



## Pflichtenheft

# Situationsanalyse der Zulassungsmassnahmen «pädiatrisches Prüfkonzept (PPK)» und «wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten» bei Kindern

Jenny Surbeck, Fachstelle Evaluation und Forschung, BAG

26.07.2021

<b>1</b>	<b>Ausgangslage / Hintergrund und Anlass der Situationsanalyse .....</b>	<b>2</b>
<b>2</b>	<b>Der Gegenstand der Situationsanalyse und sein Kontext.....</b>	<b>2</b>
2.1	Grundlagen: Kinderarzneimittel .....	2
2.2	Kontext .....	3
2.2.1	Parlamentarischer Vorstoss.....	3
2.2.2	Internationale Entwicklungen: EU-Verordnungen für Kinderarzneimittel und Arzneimittel für seltene Leiden .....	4
<b>3</b>	<b>Angaben zur Situationsanalyse .....</b>	<b>4</b>
3.1	Organigramm .....	4
3.2	Ziel und Zweck .....	5
3.3	Fragestellungen .....	5
3.4	Design und Methodik .....	5
3.5	Erwartete Produkte und Leistungen.....	6
3.6	Zeitplan und Meilensteine .....	8
3.7	Kostenrahmen / Budget .....	8
3.8	Verbreitung und Nutzung der Ergebnisse (Valorisierung) .....	8
<b>4</b>	<b>Vergabeverfahren des Mandats .....</b>	<b>8</b>
4.1	Anforderungen an die Offerte .....	8
4.2	Meilensteine und Termine im Vergabeprozess.....	9
<b>5</b>	<b>Hinweise auf Vertraulichkeit, Unabhängigkeit und Unbefangenheit sowie den Umgang mit Interessenkonflikten .....</b>	<b>10</b>
<b>6</b>	<b>Weitere Informationen / Unterlagen .....</b>	<b>10</b>
<b>7</b>	<b>Kontaktperson .....</b>	<b>12</b>
<b>Anhang</b>	<b>.....</b>	<b>13</b>
7.1	Anhang: Hauptaufgaben / Kompetenzen / Verantwortlichkeiten der Rollenträger .....	13

## 1 Ausgangslage / Hintergrund und Anlass der Situationsanalyse

Seit der ordentlichen Revision des HMG muss gemäss [Art. 54a HMG](#) bei Gesuchen um Zulassung eines Arzneimittels bei der Schweizerischen Zulassungs- und Aufsichtsbehörde für Arzneimittel und Medizinprodukte Swissmedic ein pädiatrisches Prüfkonzept (PPK) eingereicht werden (in Kraft seit dem 1.1.2019). Ein PPK ist ein Forschungsplan für die Anwendung eines Arzneimittels bei Kindern. Durch das Instrument PPK sollen Zulassungsstellende angehalten werden, die Forschung und Entwicklung von Kinderarzneimitteln voranzutreiben. Nebst dieser unmittelbaren Wirkung soll das Instrument PPK mittelbar zu einer Steigerung der Zulassungsgesuche resp. Zulassungen für Kinderarzneimittel führen. Dadurch soll wiederum eine verbesserte Anwendung der Arzneimittel bei Kindern (Medikationssicherheit) erreicht werden.

Zudem wurde mit der ordentlichen Revision des HMG neu die Definition von wichtigen Arzneimitteln für seltene Krankheiten (sog. Orphan Drugs) im [Art. 4 Abs. 1 Bst. a<sup>decies</sup> HMG](#) festgehalten. Von einer seltenen Krankheit (sog. Orphan Disease) wird gesprochen, wenn weniger als 5 von 10 000 Personen in der Schweiz betroffen sind. Mehr als die Hälfte aller wichtigen Arzneimittel für seltene Krankheiten werden in der Pädiatrie eingesetzt. Neu kann für wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten entweder bei der Zulassung ein vereinfachtes Verfahren oder bei bereits zugelassenen Arzneimitteln eine Statusänderung beantragt werden. Hiermit soll erreicht werden, dass auch wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten erforscht und entwickelt werden.

Die Situationsanalyse soll die bisherigen Entwicklungen und Erfahrungen mit dem Instrument PPK und den Massnahmen für wichtige Arzneimittel seltener Krankheiten bei Kindern untersuchen. Für eine Prüfung der erwarteten Wirkung ist es zu diesem Zeitpunkt noch zu früh. Die vorliegende Situationsanalyse soll hauptsächlich durch Erhebungen beim Institut für geistiges Eigentum (IGE) und der Zulassungs- und Kontrollbehörde für Heilmittel in der Schweiz Swissmedic in Erfahrung bringen, wie oft diese Instrumente bereits genutzt wurden und in welcher Art und Weise sie sich bewährt haben. Ebenfalls soll die bisherige Erfahrung bei den Zulassungsstellenden abgeholt werden. Die gesetzliche Grundlage für die Durchführung der Situationsanalyse bildet die Organisationsverordnung für das Eidgenössische Departement des Innern (OV-EDI, [SR 172.212.1](#)).<sup>1</sup> Das vorliegende Pflichtenheft beschreibt den Auftrag der Situationsanalyse.

