

Synergien und Effizienzsteigerung durch das EU-HTA – Wie sieht es aus nationaler Perspektive aus?



Mit dem EU-HTA ist eine neue Ära der europäischen Arzneimittelbewertung eingeleitet, die Chancen für mehr Harmonisierung bietet, gleichzeitig aber komplexe Herausforderungen im Zusammenspiel mit nationalen Bewertungsverfahren eröffnet. Nach der erstmaligen Erstellung der Delta-Dossiers, die parallel zum EU-HTA-Prozess ausgearbeitet wurden, bietet sich die Gelegenheit für eine erste Zwischenbilanz.

Die jüngsten regulatorischen Anpassungen in Deutschland markieren einen wichtigen Schritt, um nationale Bewertungsprozesse mit den europäischen Vorgaben zu harmonisieren. Gleichwohl zeigen sich bei der operativen Umsetzung deutliche Spannungsfelder, die potenziell weitreichende Auswirkungen auf den nationalen Marktzugang haben. Zentral ist die Frage, inwiefern die methodische und inhaltliche Ausrichtung des EU-HTA-Dossiers mit den nationalen Anforderungen kompatibel ist.

■ Ein Beispiel aus der Praxis

Das Market-Access-Team eines europäischen Landes benötigt Responder-Analysen eines patientenberichteten Endpunktes mit einer in der Literatur berichteten Relevanzschwelle (minimal clinical important difference, MCID), die nicht der Anforderung des IQWiG – der bekannten 15%-Regel – entspricht. Das Team, das für die Erstellung des EU-Dossiers verantwortlich ist, wägt ab. Ohnehin hat man sich dagegen entschieden, die Analyse basierend auf der 15%-Regel in das EU-Dossier aufzunehmen – zu speziell scheint sie dem europäischen Team. Am Ende wird dem deutschen Team, das gerade am Dossier für die frühe Nutzenbewertung arbeitet, mitgeteilt, dass lediglich die Analysen mit den MCID aus der Literatur in das EU-Dossier aufgenommen werden. Das deutsche Team fragt eilig die entsprechende Analyse für das deutsche Dossier an und pflegt sie, als einzige Datendarstellung, in das deutsche Dossier ein – für alle anderen Daten wird die Verweismöglichkeit genutzt. Es verbleibt die Unsicherheit, wie mit den Analysen der patientenberichteten Endpunkte aus dem EU-Dossier im deutschen Kontext umgegangen wird.

■ Das EU-Dossier – ein europäisches Dokument als nationales Werkzeug

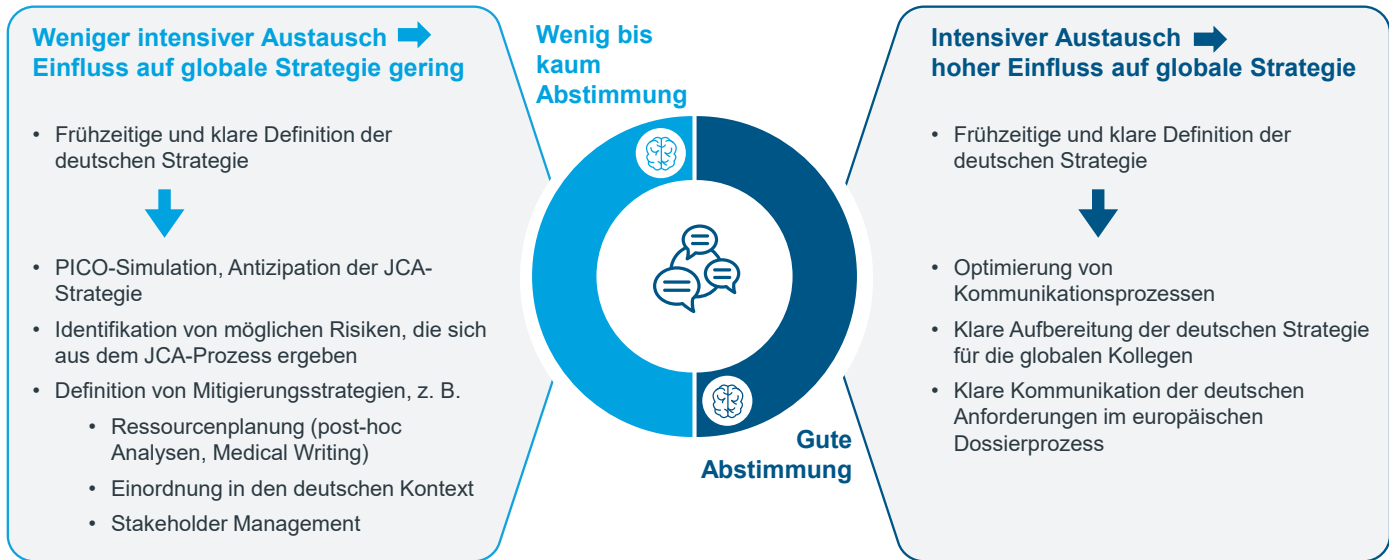
Perspektivwechsel. Das EU-HTA ist angetreten, allen Mitgliedstaaten eine HTA-Bewertung zur Verfügung zu stellen und der Fragmentierung innerhalb der EU entgegenzuwirken. Insbesondere geht es auch um die Vermeidung von Mehrfacharbeit: einmal im EU-Dossier eingereichte Daten sollen national nicht noch einmal eingereicht werden. Der auf Basis des EU-Dossiers erstellte Bericht soll im Rahmen des nationalen HTA-Prozesses herangezogen und für Erstattungsentscheidungen verwendet werden. Auch in Deutschland wurde die Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) sowie die Verfahrensordnung des G-BA angepasst, um eine Integration mit dem EU-HTA zu ermöglichen.

