

Stellungnahme zu den Anforderungen an die Herstellung und  
Verabreichung von Arzneimitteln für neuartige Therapien, die in Spitälern  
hergestellt werden

**White Paper**

Centre hospitalier universitaire vaudois (CHUV) (Universitätsspital Waadt)  
Universitätsspitaler Basel (USB)  
Universitätsspital Bern (Insel Gruppe)  
Universitätskrankenhaus Genf (HUG)  
Universitätsspital Zürich (USZ)  
Schweizer Hochschulmedizin (unimedsuisse)

Autorinnen und Autoren (in alphabetischer Reihenfolge)

Prof. Anne Angelillo-Scherrer (Insel Gruppe), Prof. Caroline Arber (CHUV), Dr  
Francesco Ceppi (CHUV), Dr. Michael Daskalakis (Insel Gruppe), Prof. Georges  
Coukos (CHUV), Prof. Bernhard Genter (CHUV), Prof. Jürg Halter (USB), Prof.  
Andreas Holbro (USB), Prof. Lukas Jeker (USB), Prof. Nina Khanna (USB), Prof.  
Andrea Klein (Insel Gruppe), Prof. Thomas Kündig (USZ), Prof. Heinz Läubli  
(USB), Prof. Olivier Michielin (HUG), Prof. Denis Migliorini (HUG), Prof. Urban  
Novak (Insel Gruppe), Prof. Thomas Pabst (Insel Gruppe), Prof. Matthias Roth-  
Kleiner (CHUV), Dr Sabine Thomas, Prof. Jean Villard (HUG).

Version: V01

Datum: 05.03.2024

Freigabe: Genehmigt am 5. März durch das Collège des Directeurs  
Médicaux (CoDIM) unimedsuisse.

## Inhaltsverzeichnis

1. Vorwort .....	3
2. Hintergrund .....	3
3. Position zum Zulassungsverfahren für HE und zu den Anforderungen an die Bewilligung von HE4	
3.1. Position zum Zulassungsverfahren für HE und zu den Anforderungen an Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit .....	4
3.1.1. Position zum Zulassungsverfahren für HE .....	4
3.1.2. Position zu den Anforderungen an Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit.....	4
3.2. Position zur gelegentlichen Produktion in kleinen Mengen (Art. 2b Bst.1 lit. a des Transplantationsgesetzes vom 29.09.2023 (TG)) .....	5
3.3. Position zur Anwendung einer HE für eine/n bestimmte/n Patienten/-in (Art. 2b Abs.1 Bst. b des Transplantationsgesetzes vom 29.09.2023 (TG)) .....	5
3.4. Position zur Anwendung einer HE in einem Spital, einer Klinik oder einer anderen Einrichtung unter der Verantwortung einer Ärztin oder eines Arztes (Art. 2b Abs.1 Bst. c des Transplantationsgesetzes vom 29.09.2023 (TG)) .....	6
3.5. Position zur Voraussetzung für die Anwendung einer HE, wenn kein zugelassenes, alternativ anwendbares und gleichwertiges Transplantatprodukt oder Heilmittel verfügbar ist (Art.2b Abs.1 Bst. d des Transplantationsgesetzes vom 29.09.2023 (TG)).....	6
3.6. Position zur Voraussetzung für die Anwendung von HE und zum Nachweis, dass ein positives Verhältnis zwischen Nutzen und Risiken zu erwarten ist (Art. 2b Abs. 1 Bst. e des Transplantationsgesetzes vom 29.09.2023 (TG)) .....	7
4. Zusätzliche allgemeine Empfehlungen.....	7

## 1. Vorwort

Universitätsspitäler sind stark in die Forschung und Entwicklung sowie die Herstellung von Arzneimitteln für neuartige Therapien eingebunden.

