



Sachstand

Zur Veröffentlichungspflicht der Ergebnisse klinischer Prüfungen mit Arzneimitteln

Zur Veröffentlichungspflicht der Ergebnisse klinischer Prüfungen mit Arzneimitteln

Aktenzeichen: WD 9 - 3000 - 009/23
Abschluss der Arbeit: 02.03.2023
Fachbereich: WD 9: Gesundheit, Familie, Senioren, Frauen und Jugend

Die Wissenschaftlichen Dienste des Deutschen Bundestages unterstützen die Mitglieder des Deutschen Bundestages bei ihrer mandatsbezogenen Tätigkeit. Ihre Arbeiten geben nicht die Auffassung des Deutschen Bundestages, eines seiner Organe oder der Bundestagsverwaltung wieder. Vielmehr liegen sie in der fachlichen Verantwortung der Verfasserinnen und Verfasser sowie der Fachbereichsleitung. Arbeiten der Wissenschaftlichen Dienste geben nur den zum Zeitpunkt der Erstellung des Textes aktuellen Stand wieder und stellen eine individuelle Auftragsarbeit für einen Abgeordneten des Bundestages dar. Die Arbeiten können der Geheimschutzordnung des Bundestages unterliegende, geschützte oder andere nicht zur Veröffentlichung geeignete Informationen enthalten. Eine beabsichtigte Weitergabe oder Veröffentlichung ist vorab dem jeweiligen Fachbereich anzuzeigen und nur mit Angabe der Quelle zulässig. Der Fachbereich berät über die dabei zu berücksichtigenden Fragen.

Inhaltsverzeichnis

1.	Einleitung	4
2.	Übermittlungspflichten nach europäischem Recht	4
3.	Übermittlungspflichten nach nationalem Recht	8
4.	Weitere Transparenz-Initiativen	9

1. Einleitung

Bevor ein Arzneimittel zugelassen wird, wird anhand von klinischen Prüfungen ein Verständnis für dessen Wirkung, Nutzen und Nebenwirkungen gewonnen.¹ Zum Schutz der öffentlichen Gesundheit sind die diesbezüglichen klinischen Prüfungen transparent und nachvollziehbar zu gestalten.² Eine derartige Herstellung von Transparenz ist im europäischen und deutschen Arzneimittelrecht Ziel der Gesetzgebung und Verwaltung.³ Die Veröffentlichung der Ergebnisse klinischer Prüfungen ist dabei ein Aspekt der Transparenz.

Der vorliegende Sachstand stellt zunächst die Übermittlungspflichten der Ergebnisse klinischer Prüfungen mit Arzneimitteln nach europäischem sowie nach nationalem Recht vor. Im Anschluss werden Initiativen vorgestellt, die über die Ergebnisberichterstattung hinaus eine verantwortbare Weitergabe der Daten der Prüfungsteilnehmer zu Forschungszwecken im Blick haben.

2. Übermittlungspflichten nach europäischem Recht

Für die in der EU durchgeführten klinischen Prüfungen verpflichtet eine **EU-Verordnung**⁴ über klinische Prüfungen (in englischer Sprache: Clinical Trials Regulation, CTR) mit Humanarzneimitteln, Art. 37 Abs. 4 EU-Verordnung Nr. 536/2014⁵ (CTR-VO,) den Sponsor zur Einreichung einer Zusammenfassung der Ergebnisse der klinischen Prüfung an eine EU-Datenbank. Diese bei der Europäischen Arzneimittel-Agentur (in englischer Sprache: European Medicines Agency – EMA) angesiedelte EU-Datenbank stellt ein Informationssystem dar und wird als CTIS bezeichnet, abgeleitet von Clinical Trials Information System.