## 2 Der Gegenstand der Situationsanalyse und sein Kontext

**Der Gegenstand der Situationsanalyse sind die Erfahrungen in der Zulassung mit den Instrumenten «pädiatrisches Prüfkonzept (PPK)» und «wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten» bei Kindern, welche die Versorgung mit Kinderarzneimitteln verbessern sollen.**

### 2.1 Grundlagen: Kinderarzneimittel

Für Kinder gibt es nur wenige zugelassene Arzneimittel, da Arzneimittel in der Regel für Erwachsene entwickelt, an ihnen klinisch erforscht und folglich nur für Erwachsene zugelassen werden. Bei Arzneimitteln, welche nicht für Kinder zugelassen sind, fehlen klinische Studien zur Wirksamkeit, Sicherheit und möglichen Nebenwirkungen für Kinder. Dies betrifft auch viele Arzneimittel, welche bereits seit längerer Zeit in der Schweiz zugelassen sind. Obschon ein Bedarf an klinischen Studien mit Kindern besteht, ist es bis heute aus einer Vielzahl von Gründen schwierig solche Studien durchzuführen. Nebst den wissenschaftlichen Auflagen<sup>2</sup> sind bei Kinderstudien auch die ethischen Bedenken höher, da Kinder besonders schutzbedürftig sind. Hinzukommt, dass die Entwicklungsphase der Kinder (Frühgeborene, Neugeborene, Säuglinge, Kinder oder Jugendliche) berücksichtigt werden muss. Die Entwicklungsphasen besitzen physiologische, pharmakologische und toxikologische Besonderheiten, welche Aufnahme, Stoffwechsel, Entgiftung und Ausscheidung von Arzneimitteln beeinflussen.<sup>3</sup> So kann der Stoffwechsel dazu führen, dass ein Arzneimittel je nach Entwicklungsphase schneller resp. langsamer verarbeitet

<sup>1</sup> [Art. 9 Abs. 3 Bst. b und c OV-EDI](#).

<sup>2</sup> [3. Kapitel: Zusätzliche Anforderungen an die Forschung mit besonders verletzbaren Personen](#) im Bundesgesetz über die Forschung am Menschen (Humanforschungsgesetz, HFG; [SR 810.30](#)).

<sup>3</sup> [«Zur Forschung mit Kindern. Stellungnahme Nr. 16/2009»](#) der Nationalen Ethikkommission im Bereich Humanmedizin (NEK-CNE), S. 7ff.

wird. Zudem sollte bei der Entwicklung von Arzneimitteln für Kinder eine altersgerechte Darreichungsform wie Sirup mit Fruchtgeschmack oder kleinere Tabletten bedacht werden. Weil es sich bei Kindern nicht um eine homogene Einheit handelt, steigt der Aufwand Probanden für Studien (idealerweise für alle Entwicklungsphasen und ggf. auch unterschiedliche Darreichungsformen) zu finden. Nebst dem höhere Aufwand für die Erfüllung der Zulassungsvoraussetzungen ist auch der Absatzmarkt für Kinderarzneimittel heterogen (Zulassung nur für Kinder in getesteter Entwicklungsphase) und somit weniger attraktiv als jener für Erwachsenenarzneimittel.<sup>4</sup>

Die Versorgung und Sicherheit der Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern wurde mit der ordentlichen Revision des HMG verbessert, in dem die folgenden Massnahmen eingeführt bzw. angepasst wurden:

Massnahme	Fokus	Grundlage
Betreibung der nationalen Datenbank «SwissPedDose» zur nationalen Harmonisierung der Dosierung von Arzneimitteln bei Kindern	Verbesserung der Sicherheit der Anwendung von Kinderarzneimitteln (Medikationssicherheit)	<a href="#">Art. 67a HMG</a> , in Kraft seit dem 1.1.2018
Verpflichtung ein <b>pädiatrisches Prüfkonzept (PPK)</b> einzureichen bei Gesuchen um Zulassung eines Arzneimittels	Verbesserte Situation der Forschung und Entwicklung (F&E) sowie der anschliessenden Zulassung von Kinderarzneimitteln. Dies soll zu einer Verbesserung der Versorgung mit Kinderarzneimitteln führen.	<a href="#">Art. 54a HMG</a> , in Kraft seit dem 1.1.2019
<b>Wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten:</b> vereinfachtes Zulassungsverfahren für neue Arzneimittel sowie Statusänderung von zugelassenen Arzneimitteln	Verbesserten Situation der Forschung und Entwicklung (F&E) sowie der anschliessenden Zulassung von Arzneimitteln für seltene Krankheiten. <sup>5</sup> Dies soll nicht nur die Versorgung von Arzneimitteln für seltene Krankheiten, sondern auch die Situation für Kinderarzneimittel verbessern.	<a href="#">Art. 4 Abs. 1 Bst. a<sup>de</sup>cies HMG</a> , <a href="#">Art. 11b Abs. 4 HMG</a> , <a href="#">Art. 14 Abs. 1 Bst. f HMG</a> , in Kraft seit dem 1.1.2019

Um den Stand der Umsetzung der drei oben genannten Hauptmassnahmen zu untersuchen, schreibt das BAG im Jahr 2021 zunächst zwei Situationsanalysen aus. Zunächst eine Situationsanalyse mit dem Fokus auf die Sicherheit der Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern (SwissPedDose).<sup>6</sup> Anschliessend die im vorliegenden Pflichtenheft beschriebene Situationsanalyse mit dem Fokus auf die Entwicklung sicherer Versorgung mit Kinderarzneimitteln (PPK und wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bei Kindern). Nach Abschluss der beiden Situationsanalysen ist eine umfassende Evaluation der Massnahmen zu Verbesserung der Versorgung und Sicherheit der Anwendung von Arzneimitteln bei Kindern geplant.

## 2.2 Kontext

### 2.2.1 Parlamentarischer Vorstoss

Das [Postulat Moser](#) «Stärkung der Kinder- und Jugendmedizin. Versorgungslücken schliessen» ([19.4207](#), im Rat noch nicht behandelt) verlangt eine Berichterstattung über die Massnahmen zur Schliessung von Versorgungslücken in der Pädiatrie sowie über die Erhöhung der Verfügbarkeit und Vergütung von Kinderarzneimitteln. Erstens soll für das PPK eine Wirkungsanalyse als Basis für Optimierungsentscheide erstellt werden. Zweitens soll aufgezeigt werden, welche Strategie angewendet

<sup>4</sup> Swissmedic-Webseite «[Kinderarzneimittel](#)».

