

Öffentliche Konsultation zur Überarbeitung der EU-Vorschriften über Arzneimittel für Kinder und für seltene Krankheiten

Mit * markierte Felder sind Pflichtfelder.

Einleitung

Die EU-Rechtsvorschriften über Arzneimittel für Kinder und für seltene Krankheiten wurden 2000 bzw. 2006 verabschiedet. Ziel der Vorschriften war es, die Behandlungsmöglichkeiten für 30 Millionen europäische Patienten, die an einer der über 6000 seltenen Krankheiten leiden, sowie für 100 Millionen von pädiatrischen Erkrankungen betroffene Kinder in Europa zu verbessern. Damals standen nur begrenzte oder gar keine Arzneimittel für die Behandlung beider Gruppen zur Verfügung.

Eine kürzlich durchgeführte Bewertung der Rechtsvorschriften hat ergeben, dass sie die Erforschung und Entwicklung von Arzneimitteln zur Behandlung seltener Krankheiten und anderer Erkrankungen, von denen Kinder betroffen sind, gefördert haben. Die Bewertung ergab jedoch auch Unzulänglichkeiten des derzeitigen Systems. Die Rechtsvorschriften waren nicht wirksam, um die Entwicklung von Arzneimitteln in Bereichen zu fördern, in denen eine Versorgungslücke besteht (z. B. fehlt für 95 % der seltenen Krankheiten immer noch eine Behandlungsmöglichkeit), und sie haben nicht sichergestellt, dass die Arzneimittel für alle europäischen Patienten in allen Mitgliedstaaten zugänglich sind.

Die Rechtsvorschriften bieten Anreize, deren Ausgestaltung sich auf unternehmerische Entscheidungen hinsichtlich der Forschung und Entwicklung neuer Arzneimittel auswirken kann sowie auf die Frage, ob solche Investitionen auf Bereiche konzentriert werden können, in denen die größte Versorgungslücke für Patienten besteht. Darüber hinaus kann das Anreizsystem den Wettbewerb auf dem Markt und indirekt die Verfügbarkeit von Arzneimitteln und den Zugang von Patienten in der EU zu ihnen beeinflussen.

Angaben zu Ihrer Person

* In welcher Eigenschaft nehmen Sie an dieser Konsultation teil?

- Hochschule/Forschungseinrichtung
- Wirtschaftsverband
- Unternehmen/Wirtschaftsorganisation
- Verbraucherorganisation
- EU-Bürger/in
- Umweltorganisation
- Nicht-EU-Bürger/in
- Nichtregierungsorganisation (NGO)

- Behörde
- Gewerkschaft
- Sonstige

* Vorname

* Nachname

* E-Mail-Adresse (wird nicht veröffentlicht)

* Ebene

- Internationale Ebene
- Lokale Ebene
- Nationale Ebene
- Regionale Ebene

* Verwaltungsebene

- Lokale Behörde
- Lokale Agentur

* Verwaltungsebene

- Parlament
- Behörde
- Agentur

* Name der Organisation

höchstens 255 Zeichen

* Größe der Organisation

- Sehr klein (1 bis 9 Beschäftigte)
- Klein (10 bis 49 Beschäftigte)

- Mittel (50 bis 249 Beschäftigte)
- Groß (250 oder mehr Beschäftigte)

Nummer im Transparenzregister

höchstens 255 Zeichen

Bitte prüfen Sie, ob Ihre Organisation im [Transparenzregister](#) eingetragen ist. Das Transparenzregister ist eine Datenbank, in die sich Organisationen, die Einfluss auf EU-Entscheidungsprozesse nehmen möchten, eintragen lassen können.

* Herkunftsland

Bitte geben Sie Ihr Herkunftsland oder das Ihrer Organisation an.