Das vorangestellte Beispiel zeigt jedoch, welche Herausforderungen das EU-HTA für den nationalen Market Access mit sich bringen kann. Sie entstehen zwangsläufig, weil der Endzweck des paneuropäischen EU-Dossiers (und des darauf aufbauenden JCA-Berichtes) die nationale Erstattungsentscheidung ist. Solange die Erstattung

nicht auf europäischer Ebene geregelt ist, ist und bleibt das EU-Dossier ein Werkzeug in den Händen lokaler Market-Access-Teams, um in ihren Märkten die Erstattung des innovativen Arzneimittels sicherzustellen. Gleichzeitig werden durch das EU-Dossier Entscheidungen auf die europäische oder globale Ebene gehoben, auf der in vielen Unternehmen die Teams sitzen, die das EU-Dossier erstellen. Fragen hinsichtlich der *Value Communication* oder der Produktpositionierung werden viel deutlicher als vorher von globaler Ebene beeinflusst.

■ Spannungsfelder in der Ausrichtung des EU-Dossiers

Ein Spannungsfeld, dass durch diese Verschiebung der Entscheidungsebene entsteht, ist das Austarieren der Bedürfnisse verschiedener europäischer Länder. So ist eine Ausrichtung aller Analysen an den Anforderungen des AMNOG für Deutschland günstig, nicht unbedingt aber nützlich für andere Länder. Diese müssen dann dennoch Daten ergänzen oder in den lokalen Kontext einordnen. Für das Unternehmen stellt sich also die Frage, ob der Fokus auf bestimmte



JCA: Joint Clinical Assessment.
© 2025, IQVIA Commercial GmbH & Co. OHG. All rights reserved. – IQVIA Jahrestagung



Schlüsselmärkte zu Lasten anderer Märkte gehen kann. Dies gilt besonders, wenn nationale Einreichungen in diesen Ländern nur begrenzt möglich oder sinnvoll sind.

Das Beispiel am Anfang des Artikels illustriert das Problem, dass Anforderungen verschiedener Länder adressiert werden müssen. Allerdings betrifft das nicht nur die Darstellung und Auswertung verschiedener Endpunkte. Ein weiteres, viel diskutiertes Beispiel aus der Praxis sind indirekte Vergleiche, für die die methodischen Anforderungen zwischen den Ländern variieren können. Auch wenn methodische Abweichungen dazu führen, dass ein indirekter Vergleich im deutschen Kontext nicht verwertbar wäre, stellt sich dem deutschen Team die Frage, ob und in welchem Kontext eine Diskussion der Daten erfolgen sollte. Weitere Beispiele können Unterschiede in der Auslegung der epidemiologischen Daten verschiedener Patientengruppen oder die Produktpositionierung sein, die sich aus unterschiedlichen Versorgungsstrukturen ergeben. Auch letzteres wird eine Einordnung notwendig machen, wenn man nicht über scheinbare Widersprüche zwischen dem Vorgehen in Deutschland und in anderen Ländern stolpern will. Ein weiteres Spannungsfeld entsteht zwi-