<sup>5</sup> Da mehr als die Hälfte aller Arzneimittel für seltene Krankheiten in der Pädiatrie eingesetzt werden, ist die Massnahme zentral für eine Verbesserung der Versorgung mit Kinderarzneimitteln.

<sup>6</sup> Das Pflichtenheft inkl. Nennung der Mandatnehmenden der Situationsanalyse SwissPedDose wird auf der BAG-Webseite «[Evaluationsberichte «Biomedizin und Forschung»](#)» veröffentlicht.

wird für bereits zugelassen Arzneimittel ohne Arzneimittelinformationen für die Pädiatrie (Off-Label-Use). Drittens sollen die Möglichkeiten der Vergütung aufgezeigt werden, da in der Pädiatrie die Arzneimittel oft im Off-Label-Use oder Unlicensed Use verschrieben werden und somit nicht automatisch von der OKP gedeckt sind.

Der Bundesrat sieht keinen zusätzlichen Handlungsbedarf für die Punkte zwei<sup>7</sup> und drei,<sup>8</sup> ist jedoch bereit auf Punkt eins einzutreten. Jedoch sei es für die eigentliche Wirkungsanalyse der PPK in Form einer Evaluation noch zu früh, da Gesetzesevaluation üblicherweise erst fünf Jahre nach Inkrafttreten durchgeführt werden. Die Resultate der Evaluation sollen voraussichtlich Anfang 2024 vorliegen. Ein definitiver Entscheid ist jedoch noch ausstehend, da das Postulat Moser noch nicht im Rat behandelt wurde. Die Anliegen werden in der vorliegenden Situationsanalyse nach Möglichkeit berücksichtigt. Da es wie dargelegt noch zu früh für eine Wirkungsanalyse ist, liegt der Fokus auf den Erfahrungen in der Zulassung mit den Instrumenten «pädiatrisches Prüfkonzept (PPK)» und «wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten» bei Kindern.

### 2.2.2 Internationale Entwicklungen: EU-Verordnungen für Kinderarzneimittel und Arzneimittel für seltene Leiden

Das PPK der Schweiz ist explizit an die Kinderarzneimittelverordnung der EU angelehnt.<sup>9</sup> Die [Verordnung \(EG\) Nr. 1901/2006 über Kinderarzneimittel](#) trat am 1.1.2007 in Kraft. Bereits am 22.1.2000 ist die [Verordnung \(EG\) Nr. 141/2000 über Arzneimittel für seltene Leiden](#) in Kraft getreten. Die Europäische Kommission hat am 11.8.2020 eine [Evaluation der beiden Verordnungen](#) publiziert.

## 3 Angaben zur Situationsanalyse

### 3.1 Organigramm



Die externe Situationsanalyse wird durch die Steuergruppe gesteuert, welche mit Vertretungen des BAG, dem IGE und der Swissmedic besetzt ist. Das IGE wird in der Steuergruppe vertreten durch den Rechtsdienst Gewerbliche Schutzrechte der Abteilung Recht & Internationales. Swissmedic wird in der Steuergruppe vertreten durch die Abteilung Regulatory Operations & Development. Seitens BAG sind die Sektion Heilmittelrecht (HMR), die Sektionen Rechtsbereich 2 (RB2) und Arzneimittelaufnahmen (AMA) in der Steuergruppe vertreten. HMR und RB2 sind im BAG für die Betreuung resp. die rechtliche Unterstützung des Heilmittelgesetzes und der entsprechenden Bundesratsverordnungen zuständig.

<sup>7</sup> Die Strategie für zugelassen Arzneimittel wurde bereits bei der Revision des HMG und in der Strategie Gesundheit 2020 bekannt gemacht und beinhaltet nebst dem PPK auch die Datenbank «SwissPedDose».

<sup>8</sup> Die Vergütung ist bereits in den Art. 71a-71d KVV geregelt, welche 2020 evaluiert wurden (Bericht).

<sup>9</sup> [Art. 54a Abs. 2 Bst. b HMG](#).

AMA prüft die Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit von neu zugelassenen Arzneimitteln und Indikationen (WZW-Kriterien) und kann Arzneimittel resp. Indikationen in die Spezialitätenliste (SL) aufnehmen. Die Projektleitung der Situationsanalyse (PL) liegt bei der Fachstelle Evaluation und Forschung (E+F). Die Hauptaufgaben, Kompetenzen und Verantwortlichkeiten der Rollenträger des Organigramms werden im Anhang 7.1 ausführlich beschrieben.

### 3.2 Ziel und Zweck

Ziele des Mandats	Zweck des Mandats	Indikatoren für die Wirkung des Mandats
Die Situationsanalyse beschafft das notwendige Wissen und macht adressatengerechte Empfehlungen.	Bewährtes und Optimierungsbedarf für das Instrument PPK sind bekannt und Empfehlungen sind formuliert.	<ul style="list-style-type: none"> <li>Die Steuergruppe nimmt Stellung zu den Ergebnissen der Situationsanalyse.</li> <li>Handlungsbedarf ist identifiziert.</li> <li>Optimierungsentscheide werden gefällt.</li> </ul>

### 3.3 Fragestellungen

Die Situationsanalyse soll die bisherigen Entwicklungen und Erfahrungen mit dem Instrument PPK und den Massnahmen für wichtige Arzneimittel seltener Krankheiten bei Kindern untersuchen sowie Vorteile und allfälligen Nachteile aufzeigen. Durch die Situationsanalyse sollen Fragen zu den folgenden drei Schwerpunkten beantwortet werden:

1. Wie ist die **Einführung des Instrumentes «Pädiatrisches Prüfkonzept (PPK)»** und der **Massnahmen für Arzneimittel seltener Krankheiten bei Kindern** aus der Sicht der zentralen «Nutzbenden» (Zulassungsstellende, Swissmedic, IGE, BAG) zu **beurteilen** (Entwicklungen, Erfahrungen, Vorteile, Nachteile)?<sup>10</sup>
2. Sehen die zentralen Nutzbenden in Bezug auf die PPK und/oder die Massnahmen für Arzneimittel seltener Krankheiten bei Kindern **Optimierungsbedarf**?
3. Können aus der **Einführung der PPK-Verpflichtung resp. den Massnahmen für wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bei Kindern in der EU und den allfälligen Auswirkungen** in den Bereichen Forschung und Entwicklung resp. Zulassung von Kinderarzneimitteln **Lehren für die Schweiz** gezogen werden? Falls ja, welche?

Die ausführlicheren Fragestellungen geben die Untersuchungsrichtung vor. Sie sollen im Rahmen der Offertstellung und im Laufe der Untersuchung weiterentwickelt werden.

*Hinweis:* Es kann noch keine aussagekräftige Analyse der Wirkungen der Zulassungsmassnahmen durchgeführt werden, da die Massnahmen erst seit dem 1.1.2019 in Kraft sind. Zum Beispiel: Das PPK beschreibt einen Forschungsplan für klinische Studien mit Kindern, welcher mit einem Zulassungsgesuch eingereicht wird. Die Durchführung dieser Studien mit Kindern dauert üblicherweise mehrere Jahre und erst anschliessend kann ein Zulassungsgesuch für ein Kinderarzneimittel eingereicht und eine umfassende Wirkungsanalyse des Instrumentes PPK durchgeführt werden.

### 3.4 Design und Methodik<sup>11</sup>

Die Offerierenden sind in der Wahl ihres Ansatzes und der geeigneten Methodik grundsätzlich frei. Erwartet wird jedoch eine Kombination aus verschiedenen Methoden. Das Forschungsdesign ist in der Offerte möglichst konkret und nachvollziehbar darzustellen. Die Offerte sollte eine Methodentabelle<sup>12</sup> beinhalten, welche die Fragestellung den Methoden zuordnet.

*Lehren für die Schweiz:* Erwartet wird eine Analyse der Einführung der PPK-Verpflichtung resp. den Massnahmen für wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bei Kindern in der EU und den allfälligen Auswirkungen in den Bereichen Forschung und Entwicklung resp. Zulassung von Kinderarzneimitteln. Dazu sollen zumindest die Nachbarländer der Schweiz (Deutschland, Frankreich, Italien und Österreich) betrachtet werden. Basierend auf der Analyse sollen allfällige voraussehbare Auswirkungen für die Schweiz beschrieben werden.

<sup>10</sup> Hier interessiert z.B. die Qualität und Quantität der eingereichten PPK sowie die Abläufe und Prozesse.

<sup>11</sup> Die Kosten der Methodik (bspw. die Übersetzung von Fragebögen) liegen im Aufgabenbereich der Mandatnehmenden und müssen innerhalb des Kostendachs berücksichtigt werden.

<sup>12</sup> Siehe «4. Multimethodische Ansätze» des Merkblatts «[Erstellung und Beurteilung von Evaluationsofferten](#)».

### 3.5 Erwartete Produkte und Leistungen

Produkt / Leistung	Quantitative Indikatoren	Qualitative Indikatoren
<b>Kick-Off Meeting</b>	Teilnahme am Kick-off Meeting und Einholen des genaueren Auftragsverständnis	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Konsolidiertes Auftragsverständnis</li> <li>• Detaillierte Rollenklärung: Auftrag / Aufgaben / Kompetenzen / Verantwortung.</li> </ul>
<b>Detaillierter Arbeits- und Zeitplan (Detailkonzept) (d oder f)</b>	Nach Kick-off Meeting präsentiertes Word- oder Excel-Dokument	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Auftragsumschreibung</li> <li>• Nennung der Fragestellungen</li> <li>• Klare und chronologische Aufführung der Projektetappen (Vorgehen)</li> <li>• Aufführen von Terminen, Leistungen, Produkten und ggf. deren Kosten</li> <li>• Fristeinhaltung.</li> </ul>
<b>Präsentation und Diskussion der Zwischen- und Schluss-ergebnisse (d oder f)</b>  → Zwischenbericht entspricht dem Foliensatz für die Präsentation der Zwischenergebnisse	Umfang, Dauer und Form der Präsentation werden noch festgelegt  Powerpoint-Folien und PDF-Format	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Klare Struktur, gute Lesbarkeit und Verständlichkeit der Folien</li> <li>• Adressatengerechte Aufbereitung der Inhalte</li> <li>• Offene Darlegung allfälliger Schwierigkeiten und Grenzen der Situationsanalyse</li> <li>• Fokussierung auf wichtigste handlungs- und entscheidungsrelevante Resultate</li> <li>• Anstösse für eine vertiefte Diskussion (vor allem strategischer und politischer Erkenntnisse).</li> </ul>
<b>Schlussbericht der Situationsanalyse (Entwurf, Einarbeitung der Ergebnisse der Meta-Evaluation<sup>13</sup> und definitive Version<sup>14</sup>) (d oder f)</b>	Max. 40 A4 Seiten (ohne Anhang)  Word- und PDF-Format	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Klarer Aufbau, gute Lesbarkeit und Verständlichkeit des Textes</li> <li>• Adressatengerechte Aufbereitung der Inhalte</li> <li>• Präzise Quellenangaben und Querverweise</li> <li>• Grafiken und Text ergänzen sich sinnvoll</li> <li>• Offene Darlegung von Schwierigkeiten und Grenzen der Situationsanalyse</li> <li>• Klare Trennung von Fakten, Beschreibung und Interpretation</li> <li>• Empirisch gestützte und plausible Schlussfolgerungen und Erkenntnisse</li> <li>• Realistische und umsetzbare Empfehlungen (operativ, strategisch, politisch)</li> <li>• Fristeinhaltung</li> <li>• Ergebnisse aus der Meta-Evaluation fließen in den definitiven Schlussbericht ein</li> <li>• Definitiver Schlussberichts liegt in einwandfreier Qualität und zeitgerecht vor.</li> </ul>