- | | | | |
|---|--|--------------------------------------|---|
| <input type="radio"/> Afghanistan | <input type="radio"/> Fidschi | <input type="radio"/> Litauen | <input type="radio"/> Senegal |
| <input type="radio"/> Ägypten | <input type="radio"/> Finnland | <input type="radio"/> Luxemburg | <input type="radio"/> Serbien |
| <input type="radio"/> Ålandinseln | <input type="radio"/> Frankreich | <input type="radio"/> Macau | <input type="radio"/> Seychellen |
| <input type="radio"/> Albanien | <input type="radio"/> Französische
Süd- und
Antarktisgebiete | <input type="radio"/> Madagaskar | <input type="radio"/> Sierra Leone |
| <input type="radio"/> Algerien | <input type="radio"/> Französisch-
Guayana | <input type="radio"/> Malawi | <input type="radio"/> Simbabwe |
| <input type="radio"/> Amerikanische
Jungferninseln | <input type="radio"/> Französisch-
Polynesien | <input type="radio"/> Malaysia | <input type="radio"/> Singapur |
| <input type="radio"/> Amerikanisch-
Samoa | <input type="radio"/> Gabun | <input type="radio"/> Malediven | <input type="radio"/> Sint Maarten |
| <input type="radio"/> Andorra | <input type="radio"/> Gambia | <input type="radio"/> Mali | <input type="radio"/> Slowakei |
| <input type="radio"/> Angola | <input type="radio"/> Georgien | <input type="radio"/> Malta | <input type="radio"/> Slowenien |
| <input type="radio"/> Anguilla | <input type="radio"/> Ghana | <input type="radio"/> Marokko | <input type="radio"/> Solomonen |
| <input type="radio"/> Antarktis | <input type="radio"/> Gibraltar | <input type="radio"/> Marshallinseln | <input type="radio"/> Somalia |
| <input type="radio"/> Antigua und
Barbuda | <input type="radio"/> Grenada | <input type="radio"/> Martinique | <input type="radio"/> Spanien |
| <input type="radio"/> Äquatorialguinea | <input type="radio"/> Griechenland | <input type="radio"/> Mauretanien | <input type="radio"/> Sri Lanka |
| <input type="radio"/> Argentinien | <input type="radio"/> Grönland | <input type="radio"/> Mauritius | <input type="radio"/> St. Barthélemy |
| <input type="radio"/> Armenien | <input type="radio"/> Guadeloupe | <input type="radio"/> Mayotte | <input type="radio"/> St. Helena,
Ascension und
Tristan da
Cunha |

- Aruba
- Aserbaidshan
- Äthiopien
- Australien
- Bahamas
- Bahrain
- Bangladesch
- Barbados
- Belarus
- Belgien
- Belize
- Benin
- Bermuda
- Bhutan
- Bolivien
- Bonaire, St. Eustatius und Saba
- Bosnien und Herzegowina
- Botsuana
- Bouvetinsel
- Brasilien
- Britische Jungferninseln
- Guam
- Guatemala
- Guernsey
- Guinea
- Guinea-Bissau
- Guyana
- Haiti
- Heard und die McDonaldinseln
- Honduras
- Hongkong
- Indien
- Indonesien
- Insel Man
- Irak
- Iran
- Irland
- Island
- Israel
- Italien
- Jamaika
- Japan
- Mexiko
- Mikronesien
- Moldau
- Monaco
- Mongolei
- Montenegro
- Montserrat
- Mosambik
- Myanmar /Birma
- Namibia
- Nauru
- Nepal
- Neukaledonien
- Neuseeland
- Nicaragua
- Niederlande
- Niger
- Nigeria
- Niue
- Nördliche Marianen
- Nordmazedonien
- St. Kitts und Nevis
- St. Lucia
- St. Martin
- St. Pierre und Miquelon
- St. Vincent und Grenadinen
- Südafrika
- Sudan
- Südgeorgien und Südliche Sandwichinseln
- Südkorea
- Südsudan
- Suriname
- Svalbard und Jan Mayen
- Syrien
- Tadschikistan
- Taiwan
- Tansania
- Thailand
- Timor-Leste
- Togo
- Tokelau
- Tonga

- Britisches Territorium im Indischen Ozean
- Brunei
- Bulgarien
- Burkina Faso
- Burundi
- Cabo Verde
- Chile

