



Marx, E., Ahrens, L., Stengel, S., Ecker, T.

EU-HTA ab 2025: Ergebnisse zum Scoping-Verfahren

Zielsetzung

Zum Start des obligatorischen HTA auf EU-Ebene im Jahr 2025 bedarf es einer Struktur, die sowohl Bewertungsbehörden als auch Hersteller verlässlich und effizient durch den HTA-Prozess führt. Die dafür notwendigen Regularien werden derzeit in Form von Guidelines von der EUnetHTA 21 entwickelt. Von besonderer Bedeutung ist dabei das Scoping, da hier die im EU-HTA zu beantwortenden wissenschaftlichen Fragestellungen festgelegt werden. Bei der Entwicklung dieser Guideline sollen Stakeholder mittels eines Stellungnahmeprozesses involviert werden. Unklar ist, ob und inwiefern die dabei identifizierte Kritik durch die EUnetHTA 21 adressiert wird.

Methodik

Am Beispiel der Scoping-Guideline (ID D4.2) wird untersucht, welche Hürden aus Sicht der Stellungnehmer in Bezug auf den geplanten Scoping-Prozess bestehen und ob diese von der EUnetHTA 21 in der finalen Version adressiert wurden. Hierzu werden erst die veröffentlichten Kommentare zu wesentlichen Kernpunkten konsolidiert. Entwurf und finale Version der Guideline werden danach automatisch verglichen, um daraus abzuleiten, welche Anpassungen von der EUnetHTA 21 vorgenommen wurden.

Ergebnisse

Der Entwurf der Scoping-Guideline wurde vom 2. bis 31. Mai 2022 zur Stellungnahme gestellt. Die finale Fassung wurde am 12. September 2022 veröffentlicht. Insgesamt haben 27 Parteien (Verbände, Hersteller, Dienstleister) kommentiert. Neben den europäischen Verbänden wurden jedoch lediglich aus 4 EU-Mitgliedsstaaten (sowie Schweiz und UK) Kommentare eingereicht. Besonders die folgenden vier Kernpunkte werden als kritisch gesehen:

1. Intransparentes Verfahren zur Bestimmung des PICO-Schemas, welches nationale Interessen über wissenschaftliche Erkenntnisse stellt

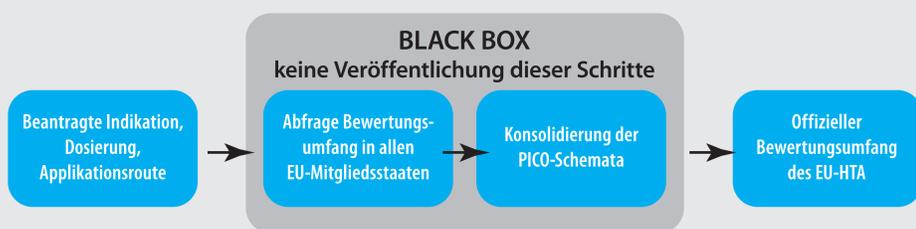


Abbildung 1: Ablauf des Scoping-Verfahrens

→ Für die auf das EU-HTA folgenden nationalen Bewertungsprozesse sind Informationen zu den eingereichten PICO-Schemata der Mitgliedsstaaten unumgänglich.

2. Fehlen verbindlicher und realistischer Timelines für den gesamten Prozess

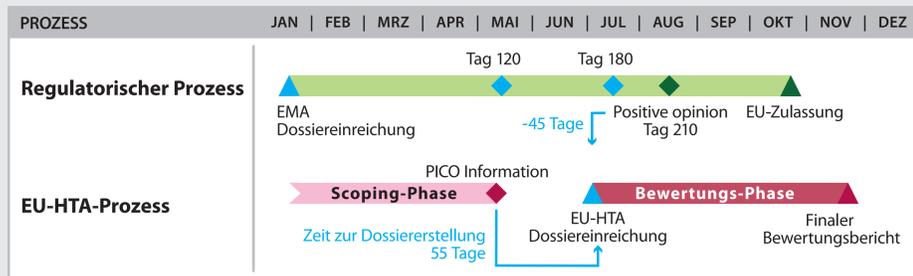


Tabelle 1: Timeline des EU-HTA-Prozesses

- Der Zeitpunkt der Dossiereinreichung ist nicht konkret zu bestimmen, da dieser von einem Ereignis in der Zukunft abhängt (45 Tage vor Positive Opinion).
- Auswirkungen der Clock Stops im regulatorischen Prozess auf den EU-HTA-Prozess bleiben unklar.

