als Formula-Arzneimittel, da einzelimportierte Arzneimittel von einer vergleichbaren ausländischen Arzneimittelbehörde zugelassen wurden. Formula-Arzneimittel hingegen seien anfälliger für Verschreibungs-, Dosierungs- und Anwendungsfehler, da sie selbst hergestellt würden und über keine Packungsbeilage verfügen würden. Es gilt jedoch zu beachten, dass auch bei Formula-Arzneimittel Angaben, die eine sichere Anwendung gewährleisten, beispielsweise Angaben zur Dosierung, zur korrekten Handhabung oder zu Kontraindikationen, unmissverständlich aufgeführt werden müssen.¹⁴⁶ Es liegen jedoch keine Daten darüber vor, ob diese

¹⁴³ Im Falle eines Arzneimittels aus der Spezialitätenliste, das Versorgungsengpässe (d.h. Arzneimittel ist nicht erhältlich) oder eine Angebotslücke (d.h. passende Dosisstärke und Darreichungsform sind nicht erhältlich) aufweist, wird ein entsprechendes Formula-Arzneimittel durch die obligatorische Krankenpflegeversicherung vergütet, sofern die Bedingungen unter Ziffer 1.9 der Arzneimittelliste mit Tarif (ALT) erfüllt werden. Für das Formula-Arzneimittel gelten die gleichen Indikationen, Dosierungen und Vorgaben der Fachinformation und den Limitierungen des Arzneimittels aus der Spezialitätenliste. Entsprechend muss für Formula-Arzneimittel, die ausserhalb der zugelassenen Indikation des Arzneimittels aus der Spezialitätenliste verwendet werden, eine Kostengutsprache beantragt werden.

¹⁴⁴ BAG 2023c, S. 3.

¹⁴⁵ Vgl. [Stellungnahme des Bundesrates vom 16.11.2022 auf die Interpellation Bircher \(22.4216\)](#), Zugriff am 29. Januar 2024.

¹⁴⁶ Swissmedic 2023, S. 60–62.

Angaben bei allen Formula-Arzneimitteln in ausreichend guter Qualität aufgeführt werden. Darüber hinaus sind gemäss einer Online-Befragung 90 Prozent der an der Befragung teilgenommenen Spitalapotheken der Meinung, dass die Anforderungen der Guten Herstellungspraxis für Arzneimittel in kleinen Mengen (GMP kleine Mengen), die die Hersteller von Formula-Arzneimitteln erfüllen müssen,¹⁴⁷ für die Gewährleistung der Qualität der Formula-Arzneimittel geeignet.¹⁴⁸ Die interviewte Person führte weiter aus, dass für die verschreibenden Gesundheitsfachpersonen die Verschreibung von Formula-Arzneimittel häufig attraktiver ist, da bei solchen Arzneimitteln – im Gegensatz zu einzelimportierten Arzneimitteln – teilweise keine Kostengutsprache beantragt werden muss (vgl. Fussnote 143). Obwohl also beide Massnahmen zur Versorgungssicherheit beitragen würden und der Zielerreichung damit zuträglich seien, könne durch Formula-Arzneimittel ein gewisses Risiko in der Anwendung entstehen. Es gilt jedoch zu beachten, dass seit 2024 – das Interview wurde davor durchgeführt – bei Versorgungslücken eines in der Spezialitätenliste aufgeführten Arzneimittels unter bestimmten Bedingungen beim Einzelimport eines wirkstoffgleichen, in der Schweiz nicht zugelassenen Arzneimittels unter bestimmten Bedingungen ebenfalls keine Kostengutsprachen beantragt werden müssen.¹⁴⁹ Inwiefern diese Massnahme den Einzelimport von Kinderarzneimitteln durch die Gesundheitsfachpersonen erleichtert hat, konnte nicht eruiert werden.

- *Unattraktive Tarife und Haftungsrisiko bei Formula-Arzneimitteln:* Die Tarife für die Abrechnung von Formula-Arzneimittel sind gemäss Aussagen aus den Interviews veraltet und deshalb unattraktiv für die Gesundheitsfachpersonen. Ausserdem seien die Haftungsrisiken bei Schäden aufgrund von Nebenwirkungen für die Hersteller von Formula-Arzneimitteln höher als für die Hersteller von zugelassenen Arzneimitteln. Aus unserer Sicht liegt der Grund für das höhere Haftungsrisiko darin, dass die Packungsbeilage der zugelassenen Arzneimittel in der Regel ausführlicher ist als die Angaben zur Anwendung der Formula-Arzneimittel. Zudem werden die Informationen der Packungsbeilage durch die Fachinformation ergänzt. Dies ist besonders bei rezeptpflichtigen Arzneimitteln wichtig, da dadurch auch die verschreibenden Gesundheitsfachpersonen in die Verantwortung genommen werden, auf die Risiken und Nebenwirkungen eines Arzneimittels hinzuweisen.¹⁵⁰ Durch die Packungsbeilage und die Fachinformation, die zudem beide durch Swissmedic geprüft werden, schätzen wir bei zugelassenen Arzneimitteln die Gefahr, dass Patientinnen und Patienten auf Risiken und Nebenwirkungen nicht ausreichend hingewiesen werden, im Vergleich zu Formula-Arzneimitteln als geringer ein.
- *Gesundheitsfachpersonen fehlen Informationen zur Beantragung von Einzelimporten:* Gemäss Aussagen aus einem Interview fehlen den Gesundheitsfachpersonen Informationen dazu, wie genau die Risikoanalyse zur Bestätigung der Zweckmässigkeit des Einzelimports von Arzneimitteln durchgeführt und den zuständigen kantonalen Behörden gemeldet werden muss.¹⁵¹
- *Zulassung in der Schweiz wird nicht mehr angestrebt:* Werden zu häufig Einzelimporte bestimmter Arzneimittel durchgeführt, so könnte dies aus unserer Sicht dazu führen, dass Arzneimittelentwickler eine Zulassung des betreffenden Arzneimittels in der Schweiz nicht mehr anstreben würden, da das Arzneimittel auch ohne Zulassung in der Schweiz vertrieben werden kann. Dies hätte negative Auswirkungen auf die

¹⁴⁷ Swissmedic 2023, S. 151.

¹⁴⁸ Ernst Basler + Partner AG 2014, S. 38–39.

¹⁴⁹ Art. 69b KVV.

¹⁵⁰ Vgl. dazu auch das [Urteil des Schweizerischen Bundesgericht vom 5. Januar 2015 \(4A_365/2024, 4A371/2014\) zur Verhütungspille «Yasmin»](#), Zugriff am 29. Januar 2024.

¹⁵¹ Die Beantragung einer Bewilligung und die Meldung eines Einzelimports erfolgt über die Kantone. Diese sind auch für die Bereitstellung der Informationen zuständig (Art. 49 Abs. 2 AMBV).

Anwendungssicherheit, da Arzneimittel das ordentliche Prüfverfahren von Swissmedic nicht mehr durchlaufen und somit Off-Label angewendet werden würden. Es gilt jedoch zu beachten, dass es für Einzelimporte grundsätzlich keine Erstattungspflicht im Rahmen der obligatorischen Krankenpflegeversicherung gibt. Je nach Ausgestaltung des Preismodells könnte es daher für Arzneimittelentwickler dennoch attraktiver sein, eine Zulassung in der Schweiz und eine Aufnahme in die Spezialitätenliste anzustreben, wenn dadurch eine grössere Marge erzielt werden könnte.

- *In den Pflichtlagern fehlen zugelassene Kinderarzneimittel:* Gemäss Aussagen aus dem Workshop fehlen in den Pflichtlagern lebenswichtige zugelassene Kinderarzneimittel (z.B. Paracetamol). Grund dafür sei unter anderem, dass gewisse lagerpflichtige Kinderarzneimittel nicht mehr auf dem Markt verfügbar seien und folglich nicht mehr gelagert werden würden.
- *Pflichtlagerhaltung lebenswichtiger Arzneimittel verursacht zusätzliche Kosten:* Im Rahmen der Umsetzung des BAG-Berichts Arzneimittelversorgungsengpässe wird geprüft, inwiefern die Aufnahme eines Arzneimittels in die Pflichtlagerhaltung zusätzliche Kosten beim Zulassungsinhaber, beispielsweise aufgrund der Lagerkosten oder der Kostenbeteiligung an den Verwaltungskosten seitens Helvecura¹⁵², verursacht.¹⁵³ Die Pflichtlagerhaltung kann aus unserer Sicht insbesondere bei Arzneimitteln mit einer tieferen Marge dazu führen, dass diese nicht in der Schweiz vertrieben werden (vgl. Abschnitt 3.1). Die Auswirkungen auf Kinderarzneimittel und AMSK sind aufgrund fehlender Daten unklar. Gemäss Aussagen aus einem Interview gibt es Überlegungen, die Finanzierung der Kosten für die Pflichtlagerhaltung anders zu regeln.

3.3.7 Ziel 7 – Gesundheitsfachpersonen stehen mehr Arzneimittel zur Verfügung

Gesundheitsfachpersonen sollen Zugang zu sicheren beziehungsweise zu durch Swissmedic zugelassenen Kinderarzneimitteln und AMSK erhalten (Ziel 7), damit Kinder und Jugendliche besser mit Arzneimittel versorgt sind (Verbesserung Versorgungssicherheit). Dazu sind die Ziele 4, 5 und 6 und die entsprechenden Massnahmen wichtig (vgl. vorangehend).

I Beschreibung Zielerreichung

Zur Erreichung dieses Ziels trägt bei, dass seit der Einführung der EU-Kinderarzneimittelverordnung in der EU mehr Kinderarzneimittel zugelassen wurden (vgl. Ziel 4), wodurch mutmasslich auch mehr Kinderarzneimittel in der Schweiz zur Verfügung stehen.

3.3.8 Ziel 8 – Gesundheitsfachpersonen verschreiben sichere Arzneimittel

Gesundheitsfachpersonen sollen sichere Kinderarzneimittel und AMSK in einer geeigneten Dosierung verschreiben können. Dies wird einerseits durch die Ziele 1 und 7 und die zugehörigen Massnahmen erreicht (vgl. vorangehend). Zudem sind zwei weitere Massnahme zentral:

- *Massnahme 16 (M16) – SwissPedDose:* In der Datenbank SwissPedDose sind harmonisierte Empfehlungen für die Dosierung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen ersichtlich. Zudem bietet die Datenbank seit kurzem auch Informationen zur Verfügbarkeit der entsprechenden Arzneimittel.

¹⁵² Die Helvecura ist eine Selbsthilfeorganisation der Pflichtlagerhalter von Heilmitteln im Sinne der wirtschaftlichen Landesversorgung. Sie übernimmt verschiedene Aufgaben im Zusammenhang mit der Pflichtlagerhaltung (z.B. Deckung von nicht versicherbaren Sachschäden bei ihren Mitgliedern). Zulassungsinhaber, die Arzneimittel pflichtlagern müssen, sind Mitglied der Helvecura (vgl. [Helvecura – Website](#), Zugriff am 3. April 2024).

¹⁵³ BAG 2023d, S. 59–60.