- China
- Clipperton

- Cookinseln
- Costa Rica
- Côte d'Ivoire
- Curaçao

- Dänemark
- Das Kosovo
- Demokratische Republik Kongo
- Deutschland

- Dominica

- Dominikanische Republik
- Dschibuti
- Ecuador

- El Salvador
- Jemen
- Jersey
- Jordanien
- Kaimaninseln
- Kambodscha
- Kamerun
- Kanada

- Kasachstan
- Katar

- Kenia
- Kirgisistan
- Kiribati
- Kleinere Amerikanische Überseeinseln
- Kokosinseln
- Kolumbien
- Komoren
- Kongo

- Kroatien
- Kuba
- Kuwait
- Laos
- Lesotho
- Norfolkinsel
- Norwegen
- Oman
- Österreich
- Pakistan
- Palästina
- Palau

- Panama
- Papua-Neuguinea
- Paraguay
- Peru
- Philippinen
- Pitcairninseln
- Polen
- Portugal
- Puerto Rico
- Réunion
- Ruanda
- Rumänien
- Russland
- Sambia
- Samoa
- Trinidad und Tobago
- Tschad
- Tschechien
- Tunesien
- Türkei
- Turkmenistan
- Turks- und Caicosinseln
- Tuvalu
- Uganda
- Ukraine
- Ungarn
- Uruguay
- Usbekistan
- Vanuatu
- Vatikanstadt
- Venezuela
- Vereinigte Arabische Emirate
- Vereinigtes Königreich
- Vereinigte Staaten
- Vietnam
- Wallis und Futuna
- Weihnachtsinsel

- | | | | |
|--------------------------------------|-------------------------------------|---|--|
| <input type="radio"/> Eritrea | <input type="radio"/> Lettland | <input type="radio"/> San Marino | <input type="radio"/> Westsahara |
| <input type="radio"/> Estland | <input type="radio"/> Libanon | <input type="radio"/> São Tomé und Príncipe | <input type="radio"/> Zentralafrikanische Republik |
| <input type="radio"/> Eswatini | <input type="radio"/> Liberia | <input type="radio"/> Saudi-Arabien | <input type="radio"/> Zypern |
| <input type="radio"/> Falklandinseln | <input type="radio"/> Libyen | <input type="radio"/> Schweden | |
| <input type="radio"/> Färöer | <input type="radio"/> Liechtenstein | <input type="radio"/> Schweiz | |

Die Kommission wird alle Beiträge zu dieser öffentlichen Konsultation veröffentlichen. Sie können selbst entscheiden, ob Ihre Angaben bei der Veröffentlichung Ihres Beitrags offengelegt werden oder ob Sie anonym bleiben. **Aus Gründen der Transparenz wird stets die Teilnehmerkategorie (z. B. „Unternehmensverband“, „Verbraucherverband“, „EU-Bürgerin/Bürger“), das Herkunftsland und ggf. der Name und die Größe der Organisation sowie deren Transparenzregisternummer veröffentlicht. Ihre E-Mail-Adresse wird zu keinem Zeitpunkt veröffentlicht.** Wählen Sie die Datenschutzoption aus, die Ihnen am meisten zusagt. Die Standarddatenschutzoptionen richten sich nach der gewählten Teilnehmerkategorie.

* Datenschutzeinstellungen für die Veröffentlichung des Beitrags

Die Kommission wird die Antworten auf diese öffentliche Konsultation veröffentlichen. Sie können selbst entscheiden, ob Ihre Angaben offengelegt werden oder anonym bleiben.

Anonym

Ihre Angaben zu Teilnehmerkategorie und Herkunftsland und Ihr Beitrag werden in der eingegangenen Form veröffentlicht. Ihr Name wird nicht veröffentlicht. Bitte machen Sie in Ihrem Beitrag keine personenbezogenen Angaben.

Öffentlich

Ihr Name, Ihre Teilnehmerkategorie, Ihr Herkunftsland und Ihr Beitrag werden veröffentlicht.