3. Keine Beteiligung der Hersteller am Scoping-Prozess

- Der Scoping-Prozess basiert auf der bei der Zulassung beantragten Indikation, Dosierung und Applikation. Der Hersteller hat keine Möglichkeit zusätzliche Informationen zur Verfügung zu stellen.
- Der Hersteller hat keine Möglichkeit zur Stellungnahme zum festgelegten PICO-Schema.

4. Definition zahlreicher PICO-Schemata

Anforderung der Länder	DE	FR	ES
Population	1	2	1
Komparator (ein Komparator kann mehrere Komponenten umfassen)	A	A	A
	ODER B	ODER B	
		ODER C	C
			UND D

Konsolidiertes EU-PICO	No.1	No.2	No.3	No.4
Population	1	1	1	2
Komparator	A ODER B	C	D	A

Tabelle 2: Beispiel einer PICO-Konsolidierung (Komparator wird ausgeschlossen; Komparator eingeschlossen)

- Der Konsolidierungsprozess kann zu einer Vielzahl an PICO-Schemata führen.
- Gleichzeitig soll der minimale gemeinsame Nenner gebildet werden. Komparatoren, die als ODER-Verknüpfungen von einem Mitgliedsstaat genannt werden, könnten bei der Konsolidierungsphase gestrichen werden.

Textvergleich des Entwurfs vs. der finalen Version der Scoping-Guideline

- Ein Abgleich des Entwurfs und der finalen Scoping-Guideline zeigt, dass lediglich sehr wenige Änderungen vorgenommen wurden. Anpassungen wurden vor allem auf sprachlicher Ebene durchgeführt.
- Einzige inhaltliche Änderung ist das Streichen der Formulierung, dass durch das konsolidierte PICO-Schema die Anforderungen jedes Mitgliedslandes berücksichtigt werden müsse. Fälle, bei denen ein PICO von lediglich einem Mitgliedsstaat gefordert wird, sollen laut der finalen Leitlinie diskutiert werden.
- Die vier oben genannten, in den Kommentaren der Stakeholder adressierten inhaltlichen Kritikpunkte wurden nicht berücksichtigt.

PICO: Population, Indikation, Komparator (comparator), Endpunkte (outcomes)

Fazit

- Keiner der vier identifizierten Kernpunkte der Stellungnahmen wurde in der finalen Guideline umgesetzt. Aus den Kommentaren der EUnetHTA 21 geht nicht hervor, wieso eine Umsetzung abgelehnt wurde. Der Einfluss der Stakeholder auf die Ausgestaltung der Guideline scheint bislang äußerst begrenzt.
- Als Antwort auf eine Vielzahl der Kommentare wurde von der EUnetHTA 21 genannt, dass der Kommentar „out of scope“ der entsprechenden Guideline sei und nähere Informationen in den Implementing Acts folgen werden. Aufgrund der Tatsache, dass die Implementing Acts erst kurz vor Start des EU-HTA 2025 erwartet werden, bleibt die Frage, wie sich Hersteller auf diese kurzfristigen Anforderungen einstellen können.

- Eine Möglichkeit, die Hersteller nutzen sollten, sind frühzeitige Beratungsgespräche, auch auf nationaler Ebene. Überlegungen zu notwendigen organisatorischen Anpassungen sowie eine Strategieentwicklung für das gesamte Produktportfolio können ebenfalls bereits jetzt adressiert werden um möglichst pragmatische Lösungsansätze für das kommende EU-HTA zu finden.

Referenzen

- Regulation (EU) 2021/2282
- EUnetHTA 21 Practical Guideline D4.2 Scoping Process Version 1.0, 12.09.2022
- EUnetHTA 21 – Individual Practical Guideline Document – Practical Guideline Scoping Process Version 0.3, 02.05.2022
- EUnetHTA 21 Public Consultation - Merged comment form D4.2 – Scoping phase