Der Begriff der **klinischen Prüfung** ist dabei gesetzlich in Art. 2 Abs. 2 Nr. 1 und 2 CTR-VO definiert:

-
- 1 European Medicines Agency (EMA, Europäische Arzneimittel-Agentur), Vom Labor zum Patienten: der Weg eines von der EMA bewerteten Arzneimittels, 2020, S. 2, abrufbar unter https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/laboratory-patient-journey-centrally-authorized-medicine_de.pdf. Dieser sowie alle weiteren Links wurden zuletzt abgerufen am 2. März 2023.
 - 2 Broich, Karl, Wir wollen das Umfeld der klinischen Forschung grundlegend umgestalten, Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM, Hrsg), Meldung vom 20. Mai 2022, abrufbar unter <https://www.bfarm.de/DE/Aktuelles/Blog/docs/2022-05-20-klinische-studien.html>.
 - 3 Koyuncu, in: Kügel/Müller/Hofmann, Arzneimittelgesetz, 3. Auflage 2022, § 42b neue Fassung, Rn. 1.
 - 4 Europäische Kommission, Arten von EU-Rechtsvorschriften, abrufbar unter https://commission.europa.eu/law/law-making-process/types-eu-law_de#:~:text=Verordnungen%20sind%20Rechtsakte%2C%20die%20bei%20gelten%20unmittelbar%20in%20allen%20Mitgliedsstaaten%20A4ndern: „EU-Verordnungen sind Rechtsakte, die bei Inkrafttreten automatisch und in einheitlicher Weise in allen EU-Ländern gelten, ohne dass sie in einzelstaatliches Recht umgesetzt werden müssen. Sie sind in allen ihren Teilen verbindlich und gelten unmittelbar in allen Mitgliedsländern.“
 - 5 Verordnung (EU) Nr. 536/2014 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. April 2014 über klinische Prüfungen mit Humanarzneimitteln und zur Aufhebung der Richtlinie 2001/20/EG, ABl. EU L 158 vom 27. Mai 2014, S. 1 ff., abrufbar unter <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/PDF/?uri=CELEX:32014R0536>.

„(2) [...] bezeichnet im Sinne der vorliegenden Verordnung der Begriff

1. ‚klinische Studie‘ jede am Menschen durchgeführte Untersuchung, die dazu bestimmt ist,

- a) die klinischen, pharmakologischen oder sonstigen pharmakodynamischen Wirkungen eines oder mehrerer Arzneimittel zu erforschen oder zu bestätigen,
- b) jegliche Nebenwirkungen eines oder mehrerer Arzneimittel festzustellen oder
- c) die Absorption, die Verteilung, den Stoffwechsel oder die Ausscheidung eines oder mehrerer Arzneimittel zu untersuchen, mit dem Ziel, die Sicherheit und/oder Wirksamkeit dieser Arzneimittel festzustellen;

2. ‚klinische Prüfung‘ eine klinische Studie, die mindestens eine der folgenden Bedingungen erfüllt:

- a) Der Prüfungsteilnehmer wird vorab einer bestimmten Behandlungsstrategie zugewiesen, die nicht der normalen klinischen Praxis des betroffenen Mitgliedstaats entspricht;
- b) die Entscheidung, die Prüfpräparate zu verschreiben, wird zusammen mit der Entscheidung getroffen, den Prüfungsteilnehmer in die klinische Studie aufzunehmen, oder
- c) an den Prüfungsteilnehmern werden diagnostische oder Überwachungsverfahren angewendet, die über die normale klinische Praxis hinausgehen.“

Sponsor ist eine Person, ein Unternehmen, eine Einrichtung oder eine Organisation, die bzw. das die Verantwortung für die Einleitung, das Management und die Aufstellung der Finanzierung einer klinischen Prüfung übernimmt (Art. 2 Abs. 2 Nr. 14 CTR-VO). Ein direkter Bezug zur Finanzierung an sich ist in dieser Legaldefinition nicht enthalten.⁶ Damit muss der Sponsor nicht der Finanzierer der Prüfung sein. Neben kommerziellen Sponsoren kommen vor allem Sponsoren an akademischen Einrichtungen in Betracht.