* Datenschutzeinstellungen für die Veröffentlichung des Beitrags

Die Kommission wird die Antworten auf diese öffentliche Konsultation veröffentlichen. Sie können selbst entscheiden, ob Ihre Angaben offengelegt werden oder anonym bleiben.

Anonym

Es werden nur Angaben zur Organisation veröffentlicht: Die Teilnehmerkategorie, der Name und die Transparenzregisternummer der Organisation, in deren Namen Sie an der Konsultation teilnehmen, sowie deren Größe und Herkunftsland und Ihr Beitrag werden in der eingegangenen Form veröffentlicht. Ihr Name wird nicht veröffentlicht. Bitte machen Sie in Ihrem Beitrag keine personenbezogenen Angaben, wenn Sie anonym bleiben möchten.

Öffentlich

Angaben zur Organisation und zum Konsultationsteilnehmer werden veröffentlicht: Die Teilnehmerkategorie, der Name und die Transparenzregisternummer der Organisation, in deren Namen Sie an der Konsultation teilnehmen, sowie deren Größe und Herkunftsland und Ihr Beitrag werden veröffentlicht. Ihr Name wird ebenfalls veröffentlicht.

Ich stimme den [Datenschutzbestimmungen](#) zu

* Im Fragebogen verwendete Sprache

- Bulgarisch
- Dänisch
- Deutsch
- Englisch
- Estnisch
- Finnisch
- Französisch
- Griechisch
- Irisch
- Italienisch
- Kroatisch
- Lettisch
- Litauisch
- Maltesisch
- Niederländisch
- Polnisch
- Portugiesisch
- Rumänisch
- Schwedisch
- Slowakisch
- Slowenisch
- Spanisch
- Tschechisch
- Ungarisch

Fragebogen zur Überarbeitung der EU-Vorschriften für Arzneimittel für Kinder und für seltene Krankheiten

Frage 1: Bei der Evaluierung der Rechtsvorschriften für Arzneimittel für Kinder und für seltene Krankheiten wurden folgende Hauptprobleme festgestellt:

- **Unzureichende Entwicklung in Bereichen mit der größten Versorgungslücke für die Patienten.**
- **Ungleiche Verfügbarkeit, verspäteter Zugang und oft unerschwingliche Behandlungen für Patienten in den EU-Mitgliedstaaten.**
- **Unzureichende Maßnahmen zur Einführung wissenschaftlicher und technologischer Entwicklungen im Bereich Arzneimittel für Kinder und seltene Krankheiten.**

Gibt es Ihrer Meinung nach noch weitere Hindernisse für die Entwicklung von Arzneimitteln für Kinder und seltene Krankheiten?

höchstens 2000 Zeichen

Frage 2: Wie hat sich Ihrer Meinung nach und ausgehend von Ihrer Erfahrung COVID-19 zusätzlich auf die im Rahmen der Evaluierung festgestellten Hauptprobleme ausgewirkt? Was kann die EU in Bezug auf Arzneimittel für Kinder und seltene Krankheiten aus der Pandemie lernen und umsetzen?

höchstens 2000 Zeichen

Frage 3: Wie geeignet sind Ihrer Meinung nach die nachstehend aufgeführten Ansätze, um dem Bedarf von Patienten mit seltenen Krankheiten besser gerecht zu werden?

höchstens 1 Matrixzeile(n) zu beantworten

	Sehr geeignet	Relativ geeignet	Überhaupt nicht geeignet
--	---------------	------------------	--------------------------