<sup>13</sup> **Meta-Evaluation:** Bei der Meta-Evaluation im BAG handelt es sich um die fachliche, wissenschaftliche, methodische und ethische Qualitätskontrolle der Produkte des Mandats vor ihrer Fertigstellung. Federführend und verantwortlich für die Durchführung der Qualitätskontrolle ist die Fachstelle E+F. Die *Prüfung der fachlichen Korrektheit (Richtigkeit) der Inhalte* obliegt primär den in die Projektorganisation der Situationsanalyse eingebundenen internen und externen Fachpersonen respektive Fach- oder Aufgabenverantwortlichen. Die *Prüfung wissenschaftlicher, methodischer und ethischer Aspekte* – unter Beachtung der entsprechenden SEVAL-Standards – obliegt primär der zuständigen Projektleitung der Situationsanalyse im BAG. Diese ist auch verantwortlich für eine umfassende und fundierte Rückmeldung an die Mandatnehmenden.

<sup>14</sup> Siehe Checkliste «[Kriterien zur Beurteilung von Evaluationsberichten](#)».

Produkt / Leistung	Quantitative Indikatoren	Qualitative Indikatoren
<p><b>Executive Summary des Schlussberichts</b> (Entwurf, Einarbeitung der Ergebnisse der Meta-Evaluation und definitive Version<sup>15</sup>) (d und f)</p>	<p>Max. 5 A4 Seiten</p> <p>Ist einerseits im Bericht integriert und liegt andererseits als separates Word- und PDF-Dokument vor (identische Versionen).</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Executive Summary des Schlussberichts gemäss Vorlage BAG: Gibt knappen, aber vollständigen Einblick in Bericht und Gegenstand der Situationsanalyse. Es muss: <ul style="list-style-type: none"> <li>- Mandat und Gegenstand erläutern, Begründung der Situationsanalyse liefern, Zweck und Ziele, Fragestellungen enthalten</li> <li>- Methodik und Zuverlässigkeit der Daten beschreiben</li> <li>- Resultate, Schlussfolgerungen, Empfehlungen sowie gewonnene Erkenntnisse präsentieren</li> <li>- Allenfalls Grenzen der Untersuchung aufzeigen</li> </ul> </li> <li>• Richtet sich an ein breites Publikum.</li> <li>• Die Qualität der Übersetzung muss von Mitgliedern des vertragsnehmenden Teams der entsprechenden Muttersprache kontrolliert werden.</li> <li>• Die Kosten der Übersetzung liegen im Aufgabenbereich der Mandatnehmenden und müssen innerhalb des Kostendachs berücksichtigt werden</li> <li>• Fristgerecht.</li> <li>• Ergebnisse aus der Meta-Evaluation fliessen in die definitiven Executive Summaries ein</li> <li>• Definitive Executive Summaries (d und f) liegen in einwandfreier Qualität und zeitgerecht vor.</li> </ul>

Alle Produkte der Situationsanalyse werden einer vorgängigen Qualitätskontrolle durch die Projektleitung im BAG unterzogen. Das gilt insbesondere für den Entwurf des Schlussberichts und die Präsentationen des Zwischen- und Schlussberichts vor dem Versand an weitere Kreise. Die Qualitätskontrolle erfolgt ebenso bei den (zentralen) Erhebungsinstrumenten, vor deren Einsatz. Für die Rückmeldungsschleifen der Produkte und Erhebungsinstrumente sind entsprechende Zeitfenster vor den Terminen (vgl. 3.6 Zeitplan und Meilensteine) einzuplanen. Für die Präsentation sollte berücksichtigt werden, dass der Versand an weitere Kreise vor den Terminen stattfindet.

Über die gesamte Mandatsphase hinweg ist ein regelmässiger Austausch der Mandatnehmenden mit der Projektleitung im BAG vorgesehen (schriftlich, telefonisch, bei Bedarf im BAG).

Eingereichte Entwürfe von Produkten sollen aus Sicht der Autoren und Autorinnen inhaltlich und formal publizierbar sein. Dokumente müssen solange als Entwurf gekennzeichnet sein, bis sie von der Fachstelle Evaluation und Forschung genehmigt sind (siehe Merkblatt «[Formale Vorgaben für Evaluationsberichte](#)»).

<sup>15</sup> Siehe Merkblatt «[Struktur eines 'Executive Summary' einer Evaluationsstudie](#)».