Die Übermittlungspflicht gilt unabhängig vom Ergebnis der klinischen Prüfung innerhalb eines Jahres ab dem Ende der klinischen Prüfung. In Deutschland wendet sich das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) als in das Verfahren eingebundene nationale Bundesoberbehörde nach eigener Darstellung direkt an Sponsoren, die ihre Abschlussberichte nicht innerhalb eines Jahres nach Beendigung der Studie hochgeladen haben und geht dem nach.⁷

6 Mende, Aylin u. a., Grundzüge der EU-Verordnung, Was wird sich ändern?, in: Bundesgesundheitsblatt Gesundheitsforschung Gesundheitsschutz 2017, 60, S. 795–803 (796), abrufbar unter <https://link.springer.com/article/10.1007/s00103-017-2575-0>. Ein direkter Bezug war dagegen in der der CTR-VO vorhergehenden Richtlinie 2001/20/EG des Europäischen Parlaments und des Rates vom 4. April 2001 zur Angleichung der Rechts- und Verwaltungsvorschriften der Mitgliedstaaten über die Anwendung der guten klinischen Praxis bei der Durchführung von klinischen Prüfungen mit Humanarzneimitteln enthalten, siehe Art. 2 Buchst. e): „Sponsor‘ Person, Unternehmen, Institution oder Organisation, die bzw. das die Verantwortung für die Einleitung, das Management und/oder die Finanzierung einer klinischen Prüfung übernimmt.“

7 BfArM, „Wir wollen das Umfeld der klinischen Forschung grundlegend umgestalten“, Wie sorgt das BfArM dafür, dass hier mehr Transparenz geschaffen wird?, 20. Mai 2022, abrufbar unter <https://www.bfarm.de/DE/Aktuelles/Blog/docs/2022-05-20-klinische-studien.html>.

Der Ergebnisbericht sollte die Leitlinien zur guten klinischen Praxis angemessen berücksichtigen.⁸ Nach Art. 2 Nr. 30 CTR-VO ist damit ein „*Katalog detaillierter ethischer und wissenschaftlicher Qualitätsanforderungen, die bei der Planung, Aus- und Durchführung, Überwachung, Prüfung, Aufzeichnung, Analyse klinischer Prüfungen sowie bei der Berichterstattung darüber eingehalten werden müssen, mit denen sichergestellt wird, dass die Rechte, die Sicherheit und das Wohl der Prüfungsteilnehmer geschützt werden und die im Rahmen der klinischen Prüfung gewonnenen Daten zuverlässig und belastbar sind*“ gemeint.⁹

Der **Inhalt der Zusammenfassung** ist in Anhang IV der CTR-VO geregelt und umfasst u. a.:

- die Phase der Ergebnisanalyse (Informationen über einen Tag für die Zwischendatenanalyse, Zwischen- oder Endphase der Analyse, Zeitpunkt des Abschlusses der gesamten klinischen Prüfung),
- allgemeine Informationen zur klinischen Prüfung (Informationen über die Hauptziele der Prüfung, Prüfungsaufbau, wissenschaftliche Grundlagen und Erläuterung der Beweggründe für die Prüfung; Zeitpunkt des Beginns der Prüfung, zum Schutz der Prüfungsteilnehmer ergriffene Maßnahmen, Hintergrundtherapie und verwendete statistische Methoden),
- die Gruppe der Teilnehmerinnen und Teilnehmer,
- unerwünschte Ereignisse.

Zusätzlich muss auch eine **laienverständliche Zusammenfassung** vorgelegt werden, die ebenfalls über die von der EMA geführte EU-Datenbank CTIS veröffentlicht wird. Der Inhalt dieser Zusammenfassung ist in Anhang V CTR-VO dargelegt. Enthalten sein müssen u. a.:

- allgemeine Informationen zur klinischen Prüfung (wo und wann die Prüfung durchgeführt wurde, Hauptziele der Prüfung und Erläuterung der Gründe für die Durchführung der Prüfung),
- die Gruppe der Teilnehmerinnen und Teilnehmer,
- verwendete Prüfpräparate,
- Beschreibung der Nebenwirkungen und Häufigkeit ihres Auftretens,
- Gesamtergebnisse der klinischen Prüfung sowie Anmerkungen zum Ergebnis.

Ist es aus im Prüfplan dargelegten wissenschaftlichen Gründen nicht möglich, innerhalb eines Jahres eine Zusammenfassung der Ergebnisse zu übermitteln, wird die Zusammenfassung übermittelt, sobald sie verfügbar ist. In einem solchen Fall wird im Prüfplan (zusammen mit einer Begründung) angegeben, wann die Ergebnisse übermittelt werden (Art. 37 Abs. 4 S. 5 und 6 CTR-

8 Erwägungsrund 43 der CTR-VO.

9 Näheres dazu siehe Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf, Gute Klinische Praxis (Good Clinical Practice, GCP), Stand: 13. Dezember 2022, abrufbar unter <https://www.ich.org/page/efficacy-guidelines>.