Im Auftrag des Collège des Directeurs Médicaux hat unimedsuisse 2022 in diesem Bereich eine Arbeitsgruppe aus klinischen Fachpersonen der fünf Universitätsspitäler gegründet. Die Ziele dieser Arbeitsgruppe sind das Sicherstellen einer nationalen Zusammenarbeit in den verschiedenen klinischen Bereichen, das Erarbeiten einer nationalen Position der Universitätsspitäler im Bereich der Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMP), das Bereitstellen von Fachwissen für die Behörden und das Anstreben einer internationalen Zusammenarbeit.

Swissmedic, das Schweizerische Heilmittelinstitut, hat 2022 eine neue ATMP-Abteilung «Arzneimittel für neuartige Therapien» (ATMP) aufgebaut und möchte eng mit den Akteurinnen und Akteuren der Branche zusammenarbeiten.

Am 29. September 2023 hat das Parlament die Revision des Transplantationsgesetzes verabschiedet<sup>1</sup>. Die Anwendbarkeit der Bestimmungen über standardisierte Transplantate wird präzisiert und von den Bestimmungen des Heilmittelgesetzes abgegrenzt. Zudem wurde die Möglichkeit einer Ausnahmegewilligung eingeführt, die es den Spitalern erlaubt, nicht zugelassene standardisierte Transplantate zu verwenden.

Am 8. Dezember 2023 eröffnete der Bundesrat das Vernehmlassungsverfahren über die Revision des Heilmittelgesetzes, mit der eine neue Regelung für Arzneimittel für neuartige Therapien festgelegt werden soll.

Aufgrund dieser laufenden Gesetzesänderungen trafen sich am 16. Januar 2022 die Fachpersonen von unimedsuisse und Beauftragten von Swissmedic, um die von den Behörden geplanten Bestimmungen zu diskutieren. Die Universitätsspitäler forderten, dass die Anforderungen des in Arbeit befindlichen Ausführungsrechts die Erwartungen der Universitätsspitäler in diesem Bereich berücksichtigen, damit die in den gebundenen Verordnungen festgelegten Anforderungen in der Praxis der Universitätsspitäler anwendbar sind. Es wurde vereinbart, dass die klinischen Fachpersonen von unimedsuisse ihre Stellungnahmen zu den regulatorischen Anforderungen für die Zulassung der Herstellung und Verwendung von Spitalpräparaten für neuartige Therapien in Form eines White Papers verfassen und an die Behörden weiterleiten.

## 2. Hintergrund

Das revidierte Transplantationsgesetz, das das Parlament am 29. September 2023 verabschiedet hat, beschreibt im neuen Artikel 2b die gesetzlichen Anforderungen für die vorübergehende Anwendung eines nicht zugelassenen standardisierten Transplantatsproduktes, auf Englisch **Hospital Exemption (HE)** genannt.

HE ist ein Schlüsselmechanismus, das entwickelt wurde, um Patientinnen und Patienten, die an seltenen Krankheiten leiden oder denen keine wirksamen Therapiemöglichkeiten zur Verfügung stehen, einen raschen Zugang zu sicheren, wirksamen, qualitativ hochwertigen und gesetzlich geregelten Behandlungen zu gewährleisten. In der Schweiz umfassen ATMPs Transplantationsprodukte im Sinne des Transplantationsgesetzes (wie somatische Zelltherapeutika und Produkte aus Tissue Engineering), Gentherapieprodukte und andere Produkte auf Nukleinsäurebasis, wie sie im Entwurf zur Revision des Heilmittelgesetzes<sup>2</sup> definiert sind, der sich zurzeit in der Vernehmlassung befindet.