### 3.6 Zeitplan und Meilensteine

Nr.	Meilensteine (Zwischenziele)	Termine
1	<b>Vertragsbeginn</b>	<b>1.9.2021</b>
2	Kick-off Meeting mit Vertretungen der Steuergruppe und PL E+F	7.9.2021 14:00–15:30
3	Detaillierter Arbeits- und Zeitplan liegt vor	20.9.2021
4	Entwurf des Zwischenberichts liegt vor (Foliensatz)	29.11.2021
5	Präsentation und Diskussion des Zwischenberichts	14.12.2021 14:00–16:00
6	Entwürfe des Schlussberichts und des Executive Summary liegen vor	15.4.2022
7	Präsentation und Diskussion des Schlussberichts	10.5.2022 14:00–16:00
8	Einarbeiten der Ergebnisse aus der Meta-Evaluation	6.6.2022
9	Definitive Versionen des Schlussberichts und des Executive Summary liegen vor (inkl. Einarbeitung der Ergebnisse der Meta-Evaluation)	10.6.2022
10	Genehmigung des Schlussberichts und des Executive Summary durch die Steuergruppe	30.6.2022
11	<b>Vertragsende</b>	<b>31.7.2022</b>

Nach der Genehmigung der Schlussprodukte der Situationsanalyse verfasst die Steuergruppe bis spätestens am **31.7.2022** die Stellungnahme zu den Ergebnissen der Situationsanalyse.

### 3.7 Kostenrahmen / Budget

Das Kostendach für die Situationsanalyse beträgt CHF 50 000.- (inkl. MWST). Davon fallen CHF 30 000 im Jahr 2021 und CHF 20 000 im Jahr 2022 an.

Die Auszahlung erfolgt in Raten und ist an die Erfüllung der Meilensteine gemäss vorstehender Planung gebunden. Gedeckt sind nur die effektiven Kosten. Zahlungen erfolgen nur gegen Vorweisung einer Rechnung mit den entsprechenden Belegen.

### 3.8 Verbreitung und Nutzung der Ergebnisse (Valorisierung)

Die Produkte «Executive Summary» und «Schlussbericht» der Situationsanalyse werden zusammen mit einer Stellungnahme der Steuergruppe auf der BAG-Webseite «[Evaluationsberichte «Biomedizin und Forschung»](#)» veröffentlicht.

Das BAG organisiert die Verbreitung der Produkte der Situationsanalyse bei seinen Partnern sowie weiteren interessierten Kreisen und Adressatengruppen.

## 4 Vergabeverfahren des Mandats

Der vorliegende Auftrag wird im Einladungsverfahren vergeben. Potentielle Mandatnehmer werden eingeladen, eine Offerte einzureichen (Angebotsabgabe).

### 4.1 Anforderungen an die Offerte

Die Anforderungen an die Offerte, einschliesslich die Anforderungen an die Mandatnehmenden finden sich im Merkblatt «[Erstellung und Beurteilung von Offerten für Evaluationsmandate](#)». Zusätzlich werden von den Mandatnehmenden folgende Kompetenzen erwartet:

- sehr gute Kenntnisse der sozialwissenschaftlichen Methodik und medizinisches Fachwissen im Bereich Pädiatrie / Pharmakologie



- sehr gute Kenntnisse des Gesundheitswesens / der Gesundheitspolitik der Schweiz und der dazugehörenden Akteure
- sehr gute Analyse- und Synthesefähigkeit
- sehr gute Sprachkompetenzen in Deutsch und Französisch (bei Bedarf auch Italienisch und Englisch).

Eingegangene Offerten werden anhand der Kriterien im «Formular zur Bewertung von Offerten für Evaluationsmandate» beurteilt (siehe Seite 3 im vorgängig erwähnten Merkblatt «[Erstellung und Beurteilung von Offerten für Evaluationsmandate](#)»). Die Kriterien für den Zuschlag für das Mandat sind: Zweckmässigkeit der angebotenen Leistung, Preis (Kosten), Termine, Anbieterbezogene Kriterien sowie der Gesamteindruck, den die Angebotsabgabe hinterlässt.

Bemerkung: Kooperationen, z. B. von privaten und universitären Stellen, sind im Rahmen der Angebotsabgabe möglich.<sup>16</sup>

## 4.2 Meilensteine und Termine im Vergabeprozess

Meilensteine im Vergabeprozess	Termine
Versand Einladung zur Offerteingabe	26.7.2021
Einreichung Interessenbekundung (elektronisch an <a href="mailto:jenny.surbeck@bag.admin.ch">jenny.surbeck@bag.admin.ch</a> )	11.8.2021
Fragen zum Mandat (elektronisch an <a href="mailto:jenny.surbeck@bag.admin.ch">jenny.surbeck@bag.admin.ch</a> )	16.8.2021
Einreichung Offerte (elektronisch an <a href="mailto:jenny.surbeck@bag.admin.ch">jenny.surbeck@bag.admin.ch</a> )	23.8.2021 08:00 Uhr
Selektion der besten Offerten durch die Fachstelle E+F und Versand der Einladung zur Präsentation der Offerten	25.8.2021
Präsentation der Offerten vor der Steuergruppe	31.8.2021 14:00–17:30
Auswahl der Mandatnehmenden durch die Steuergruppe der Situationsanalyse und Kommunikation des Entscheids durch die Fachstelle E+F	1.9.2021

Das BAG hält sich bei der Vergabe seiner Aufträge an die Grundsätze von Artikel 11 des Bundesgesetzes über das öffentliche Beschaffungswesen vom 21. Juni 2019 (BöB, SR 172.056.1<sup>17</sup>). Für diese Vergabe gelten ausschliesslich die Allgemeinen Geschäftsbedingungen (AGB) des Bundes für Dienstleistungsaufträge.<sup>18</sup>

Das BAG behält sich vor, Nachweise gemäss Artikel 4 Absatz 4 und Anhang 3 der Verordnung vom 12. Februar 2020 über das öffentliche Beschaffungswesen (VöB, SR 172.056.11<sup>19</sup>) bei Bedarf nachzufordern (z.B. Handelsregisterauszug, Einhaltung der Bestimmungen über den Arbeitsschutz und der Arbeitsbedingungen etc.).

