



## **Gemeinsame Stellungnahme der Bundesärztekammer (BÄK) und der Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ)**

zum

Entwurf einer Verordnung über das Inverkehrbringen von  
Arzneimitteln ohne Genehmigung oder Zulassung in  
Härtefällen

Berlin, 10.05.2010

1. Ziel dieser Härtefallprogramme ist es, den Zugang für Schwerstkranke für die Behandlung mit Arzneimitteln, die sich noch in der Entwicklung befinden, zu verbessern. Es soll die rasche Bereitstellung eines nicht zugelassenen Arzneimittels für eine medizinisch indizierte Therapie erleichtert werden, wenn therapeutische Alternativen entweder nicht zur Verfügung stehen oder erfolglos oder aus sonstigen medizinischen Gründen nicht durchführbar waren. Regelungen zur Erreichung dieses Ziels sind grundsätzlich zu begrüßen und der Erlass einer Verordnung nach § 21 bzw. § 80 des Arzneimittelgesetzes (AMG) zur Regelung erscheint ein geeignetes rechtliches Instrument.

2. Das Härtefallprogramm wird in den Begriffsbestimmungen als „compassionate use“-Programm nach der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 eingeordnet; dieser Einordnung stimmen BÄK und AkdÄ zu. Damit ist das Härtefallprogramm einem Heilversuch näher als der klinischen Prüfung und daher nicht geeignet, eine klinische Prüfung zu ersetzen oder um Daten für Zulassungsanträge zu gewinnen. Diese Aussage sollte zur Verdeutlichung in § 2 (1) als Satz 3 eingefügt werden. Weiterhin sollte klargestellt werden, dass ein solches Programm lediglich aufgelegt werden kann, wenn sich das betreffende Arzneimittel in der klinischen Prüfung zumindest der Phase III bzw. – in besonderen Ausnahmefällen – der Phase II befindet.

3. Gegenüber dem Heilversuch einerseits und der klinischen Prüfung andererseits ergeben sich Aspekte, die das Härtefallprogramm als besondere Entität erscheinen lassen. Diesem Umstand wird durch die rechtlichen Regelungen §§ 3 ff. Rechnung getragen. Diese Regelungen sind grundsätzlich zu unterstützen.

Wegen der grundsätzlichen Gefahr des Umgehens der Anforderungen nach §§ 40 AMG sollten Patientensicherheit und Patientenschutz in der Verordnung deutlich zum Ausdruck gebracht werden. Dies gilt insbesondere vor dem Hintergrund, dass sich Härtefallprogramme auf Patientengruppen beziehen. Besondere Vorsicht ist geboten bei der Einbeziehung von Patientengruppen, die aus Sicherheitsgründen von der Teilnahme an einer laufenden klinischen Prüfung zu dem betreffenden Arzneimittel ausgeschlossen wurden.

4. Zu den Regelungen werden folgende Anmerkungen gemacht:

§ 3 (1) Es sollte klargestellt werden, dass die Person, die die Verantwortung übernimmt, diese Aufgabe ausschließlich in enger Verbindung mit dem pharmazeutischen Unternehmer, der über sämtliche Unterlagen zu dem sich in Prüfung befindlichen Arzneimittel verfügt und die GMP-gerechte Herstellung und überwachte Auslieferung des betreffenden Arzneimittels garantieren kann, wahrnehmen kann. Auch § 4 (6) macht diesen engen Zusammenhang erforderlich.

Als verantwortliche Person ist lediglich im Begründungstext der Antragsteller der Zulassung/Genehmigung bzw. der Sponsor der klinischen Prüfung vorgesehen. Zur Klarstellung sollte eine Definition der verantwortlichen Person an dieser Stelle in den Verordnungstext aufgenommen werden.

§ 3 (2) Nr. 11: Es erscheint nicht vertretbar, dass ein Arzneimittel, dessen Zulassung versagt, zurückgenommen, widerrufen oder ruhend gestellt worden ist, in einem Härtefallprogramm angewendet wird. Ebendies gilt auch für ein Arzneimittel, dessen weitere Entwicklung vom Pharmazeutischen Unternehmer eingestellt wurde. Dieser Tatbestand sollte in die VO aufgenommen werden.

§ 3 (2) Nr.12: Es sollte dem für die Anwendung im „compassionate use“-Programm verantwortlichen Arzt/der Ärztin die Information zur Verfügung gestellt werden, die auch der Prüferin oder dem Prüfer in der klinischen Prüfung zur Verfügung gestellt wird. Der im Antrag auf Zulassung oder Genehmigung vorgesehene Entwurf der Zusammenfassung der Produktmerkmale des Arzneimittels erscheint nicht ausreichend.

§ 3 (2) Nr. 13 und 14: Bei der klinischen Prüfung von Arzneimitteln obliegt die Prüfung von Patientenunterlagen und des Verfahrens zur Einholung der Einwilligung nach Aufklärung der Ethik-Kommission. Auch die Prüfung der Geeignetheit an die ärztlichen Einrichtungen und an die Qualifikation der Prüfer ist bei der klinischen Prüfung von Arzneimitteln Aufgabe der Ethik-Kommission. Es bestehen Bedenken, für diese Aspekte auf die Einbeziehung einer Ethik-Kommission zu verzichten. Da die Anzeige eines Härtefallprogramms eine laufende klinische Prüfung oder ein Zulassungsverfahren und damit eine bereits erfolgte Überprüfung der genannten Aspekte voraussetzt, könnte die Ethik-Kommission im Rahmen einer Einvernehmensregelung einbezogen werden.

§ 5 (1) Nr. 2: Es bestehen Bedenken, auf die Einbeziehung einer Ethikkommission zu verzichten.

5. Folgende Punkte bleiben ungeklärt und sollten in der VO einer Regelung/Klärung zugeführt werden.

5.1 In § 3 fehlt eine ausreichende Festlegung der Kriterien, die vorliegen müssen, um eine ausreichende Begründung für die Initiierung eines Härtefallprogramms zu begründen.

5.2 In § 3 ist bislang nicht vorgesehen, dass und unter welchen Umständen bzw. nach welchen Kriterien ein Härtefallprogramm abgebrochen werden muss.

5.3 Es wird eine Aussage zur Haftungsregelung (analog § 40 (3)), zum Versicherungsschutz der Teilnehmer an einem Härtefallprogramm, zur Versicherung des durchführenden Arztes und zum Datenschutz vermisst.

5.4 Die Frage der Produkthaftung ist nicht angesprochen.

5.5 Ebenfalls nicht angesprochen sind Bestimmungen zur Zulässigkeit der gleichzeitigen Teilnahme an einer klinischen Prüfung.