- *Massnahme 17 (M17) – Dosierungsrechner*: Elektronische Dosierungsrechner sollen basierend auf harmonisierten Dosierungsempfehlungen bei Arzneimitteln, die nur für Erwachsene zugelassen sind, helfen, die korrekte und individuell angepasste Dosierung des Arzneimittels zu finden.

I Beschreibung Zielerreichung

Positiv zur Zielerreichung trägt laut den analysierten Dokumenten bei, dass *SwissPedDose* rege zur Anwendung kommt. Die Datenbank wird in 90 Prozent der Kinderkliniken und von vielen niedergelassenen Kinderärztinnen und Kinderärzten sowie in Offizinapotheken genutzt. Die Qualität und Differenzierung der Dosierungsempfehlungen, die Abdeckung der Arzneimittel in der Datenbank und die Benutzerfreundlichkeit werden durch die Gesundheitsfachpersonen positiv bewertet. Insbesondere bei seltenen und neuen Wirkstoffen werden die konsolidierten Dosierungsempfehlungen geschätzt. Positiv ist auch, dass die Dosierungsempfehlungen von *SwissPedDose* bereits in einem Teil der Spitalinformationssysteme integriert sind und in einen Dosierungsrechner einfließen.¹⁵⁴

Hinderlich für die Zielerreichung sind die folgenden Punkte:

- *SwissPedDose ist nicht allen Gesundheitsfachpersonen bekannt*: Gemäss der Evaluation zu *SwissPedDose* wird die Datenbank im ambulanten Bereich, bei niedergelassenen Allgemeinmedizinerinnen und Allgemeinmedizinern und in der Westschweiz noch wenig genutzt.¹⁵⁵ Es gilt jedoch festzuhalten, dass *SwissPedDose* seit der Situationsanalyse zu *SwissPedDose 2022* Massnahmen ergriffen hat, um die Bekanntheit der Datenbank zu steigern. Zu den Wirkungen dieser Massnahmen liegen keine Daten vor.
- *Haftungsrisiko bei der Off-Label Verschreibung von Arzneimitteln*: Werden Arzneimittel bei Kindern und Jugendlichen Off-Label verschrieben, so trägt gemäss eines Workshop-Teilnehmenden die verschreibende Gesundheitsfachperson das Haftungsrisiko. Bei einem allfälligen Gerichtsverfahren würde somit die Gefahr bestehen, dass die Gesundheitsfachperson bei Schäden aufgrund von Nebenwirkungen haftbar gemacht werden würde (vgl. auch Ziel 6).
- Laut eines Workshop-Teilnehmenden ist der *administrative Aufwand zur Beantragung einer Kostengutsprache bei einer Off-Label Verschreibung* von immaterialgüterrechtlich geschützten Arzneimitteln sehr hoch, da diese Arzneimittel oftmals sehr teuer sind.

3.3.9 Ziel 9 – Arzneimittel werden sicher verabreicht

Erziehungs-, Betreuungs- oder die Gesundheitsfachpersonen sollen Kinderarzneimittel oder AMSK korrekt verabreichen können. Dazu sollen die vorangehenden Ziele und zugehörigen Massnahmen beitragen. Damit Arzneimittel bei Kindern und Jugendlichen sicher angewendet werden können, müssen erstens die Arzneimittel an sich sicher sein und zweitens müssen die Arzneimittel korrekt verschrieben, dosiert und verabreicht werden (Verbesserung Anwendungssicherheit).

I Beschreibung Zielerreichung

Ungenau Dosierungshelfer stellen einen hinderlichen Aspekt für die Zielerreichung dar: Arzneimittelhersteller legen gemäss Aussagen aus einem Interview und dem Workshop ihren Arzneimitteln teilweise ungenaue Dosierungshelfer (z.B. Messlöffel oder Messbecher) bei, die bei der Verabreichung zu Dosierungsfehlern führen können. Dieses Problem trete insbesondere bei der ambulanten Betreuung auf, wo Erziehungs- oder

¹⁵⁴ Kägi et al. 2022, S. 5, 12, 22 und 19.

¹⁵⁵ Kägi et al. 2022, S. 5, 12 und 19.

Betreuungspersonen die Dosierung vornehmen würden, und betreffe sowohl für Kinder und Jugendliche zugelassene alte Arzneimittel als auch Arzneimittel, die Off-Label bei Kindern und Jugendlichen angewendet werden. Neuere für Kinder und Jugendliche zugelassene Arzneimittel seien von diesem Problem weniger betroffen. Genaue Dosierungshelfer, beispielsweise Dosierspritzen,¹⁵⁶ seien insbesondere bei der Anwendung von Arzneimitteln bei kleinen Kindern, die keine Tabletten schlucken können, und bei Arzneimitteln, bei denen bereits kleine Abweichungen von der idealen Dosierung zu Intoxikationen oder zu Wirkungslosigkeit führen, wichtig. Im Workshop wurde zudem betont, dass angepasste Dosierungshelfer nur etwas nützen würden, wenn das betreffende Arzneimittel in einer adäquaten Form verfügbar sei. Dies sei jedoch nicht immer der Fall.

3.4 Beantwortung Forschungsfragen

Basierend auf den Erkenntnissen aus den Abschnitten 3.1 und 3.3 beantworten wir nachfolgend die Forschungsfragen betreffend das Zusammenspiel der Massnahmen in der Schweiz.

4. Wie gestaltet sich aktuell die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln in der Schweiz?

Unsere Analyse deutet auf Schwierigkeiten bei der Versorgung und der Anwendung mit Kinderarzneimitteln hin. Insgesamt scheint die Versorgungssicherheit bei Kinderarzneimitteln aber der kritischere Aspekt zu sein als die Anwendungssicherheit. Die Ursachen für Versorgungsengpässe bei Kinderarzneimitteln unterscheiden sich nicht von Versorgungsengpässen bei Erwachsenenarzneimitteln. Es lassen sich im Bereich *Versorgungssicherheit* aber einige Besonderheiten identifizieren:

- Es fehlen zugelassene Kinderarzneimittel in Bereichen mit *grossem Therapiebedarf* (z.B. zur Behandlung von psychischen Störungen);
- Es gibt bei *Antibiotika und Schmerzmitteln* immer wieder Versorgungsprobleme bei Kindern;
- Das Vorhandensein von *Ersatzpräparaten* für ein Originalpräparat, die aber nicht für Kinder und Jugendliche zugelassen sind, kann den falschen Anschein erwecken, dass die Versorgung von entsprechenden Wirkstoffen auch bei Kindern und Jugendlichen gesichert ist.

Im Bereich der *Anwendungssicherheit* von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche lassen sich folgende Besonderheiten identifizieren:

- Die Anwendung von Arzneimitteln ausserhalb der zugelassenen Indikation(en) (*sog. Off-Label-Use*) kommt in der Pädiatrie häufig vor, ist jedoch mit *Risiken* verbunden: Studiendaten über die Anwendung bei Kindern und Jugendlichen fehlen und die Arzneimittel müssen oft manipuliert werden, um in eine für Kinder geeignete Darreichungsform gebracht zu werden (z.B. als Suspension). Dabei können Fehler bei der Dosierung passieren.
- *Formula-Arzneimittel* werden in der Pädiatrie häufig verabreicht. Diese sind jedoch anfälliger für Verschreibungs-, Dosierungs- und Anwendungsfehler als zugelassene Arzneimittel, da sie durch Gesundheitsfachpersonen selbst hergestellt werden und über keine Packungsbeilage verfügen.

¹⁵⁶ Gemäss einer US-amerikanischen Studie werden bei der ambulanten Betreuung die genauesten Dosierungen durch die Dosierungsspitze erzielt (Yin et al. 2010, S. 184).

- Der Off-Label-Use von für Erwachsene zugelassene Arzneimittel bei Kindern und Jugendlichen und Formula-Arzneimittel birgt *Haftungsrisiken* für die verschreibenden Gesundheitsfachpersonen.
 - Es fehlen sowohl bei Arzneimitteln mit als auch ohne pädiatrische Indikation teilweise geeignete *Dosierungshelfer* (z.B. Messbecher oder Messlöffel), was zu Dosierungsfehlern in der Verabreichung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen führen kann.
 - Bei Versorgungsengpässen eines Originalpräparats kann die *Verabreichung von Ersatzpräparaten* ohne zugelassene pädiatrische Indikation, insbesondere bei Neugeborenen und Kleinkindern, gefährlich sein.
5. Inwiefern können die drei Massnahmen SwissPedDose, pädiatrisches Prüfkonzept und vereinfachte Zulassung AMSK/AMSK-Status wirksam zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche beitragen?
- *SwissPedDose*: Die qualitativ hochstehenden und umfassenden Dosierungsempfehlungen sowie die gute Etablierung in Spitälern der Datenbank SwissPedDose trägt massgeblich zur Anwendungssicherheit von Arzneimitteln, die Off-Label bei Kindern und Jugendlichen angewendet werden, bei. Der Beitrag der Datenbank zur Anwendungssicherheit könnte durch eine stärkere Verbreitung bei Allgemeinmedizinerinnen und Allgemeinmedizinern im ambulanten Bereich, in der Westschweiz und durch eine bessere Nutzerfreundlichkeit noch erhöht werden. Zur Steigerung der Bekanntheit hat SwissPedDose bereits Massnahmen ergriffen.
 - *Pädiatrisches Prüfkonzept*: Dank Einführung der Pflicht zur Erstellung und Umsetzung pädiatrischer Prüfkonzepte in der EU und in der Schweiz konnte ein wichtiger Beitrag zur Anwendungs- und Versorgungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche geleistet werden. Die Prüfkonzepte haben zu mehr verfügbaren Daten über die Anwendung und Wirksamkeit von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen geführt. Dadurch steigt auch die Anwendungssicherheit beim Off-Label-Use. Zudem hat sich in der EU die Versorgungssicherheit bei Kinderarzneimitteln seit Einführung der pädiatrischen Prüfkonzepte verbessert: Die Anzahl zugelassener Arzneimittel, Indikationen und Dosierungen für Kinder und Jugendliche hat sich zwischen 2007 und 2013 verdoppelt. Die Schweiz hat die Pflicht erst später eingeführt. Entsprechend ist damit zu rechnen, dass diese positiven Wirkungen auf die Versorgungssicherheit bis 2026 auch bei uns zu beobachten sind. Der Beitrag zur Anwendungs- und Versorgungssicherheit der Prüfkonzepte könnte gesteigert werden, wenn die Umsetzbarkeit derselben verbessert würde, weniger Freistellungen gewährt würden, Prüfkonzepte in Bereichen mit hohem therapeutischen Bedarf gefördert würden, verstärkt auch für «alte Arzneimittel» (d.h. Arzneimittel ohne immaterialgüterrechtlichen Schutz, die bereits lange auf dem Markt sind) Prüfkonzepte erstellt würden und pädiatrische Indikationserweiterungen auf Basis von Studiendaten tatsächlich zur Zulassung gebracht würden.
 - *Vereinfachtes Zulassungsverfahren für AMSK und AMSK-Status*: Die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von AMSK hat sich in den letzten Jahren verbessert. In der Schweiz kam es seit 2011 und insbesondere zwischen 2019 und 2021 zu mehr Zulassungen und Markteintritten von AMSK – vor allem durch das vereinfachte Zulassungsverfahren nach Art. 14 Abs. 1 Bst. a^{ter}-a^{quater} HMG. Dadurch konnte insbesondere die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für seltene Stoffwechselerkrankungen bei Kindern und Jugendlichen verbessert werden. Allerdings ist nicht davon auszugehen, dass sich dieser Trend fortsetzen wird. Zudem muss Swissmedic aufgrund des Auslandskriteriums teilweise den AMSK-Status vergeben, selbst wenn es sich um eine häufige Erkrankung handelt. Dadurch wird die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von AMSK nur scheinbar verbessert. Zum vereinfachten

Zulassungsverfahren für AMSK können keine Aussagen über die Wirkungen gemacht werden.

