

GNP Gesellschaft für Neuropädiatrie e.V.
c/o Dr. von Haunersches Kinderspital | LMU Klinikum der Universität München
Univ. Prof. Dr. med. Prof. h.c. Florian Heinen | Lindwurmstr. 4 | 80337 München

An die AWMF
per mail



Präsident:
Univ. Prof. Dr. med. Prof. h.c. Florian Heinen

Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin
Facharzt für Neurologie
Schwerpunkt Neuropädiatrie

LMU | Klinikum der Universität München | Campus
Innenstadt | Dr. von Haunersches Kinderspital

Leiter der Abteilung Neuropädiatrie |
Neuroscience | Integrierte Sozialpädiatrie

Ärztlicher Direktor | LMU Zentrum für Entwicklung
und komplex chronisch kranke Kinder | iSPZ Hauner

Lindwurmstr. 4, 80337 München



Gesellschaft für Neuropädiatrie e.V. – GNP

Präs.: Univ. Prof. Dr. med. Prof. h.c. Florian Heinen
Vizepräsident: Prof. Dr. med. Matthias Kieslich
Schatzmeister: Prof. Dr. med. Thomas Lücke
Schriftführerin: Prof. Dr. med. Maja von der Hagen
Beisitzerinnen: PD Dr. med. Andrea Klein (Schweiz)
Dr. med. Manuela Baumgartner (Österreich)

Amtsgericht Mannheim VR 330889

Tübingen und München, 16.02.2024

Stellungnahme der Gesellschaft für Neuropädiatrie (GNP) e.V. zum Referentenentwurf (Entwurf eines Medizinforschungsgesetzes) des Bundesministeriums für Gesundheit und des Bundesministeriums für Umwelt, Naturschutz, nukleare Sicherheit und Verbraucherschutz.

Federführend durch Prof. Dr. med. [Redacted] Tübingen

Die **Gesellschaft für Neuropädiatrie (GNP) e.V.** vertritt in Deutschland das gesamte Fachgebiet (Scherpunktfach Neuropädiatrie) von Neuropädiatrie/Kinderneurologie und Entwicklungsneurologie. Die GNP umfasst damit den mit weitem Abstand größten Bereich in der Kinder- und Jugendmedizin, sowohl hinsichtlich einzelner Krankheitsbilder – mit ihrem jeweiligen Höchstmaß an Differenzierung für Diagnose und Therapie, Beispiel neuromuskuläre Erkrankungen – als auch hinsichtlich der Gesamtzahl der betroffenen Patienten.

Die GNP begrüßt, dass durch eine Novellierung des Medizinforschungsgesetzes die Rahmenbedingungen für die Entwicklung, Zulassung und Herstellung von Arzneimitteln und Medizinprodukten und damit die Attraktivität des Standorts Deutschland im Bereich der

medizinischen Forschung verbessert werden soll, um damit den Zugang zu neuen Therapieoptionen für Patient:innen zu beschleunigen.

Für die GNP ist eine Novellierung des Medizinforschungsgesetzes deshalb von entscheidender Bedeutung, weil in der Neuropädiatrie ganz besonders all die Patient:innen behandelt werden, die an seltenen und ultra-seltenen Erkrankungen leiden. Die Erforschung der Pathophysiologie und der genetischen Grundlagen dieser Erkrankungen sind Voraussetzung für die Entwicklung neuer Therapieoptionen und erfolgt ganz überwiegend in der universitären Neuropädiatrie mit ihren entsprechenden Strukturmerkmalen. Hier wirkt sich aber die in den letzten Jahren kontinuierliche Entwicklung der Bürokratisierung zunehmend hemmend auf die Forschungsbereitschaft- und -leistung und -perspektive aus.

Dies hat dramatische Folgen für (1) die medizinische Versorgung von Kindern und Jugendlichen, (2) die internationale Wettbewerbsfähigkeit deutscher Universitätsmedizin und (3) die gesamte universitäre Pädiatrie, läuft sie doch Gefahr, auf ihrem ureigensten medizinischen Kompetenzfeld – dem der kindlichen Entwicklung und ihrer Erkrankungen – nicht mehr Akteur sein zu können.