schen dem Ziel, Doppelarbeit zu vermeiden und einer strategisch optimalen nationalen HTA-Strategie. Auch wenn das EU-Dossier die nationalen Anforderungen formal erfüllt, stellt sich oft die Frage, ob zusätzliche Daten eingepflegt werden sollen. Verschärft wird das Dilemma dadurch, dass neue Daten auch einen Kontext brauchen. Über die Wirkung der Darstellung isolierter Analysen ohne weiteren Kontext besteht große Unsicherheit. Das gilt beispielsweise für Sensitivitätsanalysen, die formal optional sind, aber einen für den deutschen Kontext wichtigen Punkt stärken können. Wer die nationale HTA-Strategie optimieren will, wird sich oft für die zusätzliche Ergänzung von Daten und Text entscheiden, um die sinnvolle Interpretation der zusätzlich gezeigten Daten zu ermöglichen oder ein Voll-dossier schreiben, d.h. keinerlei Verweismöglichkeiten nutzen.

Auch für dieses Problem lassen sich leicht weitere Beispiele finden. Ein neuralgischer Punkt: die Beschreibung der Studienmethodik im Dossier. Die Darstellung im EU-Dossier erfüllt oft die Anforderungen der deutschen Nutzenbewertung, aber die Erfahrung zeigt, dass im deutschen Kontext viele Aspekte der besonderen Erläuterung bedürfen. Dies gilt beispielsweise bei bislang nicht bewerteten

Endpunkten, deren Validität und Patientenrelevanz für die deutsche Nutzenbewertung gesondert dargestellt werden muss. Auch hier steht das nationale Team vor der Frage, wie viel Kontext geliefert werden soll, um eine sinnvolle Interpretation der dargestellten Daten und Argumente zu ermöglichen. Dies gilt besonders, da die Grenze zur „Doppeleinreichung“, die ja vermieden werden soll, bei den narrativen oder diskursiven Abschnitten des Dossiers nicht klar zu ziehen ist.

■ Vertikale Integration für den Umgang mit diesen Herausforderungen entscheidend

Wie lässt sich mit diesen Herausforderungen umgehen? Der Antwort ist sehr unternehmensspezifisch und hängt stark von dem Ausmaß ab, in dem der Austausch zwischen dem EU-Dossier-Team und dem lokalen Market-Access-Teams strukturiert wird. Die Erfahrung lässt zwei Pole erkennen. In vielen Fällen erfolgt eine enge Zusammenarbeit zwischen den nationalen HTA-Teams und dem EU-Dossier-Team, bis hin zu dem Modell, dass die nationalen Teams Teil des EU-Dossier-Teams sind. Trotz der guten Integration ist eine klare Kommunikation der

nationalen Anforderungen und Strategien notwendig, da diese nicht mehr nur in den Händen der lokalen Dossier-Teams bleibt. Inhaltliche Veränderungen des EU-Dossiers sollten darüber hinaus kontinuierlich überprüft werden, um rechtzeitig Anpassungen am nationalen Dossier zu ermöglichen.