6. Welche weiteren Massnahmen, die zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche beitragen, gibt es in der Schweiz?

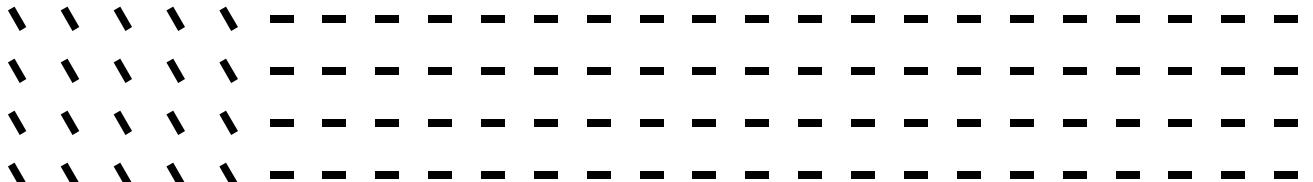
Wir haben 17 Massnahmen identifiziert, die zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche beitragen. Drei beziehen sich auf die Forschung und Entwicklung, vier auf die Zulassung, fünf auf die Vergütung und die finanziellen Anreize, drei auf den Vertrieb und zwei auf die Anwendung.

7. Wie ist das Zusammenspiel aller Massnahmen in der Schweiz, die zur Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche beitragen, zu beurteilen?

Die identifizierten Massnahmen decken die wichtigen Phasen eines Arzneimittels ab, widersprechen sich nicht und zielen sowohl auf die Verbesserung der Versorgungs- als auch der Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK. Gleichzeitig können wir nicht für alle Massnahmen massgebliche Wirkungen auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit ausmachen. Einen eher starken Einfluss schreiben wir den drei Hauptmassnahmen SwissPedDose, pädiatrische Prüfkonzept und AMSK-Status – jedoch nicht dem vereinfachten Zulassungsverfahren für AMSK – sowie den Massnahmen Formula-Arzneimittel und dem Einzelimport von in der Schweiz nicht zugelassener Arzneimittel zu. Einen eher schwachen oder gar keinen Effekt schreiben wir den Massnahmen im Zusammenhang mit der Vergütung und den finanziellen Anreizen (Unterlagenschutz, PESZ7PVESZ, Prävalenzmodell, Vergütung über Aufnahme in Spezialitätenliste oder im Einzelfall) zu.

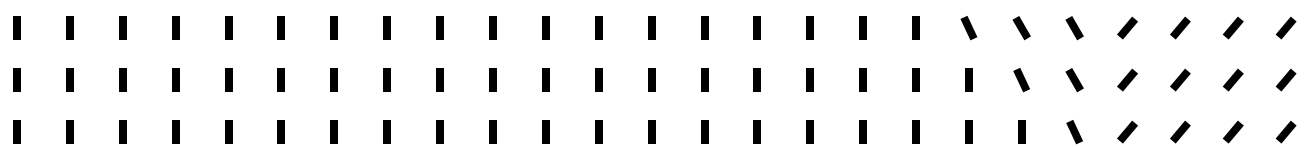
Nach wie vor fehlen aber schlagkräftige Massnahmen, um in Bereichen mit hohem therapeutischem Bedarf die Forschung und Entwicklung von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche zu gewährleisten. Zudem tragen die existierenden Massnahmen nicht dazu bei, dass es zu einer relevanten Reduktion des Off-Label-Use von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen und damit einer Förderung der Anwendungssicherheit kommt.

Schliesslich kann hinter den identifizierten Massnahmen zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln keine stringente Strategie ausgemacht werden. Die 17 identifizierten Massnahmen sind nicht immer aufeinander oder auf weitere Massnahmen im Bereich der Arzneimittelregulierung abgestimmt. So soll beispielsweise das Prävalenzmodell dazu beitragen, dass unter anderem pädiatrische Indikationserweiterungen auf den Markt gebracht werden, jedoch schrecken die damit verbundenen neuen Preisverhandlungen die Arzneimittelentwickler davon ab, dieses zu verwenden. Weiter sind beispielsweise Formula-Arzneimittel für die Gesundheitsfachpersonen teilweise attraktiver zu verschreiben als über den Einzelimport eingeführte Arzneimittel, obwohl letztere bei der Anwendung als sicherer gelten. Das Zusammenspiel der Massnahmen ähnelt somit eher einem Flickenteppich als einem System, in dem alle Räder ineinandergreifen.



4. Gesamtbetrachtung, Handlungsbedarf und Handlungsvorschläge

In diesem Kapitel finden sich die synthetisierten Ergebnisse der Module 1 und 2 sowie der Handlungsbedarf und die Handlungsvorschläge.



In diesem Kapitel nehmen wir eine Gesamtbetrachtung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der Schweiz vor. Dazu werden die folgenden Forschungsfragen untersucht:

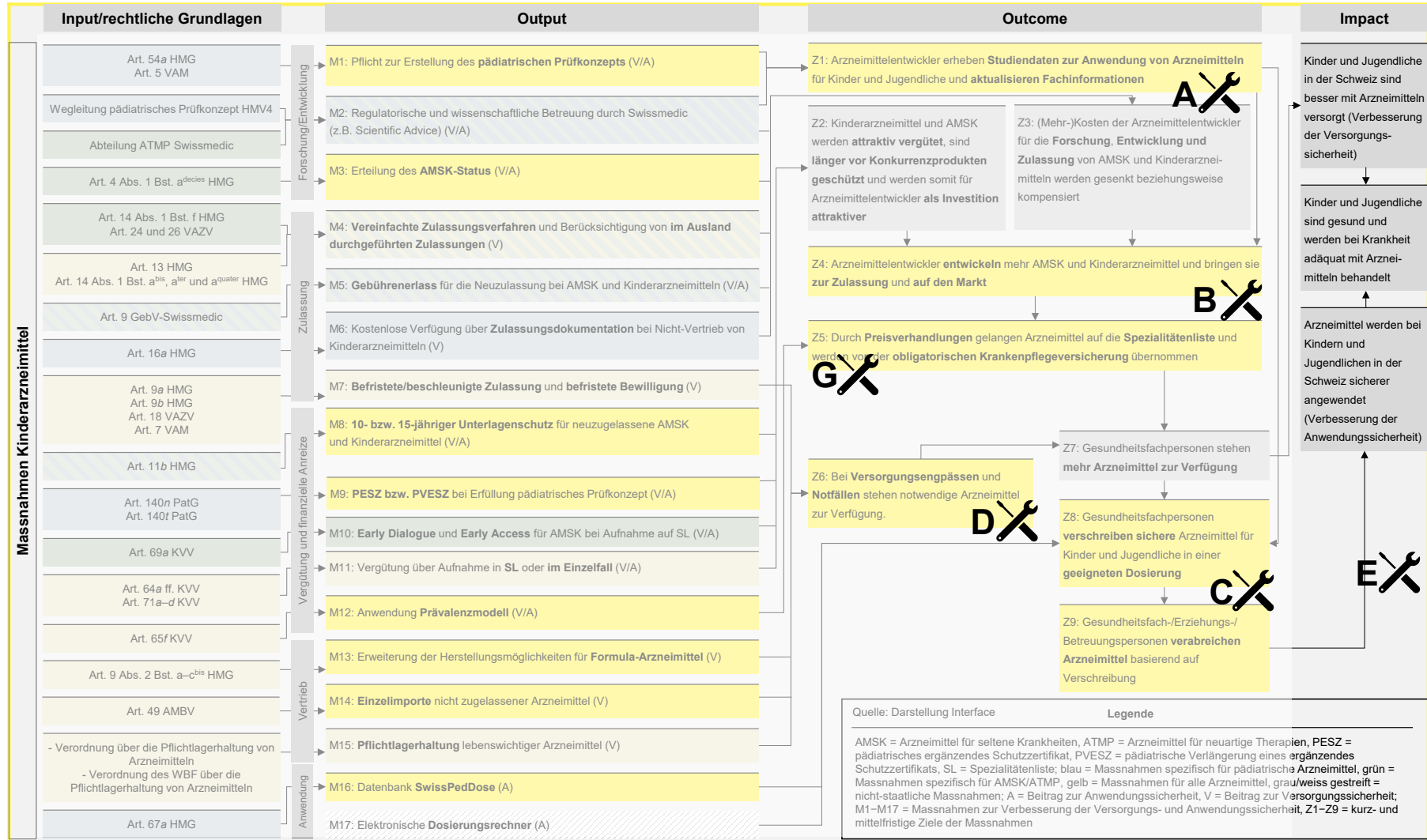
8. Gibt es Lücken im bestehenden Zusammenspiel der Massnahmen hinsichtlich der Gewährleistung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln? Falls ja, wo gibt es Lücken und wie könnten sie geschlossen werden?
9. Welcher (rechtliche) Handlungsbedarf ergibt sich für die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der Schweiz (z.B. neue Massnahmen, Veränderung im Zusammenspiel bestehender Massnahmen)?

Basierend auf den Ergebnissen aus den beiden Modulen 1 und 2 sowie auf dem *Workshop* zeigen wir im Abschnitt 4.1 auf, wo in der Schweiz zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit in der Schweiz angesetzt werden müsste (sog. Stellschrauben). Im Abschnitt 4.2 präsentieren wir anschliessend Stossrichtungen zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit, die wir am *Workshop* diskutiert haben. Am Ende dieses Kapitels, im Abschnitt 4.3, werden die Forschungsfragen zur Gesamtbetrachtung beantwortet.

4.1 Stellschrauben (Handlungsbedarf)

Basierend auf den Ergebnissen aus dem Modul 1 und dem Modul 2 haben wir sieben Bereiche identifiziert, bei denen zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche Handlungsbedarf besteht. Das Wirkungsmodell in Darstellung D 4.1 zeigt auf, wo diese Stellschrauben zu verorten sind (vgl. Piktogramme). Sechs Stellschrauben haben wir vor dem Workshop identifiziert und den Teilnehmenden zur Vorbereitung geschickt. Eine Stellschraube wurde basierend auf den Ergebnissen des Workshops im Nachgang formuliert. An dieser Stelle weisen wir nochmals darauf hin, dass für den Workshop nur eine Auswahl an Wissensträgerinnen und -trägern im Themenbereich eingeladen wurde und die Ergebnisse entsprechend zu interpretieren sind.

D 4.1: Stellschrauben zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der Schweiz



Kontext:

Reform des EU-Arzneimittelrechts: Die Europäische Kommission hat im Frühling 2023 im Zuge der EU-Arzneimittelstrategie eine Reform des EU-Arzneimittelrechts vorgeschlagen. Die geplanten Massnahmen betreffen auch Kinderarzneimittel und AMSK.