Das akademische Ökosystem der Schweiz, zu dem Universitäten, die Eidgenössischen Technischen Hochschulen und die Universitätsspitäler gehören, ist technologisch und wissenschaftlich auf dem neuesten Stand. Es ist in der Lage, innovative Produkte zu liefern, die das Leben der Patientinnen und

---

<sup>1</sup> [Transplantationsgesetz-Änderung vom 29. September 2023](#)

<sup>2</sup> [Teilrevision des Heilmittelgesetzes 2023](#)

Patienten verändern. Darüber hinaus ist es mit mehreren GMP-Anlagen ausgestattet, die Produkte herstellen können, die lokale F&E-Gruppen entwickelt haben. Schliesslich verfügt es über hochentwickelte klinische Infrastruktur mit qualifizierten klinischen Teams, die innovativen Therapien anwenden können. Somit sind alle Voraussetzungen geschaffen, um die Herstellung sicherer und qualitativ hochwertiger innovativer Produkte unter Einhaltung der Guten Herstellungspraxis (GMP) zu gewährleisten und diese streng unter Einhaltung der Guten Klinischen Praxis (GCP) zu verabreichen.

Klinikerinnen und Kliniker, die in diesen hochmodernen Umgebungen in Universitätsspitalern praktizieren, die mit den F&E-Gruppen für technologische Entwicklung zusammenarbeiten, haben potenziell Zugang zu neuer ATMP-Technologie. Sie können ihren Patientinnen und Patienten möglicherweise lebensrettende therapeutische Lösungen anbieten. Der HE-Mechanismus erleichtert auch Kindern den Zugang zu innovativen Therapien. Da Kinder einen geringen Anteil der Bevölkerung ausmachen, gibt es auch wenig auf sie zugeschnittene Therapien. Die Anwendung der HE wird das Therapieangebot für Patientinnen und Patienten mit seltenen Krankheiten und die Bevölkerung im Kindesalter verbessern.

### **3. Position zum Zulassungsverfahren für HE und zu den Anforderungen an die Bewilligung von HE**

#### **3.1. Position zum Zulassungsverfahren für HE und zu den Anforderungen an Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit**

##### **3.1.1. Position zum Zulassungsverfahren für HE**

Das Gesuch muss bereits zu Beginn der klinischen Entwicklung gestellt werden. Die von Swissmedic angebotene Plattform [«innovation-office»](#) ist geeignet, den Bewilligungsprozess interaktiv, transparent und frühzeitig zu begleiten.

Ein Erstgesuch auf Zulassung als HE muss die präklinischen oder klinischen Informationen, eine Beschreibung des Herstellungsprozesses, die Produktspezifikationen, den Plan für das Risikomanagement und die Überwachung der Ergebnisse sowie eine Begründung für das Gesuch als HE anstelle der Durchführung einer klinischen Studie oder als Ergänzung zur Durchführung einer klinischen Studie enthalten. Der Entscheid von Swissmedic auf ein Erstgesuch auf Zulassung muss innerhalb von 30 Tagen erfolgen.

Für ein Folgegesuch auf Zulassung als HE für dieselbe innovative Therapie sollte ein beschleunigtes Prüfverfahren nach dem Vorbild des Compassionate-use-Prinzips eingerichtet werden. Swissmedic muss innerhalb weniger Tage eine Entscheidung treffen.

##### **3.1.2. Position zu den Anforderungen an Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit**

Das als HE zu verabreichende ATMP muss unter GMP-Bedingungen (Good Manufacturing Practice) in einer von Swissmedic zugelassenen Umgebung hergestellt werden. Während des GMP-konformen Herstellungsprozesses müssen die Qualitätskriterien für die Herstellung und die Freigabe eingehalten werden. Das ATMP muss in der Klinik nach den Regeln der GCP (Good Clinical Practice) verabreicht werden. Sind Rohstoffe (starting materials) oder Ausgangsmaterialien (raw materials) für die Herstellung eines HE-verabreichbaren Produkts nicht in GMP-Qualität verfügbar, können hochwertige Rohstoffe oder Ausgangsmaterialien verwendet werden. Dies gilt, sofern die Qualitätsdokumentation einen für Swissmedic akzeptablen Risikomanagementplan enthält und der gesamte Herstellungsprozess unter GMP-Bedingungen abläuft.