VO).¹⁰ Vorliegende Zwischenanalysen sind innerhalb eines Jahres nach Ablauf der Frist für die Zwischenanalyse zu übermitteln (Art. 37 Abs. 8 CTR-VO).

Die in der EU-Datenbank enthaltenen Informationen sind nach Art. 81 Abs. 4 CTR-VO öffentlich zugänglich.¹¹ Nach den Erwägungsgründen der Verordnung soll dies dazu beitragen, die öffentliche Gesundheit zu schützen, die Innovationsfähigkeit der europäischen medizinischen Forschung zu stärken und gleichzeitig den berechtigten wirtschaftlichen Interessen der Sponsoren Rechnung zu tragen.¹² Ausnahmen von der öffentlichen Zugänglichkeit sind ebenso in Art. 81 Abs. 4 CTR-VO geregelt und betreffen Daten und Informationen oder Teile davon, die vertraulich behandelt werden müssen, etwa zum Schutz personenbezogener Daten oder von Betriebs- oder Geschäftsgeheimnissen.

Viele der Vorgaben in der CTR-VO wurden erst nach Umsetzung der technischen Voraussetzung wirksam, so dass sie in Gänze erst zum 31. Januar 2022 in Kraft trat.¹³ Die CTR-VO enthält mit Art. 98 eine Übergangsbestimmung mit einem Zeitraum von drei Jahren. Klinische Prüfungen, die vor dem 31. Januar 2022 begonnen wurden, können bis zum 31. Januar 2025 nach bisherigem Recht fortgeführt werden, so dass sich auch die Übermittlungspflicht bezogen auf die Zusammenfassung der Ergebnisse nach altem Recht gestaltet. Alle Anträge auf neue klinische Prüfungen in der EU gemäß der CTR-VO müssen ab dem 31. Januar 2023 eingereicht werden.¹⁴

-
- 10 Art. 37 CTR-VO regelt über seinen Abs. 4 hinaus weitere Berichtspflichten des Sponsors. So sind die betroffenen Mitgliedstaaten innerhalb von 15 Tagen ab Beendigung der klinischen Prüfung vom Ende der klinischen Prüfung in dem betreffenden Mitgliedstaat bzw. in allen Mitgliedstaaten zu unterrichten (Art. 37 Abs. 1 und 2 CTR-VO); weitere Pflichten siehe Art. 37 Abs. 5 bis 7.
- 11 EU Clinical Trials Register, About the EU Clinical Trials Register, abrufbar unter <https://www.clinicaltrialsregister.eu/about.html> und zur Suche Clinical Trials Register, Clinical Trials, abrufbar unter <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search> oder Clinical Trials, Suche nach klinischen Studien, abrufbar unter <https://eu-clinicaltrials.eu/search-for-clinical-trials/?lang=de>.
- 12 Erwägungsgrund 67 CTR-VO.
- 13 Siehe Art. 99 Abs. 2 i. V. m. Art. 82 Abs. 3 CTR-VO sowie Beschluss (EU) 2021/1240 der Kommission vom 13. Juli 2021 über die Übereinstimmung des EU-Portals und der EU-Datenbank für klinische Prüfungen mit Humanarzneimitteln mit den Anforderungen gemäß Artikel 82 Absatz 2 der Verordnung (EU) Nr. 536/2014 des Europäischen Parlaments und des Rates, abrufbar unter <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/HTML/?uri=OJ:L:2021:275:FULL&from=DE>. Siehe auch EMA, Clinical Trials Information System reaches major milestone towards go-live and application of the Clinical Trial Regulation, 21. April 2021, abrufbar unter <https://www.ema.europa.eu/en/news/clinical-trials-information-system-reaches-major-milestone-towards-go-live-application-clinical>.
- 14 BfArM, Clinical Trials Information System – CTIS, Übergangszeitraum, abrufbar unter <https://www.bfarm.de/DE/Arzneimittel/Klinische-Pruefung/CTIS-Clinical-Trials-Information-System/node.html>. Siehe auch die Übergangsregelung in § 148 Arzneimittelgesetz (AMG) sowie die entsprechende Kommentierung Koyuncu, in: Kügel/Müller/Hofmann, Arzneimittelgesetz, 3. Auflage 2022, Vorbemerkung zu §§ 40 ff., Rn. 25 ff.