Nachfolgend gehen wir auf die einzelnen Stellschrauben näher ein.

I A: Fehlende Studiendaten über die Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen

Diese Stellschraube betrifft das *Ziel 1* (Erhebung von Studiendaten und Aktualisierung Fachinformation): Bei Arzneimitteln fehlen trotz Pflicht zur Erstellung von pädiatrischen Prüfkonzepten noch immer häufig Studiendaten über deren Anwendung bei Kindern und Jugendlichen. Grund dafür ist, dass *pädiatrische Prüfkonzepte (M1)* nicht immer umgesetzt werden. Darüber hinaus sind Studien an Kindern und Jugendlichen aufwändig und der Markt für Kinderarzneimittel ist vergleichsweise klein. Somit ist es für Arzneimittelentwickler oft attraktiver, Erwachsenenarzneimittel zu entwickeln.

I B: Keine Beantragung einer pädiatrischen Indikationserweiterung trotz Studiendaten

Diese Stellschraube betrifft die *Ziele 4* (Entwicklung, Zulassung und Inverkehrbringen von Kinderarzneimittel und AMSK) und *5* (Aufnahme auf Spezialitätenliste und Kostenübernahme durch obligatorische Krankenpflegeversicherung) sowie die Massnahme *Prävalenzmodell (M11)*. In der Schweiz passen Arzneimittelentwickler nach Umsetzung eines pädiatrischen Prüfkonzepts teilweise nur die Fachinformation an, selbst wenn eine pädiatrische Indikationserweiterung basierend auf den Studiendaten möglich wäre. Der Grund dafür ist, dass eine Indikationserweiterung erneute Preisverhandlungen mit dem BAG auslösen und diese oft zu finanziellen Verlusten für die Industrie führen. Das Prävalenzmodell soll zwar die Einführung von kleinen Indikationserweiterungen fördern, jedoch greifen Arzneimittelentwickler selten darauf zurück, da sie hierfür die künftige Umsatzentwicklung bestimmen müssten, was sich als schwierig erweist.

I C: Anwendungssicherheit von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen kann verbessert werden

Diese Stellschraube betrifft die *Ziele 8* (Gesundheitsfachpersonen verschreiben sichere Arzneimittel) und *9* (Arzneimittel werden sicher verabreicht) sowie die Massnahme *SwissPedDose (M16)*. Erstens nutzen beim Off-Label-Use von Arzneimitteln an Kindern und Jugendlichen nicht alle Gesundheitsfachpersonen die vorhandenen harmonisierten Dosierungsempfehlungen der Datenbank *SwissPedDose*. Zweitens kann es bei der Verabreichung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen teilweise zu ungenauen Dosierungen kommen, da die von den Herstellern mitgelieferten Dosierungshelfer (z.B. Messlöffel) nicht immer korrekt kalibriert sind beziehungsweise nicht korrekt angewendet werden. Zum Ausmass dieses Problems liegen keine Hinweise vor.

I D: Einzelimport von Kinderarzneimitteln und AMSK ist mit Hürden verbunden

Diese Stellschraube betrifft das *Ziel 6* (Weitere Arzneimittel stehen bei Versorgungsgaps und Notfällen zur Verfügung) und die Massnahmen *Einzelimport* und *Formula-Arzneimittel (M13 und M14)*. Zwei Schwierigkeiten haben wir im Zusammenhang mit diesen beiden Massnahmen identifiziert: Erstens verfügen Gesundheitsfachpersonen teilweise nicht über die notwendigen Informationen zur Beantragung oder Meldung von Einzelimporten. Zweitens ist bei Arzneimitteln mit einem Wirkstoff, der in der Schweiz nicht zugelassen ist,¹⁵⁷ die Verschreibung von Formula-Arzneimitteln für die verabreichenden Gesundheitsfachpersonen häufig attraktiver, obwohl sie mit höheren Risiken betreffend die Anwendung verbunden ist als der Einzelimport. Dies, weil für Formula-Arzneimittel teilweise keine Kostengutsprache beantragt werden muss und entsprechend der administrative Aufwand geringer ist. Beide Gründe erschweren die Nutzung der Einzelimporte

¹⁵⁷ Ist ein in der Spezialitätenliste aufgeführtes Arzneimittel in der Schweiz vorübergehend nicht verfügbar, entfällt unter bestimmten Bedingungen die Beantragung einer Kostengutsprache beim Einzelimport von wirkstoffähnlichen Arzneimitteln (vgl. Abschnitt 3.3.6).

durch Gesundheitsfachpersonen bei Versorgungsengpässen und Notfällen – insbesondere bei der ambulanten Betreuung.

I E: Fehlende Strategie im Bereich Kinderarzneimittel und AMSK

Diese Stellschraube betrifft das aktuelle System zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche insgesamt. Die Schweiz verfügt zwar über eine Vielzahl von Massnahmen zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kindern und Jugendlichen, es fehlt jedoch eine klare, übergreifende Strategie. Eine solche Strategie könnte aufzeigen, welche strategischen Ziele mit welchen Massnahmen verfolgt werden. Zudem könnte sie einen Rahmen bieten für die künftige Erarbeitung neuer beziehungsweise Überarbeitung bestehender Massnahmen.

I F: Handlungsbedarf infolge der geplanten Massnahmen der EU

Diese Stellschraube ergibt sich aus den *geplanten Massnahmen der EU* (vgl. Kapitel 2). Die Schweiz orientiert sich bei der Arzneimittelregulierung und entsprechend auch bei der Kinderarzneimittelregulierung stark an den Regelungen der EU. Änderungen der EU können daher Handlungsbedarf in der Schweiz auslösen. Unsere Erhebungen zeigen, dass es auf rechtlicher Ebene nur vereinzelt unmittelbaren Handlungsbedarf für die Schweiz gibt (vgl. Abschnitt 2.5). Die geplanten Massnahmen der EU könnten dennoch Auswirkungen auf die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK in der Schweiz haben: Wir sehen unmittelbaren Handlungsbedarf beim *pädiatrischen Prüfkonzept (M1)*. Beim *AMSK-Status (M3)*, den *Anreizen (M8 und M9)* sowie beim *Inverkehrbringen* von Kinderarzneimitteln und AMSK in der Schweiz sollte sich das BAG überlegen, ob und wie sie auf die geplanten Massnahmen der EU reagieren will.

I G: Keine Preisfestlegung spezifisch für Kinderarzneimittel (nach dem Workshop identifiziert)

Diese Stellschraube betrifft das *Ziel 2* (Höhere wirtschaftliche Attraktivität) und die Massnahme *Vergütung über Aufnahme in die Spezialitätenliste (M11)*. Bei der Preisfestlegung für die Aufnahme in die Spezialitätenliste werden Kinderarzneimittel gleich behandelt wie gewöhnliche Arzneimittel. Die tiefere Prävalenz und die höheren Forschungs- und Entwicklungskosten von Kinderarzneimitteln werden gemäss Aussagen aus dem Workshop bei der Preisfestlegung zu wenig berücksichtigt. Die Vergütung von Kinderarzneimitteln ist entsprechend für Arzneimittel wenig attraktiv. Dies äussert sich etwa darin, dass pädiatrische Indikationserweiterungen nicht immer zur Zulassung gebracht werden. Zwar gibt es das Prävalenzmodell, das die kleine Prävalenz von Kinderarzneimitteln bei der Preisverhandlung berücksichtigen soll. Dieses ist für die Entwickler von Kinderarzneimitteln jedoch wenig attraktiv, weshalb es nur selten zur Anwendung kommt. Gemäss einzelnen Vertretenden des BAG gilt es jedoch zu beachten, dass eine attraktivere Vergütung von Kinderarzneimitteln im Widerspruch zu den Massnahmen zur Kostendämpfung in der obligatorischen Krankenpflegeversicherung stehen könnte.

4.2 Stossrichtungen (Handlungsvorschläge)

Die Stellschrauben zeigen auf, wo für die Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche angesetzt werden müsste. Bei den Stossrichtungen handelt es sich um mögliche Ansätze, um die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche zu verbessern. Die Stossrichtungen haben wir entlang der Arzneimittelphasen gegliedert. Eine Stossrichtung zielt zudem auf die Rahmenbedingungen des Systems. Für die Stellschrauben A bis F haben wir acht Stossrichtungen formuliert. Für die Stellschraube G haben wir keine Stossrichtung formuliert, da diese Stellschraube erst am Workshop identifiziert wurde. In den folgenden Abschnitten präsentieren wir zunächst die Stossrichtungen. Für jede

Stossrichtung fassen wir zudem die Diskussionen aus dem Workshop zusammen. Hierbei ist wiederum zu beachten, dass am Workshop lediglich eine Auswahl von Wissensträgerinnen und -trägern teilgenommen hat und möglicherweise nicht sämtliche Perspektiven abgedeckt werden. Für die Diskussion im Zusammenhang mit der Stellschraube G verweisen wir auf die Stossrichtung III. Im Abschnitt 4.2.7 zeigen wir auf, wie die Teilnehmenden des Workshops die Stossrichtungen priorisiert haben.

4.2.1 Forschung und Entwicklung

Im Bereich der Forschung und Entwicklung formulieren wir zwei Stossrichtungen:

Stossrichtung I: Förderung der Forschung und Entwicklung von Kinderarzneimitteln

Stellschraube A: Fehlende Studiendaten über Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen

Folgende Massnahmen könnten dazu beitragen, die Forschung und Entwicklung von Kinderarzneimitteln gezielt zu fördern und die Datenlage zu verbessern:

1. Einheimische Forschende und Arzneimittelentwickler vernetzen sich zur Entwicklung von Kinderarzneimitteln und für die Durchführung von pädiatrischen Studien beziehungsweise Studien zu seltenen Krankheiten stärker mit einheimischen (z.B. über *SwissPedNet*) und mit ausländischen Forschungsinstitutionen (z.B. über *Enpr-EMA*).
2. Der Bund gibt pädiatrische Studien in Auftrag und übernimmt (teilweise) die Kosten, beispielsweise über nationale Forschungsprojekte. Die Förderung könnte sich auf Bereiche mit hohem therapeutischem Bedarf in der Pädiatrie oder auf für Erwachsene zugelassene Arzneimittel mit wenig Erfahrungswerten für die Anwendung bei Kindern und Jugendlichen fokussieren.

Die Verfügbarkeit von Studiendaten – insbesondere von Dosisfindungsstudien – ist gemäss Aussagen aus dem Workshop eine Grundvoraussetzung, damit Arzneimittel bei Kindern und Jugendlichen sicher angewendet werden können. Während der erste Punkt kaum zu Diskussionen führte, gab es von gewissen Teilnehmenden des Workshops zum zweiten Punkt (Auftragsforschung Bund) mehr Kritik: Wäre der Bund Auftraggeber von Forschungsprojekten, würden sich grosse Herausforderungen ergeben: Wie erhält der Bund Zugang zum Arzneimittel, damit dieses für Forschungsprojekte verwendet werden kann? Haftet der Bund, der Forschungspartner oder der Entwickler des Arzneimittels bei Schäden? Gewisse Workshop-Teilnehmende sind daher der Ansicht, dass die Forschung und Entwicklung von Kinderarzneimitteln besser durch Anreize gefördert werden sollen, am besten im internationalen Verbund. Ein Workshop-Teilnehmender sieht die Förderung durch Anreize jedoch kritisch: So habe beispielsweise die PUMA in der EU nicht dazu geführt, dass mehr pädiatrische Studien bei «alten» Arzneimitteln durchgeführt worden seien. Der Grund dafür sei, dass Leistungserbringer bei höheren Preisen für «alte» für Kinder und Jugendliche zugelassene Arzneimittel auf Nachahmerprodukte ausweichen würden, die zwar nicht für Kinder und Jugendliche zugelassen, jedoch günstiger seien. Aus diesem Grund müsste gemäss diesem Teilnehmenden der Bund Forschungsprojekte ausschreiben und sie finanziell unterstützen. Die Forschungsprojekte würden dabei durch ein unabhängiges Expertengremium definiert werden müssen. Eine weitere Möglichkeit zur Förderung pädiatrischer Studiendaten sei die Verwendung von Künstlicher Intelligenz, um Daten von Patientinnen und Patienten verschiedener Spitäler zu analysieren.

