

## Master-Abschlussarbeit

### Thema:

Einfluss von regulatorischen Anforderungen und Anreizprogrammen auf die Verfügbarkeit von pädiatrischen Medizinprodukten. Implikationen zur Verbesserung der Versorgung in der Europäischen Union.

### Zusammenfassung:

In der Europäischen Union (EU) ist die Verordnung (EU) 2017/745 über Medizinprodukte (*Medical Device Regulation*, MDR) am 25. Mai 2017 in Kraft getreten und hat bis auf einiger Übergangsbestimmungen zum 26. Mai 2021 die Medizinprodukte-Richtlinien 93/42/EWG über Medizinprodukte (*Medical Device Directive*, MDD) und 90/385/EWG über aktive implantierbare Medizinprodukte (AIMDD) abgelöst. Um den aktuellen medizinisch-wissenschaftlichen und technologischen Fortschritt Rechnung zu tragen, wurden u.a. die Anforderungen an die Hersteller und Benannten Stellen erhöht. Kurz gefasst bedeuten höhere Anforderungen jedoch auch ein finanzieller Mehraufwand für die Hersteller, was sich auf das Verhältnis von eingesetztem Kapital für Entwicklung und Konformitätserhaltung zu potenziellem Gewinn auswirkt (*Return of Invest*, ROI). Daher kam es bereits zu Abkündigungen von Medizinprodukten und bis zum Ende der Übergangsbestimmungen ist mit weiteren zu rechnen.

Ziel der vorliegenden Arbeit war es daher, die Verfügbarkeit von Medizinprodukten für Kinder bzw. Personen mit seltenen Leiden mit denen für Erwachsene bzw. großen Patientengruppen zu vergleichen und zu untersuchen, welchen potenziellen Einfluss die MDR auf die Verfügbarkeit dieser Produkte in der EU hat. Des Weiteren wurden internationale Strategien in Form von regulatorischen Anforderungen und Fördermaßnahmen für Hersteller zusammengetragen, welche die Versorgung von Kindern bzw. Personen mit seltenen Leiden mit Arzneimitteln und Medizinprodukten verbessern soll. Abschließend wurde skizziert, wie Lösungsstrategien für die EU erarbeitet werden könnten und welche der identifizierten internationalen Strategien geeignet erscheinen, um Anreize auf EU-Ebene zu schaffen.

Die systematische Literaturrecherche hat ergeben, dass nur ein kleiner Teil der Medizinprodukte speziell für pädiatrische Patienten entwickelt wird. Ein hoher ungedeckter medizinischer Bedarf besteht im Bereich der pädiatrischen Medizinprodukte typischerweise dort, wo es keine dem Erwachsenen ähnliche Erkrankung gibt oder die Abmessungen des Produktes nicht für die Anwendung an Kindern geeignet sind. Hinzu kommt, dass die Entwicklung von Medizinprodukten für Neugeborene mindestens 10 Jahre hinter der Entwicklung von Medizinprodukten für Erwachsene zurück liegt. Der Mangel an pädiatrischen Medizinprodukten wird in vielen Fällen durch „*Off-Label Use*“ von Produkten für Erwachsene kompensiert. Ebenfalls prekär ist die Situation bei den seltenen Leiden. In der EU sind zwischen 27 und 36 Millionen Menschen von seltenen Leiden betroffen, wobei die Hälfte der Betroffenen Kinder sind. Aufgrund der kleinen und inhomogenen Patientengruppen im Bereich Pädiatrie und seltenen Leiden ist der ROI für die Hersteller häufig nicht attraktiv und diese Produkte werden daher auch als „Nischenprodukte“ bezeichnet. Es wird erwartet, dass genau diese Produkte disproportional häufig von

Abkündigungen durch Umstellung auf die MDR betroffen sein werden und damit speziell die Versorgung von Kindern verschlechtert wird.

Es konnten insgesamt 24 verschiedene Maßnahmen mit Anforderungen und Förderungen identifiziert werden. Die Ergebnisse zeigen, dass in den USA bereits 1983 das erste Programm initiiert und seitdem global viele weitere Maßnahmen mit mehr oder weniger Erfolg hinzugekommen sind. In Anlehnung an US-amerikanische Programme sind in Japan (für Medizinprodukte) und der EU (für Arzneimittel) über die Zeit ähnliche Programme entstanden wie z. B. die Subventionierung von Forschungs- und Entwicklungskosten bzw. das Erlassen von Antragsgebühren und die Befreiung von den Anforderungen für die behördliche Zulassung sowie die vorrangige Prüfung und Beratung. Diese Programme aus Japan und den USA können dabei als Vorbild dienen, sind aber nicht direkt umsetzbar, da das regulatorische Umfeld in diesen Ländern anders als in der EU strukturiert ist. In einem systematischen Prozess sollten die interessierten Parteien gemeinsam die Ursachen für den Mangel an geeigneten Medizinprodukten identifizieren, auf das regulatorische Umfeld zugeschnittene Abhilfemaßnahmen entwickeln und Kennzahlen für den Erfolg definieren. Nach Implementierung der Maßnahmen sollte eine zentrale Funktion die Effektivität nachverfolgen, Berichte veröffentlichen und ggf. initiieren, dass vorhandene Maßnahmen verbessert oder abkündigt bzw. neue Maßnahmen entwickelt werden – idealerweise in Hinblick auf eine globale Harmonisierung.

Verfasser/in: Dr. Stephanie Hübner  
Betreuer/in: Prof. Dr. Heike Wachenhausen  
Datum der Abgabe: 03.12.2022