<p>Bei der Prüfung, ob ein bestimmtes Arzneimittel förderfähig ist, ist die Seltenheit der Erkrankung - die Gesamtzahl der Fälle einer Erkrankung zu einem bestimmten Zeitpunkt, derzeit weniger als 5 von 10 000 Personen - das wichtigste Kriterium der EU-Vorschriften über Arzneimittel für Patienten, die an seltenen Erkrankungen leiden.</p>	○	○	○
<p>Einige Erkrankungen treten häufig auf, dauern jedoch relativ kurze Zeit (z. B. einige seltene Krebserkrankungen). Diese fallen auch unter die EU-Vorschriften über Arzneimittel für seltene Krankheiten und den Grundsatz der Seltenheit. Da viele Patienten solche Krankheiten jedoch während eines bestimmten begrenzten Zeitraums bekommen, sollten diese Krankheiten in der EU <u>nicht</u> mehr als selten gelten.</p>	○	○	○
<p>Von allen Arzneimitteln für seltene Erkrankungen, die den Patienten in der EU zur Verfügung stehen, sollten nur solche Arzneimittel gefördert werden, die einen eindeutigen Nutzen für die Patienten bringen. Es sollten klare Regeln gelten, um zu entscheiden, ob ein Arzneimittel den Patienten im Vergleich zu jeder anderen in der EU verfügbaren Behandlung einer bestimmten seltenen Krankheit einen eindeutigen Nutzen bringt.</p>	○	○	○
<p>Für Arzneimittel, die die Versorgungslücke bei Patienten mit seltenen Erkrankungen decken können, sollte es zusätzliche Anreize geben, beispielsweise in Bereichen, in denen bisher eine Behandlung fehlt.</p>	○	○	○

Sonstiges (bitte geben Sie an, welche anderen Kriterien/Ansätze Ihrer Ansicht nach relevant sein könnten).

höchstens 2000 Zeichen

Frage 4: Welche Faktoren sind bei der Entscheidung darüber zu berücksichtigen, ob ein Arzneimittel für eine seltene Erkrankung im Vergleich zu anderen verfügbaren Behandlungsmöglichkeiten mehr Nutzen bringt?

höchstens 2000 Zeichen

Frage 5: Was ist Ihrer Ansicht nach eine therapeutische Versorgungslücke bei Kindern und Patienten mit seltenen Erkrankungen?

- Zugelassene Arzneimittel für eine bestimmte seltene Erkrankung oder eine Erkrankung im Kindesalter sind nicht verfügbar, und es gibt keine anderen medizinischen Behandlungen (z. B. chirurgischer Eingriff).
- Behandlungen sind bereits verfügbar, ihre Wirksamkeit und/oder Sicherheit ist jedoch nicht optimal. So erlauben sie zum Beispiel nur eine symptomatische Behandlung.
- Behandlungen sind verfügbar, stellen jedoch eine erhöhte Belastung für die Patienten dar. Beispielsweise häufige Besuche im Krankenhaus, um sich das Arzneimittel verabreichen zu lassen.
- Behandlungen sind verfügbar, aber nicht für alle Patientenuntergruppen geeignet. Es gibt beispielsweise keine speziellen Dosierungen und/oder Darreichungsformen wie Sirup oder Tropfen für Kinder.

Sonstiges (bitte angeben)

höchstens 2000 Zeichen

Frage 6: Welche der folgenden Maßnahmen wären Ihrer Ansicht nach am wirksamsten, um die Entwicklung von Arzneimitteln zur Schließung einer therapeutischen Versorgungslücke bei Patienten, die an einer seltenen Krankheit leiden, und/oder bei Kindern zu fördern? (1 = am wenigsten wirksam, 10 am wirksamsten)

höchstens 1 Matrixzeile(n) zu beantworten

	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Unterstützung bei der Forschung und Entwicklung, wobei Arzneimittel, die sich in der Entwicklung befinden, nationale und/oder EU-Mittel erhalten können	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○

Zusätzliche wissenschaftliche Unterstützung für die Entwicklung von Arzneimitteln durch die Europäische Arzneimittel-Agentur	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
Unterstützung bei Zulassungsverfahren, z. B. vorrangige Überprüfung des Antrags durch die Europäische Arzneimittel-Agentur und/oder beschleunigte Zulassung durch die Europäische Kommission	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
Zusätzliche Anreize nach der Zulassung, die die derzeitigen Anreize ergänzen oder ersetzen	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>

Haben Sie weitere Vorschläge, wie die EU die Entwicklung bestimmter Arzneimittel vorantreiben könnte?

höchstens 2000 Zeichen

Sehen Sie Nachteile in Bezug auf die oben genannten Ansätze? Bitte erläutern Sie diese.

höchstens 2000 Zeichen

Frage 7: Welche der folgenden Optionen könnten Ihrer Ansicht nach allen Patienten in der EU (unabhängig davon, wo sie in der EU leben) dabei helfen, ihnen einen besseren Zugang zu Arzneimitteln und Behandlungen für Kinder oder seltene Krankheiten zu verschaffen?