I Fazit zu Stossrichtung I

Dass es mehr Studiendaten über die Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen braucht, ist unbestritten. Mit welchen Massnahmen diese Studiendaten erhoben werden sollten, darüber gehen die Meinungen auseinander. Für die

Forschungsförderung sollte aus unserer Sicht bei der Wahl der Massnahmen differenziert werden zwischen den Arzneimitteln beziehungsweise Therapiebereichen, zu denen die Studiendaten erhoben werden sollen: Bei «alten» Arzneimitteln haben Anreize nicht zu mehr Forschung und Entwicklung geführt. Es braucht demnach mehr staatliche Förderung. Staatlich finanzierte Forschungsprojekte sollten dabei eng mit den Akteuren aus der Forschungspraxis entwickelt werden. Um die Forschung und Entwicklung von Kinderarzneimitteln in Bereichen mit grossem Therapiebedarf zu fördern, könnten hingegen weitergehende Anreize die wirksamere Massnahme sein.

Stossrichtung II: Handlungsbedarf aus geplanten Massnahmen der EU

Stellschraube F: Handlungsbedarf infolge der geplanten Massnahmen der EU

Im Bereich der Forschung und Entwicklung sehen wir folgenden unmittelbaren Handlungsbedarf (für weitergehende Informationen vergleiche die Ausführungen im Abschnitt 2.5):

1. Einführung erste PIPs
2. Angleichung der Kriterien für Freistellungen

Zudem sehen wir bei den folgenden Punkten keinen unmittelbaren Handlungsbedarf. Die Schweiz sollte sich dennoch überlegen, ob und wie sie auf die Anpassungen der EU reagieren will.

3. Angleichung der Kriterien zur Bestimmung der Seltenheit einer Krankheit
4. Einführung AMSK-Status für medizinische Versorgungslücken
5. Einführung der wissenschaftlichen Empfehlung über Status des Arzneimittels

Die folgenden Punkte wurden am Workshop zur Stossrichtung II diskutiert:

- *Angleichung an geplante EU-Massnahmen:* Am Workshop wurde betont, dass die zusätzlichen Anforderungen der Schweiz (sog. «Swiss Finish») bei der Arzneimittelzulassung so tief wie möglich sein sollen. So soll es auch in der Schweiz möglich sein, erste PIPs einreichen zu dürfen und auch die Kriterien für Freistellungen und zur Bestimmung der Seltenheit einer Krankheit sollten gleich sein wie diejenigen der EU.
- *Kein Handlungsbedarf bei wissenschaftlicher Empfehlung über Arzneimittel-Status:* Bei der Einführung der wissenschaftlichen Empfehlung über den Status des Arzneimittels wurde am Workshop darauf hingewiesen, dass Arzneimittelentwickler und insbesondere Start-Ups schon heute durch Swissmedic im Rahmen des Scientific Advice unterstützt werden. Im Bereich von ATMP gebe es bei Swissmedic zudem die Abteilung ATMP, die die Arzneimittelentwickler bei unterschiedlichen Fragestellungen unterstützen würde. Es gebe daher keinen Handlungsbedarf in diesem Bereich.
- *Einführung des AMSK-Status für medizinische Versorgungslücken erfordert weitere Prüfung:* Vor der Einführung einer solchen Erweiterung des AMSK-Status in der Schweiz müssen laut den Workshop-Teilnehmenden zuerst einige Fragen beantwortet werden (z.B.: Gilt der Status der EU auch in der Schweiz? Weisen die Schweiz und die EU die gleichen Versorgungslücken auf?).

Insgesamt betonten die Teilnehmenden des Workshops, dass es wichtig sei, die Revision in der EU genau zu beobachten, um rechtzeitig reagieren zu können.

I Fazit zu Stossrichtung II

Falls die Massnahmen der EU wie geplant umgesetzt werden, sollte die Schweiz insbesondere die Möglichkeit schaffen, erste PIPs einreichen zu dürfen. Weiter sollte die Schweiz die Kriterien für Freistellungen und zur Bestimmung der Seltenheit einer

Krankheit an diejenigen der EU angleichen. Insgesamt ist es wichtig, die Entwicklungen in der EU genau zu verfolgen.

4.2.2 Zulassung

Im Bereich der Zulassung formulieren wir zwei Stossrichtungen:

Stossrichtung III: Pädiatrische Indikationserweiterungen fördern

Stellschraube B: Keine Beantragung einer pädiatrischen Indikationserweiterung trotz Studiendaten

Folgende Massnahmen könnten dazu beitragen, dass pädiatrische Indikationserweiterungen häufiger beantragt werden:

1. Der Bund passt in Absprache mit den Arzneimittelentwicklern das Prävalenzmodell an, führt ein neues Modell spezifisch für pädiatrische Indikationserweiterungen ein oder verzichtet bei pädiatrischen Indikationserweiterungen auf neue Kostenverhandlungen¹⁵⁸.
2. Der Bund knüpft ein PVESZ beziehungsweise PESZ an die Bedingung, dass eine pädiatrische Indikationserweiterung beantragt wird. Im Gegenzug wird die sechsmonatige Frist zur Beantragung eines PVESZ/PESZ verlängert oder gar gestrichen.
3. Der Bund verpflichtet Arzneimittelentwickler zur Beantragung einer pädiatrischen Indikationserweiterung, sofern das Arzneimittel in Ländern mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle für Kinder und Jugendliche zugelassen ist.¹⁵⁹

Statt einzelne Massnahmen anzupassen oder einzuführen, schlugen gewisse Teilnehmende des Workshops vor, dass der Bund einen «Paediatrics Track» und eine neue Arzneimittelkategorie «Paediatrics» spezifisch für Kinderarzneimittel einführen soll. Dieser «Track» solle Kinderarzneimittel ganzheitlich und somit in allen Phasen des Arzneimittels (Forschung und Entwicklung, Zulassung, Vergütung und finanzielle Anreize, Vertrieb, Anwendung) mit spezifischen Massnahmen begleiten, beispielsweise mit höheren Preisen beziehungsweise mit für Kinderarzneimittel spezifischen Preisfestlegungsinstrumenten und mit einem Zugang zum «Early Access» (Vergütung und finanzielle Anreize), mit Abnahmegarantien (Vertrieb), mit einer besseren Kommunikation der verfügbaren Daten an die Gesundheitsfachpersonen (Anwendung) oder mit staatlicher Ausschreibung und Finanzierung von Forschungsprojekten in der Pädiatrie (Forschung und Entwicklung). Den Teilnehmenden zufolge würde dies Investitionen in die Forschung und Entwicklung von Kinderarzneimitteln und die Beantragung von pädiatrischen Indikationserweiterungen für Arzneimittelentwickler wirtschaftlich attraktiver machen. Zudem könnten gemäss diesen Workshop-Teilnehmenden solche Anreize dazu beitragen, Marktrückzüge von Kinderarzneimitteln zu verhindern.

Einzelne Vertretende des BAG weisen jedoch darauf hin, dass durch die Einführung eines solchen «Paediatrics Track» und einer neuen Arzneimittelkategorie «Paediatrics» andere Bevölkerungsgruppen mit ebenfalls kleinerer Population, wie die geriatrische Bevölkerungsgruppe oder schwangere oder stillende Frauen, ungleich behandelt werden würden. Zudem könne eine attraktivere Vergütung von Kinderarzneimitteln den Massnahmen zur Kostendämpfung in der obligatorischen Krankenpflegeversicherung entgegenwirken.

¹⁵⁸ Für den Verzicht auf neue Kostenverhandlungen bei pädiatrischen Indikationserweiterungen wäre eine Anpassung der gesetzlichen Grundlage notwendig.

¹⁵⁹ Es gilt zu beachten, dass der Bund Arzneimittelentwickler aktuell nicht dazu verpflichten kann, eine pädiatrische Indikationserweiterung zu beantragen. Hierfür wäre eine entsprechende gesetzliche Grundlage notwendig.

I Fazit zu Stossrichtung III

Gemäss den Workshop-Teilnehmenden reichen punktuelle Verbesserungen nicht. Sie erachten eine Förderung von Kinderarzneimitteln entlang der gesamten Arzneimittelkette als zwingend notwendig (Einführung eines «Paediatrics Track»). Dabei sollte geprüft werden, welche Auswirkungen eine solche Förderung auf andere Bevölkerungsgruppen mit spezifischen Bedürfnissen in der Arzneimittelversorgung (z.B. Schwangere) und auf die Kosten in der obligatorischen Krankenpflegeversicherung hat.

Stossrichtung IV: Schnelleres Inverkehrbringen von Kinderarzneimitteln und AMSK in der Schweiz
Stellschraube F: Handlungsbedarf infolge der geplanten Massnahmen der EU

Im Bereich der Zulassung sehen wir keinen unmittelbaren Handlungsbedarf für die Schweiz, der aus den geplanten Massnahmen der EU resultiert. Die Schweiz sollte jedoch die geplanten Anreize der EU zum zeitnahen Inverkehrbringen in allen Mitgliedstaaten beobachten (für weitergehende Informationen vergleiche die Ausführungen im Abschnitt 2.5).

Am Workshop wurde darauf hingewiesen, dass im Vergleich zur EMA schnellere und effizientere Prozesse bei der Zulassung durch Swissmedic ein Standortvorteil für die Schweiz sein könnten. Es wurde jedoch auch betont, dass eine schnelle Zulassung Sicherheitsrisiken mit sich bringen könnte, da noch zu wenig Informationen über die Anwendung vorliegen könnten. Ein enger Austausch mit der EMA sei grundsätzlich beim Zulassungsprozess wichtig.

I Fazit zu Stossrichtung IV

Schnelle und effiziente Zulassungsprozesse in der Schweiz sind zentral, damit Arzneimittelentwickler ihre (sicheren) Produkte in der Schweiz zur Zulassung bringen. Die Zusammenarbeit der Swissmedic mit der EMA ist hierfür wichtig. Aus unserer Sicht sollten die Auswirkungen der geplanten Massnahmen der EU zum schnelleren Inverkehrbringen von Kinderarzneimitteln in den Mitgliedstaaten auf die Schweiz beobachtet und bei Bedarf Massnahmen eruiert werden, damit Kinderarzneimittel nicht verspätet auf den Schweizer Markt kommen.