Zum Einreichungszeitpunkt des Gesuchs auf Zulassung eines Produkts als HE sollte das GMP-Zertifikat für die Herstellung des Produkts nicht zwingend erforderlich sein. Der Zulassungsinhaber sollte jedoch über das Zertifikat verfügen, bevor er mit der Vorbereitung des ATMP als HE beginnt.

Einrichtungen mit bewilligten Herstellungsanlagen müssen die Möglichkeit haben, ein Sammelgesuch für einen Herstellungsprozess für ein bestimmtes generisches Produkt (z.B. CAR-T, RNA- oder DNA-basiertes Produkt) einzureichen. Sobald dieser Herstellungsprozess von Swissmedic zugelassen ist, muss jedes weitere Gesuch für ein Produkt, das mit demselben

Herstellungsprozess hergestellt wird, aber eine einfache Sequenzänderung beinhaltet, von Swissmedic in einer beschleunigten Prüfung beurteilt werden.

Swissmedic soll in Zusammenarbeit mit den Fachpersonen der Universitätsspitäler in diesem Bereich nationale Qualitäts-, Sicherheits- und Wirksamkeitsanforderungen aufstellen, bei denen eine Anwendung von ATMP als HE möglich ist.

Das Gesuch auf Anwendung eines ATMP als HE muss genehmigt werden, wenn das gleiche ATMP in einem anderen Land hergestellt und zugelassen wurde, das eine gleichwertige Arzneimittelkontrolle eingeführt hat, die von Swissmedic anerkannt ist. Zudem ist eine Voraussetzung für die Zulassung, dass das ATMP unter GMP-Bedingungen in einer von Swissmedic bewilligten Herstellungsanlage und nach demselben Ablauf hergestellt wird.

In begründeten Ausnahmefällen kann das ATMP ausserhalb einer GMP-Anlage, aber in Bereichen mit einem angemessenen Hygienestandard oder in einem geschlossenen System in einer nicht klassifizierten kontrollierten Umgebung hergestellt werden. Dies ist zum Beispiel der Fall, wenn die Herstellung des ATMP im Operationssaal erfolgt und es aufgrund der kurzen Zeitspanne zwischen Entnahme und Verabreichung des Produkts nicht möglich ist, die Produktion in einen externen Reinraum zu verlegen, da sich der Patient im Operationssaal befindet und auf die Verabreichung des ATMP wartet. In diesen Ausnahmefällen muss nachgewiesen werden, dass der erwartete klinische Nutzen für die Patientin / den Patienten, die mit dem Fehlen einer klassifizierten Umgebung verbundenen Risiken überwiegt, d. h. dass mit der Therapie eine Krankheit geheilt wird, die für den Patienten tödlich sein oder ihm schwere und chronische Gesundheitsprobleme bereiten könnte.

Um die Sicherheit der hergestellten HE und die Rückverfolgbarkeit der verabreichten Produkte zu gewährleisten, müssen Risikodaten gesammelt werden. Das Ziel ist es, einen Satz von Mindestdaten zu definieren, die im Rahmen eines Risk-Management-Plans (RMP) gesammelt werden müssen. Diese nationalen Mindestanforderungen sind ausserdem in Zusammenarbeit mit Fachleuten auf diesem Gebiet zu erstellen (siehe Kapitel 4.).

Für das Gesuch um Zulassung als HE müssen, sofern verfügbar, frühere klinische Daten vorgelegt werden können. dies ist zum Beispiel der Fall, wenn diese Daten bereits veröffentlicht wurden oder aus einer unveröffentlichten, abgeschlossenen und analysierten klinischen Studie stammen. Das Gesuch um Zulassung muss diese klinischen Daten enthalten, die die Wirksamkeit des ATMP in derselben klinischen Indikation oder in anderen klinischen Indikationen belegen. Ausserdem müssen Daten zur Qualität und Sicherheit vorgelegt werden.