Die geplante Vereinfachung, Entbürokratisierung und Beschleunigung der Genehmigungsverfahren für klinische Prüfungen und des Zulassungsverfahrens von Arzneimitteln und Medizinprodukten durch Änderungen insbesondere im Arzneimittelgesetz (AMG), im Medizinprodukte-Durchführungsgesetz (MPDG) und in der Arzneimittel- und Wirkstoffherstellungsverordnung (AMWHV) sind daher aus Sicht der GNP zur Sicherung der universitären Forschung als Grundlage der Entwicklung neuer Arzneimittel in der Neuropädiatrie tatsächlich von herausragender Bedeutung und sollten zeitnah realisiert werden.

Als Gesellschaft für Neuropädiatrie werden wir uns hier konstruktiv einbringen.

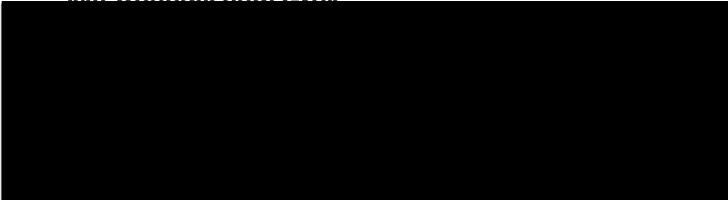
Die Ebnung des regulatorischen Wegs für die Durchführung dezentraler klinischer Prüfungen durch Sondervertriebswege für Prüf- und Hilfspräparate in § 47 AMG und insbesondere die Möglichkeit einer elektronischen Einwilligung in § 40b AMG wird ausdrücklich befürwortet, sofern die hohen Standards in der Patientensicherheit nicht davon berührt werden. Besonders die Beschleunigung der Genehmigung mononationaler klinischer Prüfungen in § 40 AMG würde vorbehaltlich ihrer inhaltlichen Ausstattung ggfs. eine Erleichterung darstellen. Aus dem Referentenentwurf wird jedoch nicht ersichtlich, durch welche Konkreten Änderungen diese Beschleunigung erreicht werden soll, so dass eine endgültige Aussage hierzu mit den vorliegenden Informationen nicht möglich ist.

Die in § 41b AMG vorgesehene Spezialisierung der registrierten Ethik-Kommissionen der Länder kann potentiell zu einer Beschleunigung der Genehmigungsverfahren beitragen. Es kann aber auch durch eine zusätzliche Arbeitsbelastung der im Zuge der Spezialisierung vermehrt in Anspruch genommenen spezialisierten Ethik-Kommissionen zu einer deutlichen Verlangsamung führen. Bereits heute sind die registrierten Ethikkommissionen der Länder von der Anzahl der Anträge überlastet und es wird eher einer Zunahme der Gesamtanzahl der Anträge erwartet. Hier müssten konkrete Verteilungsschlüssel festgelegt und Möglichkeiten der Hilfe durch andere Ethikkommissionen und erleichterte Übernahme gültiger positiver Voten ermöglicht und etabliert werden. Für komplexe Prüfungen soll in § 41c AMG eine Bundes-Ethik-Kommission eingerichtet werden. Ob diese zu einer Entbürokratisierung und Beschleunigung der Genehmigungsverfahren beitragen wird, ist ohne Kenntnis der geplanten personellen Ausstattung und Vernetzung (siehe oben) dieser Kommission nicht zu beurteilen.

Durch die Einführung einer Richtlinienbefugnis des Arbeitskreises Medizinischer Ethik-Kommissionen in der Bundesrepublik Deutschland e.V. in § 41d AMG sowie durch die Etablierung einer rechtlichen

Grundlage für die Veröffentlichung von Mustervertragsklauseln In § 42d AMG können deutschlandweit gültige Standards etabliert werden und damit eine Vereinfachung und Beschleunigung der Zulassungsverfahren durch Vereinheitlichung erreicht werden. Das ist vollumfänglich zu unterstützen (s.o.)

Mit freundlichem Gruß



für die **Gesellschaft für Neuropädiatrie (GNP)**

(zur Einhaltung der Deadline gegenüber der AWMF auch ohne Unterschrift gültig, unterschriebene Version wird am Montag, den 19.02.2024 nachgereicht)