4.2.3 Vergütung und finanzielle Anreize

Im Bereich Vergütung und finanzielle Anreize formulieren wir eine Stossrichtung:

Stossrichtung V: Angleichung an EU-Anreize prüfen
Stellschraube F: Handlungsbedarf infolge der geplanten Massnahmen der EU

Im Bereich Vergütung und finanzielle Anreize sehen wir keinen unmittelbaren Handlungsbedarf für die Schweiz, der aus den geplanten Massnahmen der EU resultiert. Die Schweiz sollte jedoch prüfen, wo sich gegebenenfalls eine Angleichung an die aktuellen und geplanten Anreize der EU lohnen würde (vgl. Abschnitt 2.5).

Die Workshop-Teilnehmenden betonten, dass der «Swiss Finish» möglichst tief gehalten werden soll. Der Bund solle daher sicherstellen, dass die Schweiz mindestens gleichwertige Anreize wie die EU biete. Im optimalen Fall solle die Schweiz gar höherwertige Anreize bieten, um für die Arzneimittelentwickler genügend attraktiv zu sein.

I Fazit zu Stossrichtung V

Falls die EU ihren Unterlagenschutz wie geplant um zwei Jahre reduziert (vgl. Abschnitt 2.3.3), hätte die Schweiz bei Arzneimitteln grössere Anreize als die EU. Dies würde die Attraktivität des Schweizer Markts für Arzneimittelentwickler erhöhen.

4.2.4 Vertrieb

Im Bereich des Vertriebs formulieren wir eine Stossrichtung:

Stossrichtung VI: Förderung von einzelimportierten Kinderarzneimitteln und AMSK

Stellschraube D: Einzelimport von Kinderarzneimitteln und AMSK ist mit Hürden verbunden

Um den Einzelimport von Kinderarzneimitteln und AMSK zu fördern, sollten die Erleichterungen (d.h. keine Kostengutsprachen beim Import von in der Schweiz nicht zugelassenen Arzneimitteln mit einem Wirkstoff, der ähnlich ist wie der Wirkstoff eines in der Spezialitätenliste aufgeführten Arzneimittels), die aktuell aufgrund der Versorgungsengpässe bestehen, langfristig beibehalten werden. Falls die langfristige Aufhebung der Kostengutsprache nicht möglich ist, sollte geprüft werden, ob und welche Anpassungen es braucht, damit der administrative Aufwand für die Gesundheitsfachpersonen bei der Beantragung einer Kostengutsprache bei den Krankenversicherungen nicht zu hoch ausfällt. Zudem sollte geprüft werden, ob und welche Anpassungen es braucht, damit die Gesundheitsfachpersonen besser informiert sind über die Meldepflicht und Beantragung der Bewilligung für den Einzelimport von Arzneimitteln.

Im Workshop wurde betont, dass einzelimportierte Arzneimittel und Formula-Arzneimittel in spezifischen Fällen in der Pädiatrie wichtig seien. In solchen Fällen solle der Einzelimport und die Herstellung von Formula-Arzneimitteln möglichst einfach erfolgen. Die Workshop-Teilnehmenden schlugen vor, dass bei Lieferengpässen der Einzelimport durch Grossverteiler erfolgen soll.

Die Workshop-Teilnehmenden warnten jedoch davor, dass der Rückgriff auf den Einzelimport und auf Formula-Arzneimittel zur Routine wird. Kinderarzneimittel, die bei Kindern und Jugendlichen häufig angewendet werden würden, müssten an Lager gehalten werden, um Versorgungsengpässe und Notfälle überbrücken zu können.

Gemäss Aussagen aus einem Interview gilt es darüber hinaus zu beachten, dass beim Bund bereits Massnahmen im Bereich des Einzelimports in Planung sind. So solle erstens der Zugang für Gesundheitsfachpersonen zur Beantragung oder Meldung von Einzelimporten durch einen Ausbau der aktuellen Heilmittelplattform der Meldestelle Heilmittel der wirtschaftlichen Landesversorgung vereinfacht werden.¹⁶⁰ Zweitens wird bei der Umsetzung der Empfehlungen des BAG-Berichts Arzneimittelversorgungsengpässe geprüft, den Einzelimport auszuweiten.¹⁶¹

I Fazit zu Stossrichtung VI

Der Einzelimport von in der Schweiz nicht zugelassenen Arzneimitteln und die Herstellung von Formula-Arzneimitteln spielen in der Pädiatrie eine wichtige Rolle. Beides soll bei Versorgungsengpässen und Notfällen möglichst einfach erfolgen. Die Anwendung von zugelassenen Kinderarzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen sollte jedoch grundsätzlich Vorrang haben. Es sollte daher vermieden werden, dass der Einzelimport und die Herstellung von Formula-Arzneimitteln dazu führen, dass Arzneimittelentwickler keine Schweizer Zulassung für ihre Produkte beantragen.

¹⁶⁰ Vgl. [Der Bundesrat: Wegen anhaltenden Heilmittelengpässen setzt der Bundesrat auf ein Frühwarnsystem](#), Zugriff am 14. März 2024.

¹⁶¹ BAG 2023d, S. 105-115.

4.2.5 Anwendung

Im Bereich der Anwendung formulieren wir eine Stossrichtung:

Stossrichtung VII: Verbesserung der Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche

Stellschraube C: Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche kann verbessert werden

Durch die folgenden Massnahmen könnte die Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche verbessert werden:

4. SwissPedDose sorgt dafür, dass die gleichnamige Datenbank im ambulanten Bereich bei niedergelassenen Allgemeinmedizinerinnen und -medizinern sowie in der Westschweiz bekannter wird.
5. Der Bund verpflichtet stationäre pädiatrische Einrichtungen, öffentliche Apotheken und Einrichtungen, die ausschliesslich ambulante pädiatrische Behandlungen durchführen, zur Nutzung von elektronischen Dosierungsrechnern bei der Verschreibung, Abgabe und Anwendung von Arzneimitteln (vgl. dritte HMG-Revision).
6. Das BAG beauftragt Dritte (z.B. den Schweizerischen Verein der Amts- und Spitalapotheker [GSASA]) mit der Erarbeitung einer Datenbank mit Informationen und Empfehlungen zur Herstellung von Packungsbeilagen für Formula-Arzneimitteln im pädiatrischen Bereich.
7. Swissmedic und SwissPedDose prüfen, ob bei den Dosierungshelfern, die Arzneimitteln beigelegt werden, Verbesserungsbedarf besteht und ob die verabreichenden Gesundheitsfachpersonen mehr Informationen über die geeigneten Dosierungshelfer brauchen.

Im Workshop wurden folgende Punkte hervorgehoben:

- *Dosierungsrechner sind nicht immer notwendig:* Dosierungsrechner würden vor allem dann gebraucht werden, wenn bereits kleine Abweichungen von der Dosierung zu Intoxikationen oder Wirkungslosigkeit führen könnten. Bei anderen Arzneimitteln würden die Gesundheitsfachpersonen die Dosierung auswendig kennen, weshalb sie keinen Dosierungsrechner benötigen.
- *Keine neue Datenbank für Formula-Arzneimittel:* Bei Formula-Arzneimitteln gebe es schon verschiedene Datenbanken, die Apothekerinnen und Apotheker nutzen können würden (z.B. Stabilis). Eine neue Datenbank wird als nicht notwendig erachtet und zudem sei es schwierig, eine solche Datenbank aktuell zu halten.
- *Nutzung von SwissPedDose weiter fördern:* Wenn die Nutzung von SwissPedDose einfacher wäre, würde die Datenbank gemäss den Workshop-Teilnehmenden auch bei der ambulanten Betreuung häufiger angewendet werden. Die Datenbank solle als App auf dem Smartphone verfügbar sein und es müsse möglich sein, nach einer Indikation suchen zu können (nicht nur nach Wirkstoffen). Zudem solle SwissPedDose besser bekannt gemacht werden.
- *Erziehungs- beziehungsweise Betreuungspersonen sollen in die korrekte Handhabung von Dosierungshelfern eingeführt werden:* Werden Kinderarzneimittel bei der ambulanten Betreuung durch Erziehungs- oder Betreuungspersonen verabreicht, so sollen sie laut den Workshop-Teilnehmenden durch die Gesundheitsfachpersonen in die korrekte Handhabung der Dosierungshelfer eingeführt werden, damit es zu weniger Dosierungsfehlern komme.

I Fazit zu Stossrichtung VII

Damit die Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen sicherer erfolgt, sollten insbesondere die Nutzung von SwissPedDose weiter gefördert und die Erziehungs- beziehungsweise Betreuungspersonen in die korrekte Handhabung von Dosierungshelfern eingeführt werden.

4.2.6 Rahmenbedingungen

Im Bereich der Rahmenbedingungen formulieren wir eine Stossrichtung:

Stossrichtung VIII: Erarbeitung einer Strategie zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK
Stellschraube E: Fehlende Strategie im Bereich Kinderarzneimittel und AMSK

Der Bund soll gemeinsam mit den Anspruchsgruppen – wie beispielsweise den Kantonen, Arzneimittelentwicklern, Patientenorganisationen, Gesundheitsfachpersonen, Forschenden, Swissmedic – eine Strategie zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK erarbeiten. Eine solche Strategie kann dazu beitragen, Massnahmen zur gezielten Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit zu identifizieren und die Massnahmen besser aufeinander abzustimmen.

Die Workshop-Teilnehmenden waren sich einig darüber, dass es keine Strategie zur Verbesserung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln und AMSK braucht. Die Versorgung von Kindern und Jugendlichen mit Arzneimitteln müsse so schnell wie möglich verbessert werden und die Ressourcen sollten nicht durch die zeitaufwändige Erarbeitung einer Strategie blockiert werden. Statt einer Strategie solle besser ein Aktionsplan erarbeitet werden, mit dem der in dieser Studie identifizierte Handlungsbedarf angepackt werden kann.

I Fazit zu Stossrichtung VIII

Ein umfassender Strategieprozess erscheint – insbesondere aufgrund der Dringlichkeit – wenig zweckmässig. Ein Aktionsplan soll die primären Lücken in der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen und die zugehörigen Massnahmen zur Schliessung dieser Lücken darlegen.

4.2.7 Priorisierung der Stossrichtungen

Zum Schluss des Workshops wurden die eingeladenen BAG-externen Stakeholder gefragt, welche Stossrichtungen prioritär verfolgt werden sollten. Die Befragung erfolgte anonym. Zur Auswahl standen zwölf Stossrichtungen: Neben den bereits dargestellten acht Stossrichtungen wurde basierend auf den Diskussionen über die folgenden vier weiteren Stossrichtungen abgestimmt:

- *Stossrichtung IX – Inkrementelle Verbesserungen an den bestehenden Prozessen und Massnahmen:* Statt neue Massnahmen einzuführen, solle die Schweiz die bestehenden Massnahmen, die damit verbundenen Prozesse und das Zusammenspiel der Massnahmen verbessern.
- *Stossrichtung X – Rückzüge von Kinderarzneimitteln vermeiden:* Es soll verhindert werden, dass Entwickler von Kinderarzneimitteln ihre Arzneimittel vom Schweizer Markt nehmen, ohne dass das Arzneimittel durch ein anderes Präparat ersetzt wird.
- *Stossrichtung XI – Einführung der Arzneimittelkategorie «Paediatrics» mit zusätzlichen Anreizen und eigenen Regelungen:* Der Bund soll die neue Arzneimittelkategorie «Paediatric» schaffen, die den betreffenden Arzneimitteln Zugang zu weiteren Anreizen gewährt (z.B. höhere Preise) und eigene Regelungen für solche Arzneimittel

vorsieht (z.B. keine automatischen Preisverhandlungen bei pädiatrischen Indikationserweiterungen).