### **3.2. Position zur gelegentlichen Produktion in kleinen Mengen (Art. 2b Bst.1 lit. a des Transplantationsgesetzes vom 29.09.2023 (TG))**

Die Begriffe «gelegentlich» und «in kleinen Mengen» dürfen nicht allgemein definiert werden, sondern müssen bei konkreten Gesuchen individuell bewertet und festgelegt werden. Die Gesuchstellenden müssen die Anwendung und die Anzahl der Patientinnen und Patienten bei der Gesuchstellung begründen können.

Die Nutzung von ATMP als HE muss sowohl für die Therapie einer Krankheit bewilligt werden, die für Patientinnen und Patienten tödlich verlaufen oder ihnen schwere und chronische Gesundheitsprobleme bereiten kann. Die Zulassung muss aber auch für den frühzeitigen Zugang zu Patientinnen und Patienten mit einer moderateren Prognose erteilt werden, aber in therapeutischen Bereichen, in denen die verfügbare Therapie nicht zufriedenstellend ist. Dies gilt beispielsweise im Fall einer HE bei antiretroviralen Medikamenten oder Therapien für nicht heilbare fortgeschrittene Krebserkrankungen oder seltene Krankheiten.

### **3.3. Position zur Anwendung einer HE für eine/n bestimmte/n Patienten/-in (Art. 2b Abs.1 Bst. b des Transplantationsgesetzes vom 29.09.2023 (TG))**

Ein ATMP sollte als HE im Sinne einer «Erstanwendung beim Menschen», d. h. vor Beginn einer Phase-I-Studie, verwendet werden können. Dies setzt voraus, dass im Gesuch solide präklinische Nachweise erbracht werden, die einen sehr hohen potenziellen Nutzen und ein akzeptables Nutzen-Risiko-Verhältnis für den Patienten in einem begründeten Ausnahmefall nachweist. Es muss nachgewiesen werden, dass das ATMP unter GMP-Bedingungen hergestellt wurde, den

vorgesehenen Spezifikationen hinsichtlich des Wirkungsmechanismus entspricht und die erwartete biologische Wirkung aufweist.

Die Anwendung einer HE in den verschiedenen Phasen der klinischen Entwicklung eines Produkts sollte für Patientinnen und Patienten zugelassen werden, die die strengen Eignungskriterien einer laufenden klinischen Studie nicht erfüllen, aber im Rahmen eines «Compassionate use» von der Therapie profitieren könnten.

Wenn ein Medikament unter der Schirmherrschaft einer akademischen Einrichtung erforscht wurde, eine Pivotalstudie durchlaufen hat und auf die Zulassung wartet, sollten Patientinnen und Patienten, die das Medikament benötigen, die Möglichkeit haben, bis zur Entscheidung über die Zulassung mit dem Medikament im Rahmen der HE behandelt zu werden. Eine Umbrella-Zulassung könnte dem betreffenden Spital, je nach Bedarf und Produktionskapazität, auf Jahresbasis und für eine bestimmte Anzahl von Patientinnen und Patienten erteilt werden.

#### **3.4. Position zur Anwendung einer HE in einem Spital, einer Klinik oder einer anderen Einrichtung unter der Verantwortung einer Ärztin oder eines Arztes (Art. 2b Abs.1 Bst. c des Transplantationsgesetzes vom 29.09.2023 (TG))**

Auf Spitalebene muss zwischen der Rolle und der Verantwortung der einzelnen Beteiligten unterschieden werden, die von der Herstellung bis zur Anwendung und der Überwachung der Sicherheits- und Wirksamkeitsdaten nach der Anwendung einer HE involviert sind.

Die Herstellungsbewilligung wird dem Bewilligungsinhabenden der Einrichtung erteilt, die das Gesuch gestellt hat. Die für die Herstellung zuständige Spitaleinrichtung (Abteilung, Zentrum usw.) übernimmt die Verantwortung für die Herstellung des Produkts.