3. Übermittlungspflichten nach nationalem Recht

Auf nationaler Ebene richtet sich die Übermittlungspflicht über Ergebnisse klinischer Prüfungen¹⁵ zum Nachweis der Wirksamkeit und Unbedenklichkeit gemäß § 42b Abs. 1 S. 1 **Gesetz über den Verkehr mit Arzneimitteln** (Arzneimittelgesetz – AMG)¹⁶ an den pharmazeutischen Unternehmer. Dessen Pflicht kommt zum Tragen durch die Erteilung oder Änderung der Zulassung des Arzneimittels, soweit diese auf den jeweiligen klinischen Prüfungen beruhen.¹⁷ Der pharmazeutische Unternehmer ist bei zulassungs- oder registrierungspflichtigen Arzneimitteln der Inhaber der Zulassung oder Registrierung (§ 4 Abs. 18 AMG). Er kann identisch mit dem Sponsor der zugrundeliegenden klinischen Prüfung sein. Um im Hinblick auf Art. 37 Abs. 4 CTR-VO Doppelmeldeverpflichtungen auszuschließen, ist der Sponsor nicht Adressat dieser Norm.¹⁸

§ 42b Abs. 1 S. 1 AMG betrifft nur Prüfungen, die in **Drittstaaten**, nicht aber in der EU durchgeführt wurden. Bei Letzteren ist die in Art. 37 Abs. 4 CTR-VO vorgesehene Verpflichtung des Sponsors maßgeblich. Die Veröffentlichung der Berichte ist gem. § 42b Abs. 1 S. 2 AMG innerhalb von sechs Monaten nach Erteilung oder Änderung einer Zulassung oder Genehmigung für das Inverkehrbringen vorzunehmen. Adressat der Meldung ist die zuständige Bundesoberbehörde, das BfArM oder das Paul-Ehrlich-Institut (PEI)¹⁹. Die zuständige Behörde veröffentlicht nach einer Prüfung die Ergebnisberichte in dem gem. § 67a Abs. 2 AMG betriebenen Internetportal. Wissenschaft, Ärzteschaft und Politik sollen so sachgerechte Entscheidungen über die Gesundheitsversorgung und medizinische Forschung treffen können²⁰ und die Öffentlichkeit soll

-
- 15 Zur Definition der „klinischen Prüfung“ verweist § 4 Abs. 23 AMG unmittelbar auf die Definition in Artikel 2 Abs. 2 der EU-Verordnung. Nach einer Bekanntmachung des Bundesministeriums für Gesundheit zur Veröffentlichung der Ergebnisse klinischer Prüfungen nach § 42b AMG vom 27. Januar 2022, abrufbar unter https://www.bfarm.de/SharedDocs/Downloads/DE/Arzneimittel/Zulassung/folgeverfahren/42bAMG/Bekanntmachung_BMG_42b_20220127.pdf?__blob=publicationFile, sind von der Veröffentlichungspflicht solche klinischen Prüfungen umfasst, in der die für die arzneimittelrechtliche Zulassung entscheidenden Daten zum Wirksamkeits- und Unbedenklichkeitsnachweis erhoben wurden (i. d. R. Phase III und, sofern die Zulassung vor Abschluss der Phase III erteilt wird, Phase II). Zu den vier Phasen der klinischen Prüfung siehe Pschyrembel Online, Arzneimittelprüfung, 2020, abrufbar unter <https://www.pschyrembel.de/Arzneimittelpr%C3%BCfung/K030F>.
- 16 Arzneimittelgesetz in der Fassung der Bekanntmachung vom 12. Dezember 2005 (BGBl. I S. 3394), zuletzt geändert durch Artikel 8c des Gesetzes vom 20. Dezember 2022 (BGBl. I S. 2793).
- 17 Koyuncu, in: Kügel/Müller/Hofmann, Arzneimittelgesetz, 3. Auflage 2022, § 42b neue Fassung, Rn. 1.
- 18 Listl-Nörr, in: Spickhoff, Medizinrecht, 4. Auflage 2022, AMG, § 42b, Rn. 2.
- 19 Zur Abgrenzung der Zuständigkeit beider Behörden ist § 77 AMG heranzuziehen. Danach ist das PEI insbesondere zuständig für die Zulassung von Impfstoffen.
- 20 Broich, Karl, Wir wollen das Umfeld der klinischen Forschung grundlegend umgestalten, BfArM (Hrsg), Meldung vom 20. Mai 2022, abrufbar unter <https://www.bfarm.de/DE/Aktuelles/Blog/docs/2022-05-20-klinische-studien.html>.