- *Stossrichtung XII – Patienteninformationen auf Zielgruppe ausrichten:* Heute würden Patienteninformationen oft so formuliert, dass rechtliche Verfahren möglichst ausgeschlossen werden können. Dies führe dazu, dass sie für Patientinnen und Patienten oft schwer zu verstehen seien. Die Patienteninformation der Arzneimittel solle daher verständlicher und mit Blick auf die Zielgruppe formuliert werden.

Die Mehrheit der befragten Teilnehmenden des Workshops will, dass eine neue Arzneimittelkategorie «Paediatrics» eingeführt wird (Stossrichtung X). Ebenfalls als prioritär eingestuft wurden die inkrementelle Verbesserung an den bestehenden Prozessen und Massnahmen (Stossrichtung IX), die Förderung von pädiatrischen Indikationserweiterungen beim Vorliegen der entsprechenden Daten (Stossrichtung III) sowie der Handlungsbedarf aus den geplanten Massnahmen der EU im Bereich der Forschung und Entwicklung (Stossrichtung II).

4.3 Beantwortung Forschungsfragen

Basierend auf den Erkenntnissen aus den Abschnitten 4.1 und 4.2 beantworten wir nachfolgend die Forschungsfragen betreffend die Gesamtbetrachtung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der Schweiz. Wiederum ist zu beachten, dass die folgenden Resultate unter anderem auf den Interviews und dem Workshop und damit auf den Erfahrungen und dem Wissen der ausgewählten Personen basieren.

8. Gibt es Lücken im bestehenden Zusammenspiel der Massnahmen hinsichtlich der Gewährleistung der Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln? Falls ja, wo gibt es Lücken und wie könnten sie geschlossen werden?

Wir konnten insbesondere fünf Lücken im Zusammenspiel der Massnahmen identifizieren:

- *Nach wie vor fehlen Studiendaten über die Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen:* Trotz der Pflicht, pädiatrische Prüfkonzepte zu erstellen und umzusetzen, fehlen Studiendaten über die Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen. Gezielte Anreize (z.B. zusätzliche Boni bei Schliessung von medizinischen Versorgungslücken oder für Weiterentwicklung «alter» Arzneimittel für Kinder und Jugendliche), Anpassungen an der Regulierung der pädiatrischen Prüfkonzepte (z.B. restriktivere Gewährung von Freistellungen) oder durch das Staatssekretariat für Bildung, Forschung und Innovation und oder den Schweizerischen Nationalfonds ausgeschriebene und finanzierte Forschungsprojekte (z.B., um die geeignete Dosierung eines Arzneimittels bei der Anwendung bei Kindern und Jugendlichen zu finden) könnten dazu beitragen, Studiendaten zu erheben.
- *Pädiatrische Indikationserweiterungen werden nicht immer beantragt:* Selbst wenn eine pädiatrische Indikationserweiterung basierend auf erhobenen Studiendaten möglich wäre, wird eine solche nicht immer beantragt. Spezifische Preisfestlegungsinstrumente, ein Verzicht auf erneute Preisverhandlungen oder die Gewährung von höheren Preisen für Kinderarzneimittel könnte dabei helfen, dass mehr pädiatrische Indikationserweiterungen beantragt werden. Gleichzeitig könnten solche Massnahmen jedoch den Massnahmen zur Kostendämpfung in der obligatorischen Krankenpflegeversicherung entgegenwirken.
- *Nicht alle Gesundheitsfachpersonen nutzen SwissPedDose:* Die harmonisierten Dosierungsempfehlungen von SwissPedDose beim Off-Label-Use von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen werden insbesondere durch niedergelassene

Allgemeinmedizinerinnen und Allgemeinmediziner und in der Westschweiz noch zu wenig angewendet. Wäre SwissPedDose besser bekannt und benutzerfreundlicher (z.B. Zugang zur Datenbank über App oder Möglichkeit, nach Indikation zu suchen), könnte die Nutzung dieser Datenbank gesteigert und der Beitrag zur Anwendungssicherheit erhöht werden.

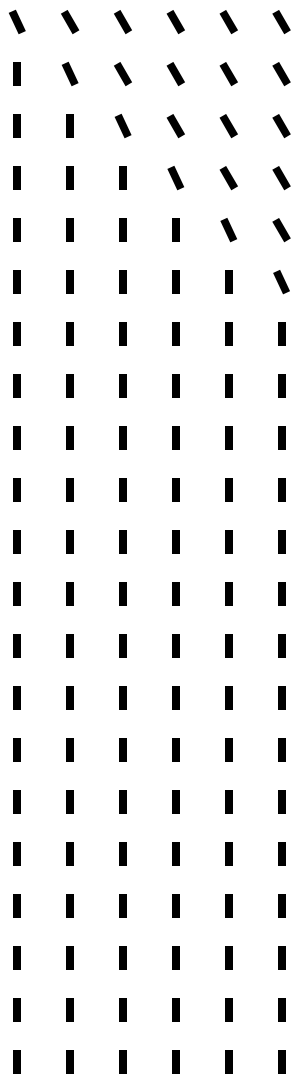
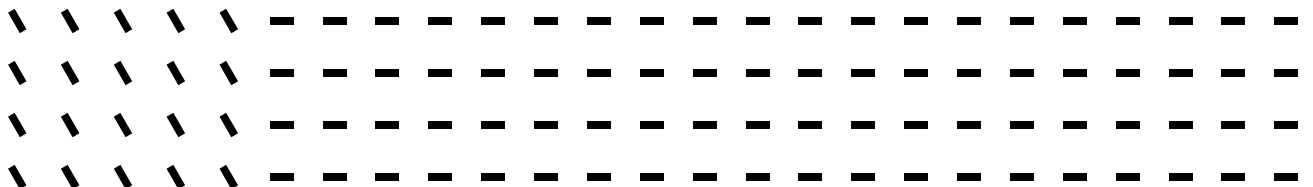
- *Dosierungsfehler können aufgrund von ungeeigneten Dosierungshelfern passieren:* Insbesondere bei der ambulanten Betreuung kann es zu ungenauen Dosierungen aufgrund von nicht korrekt angewendeten beziehungsweise nicht korrekt kalibrierten Dosierungshelfern kommen. Geeignete Dosierungshelfer (z.B. Dosierungsspritzen) und die Einführung der Erziehungs- beziehungsweise Betreuungspersonen in die korrekte Handhabung von Dosierungshelfern durch die abgebenden Gesundheitsfachpersonen (z.B. Apothekerinnen und Apotheker) könnten ungenauen Dosierungen entgegenwirken.
 - *Einzelimport ist mit Hürden verbunden:* Vor allem der Einzelimport von Kinderarzneimitteln und AMSK mit einem Wirkstoff, der in der Schweiz nicht zugelassen ist, ist trotz der Relevanz des Einzelimports bei der Versorgung mit diesen Arzneimitteln – insbesondere während Versorgungsengpässen und bei Notfällen – mit Hürden verbunden. Der Ausbau der Heilmittelplattform der Meldestelle Heilmittel der wirtschaftlichen Landesversorgung, der zum Zeitpunkt der Berichtlegung durchgeführt wird, sowie die verfügbaren Pläne, den Einzelimport auszuweiten, könnten die Hürden abbauen.
9. Welcher (rechtliche) Handlungsbedarf ergibt sich für die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der Schweiz (z.B. neue Massnahmen, Veränderung im Zusammenspiel bestehender Massnahmen)?

Basierend auf den Ergebnissen des Ressortforschungsmandats ergibt sich folgender Handlungsbedarf für die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche in der Schweiz.

- *Versorgungs- und Anwendungssicherheit muss ganzheitlich und nachhaltig verbessert werden:* Einzelne Massnahmen können zwar dazu beitragen, spezifische Herausforderungen zu bewältigen. Die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln bei Kindern und Jugendlichen sollte jedoch ganzheitlich und nachhaltig verbessert werden. Hierfür bietet sich beispielsweise die Einführung eines spezifischen «Paediatric Track» für Arzneimittel der Kategorie «Paediatrics» an. Arzneimittel, die sich bereits früh als Kinderarzneimittel würdigen einstufen lassen, könnten dadurch während allen Phasen (Forschung und Entwicklung, Zulassung, Vergütung und finanzielle Anreize, Vertrieb und Anwendung) mittels geeigneter Massnahmen unterstützt werden. Bei der Einführung von solchen spezifischen Massnahmen für Kinderarzneimittel sollte jedoch geprüft werden, inwiefern diese ungleiche Behandlung von Kindern, Jugendlichen und anderen Bevölkerungsgruppen mit ebenfalls kleiner Patientengruppe (z.B. geriatrische Bevölkerungsgruppe, schwangere oder stillende Frauen) gerechtfertigt ist. Zudem sollte beachtet werden, dass die Einführung solcher Massnahmen den Massnahmen zur Kostendämpfung in der obligatorischen Krankenpflegeversicherung entgegenwirken könnten.
- *Aktionsplan zur Schliessung der Lücken erstellen:* Das Ressortforschungsmandat hat einige Lücken, die die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Arzneimitteln für Kinder und Jugendliche einschränken, aufgezeigt. Das Ressortforschungsmandat hat auch einige Massnahmen präsentiert, mit denen diese Lücken angegangen werden könnten. Nun geht es darum, diese Massnahmen rasch zu prüfen, anzupassen oder allenfalls neue Massnahmen zu erarbeiten, damit die Lücken geschlossen werden

können. Hierfür bietet sich die Erstellung eines Aktionsplans an, der die Lücken und die dazugehörigen Massnahmen aufzeigt.

- *Sofortmassnahmen zur Verbesserung der Versorgung mit Kinderarzneimitteln:* Das Ressortforschungsmandat zeigt auf, dass die Versorgung von Kindern und Jugendlichen mit Arzneimitteln aktuell kritisch ist. Insbesondere bei Antibiotika und Schmerzmitteln gibt es immer wieder Versorgungsprobleme. Um dem entgegenzuwirken, bieten sich Sofortmassnahmen an, wie diejenigen, die das BAG 2023 bereits ergriffen hat (z.B. keine Kostengutsprache beim Einzelimport, Preiserhöhungen, Verzicht auf Preissenkungen). Abgesehen von den Kostengutsprachen beim Einzelimport konnten wir nicht eruieren, ob diese Massnahmen auch bei Versorgungsengpässen bei Kinderarzneimitteln helfen. Das BAG könnte überprüfen, ob diese Massnahmen auch zur Versorgungssicherheit bei Kinderarzneimitteln beitragen. Falls dem nicht so ist, könnten diese Massnahmen auf Kinderarzneimittel ausgeweitet beziehungsweise weitere Sofortmassnahmen ergriffen werden, beispielsweise durch den zentralisierten Einzelimport von nicht zugelassenen Kinderarzneimitteln durch den Bund beziehungsweise durch einen Grosshändler. Bei der Prüfung des zentralisierten Einzelimports müsste jedoch vermieden werden, dass die Arzneimittelentwickler keine Schweizer Zulassung mehr anstreben oder ihre Produkte aus dem Schweizer Markt zurückziehen und sie einzeln in die Schweiz importieren (lassen). Zudem müsste geprüft werden, welcher Akteur in welchem Umfang beim zentralisierten Einzelimport von in der Schweiz nicht zugelassenen Kinderarzneimitteln haftet.