Die für die Herstellung eines Produkts verantwortliche Person, die das Produkt zur Anwendung an eine Patientin oder einen Patienten freigibt, muss sicherstellen, dass das Produkt den von Swissmedic genehmigten Freigabekriterien entspricht.

Der verschreibende Arzt übernimmt die Verantwortung für die medizinische Entscheidung und deren dokumentarische Nachbereitung, wobei er in Zusammenarbeit mit der betroffenen Patient:innen (oder ihrem gesetzlichen Vertreter:in) letztendlich zum Schluss kommt, dass der klinische Nutzen der Anwendung des ATMP die erkennbaren Risiken überwiegt.

#### **3.5. Position zur Voraussetzung für die Anwendung einer HE, wenn kein zugelassenes, alternativ anwendbares und gleichwertiges Transplantatprodukt oder Heilmittel verfügbar ist (Art.2b Abs.1 Bst. d des Transplantationsgesetzes vom 29.09.2023 (TG))**

Die Kriterien, die die Verfügbarkeit und die therapeutische Gleichwertigkeit bestimmen, sind noch festzulegen.

Ein ATMP sollte als HE angewendet werden können, wenn kein zugelassenes alternativ anwendbares Heilmittel verfügbar ist, vorausgesetzt, dass a) kein zugelassenes gleichwertiges ATMP-Substitut **für die spezifische therapeutische Indikation oder eine bestimmte Patientin bzw. Patienten, die/der es benötigt, verfügbar ist** und b) das im Rahmen einer HE zu verabreichende ATMP als eigenständiges Produkt erkennbar ist (eigenständige Molekularstruktur).

Es ist wichtig, dass ATMPs den Patientinnen und Patienten, die sie benötigen, zur Verfügung gestellt werden können, wenn die spezifische Indikation nicht durch ein zugelassenes Produkt abgedeckt wird. Ein Beispiel sind CAR-T für Krebs- und Autoimmunindikationen, die in der Schweiz nicht zugelassen sind.

Ein Produkt gilt als nicht verfügbar, wenn es bei einer notfallmässigen Anwendung nicht innerhalb eines angemessenen Zeitraums verabreicht werden kann oder wenn keine zugelassene gleichwertige Alternative zur Verfügung steht. Ausserdem muss in diesen Fällen die Herstellungsdauer als Zeitfaktor berücksichtigt werden. Wenn die Anwendung eines zugelassenen Produkts aufgrund einer längeren Herstellungsdauer zu einer Schädigung der Patientin / des Patienten führen kann und das Produkt als HE mit vergleichbarer Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit für sie/ihn verfügbar ist, sollte es für die Verabreichung in Notfällen bewilligt werden.

Wenn das unter die HE fallende ATMP die Molekularstruktur oder den Herstellungsprozess nicht mit einem zugelassenen Produkt teilt, gewährleistet dies seine Einzigartigkeit. Die Einzigartigkeit kann eine neue Indikation, eine neue Konstruktion oder ein neues Herstellungsverfahren, auch am Ort der Anwendung (Point-of-Care), umfassen. Seine Anwendung muss unter der Garantie der Rechtfertigung zugelassen werden können.

**3.6. Position zur Voraussetzung für die Anwendung von HE und zum Nachweis, dass ein positives Verhältnis zwischen Nutzen und Risiken zu erwarten ist (Art. 2b Abs. 1 Bst. e des Transplantationsgesetzes vom 29.09.2023 (TG))**

Wie in Abschnitt 3.4 erwähnt, übernimmt der verschreibende Arzt die Verantwortung für die medizinische Entscheidung und deren dokumentarische Nachbereitung, wobei er in Zusammenarbeit mit der betroffenen Patient:innen (oder ihrem:er gesetzlichen Vertreter:innen) letztendlich zum Schluss kommt, dass der klinische Nutzen der Anwendung des ATMP die erkennbaren Risiken überwiegt.