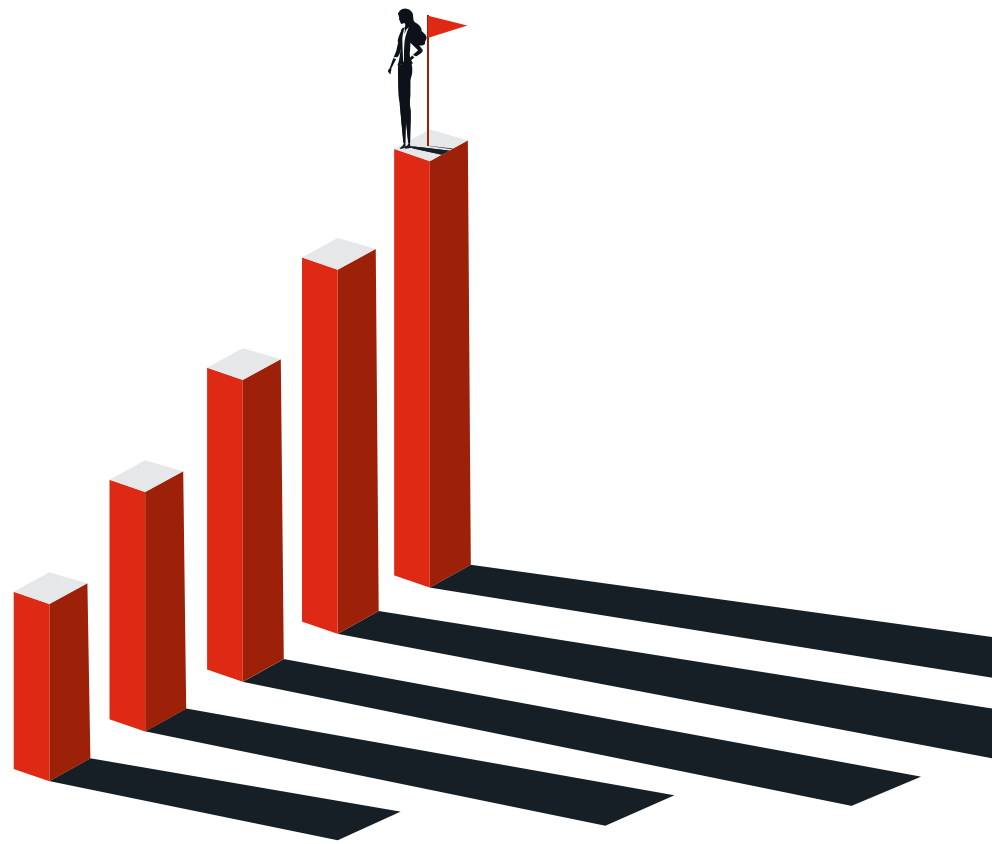
Das andere Extrem stellen Unternehmen dar, in denen die Entwicklung des EU-Dossiers eher isoliert erfolgt und der Austausch mit den nationalen Teams nur an definierten Stellen möglich ist. Die lokalen Teams müssen hier eher einen Ansatz der Risikomitigierung verfolgen: mögliche Szenarien abschätzen, frühzeitig im deutschen Kontext diskutieren und entscheiden, wie im lokalen HTA-Prozess damit umgegangen werden soll. In manchen Fällen kann es auch notwendig sein, Teile des lokalen Dossiers vorzubereiten, auch auf die Gefahr hin, sie bei Redundanz wieder streichen zu müssen.

Wie eingangs betont darf auf globaler/europäischer Ebene nicht vergessen werden, dass Market Access nach wie vor national stattfinden. Das EU-Dossier-Team muss verstehen, dass es ein Werkzeug für die Erstattung in den jeweiligen Märkten vorbereitet. Insofern hat das EU-Dossier Ähnlichkeit zum

Global Value Dossier, mit dem Unterschied, dass die Wahrnehmung des JCA-Dossiers in den nationalen Prozessen unabdingbar ist. Daher werden nationale Anforderungen noch stärker in globale Entscheidungsprozesse integriert werden müssen.

■ Fazit & Ausblick

Inwiefern das EU-HTA auf absehbare Zeit eine Arbeitersparnis für die pharmazeutischen Unternehmen sein wird, wird sich in den nächsten Jahren erweisen. Im Moment lässt sich feststellen, dass sich neue Herausforderungen ergeben und die Integration der Anforderungen verschiedener Länder und die Einbettung des EU-Dossiers in nationale Market-Access-Strategien neue Fragen mit sich bringt. Langfristig stellt sich die Frage der Rückwirkung des EU-HTA auf die Market-Access-Landschaft in Europa. Eine größere Ausrichtung einzelner Länder an den Anforderungen des EU-Dossiers und damit eine Reduktion der Fragmentierung mag auf lange Sicht eine leichtere Passung des EU-Dossiers für lokale Märkte ermöglichen – vielleicht ist dann mit einem Verweis auf das EU-Dossier wirklich alles gesagt.



AUTOREN



Dr. Penelope Gallinger
Principal
IQVIA Consulting Services



Dr. Johannes Klaus
Engagement Manager,
IQVIA Consulting Services
Kontakt: Klaus.Johannes@iqvia.com