Anhang

Im Anhang finden sich eine Auflistung der gesichteten Dokumente, die Übersichten zu den Interviewpartnerinnen und Interviewpartnern, den Teilnehmenden am Workshop sowie ein synoptischer Überblick über die Ergebnisse des Moduls 1.

A 1 Analyisierte Dokumente

Für das Ressortforschungsmandat wurden die folgenden Dokumente analysiert:

DA 1: Analyisierte Dokumente

Schweiz (Literaturverzeichnis)

Balthasar, Andreas (2000): Evaluationssynthesen: Bedingungen, Möglichkeiten und Grenzen. LeGes – Gesetzgebung & Evaluation, 11 (1), S. 13–25.

Bundesamt für Gesundheit BAG (2022): Versorgungsempässe mit Humanarzneimitteln in der Schweiz. Situationsanalyse und zu prüfende Verbesserungsmassnahmen, BAG, Bern.

Bundesamt für Gesundheit BAG (2023a): Eckwerte: Die Versorgungs- und Anwendungssicherheit von Kinderarzneimitteln im Kontext der EU-Arzneimittelstrategie, BAG, Bern

Bundesamt für Gesundheit BAG (2023b): Erläuternder Bericht zur Änderung des Heilmittelgesetzes, 2015-0994.

Bundesamt für Gesundheit BAG (2023c): Rundschreiben des BAG vom 21. März 2023 zur Vergütung bei Versorgungsempässen.

Bundesamt für Gesundheit BAG (2023d): Umsetzungsvorschläge zu den Massnahmen des BAG-Berichts Arzneimittelversorgungsempässe, Entwurf des Schlussberichts, Version vom 4. Oktober 2023 (*Bericht nicht veröffentlicht*)

Ernst Basler + Partner AG (2014): Externe Evaluation der vorgezogenen Revision des Heilmittelgesetzes. Im Auftrag des Bundesamtes für Gesundheit, Bern

Hanimann, Anina; Kaufmann, Cornel; Guggenbühl, Anatolij; Laubereau, Birgit; Tilen, Romy; Rieder, Stefan (2022a): Situationsanalyse der Zulassungsmassnahmen «pädiatrisches Prüfkonzept» und «wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten» bei Kindern, Schlussbericht zuhanden des BAG, Interface Politikstudien Forschung Beratung, Universität Basel, Luzern/Basel.

Hanimann, Anina; Guggenbühl, Anatolij; Hänggli, Aline; Laubereau, Birgit. (2022b): Studie zur Regulierung von Arzneimitteln für seltene Krankheiten: Handlungsbedarf für die Schweiz, Schlussbericht zuhanden des BAG, Interface Politikstudien Forschung Beratung, Luzern/Lausanne.

Kägi, Wolfram; Möhr, Thomas; Diener, Simon; Schmidt, Daniel (2022): Situationsanalyse des Einsatzes der nationalen Datenbank zur Dosierung von Arzneimitteln bei Kindern «SwissPedDose». BSS Volkswirtschaftliche Beratung und Primalogix. Im Auftrag des Bundesamtes für Gesundheit, Bern.

Schwenkel, Christof; Hertig, Vera; Fässler, Sarah (2017): Regulierungsfolgenabschätzung bezüglich eines Artikelentwurfs im Heilmittelgesetz (Art. 17a HMG) zur Verhinderung der Einführung von gefälschten Medikamenten in die legale Handelskette. Bericht zuhanden des Bundesamtes für Gesundheit (BAG), Interface Politikstudien Forschung Beratung, Luzern.

Swissmedic (2023): Pharmacopoea Helvetica, 12. Ausgabe, Bern.

Schweiz (Rechtsverzeichnis)

Bundesgesetz vom 25. Juni 1954 über die Erfindungsrechte (Patentgesetz, PatG; SR 232.14)

Bundesgesetz vom 15. Dezember 2000 über Arzneimittel und Medizinprodukte (Heilmittelgesetz, HMG; SR 812.21).

Verordnung vom 27. Juni 1995 über die Krankenversicherung (KVV, SR 832.102).

Verordnung vom 21. September 2018 über die Arzneimittel (Arzneimittelverordnung, VAM; SR 812.212.21).

Verordnung vom 14. November 2018 über die Bewilligungen im Arzneimittelbereich (Arzneimittel-Bewilligungsverordnung, AMBV; SR 812.212.1).

Verordnung des WBF vom 20. Mai 2019 über die Pflichtlagerhaltung von Arzneimitteln (SR 531.215.311).

Verordnung vom 19. Juni 2020 über Massnahmen zur Bekämpfung des Coronavirus (Covid-19) (Covid-19-Verordnung 3; SR 818.101.24).

Europäische Union und weiteres Ausland (Literaturverzeichnis)

Daniel, Michael G.; Pawlik, Timothy M.; Fader, Amanda N.; Esnaola, Nestor F.; Makary, Martin A. (2016): The Orphan Drug Act: Restoring the Mission to Rare Diseases. in: American Journal of Clinical Oncology, 39(2).

European Commission (2020): Joint evaluation of Regulation (EC) No 1901/2006 of the European Parliament and of the Council of 12 December 2006 on medicinal products for paediatric use and Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products, Brussels.

Varnai, Peter; Farla, Kristine; Simmonds, Paul; Oortwijn, Wija; Meindert, Lars; van Schothorst, Marien; Schiffers, Krijn; Stroetmann, Karl; Thiel, Rainer; Birov, Strahil (2016): Study on the economic impact of the Paediatric Regulation, including its rewards and incentives: Final Report, Brighton.

Yin, Shonna H.; Mendelsohn, Alan L.; Wolf, Michael S.; Parker, Ruth M.; Fierman, Arthur; van Schaick, Linda.; Bazan, Isabel S.; Kline, Matthew D.; Dreyer, Benard P. (2010): Parents' Medication Administration Errors: Role of Dosing Instruments and Health Literacy, Arch Pediatr Adolesc Med.,164(2), S. 181–186.

Europäische Union und weiteres Ausland (Rechtsverzeichnis)

Richtlinie 2001/83/EG des Europäischen Parlaments und des Rates vom 6. November 2001 zur Schaffung eines Gemeinschaftskodexes für Humanarzneimittel.

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. 726/2004.

Verordnung (EG) Nr. 1394/2007 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 13. November 2007 über Arzneimittel für neuartige Therapien und zur Änderung der Richtlinie 2001/83/EG und der Verordnung (EG) Nr. 726/2004.

Vorschlag für eine Richtlinie des europäischen Parlaments und des Rates zur Schaffung eines Unionskodexes für Humanarzneimittel und zur Aufhebung der Richtlinie 2001/83/EG und der Richtlinie 2009/35/EG.

Vorschlag für eine Verordnung des europäischen Parlaments und des Rates zur Festlegung der Verfahren der Union für die Zulassung und Überwachung von Humanarzneimitteln und zur Festlegung von Vorschriften für die Europäische Arzneimittel-Agentur, zur Änderung der Verordnung (EG) Nr. 1394/2007 und der Verordnung (EU) Nr. 536/2014 sowie zur Aufhebung der Verordnung (EG) Nr. 726/2004, der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 und der Verordnung (EG) Nr. 1901/2006.

A 2 Interviewpartnerinnen und Interviewpartner

Mit den folgenden Personen wurden Interviews geführt:

DA 2: Interviewpartnerinnen und Interviewpartner		
<i>Vorname, Name</i>	<i>Funktion</i>	<i>Organisation</i>
Angela Caduff Good	Chefapothekerin Spitalpharmazie	Universitäts-Kinderspital Zürich
Siegfried Grimm	Patentanwalt und Partner	E. Blum & Co. AG
Oliver Jeker Alfred Köpf	Patentanwalt und Senior Associate Patentanwalt und Partner	Rentsch Partner AG
Peter Kleist	Ehem. Geschäftsführer	Ethikkommission Zürich
Alessandro Pellegrini	wissenschaftlicher Mitarbeiter	Kompetenzzentrum Versorgungssicherheit des BAG
Klara Posfay-Barbe	Professorin und stv. medizinische Direktorin	Universität Genf und Hôpitaux universitaires de Genève

A 3 Teilnehmende Workshop

Die folgende Darstellung zeigt eine Übersicht über die Personen, die zum Workshop eingeladen wurden, beziehungsweise am Workshop teilnahmen. Drei BAG-externe Personen haben kurzfristig für den Workshop abgesagt, teilweise jedoch schriftlich Rückmeldungen zu den im Vorfeld verschickten Unterlagen gegeben.

DA 3: Teilnehmende Workshop	
<i>Vorname, Name</i>	<i>Funktion und Institution</i>
BAG-externe Personen	
Heinrich Sandmeier	Ehem. EAK, ehem. Stv. Geschäftsführer Interpharma
Urs Kientsch	Leiter Abteilung Arzneimittel AZM BWL und Mitglied der Geschäftsleitung von GlaxoSmithKline AG
Jörg Schläpfer	Leiter Bereich Stab und Aussenbeziehungen, Mitglied der Geschäftsleitung Swissmedic
<i>Peter Kleist (entschuldigt)</i>	<i>Ehem. Geschäftsführer Ethikkommission Zürich</i>
Karin Fattinger	Leitende Ärztin Innere Medizin am Universitätsspital Zürich, Präsidentin EAK, Vorstand Patientenstelle Zürich
<i>Marie-Christine Grouzmann (entschuldigt)</i>	<i>Kantonsapothekerin Kanton Waadt</i>
Ermindo Di Paolo	Apotheker Département femme-mère-enfant CHUV
<i>Pierluigi Brazzola (entschuldigt)</i>	<i>Kinderonkologe, Kantonsspital Bellinzona</i>
Stefan Roth	Vorstandsmitglied Kinderärzte Schweiz, praktizierender Kinderarzt

<i>Vorname, Name</i>	<i>Funktion und Institution</i>
Mitglieder der BAG-Steuergruppe des Ressortforschungsmandats	
Edith Luginbühl	Vorsitz Steuergruppe, Leiterin Sektion HMR
Murielle Bächler	Steuergruppenmitglied, Mitarbeiterin Sektion AMA
Weitere Personen des BAG (nicht Mitglied der Steuergruppe)	
Jenny Prodanovic	Projektleitung Ressortforschungsmandat BAG, Mitarbeiterin Fachstelle E+F
Silvan Röthlisberger	Leitung Sektion Arzneimittelaufnahmen Immunologika und weitere
Martina Andricic	Abteilung Internationales, stv. Leiterin Sektion EU
Alessandro Pellegrini	Projektleiter und stv. Leiter Kompetenzzentrum Versorgungssicherheit
Projektteam Interface	
Anatolij Guggenbühl	Projektleiter
Aline Hänggli	Projektmitarbeiterin
Anina Hanimann	Qualitätssicherung