Selbständigerwerbende legen bitte eine Bestätigung der AHV-Ausgleichskasse (nicht älter als 2 Jahre) bei (→ zum Nachweis des sozialversicherungsrechtlichen Status des selbständigerwerbenden, potentiellen Vertragspartners).

<sup>16</sup> Es ist jedoch eine Stelle als Hauptansprechpartner und allfälliger Vertragspartner zu bezeichnen.

<sup>17</sup> <https://www.fedlex.admin.ch/eli/cc/2020/126/de>

<sup>18</sup> [www.beschaffung.admin.ch/bpl/de/home/auftraege-bund/agb.html](http://www.beschaffung.admin.ch/bpl/de/home/auftraege-bund/agb.html)

<sup>19</sup> <https://www.fedlex.admin.ch/eli/cc/2020/127/de>

## 5 Hinweise auf Vertraulichkeit, Unabhängigkeit und Unbefangenheit sowie den Umgang mit Interessenkonflikten

### Mit der Unterzeichnung der Offerte bestätigen die Offerierenden...

- ...die Wahrung der Vertraulichkeit. Sie behandeln alle Tatsachen vertraulich, die weder offenkundig noch allgemein zugänglich sind und stellen sicher, dass dies auch ihre Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter tun.
- ...ihre Unabhängigkeit und Unbefangenheit. Unabhängig sein bedeutet, dass weder rechtliche noch wirtschaftliche Bindungen zum Evaluationsgegenstand bestehen. Unbefangen bedeutet insbesondere, dass die innere Einstellung zum Gegenstand der Situationsanalyse frei ist.

### Umgang mit Interessenkonflikten

- Die Offerierenden/Auftragnehmer **stellen** insbesondere **sicher**, dass sie selbst sowie beigezogene Experten keinen Interessenkonflikten unterworfen sind und sie ihre Beratung unabhängig und unbefangen durchführen können.
- Mögliche Interessenkonflikte der Offerierenden/Auftragnehmer des BAG sowie der einbezogenen Experten **müssen** vor und während dem Vergabeverfahren sowie während der Auftrags Erfüllung der projektverantwortlichen Person im BAG unverzüglich kommuniziert werden.

## 6 Weitere Informationen / Unterlagen

### Zulassungsmassnahme «pädiatrisches Prüfkonzept (PPK)»

- Swissmedic-Webseiten:
  - «[Humanarzneimittel HMV4](#)»
  - PDF-Dokument «[Wegleitung Pädiatrisches Prüfkonzept](#)» (Neuzulassungen HMV4)
  - PDF-Dokument «[Formular Pädiatrisches Prüfkonzept HMV4](#)»
  - «[Fragen und Antworten zu Pädiatrisches Prüfkonzept HMV4](#)»
  - «[Kinderarzneimittel](#)»
  - Präsentation «[Pädiatrisches Prüfkonzept](#)»
- BAG-Webseiten «[Kinderarzneimittel](#)» und «[Forschungsberichte Kinder- und Jugendgesundheit](#)»
- Webseiten der Europäischen Kommission
  - «[Medicines for children](#)»
  - PDF-Dokument «[Verordnung \(EG\) Nr. 1901/2006 des Europäischen Parlaments und des Rates über Kinderarzneimittel](#)» vom 12.12.2006
  - «[The 2017 Commission Report on the Paediatric Regulation](#)»
  - PDF-Dokument «[10-year Report to the European Commission. General report on the experience acquired as a result of the application of the Paediatric Regulation](#)» vom 27.10.2016
  - PDF-Dokument «[Study on the economic impact of the Paediatric Regulation, including its rewards and incentives](#)» vom Dezember 2016
  - «[Medicines for children & rare diseases – updated rules](#)»
  - PDF-Dokument «[Inception impact assessment: Revision of the EU legislation on medicines for children and rare diseases](#)» vom 25.11.2020 (ohne URL)
- EMA-Webseiten
  - «[Paediatrics: Regulatory and procedural guidance](#)»
  - «[Class waivers](#)»

### Rechtliche Grundlagen (PPK)

- Bundesgesetz über Arzneimittel und Medizinprodukte (Heilmittelgesetz, HMG, [SR 812.21](#)):
  - [Art. 11 Abs. 2 Bst. a Ziff. 6 HMG](#)
  - [Art. 11b Abs. 3 HMG](#)
  - [Art. 54a HMG](#)

- Verordnung über die Arzneimittel (Arzneimittelverordnung, VAM, [SR 812.212.21](#)):
  - [Art. 5 VAM](#)
  - [Art. 9 Abs. 5 VAM](#)
  - [Art. 30 Abs. 4 VAM](#)
  - [Art. 84 VAM](#)
- Verordnung des Schweizerischen Heilmittelinstituts über die Anforderungen an die Zulassung von Arzneimitteln (Arzneimittel-Zulassungsverordnung, AMZV, [SR 812.212.22](#)):
  - [Art. 2 Bst. c AMZV](#)
  - [Art. 13 Abs. 2 AMZV](#)
  - [Anhang 4 Abschnitt 3 Ziff. 13 AMZV](#)

### **Zulassungsmassnahme «wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten» bei Kindern**

- [«Orphanet Schweiz Website»](#)
- Swissmedic
  - Webseite [«Aufgaben»](#), Abschnitt «Wichtige Arzneimittel gegen seltene Leiden (Orphan Drugs bei Humanarzneimitteln)»
  - Präsentation [«Orphan Drugs»](#)
- Webseiten der Europäischen Kommission
  - [«Orphan medicinal products»](#)
    - PDF-Dokument [«Verordnung \(EG\) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates über Arzneimittel für seltene Leiden»](#) vom 16.12.1999
    - [«Evaluation of the medicines for rare diseases and children legislation»](#)
      - PDF-Dokumente der Evaluation [«Joint evaluation of Regulation \(EC\) No 1901/2006 of the European Parliament and of the Council of 12 December 2006 on medicinal products for paediatric use and Regulation \(EC\) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products»](#) und das zugehörige [«Executive Summary of the Evaluation»](#)
      - PDF-Dokument [«Study to support the evaluation of the EU Orphan Regulation»](#)