über klinische Prüfungen und die betreffenden Arzneimittel informiert werden.²¹ Das Portal ist mit der EU-Datenbank der EMA verbunden (§ 67a Abs. 2 AMG).

Der Ergebnisbericht hat den Anforderungen der Guten Klinischen Praxis für klinische Prüfungen in Zulassungsverfahren zu entsprechen (§ 42b Abs. 2 S. 3 AMG). Zudem muss er alle Ergebnisse der klinischen Prüfung enthalten, unabhängig davon, ob sie günstig oder ungünstig sind. Mindestangaben für den Ergebnisbericht finden sich in einer Bekanntmachung des Bundesministeriums für Gesundheit.²² Enthalten sein müssen u. a.

- die Anzahl der Teilnehmerinnen und Teilnehmer,
- die Methodik,
- die Dauer der Behandlung,
- die Referenztherapie (Dosis und Art der Verabreichung, Chargennummer),
- die Kriterien für die Bewertung (Wirksamkeit, Sicherheit),
- statistische Methoden,
- eine Zusammenfassung einschließlich Schlussfolgerungen (Ergebnisse der Wirksamkeit, Ergebnisse der Sicherheit).

Der Ergebnisbericht darf mit wenigen Ausnahmen keine personenbezogenen Daten aufweisen (§ 42b Abs. 2 S. 4 AMG). Zudem wird klargestellt, dass der Schutz des geistigen Eigentums und von Geschäfts- und Betriebsgeheimnissen unberührt bleibt (§ 42b Abs. 2 S. 7 AMG). Daraus folgt, dass der Unternehmer die Prüfungsberichte im Einzelfall so abfassen darf, dass ein Schutz von Betriebs- und Geschäftsgeheimnissen gewährleistet ist.²³ Die Verletzung der Berichtspflicht kann gemäß § 97 Abs. 2 Nr. 9 AMG als Ordnungswidrigkeit geahndet werden.

Die Übergangsvorschriften, die sich an den dreijährigen Übergangsregelungen der EU-Verordnung orientieren, sind in § 148 AMG aufgeführt.

4. Weitere Transparenz-Initiativen

Einer aktuellen Veröffentlichung zufolge, zeichnet sich im Zusammenhang mit Arzneimittel-Studien, die von der CTR-VO umfasst sind, ein positiver Trend bei der Ergebnisveröffentlichung ab. Beispielhaft wird die Charité – Universitätsmedizin Berlin, die die größte Anzahl an klinischen Studien in Deutschland zu verantworten habe, herangezogen. Hier habe die Ergebnisveröffentlichung für die unter die EU-Gesetzgebung fallenden Studien stark zugenommen und habe mit

21 Koyuncu, in: Kügel/Müller/Hofmann, Arzneimittelgesetz, 3. Auflage 2022, § 42b neue Fassung, Rn. 1.

22 Bekanntmachung des Bundesministeriums für Gesundheit zur Veröffentlichung der Ergebnisse klinischer Prüfungen nach § 42b des Arzneimittelgesetzes (AMG) vom 27. Januar 2022, abrufbar unter https://www.bfarm.de/SharedDocs/Downloads/DE/Arzneimittel/Zulassung/folgeverfahren/42bAMG/Bekanntmachung_BMG_42b_20220127.pdf?__blob=publicationFile.