- Bessere Verfügbarkeit alternativer Behandlungsmöglichkeiten. Beispielsweise, indem ermöglicht wird, dass ein Generikum oder ein Biosimilar schneller auf den Markt gelangt.

- Unternehmen, die das kommerzielle Interesse an einem Arzneimittel für seltene Krankheiten oder Arzneimittel für Krankheiten im Kindesalter verlieren, sollten ihr Produkt an ein anderes Unternehmen übertragen können, was die weitere Entwicklung und die Marktcontinuität fördern würde.
- Damit Unternehmen uneingeschränkte Unterstützung und Anreize in Anspruch nehmen können, müssen Produkte in allen Mitgliedstaaten, die eine Versorgungslücke aufweisen, zeitnah in Verkehr gebracht werden, sobald sie eine Marktzulassung erhalten haben.

Sonstiges (bitte geben Sie an, welche andere Lösung Ihrer Ansicht nach relevant sein könnte).

höchstens 2000 Zeichen

Frage 8: Die meisten Arzneimittel für seltene Krankheiten sind innovative Arzneimittel. In einigen Fällen kann jedoch ein älteres, bekanntes Arzneimittel für eine häufige Krankheit zusätzlich für die Behandlung einer seltenen Krankheit zugelassen werden (d. h., es werden vorhandene zugelassene Arzneimittel für neue medizinische Indikationen verwendet). Was wäre Ihrer Meinung nach die geeignete Vorgehensweise, um Anreize für innovative Arzneimittel zu setzen, wenn bereits andere Behandlungen zur Verfügung stehen?

- Sowohl für neue, innovative Arzneimittel als auch für bekannte Arzneimittel, die zur Behandlung einer seltenen Krankheit eingesetzt werden, sollten die gleichen Anreize bestehen.
- Für neue, innovative Arzneimittel zur Behandlung seltener Krankheiten sollten mehr Anreize gewährt werden.
- Weiß nicht/keine Meinung

Frage 9: Obwohl es bereits ein spezielles Verfahren (Zulassung für die pädiatrische Verwendung) in der Verordnung über Kinderarzneimittel gibt, wurden viele ältere Arzneimittel, die derzeit zur Behandlung von Kindern angewendet werden, nur zur Anwendung bei Erwachsenen geprüft, weshalb bislang eine geeignete Dosierung oder Darreichungsform für die Anwendung bei jüngeren Patienten fehlt. Die Entwicklung von Arzneimitteln, die für die Anwendung bei Kindern angepasst wurden, könnte jedoch auch dazu führen, dass ein Arzneimittel teurer ist als das entsprechende für erwachsene Patienten bestimmte Arzneimittel. Was denken Sie darüber:

Sollte die Entwicklung einer für Kinder geeigneten Dosierung oder Darreichungsform solcher älteren Arzneimittel gefördert werden, auch wenn deren Preis höher ist als der der verfügbaren Alternativen?

- Ja
- Nein
- Weiß nicht/keine Meinung

Bitte erläutern Sie Ihre Antwort.

höchstens 2000 Zeichen

Wie würden Sie die weitere Entwicklung einer für Kinder geeigneten Dosierung oder Darreichungsform solcher älteren Arzneimittel fördern?

höchstens 2000 Zeichen

Wie kann sichergestellt werden, dass solchermaßen entwickelte Arzneimittel für Unternehmen angemessen rentabel sind und auch tatsächlich die Patienten erreichen?

höchstens 2000 Zeichen