### Rechtliche Grundlagen (wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten)

- Bundesgesetz über Arzneimittel und Medizinprodukte (Heilmittelgesetz, HMG, [SR 812.21](#)):
  - [Art. 4 Abs. 1 Bst. a<sup>decies</sup> HMG](#)
  - [Art. 11b Abs. 4 HMG](#)
  - [Art. 14 Abs.1 Bst. f HMG](#)
- Verordnung des Schweizerischen Heilmittelinstituts über die vereinfachte Zulassung von Arzneimitteln und die Zulassung von Arzneimitteln im Meldeverfahren (VAZV, [SR 812.212.23](#))
  - [2. Kapitel: Anerkennung des Status als wichtiges Arzneimittel für seltene Krankheiten](#)
    - Art. 4-7 VAZV
  - [4. Abschnitt: Wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten \(Orphan Drugs, MUMS\)](#)
    - Art. 24-26 VAZV
- Verordnung über die Arzneimittel (Arzneimittelverordnung, VAM, [SR 812.212.21](#)):
  - [Art. 5 VAM](#)
  - [Art. 9 Abs. 5 VAM](#)
  - [Art. 30 Abs. 4 VAM](#)
  - [Art. 84 VAM](#)
- Verordnung des Schweizerischen Heilmittelinstituts über die Anforderungen an die Zulassung von Arzneimitteln (Arzneimittel-Zulassungsverordnung, AMZV, [SR 812.212.22](#)):
  - [Art. 2 Bst. c AMZV](#)
  - [Art. 13 Abs. 2 AMZV](#)
  - [Anhang 4 Abschnitt 3 Ziff. 13 AMZV](#)

## Rechtliche Grundlage der Situationsanalyse

- Organisationsverordnung für das Eidgenössische Departement des Innern (OV-EDI, [SR 172.212.1](#))
  - [Art. 9 Abs. 3 Bst. b OV EDI](#)
  - [Art. 9 Abs. 3 Bst. c OV EDI](#)

## Formale und methodische Angaben zu Situationsanalysen (analog zu Evaluationen im BAG)

- [Evaluationsmanagement im BAG unter Beachtung der Qualitätsstandards der Schweizerischen Evaluationsgesellschaft SEVAL](#)
- [Evaluationsglossar des BAG \(2017\)](#)

## 7 Kontaktperson

### Projektleitung der Situationsanalyse im BAG

Dr. Jenny Surbeck, wissenschaftliche Mitarbeiterin der Fachstelle Evaluation und Forschung (E+F)  
Email: [jenny.surbeck@bag.admin.ch](mailto:jenny.surbeck@bag.admin.ch), Telefon: +41 58 467 40 57

## Anhang

### 7.1 Anhang: Hauptaufgaben / Kompetenzen / Verantwortlichkeiten der Rollenträger

Die Rollenträger gemäss Organigramm der Situationsanalyse haben die folgenden Hauptaufgaben, Kompetenzen und Verantwortlichkeiten:

<b>Rollenträger</b>	<b>Hauptaufgaben/Kompetenzen/Verantwortlichkeiten</b>
<b>Auftraggeber</b>	<b>Gesamtverantwortung für das Projekt</b> <ul style="list-style-type: none"><li>• Formelle Erteilung des Auftrags zur Durchführung des Projekts im Rahmen der Evaluations- und Projektplanung des BAG</li><li>• Sicherstellung der Ressourcen</li><li>• Kenntnisnahme der Resultate</li></ul>
<b>Steuergruppe</b>	<b>Überwachung und Steuerung des Projekts aus gesamtheitlicher Sicht</b> <ul style="list-style-type: none"><li>• Genehmigung des Pflichtenhefts der Situationsanalyse (Projektauftrag)</li><li>• Wahl der Mandatnehmenden</li><li>• Genehmigung der Produkte der Situationsanalyse</li><li>• Diskussion der Resultate und Validierung ausgewählter Erkenntnisse</li><li>• Entscheidung über Verbreitung und Nutzung der Resultate</li><li>• Verfassen der Stellungnahme zu den Ergebnissen der Situationsanalyse</li></ul>
<b>Projektleitung</b>	<b>Planung, Koordination, Prozessführung und Begleitung der Situationsanalyse gemäss den Zielen des Evaluationsmanagements im BAG</b> <ul style="list-style-type: none"><li>• Führung des Stakeholder-Managements und der Kommunikation</li><li>• Erarbeitung des Pflichtenhefts der Situationsanalyse (Projektauftrag)</li><li>• Durchführung des Beschaffungsverfahrens einschliesslich Vorauswahl der eingegangenen Offerten für die Durchführung des Mandats der Situationsanalyse</li><li>• Verantwortung für die Vorgehensziele und die Projektergebnisse (Zeit, Kosten, Qualität der Methodik und der Produkte der Situationsanalyse)</li><li>• Unterstützung bei der Verbreitung und Nutzung der Ergebnisse der Situationsanalyse</li></ul>
<b>Externes Mandat</b>	<b>Durchführung der Situationsanalyse</b> unter Berücksichtigung der Qualitätsstandards der Schweizerischen Evaluationsgesellschaft SEVAL (SEVAL-Standards) <ul style="list-style-type: none"><li>• Auftragserfüllung gemäss Vertrag</li></ul>