23 Rehmann, in: Rehmann, Arzneimittelgesetz (AMG), 5. Auflage 2020, § 42b Rn. 5.

Stand vom 26. August 2022 bei 95 Prozent gelegen: „Auch wenn aktuell noch nicht alle deutschen Universitäten diese hohe Umsetzungsrate erreicht haben, ist der positive Trend über alle deutschen Universitäten hinweg sehr stark.“²⁴

Darüber hinaus wird derzeit erörtert, wie der Prozess der Arzneimittelbewertung beschleunigt und verbessert werden kann, um Patientinnen und Patienten einen schnelleren und qualifizierteren Zugang zu innovativen Arzneimitteln zu ermöglichen. So arbeiten die EMA und die Pharmaindustrie daran, künftig auch anonymisierte Behandlungsdaten der Prüfungsteilnehmer, sog. **Rohdaten**²⁵, für weitere Auswertungen zur Verfügung zu stellen. Sowohl die CTR-VO als auch § 42b AMG enthalten keine Regelung zur verpflichtenden Weitergabe von Rohdaten aus Arzneimittelprüfungen.²⁶ Konkret initiierte die EMA ein im Juli 2022 begonnenes Projekt, in dessen Rahmen Rohdaten als Teil der Erst- und Neuzulassungsanträge bei der EMA eingereicht werden. Die Projektdauer beträgt zwei Jahre, in denen ausgewählte Sponsoren Rohdaten als Teil der Zulassungsanträge bei der EMA einreichen. Davon umfasst sind klinische Laborergebnisse, bildgebende Daten sowie Krankenblätter der Teilnehmerinnen und Teilnehmer. Mit der Speicherung der Rohdaten in einem strukturierten elektronischen Format sollen die Daten bei Bedarf leichter zu analysieren sein.²⁷

Auch das Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) spricht sich dafür aus, Rohdaten²⁸ bereits während der Laufzeit geförderter Studien zum Austausch und zur Nachnutzung – unter Wahrung des Datenschutzes und des Urheberrechtes – zugänglich zu machen.²⁹ Ebenso möchte das Bundesministerium für Gesundheit (BMG) dazu beitragen, die Potentiale der Sekundärnutzung gesundheitsrelevanter Daten besser zu nutzen, um Erkenntnisse daraus schneller in die Versorgung zu bringen. Ein im Auftrag des BMG erstelltes Gutachten erörtert daher, wie anfallende Daten ethisch unbedenklich für die medizinische Forschung genutzt werden können.

-
- 24 Strech, Daniel, *Transparenz in der klinischen Forschung: Welchen Beitrag leistet die neue EU-Verordnung 536/2014?*, in: Bundesgesundheitsblatt Gesundheitsforschung Gesundheitsschutz 2023, 66(1), S. 52–59 (54), abrufbar unter <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC9832089/>. Kritisch angemerkt wird auf S. 56 dagegen, dass im Bereich klinischer Studien, die nicht unter die CTR-VO fielen, da sie z. B. nicht im Zusammenhang mit Arzneimitteln stehen, die Transparenzrate nicht zufriedenstellend sei.
- 25 Näher zum Begriff Rohdaten Barwig, Judith, *Transparenz bei Klinischen Prüfungen – Initiativen der Industrie*, in: Voit, Wolfgang (Hrsg.), *Transparenz/Neue Produkte*, 2017, S. 159 ff. (165).
- 26 Art. 37 Abs. 4 Satz 8 CTR-VO regelt dazu: „Wenn der Sponsor beschließt, Rohdaten freiwillig zur gemeinsamen Nutzung zur Verfügung zu stellen, erarbeitet die Kommission Leitlinien für das Format und die Freigabe dieser Daten.“
- 27 EMA, *Big Data, Pilot on using raw data in medicine evaluation*, 2022, abrufbar unter <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/big-data#pilot-on-using-raw-data-in-medicine-evaluation-section> und *Concept Heidelberg, GMP Navigator (Good Manufacturing Practice – Gute Herstellungspraxis)*, EMA prüft Zugang zu Rohdaten aus klinischen Studien, 6. Dezember 2022, abrufbar unter <https://www.gmp-navigator.com/gmp-news/ema-prueft-zugang-zu-rohdaten-aus-klinischen-studien>.
- 28 Das BMBF spricht von Originaldaten.
- 29 BMBF, DLR Projektträger, *Grundsätze und Verantwortlichkeiten bei der Durchführung klinischer Studien*, Stand: 12. August 2022, abrufbar unter https://projekttraeger.dlr.de/media/gesundheits/GF/Grundsätze_Verantwortlichkeiten_Klinische_Studien.pdf.