**4. Zusätzliche allgemeine Empfehlungen**

In den Definitionen, die in der Vorlage zur Revision des Heilmittelgesetzes<sup>2</sup> eingeführt wurden, sollten auch DNA- oder RNA-interferierende Produkte, die nicht auf Nukleinsäure basieren, um monogenetische Störungen zu behandeln, als ATMPs aufgenommen werden, da sie anerkannte Gentherapieprodukte im weiteren Sinne darstellen.

Die Dauer der Zulassungen für HE ist noch festzulegen. In den EU-Ländern beträgt sie zwischen 3 und 5 Jahren<sup>3</sup>. Abhängig von den verfügbaren Sicherheits- und Wirksamkeitsdaten sollte eine Verlängerung oder Verkürzung möglich sein.

Klinische Daten über die Sicherheit und Wirksamkeit bei allen Patientinnen und Patienten, die im Rahmen einer HE mit ATMP behandelt werden, müssen gesammelt und analog zu einer klinischen Studie mithilfe der bestehenden Meldeinstrumente an ein nationales Register und die Behörden gemeldet werden.

Ein transparentes Verfahren, das die Anforderungen an Qualität, Sicherheit und Effizienz in jeder Phase der Produktentwicklung und Produktherstellung detailliert beschreibt, sollte eingerichtet werden und den Fachleuten in diesem Bereich auf einer interaktiven Plattform zur Verfügung stehen.

Ebenso sollten die regulatorischen Anforderungen den Fachleuten auf einer solchen Plattform zur Verfügung stehen, die die Genehmigung einer Änderung des Herstellungsprozesses oder der verwendeten Substanzen durch Swissmedic betreffen.

Eine nationale Politik für ATMP-Register: Auf nationaler Ebene ist die langfristige Wirksamkeit und Sicherheit einzurichten und ein Finanzierungsplan zu erstellen. Die Daten sind zu definieren und an die nationalen Register weiterzuleiten. Für die Register sollten Richtlinien entwickelt und mit bereits bestehenden internationalen Registern (z. B. EBMT, WFH, TREAT-NMD und viele andere) abgestimmt werden. Die Register sollten krankheitsspezifisch sein und die Abfrage von ATMP-spezifischen Daten ermöglichen. Eine langfristige Verwaltung der Register ist unerlässlich. Die langfristige Finanzierung der Register sollte geklärt werden. Eine Vereinfachung der Zulassungsverfahren für Register sollte evaluiert werden (monozentrisch versus multizentrisch mit Vereinbarungen zur gemeinsamen Nutzung von Daten aller Datenlieferanten). Eine langfristige Verwaltung der Register ist von entscheidender Bedeutung. Eine dauerhafte Finanzierung der Register ist zu gewährleisten.

Auf nationaler Ebene sollte ein Ausschuss aus unabhängigen klinischen Fachleuten eingerichtet werden. Die beteiligten Gentherapiefachleute könnten von Fachleuten aus anderen Bereichen begleitet werden, zu denen auch zugelassene und in der Entwicklung befindliche Gentherapien gehören (breit gefasst, einschliesslich Oligonukleotide und andere RNA- und DNA-verändernde Arzneimittel).

---

<sup>3</sup> [Study on Hospital Exemption for ATMPs in Selected EU Countries – FINAL REPORT](#)

Seine Aufgabe ist es:

- Empfehlungen zur Klassifizierung von ATMP abzugeben;
- Mindestanforderungen an die Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit von ATMP als HE in Universitätskliniken festzulegen;
- einen transparenten Prozess zu entwickeln, der die Anforderungen an Qualität, Sicherheit und Effizienz in jeder Phase der Produktentwicklung und -herstellung detailliert beschreibt und den Fachleuten auf einer interaktiven Plattform zur Verfügung steht;
- ggf. wissenschaftliche Beratung zu ATMPs bereitzustellen;
- die Regulierungsbehörden wissenschaftlich beim Erstellen von Dokumenten zum Erreichen der Regulierungsziele zu unterstützen.