Dabei geht es in dem Gutachten aber nicht nur um Daten, die speziell in klinischen Prüfungen gewonnen werden, sondern vor allem um Daten, die bei einer ambulanten Untersuchung oder Behandlung im klinischen Alltag entstehen und in den Krankenakten gespeichert sind.³⁰

Der US-amerikanische Pharmaverband Pharmaceutical Research and Manufacturers of America (PhRMA) sowie der auf europäischer Ebene agierende Pharmaverband European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA) haben sich bereits vor rund zehn Jahren auf Grundsätze für die verantwortliche Weitergabe von klinischen Daten in Form einer Selbstverpflichtung geeinigt. Danach sollen Rohdaten auf Antrag zur qualifizierten wissenschaftlichen und medizinischen Forschung nach Genehmigung durch ein unabhängiges wissenschaftliches Prüfungsgremium mitgeteilt werden. Beim Zugriff ist die Anonymisierung der Daten sicherzustellen. Eine Weitergabe entfällt, wenn eine Re-Identifizierung der Teilnehmerinnen und Teilnehmer möglich ist. Die Rohdaten sind allein für den angefragten Forschungszweck, der detailliert begründet werden muss³¹, zu nutzen.³² Im Ergebnis einer Umfrage der EFPIA aus dem Jahr 2020 wird die Erfüllungsquote dieser Selbstverpflichtung als sehr hoch eingestuft, wenn sie auch nicht in allen Aspekten in Gänze umgesetzt werde. Befragt worden seien 35 EFPIA-Mitgliedsunternehmen (mit mindestens einem Jahr Mitgliedschaft), von denen 33 (94 Prozent) auf die Umfrage geantwortet hätten.³³

-
- 30 Das Gutachten ist abrufbar unter BMG, „Datenspende“ – Bedarf für die Forschung, ethische Bewertung, rechtliche, informationstechnologische und organisatorische Rahmenbedingungen, Stand: März 2020, <https://www.bundesgesundheitsministerium.de/service/publikationen/details/datenspende-bedarf-fuer-die-forschung-ethische-bewertung-rechtliche-informationstechnologische-und-organisatorische-rahmenbedingungen.html>. Zu den Studienrohdaten siehe insbesondere S. 32 ff. Eingegangen wird zudem darauf, welche rechtlichen Rahmenbedingungen das Spenden von Daten benötigt, siehe S. 85 ff.
- 31 So müssen auch mögliche Interessenkonflikte angegeben werden. Auf diesem Weg soll sichergestellt werden, dass die Weitergabe von Rohdaten nur für wissenschaftliche Zwecke erfolgt, nicht aber, um eine Zulassung eines konkurrierenden Arzneimittels durch ein anderes Pharmaunternehmen voranzutreiben.
- 32 PhRMA, EFPIA, Principles for Responsible Clinical Trial Data Sharing Our Commitment to Patients and Researchers, Juli 2013, abrufbar unter <https://efpia.eu/media/25189/principles-for-responsible-clinical-trial-data-sharing.pdf>. Siehe dazu auch Barwig, Judith, Transparenz bei Klinischen Prüfungen – Initiativen der Industrie, in: Voit, Wolfgang (Hrsg.), Transparenz/Neue Produkte, 2017, S. 159 ff (166 ff.).
- 33 EFPIA, EFPIA survey among member companies on compliance with the EFPIA-PhRMA principles for responsible clinical trial data sharing, 15. Dezember 2022, abrufbar unter <https://www.efpia.eu/news-events/the-efpia-view/efpia-news/efpia-survey-among-member-companies-on-compliance-with-the-efpia-phrma-principles-for-responsible-clinical-trial-data-sharing/> sowie EFPIA Survey among member companies on compliance with the EFPIA-PhRMA principles for responsible clinical trial data sharing, abrufbar unter <https://www.efpia.eu/media/676942/efpia-survey-on-compliance-with-the-efpia-phrma-principles-for-clinical-trial-data-sharing.pdf>.