



BfArM

Bundesinstitut für Arzneimittel
und Medizinprodukte

Erläuterungen zum Formular für die Anzeige eines Arzneimittel-Härtefallprogramms gemäß § 3 Abs. 2 Arzneimittel-Härtefall-Verordnung (AMHV)*

Version 2 vom 20.01.2011

Nachfolgende Tabelle enthält Erläuterungen zu den bei der Anzeige eines Arzneimittel-Härtefallprogramms gemäß § 3 Abs. 2 AMHV vorzunehmenden Angaben bzw. vorzulegenden Unterlagen.

Nr. entspr. § 3 Abs. 2 AMHV	Angaben oder Unterlagen gemäß § 3 Abs. 2 AMHV	Angabe / Erläuterung
Nr. 1	Name oder Firma sowie die Anschrift der verantwortlichen Person und, sofern vorhanden, des in der Europäischen Union oder in einem anderen Vertragsstaat des Abkommens über den Europäischen Wirtschaftsraum niedergelassenen Vertreters,	<i>Die verantwortliche Person kann eine juristische oder natürliche Person oder aber auch eine Gesellschaft bürgerlichen Rechts sein. Typische verantwortliche Personen sind z.B. der Antragsteller einer Zulassung oder der Sponsor einer genehmigten, noch laufenden klinischen Prüfung in der angezeigten Indikation. Die verantwortliche Person trägt umfassend Verantwortung für das Härtefallprogramm. Dies schließt Veranlassung, Organisation und Finanzierung des Härtefallprogramms mit ein. Sofern ein gesetzlicher Vertreter benannt wird, hat dieser dieselben Pflichten wie die verantwortliche Person.</i>
Nr. 2	Bezeichnung oder Code des Arzneimittels, Bezeichnung der Wirkstoffe nach Art und Menge, sonstige Bestandteile nach der Art, Darreichungsform, Art der Anwendung, Dosierung und Behandlungsschema,	<i>Die Bezeichnung des Arzneimittels und die Angabe der Wirkstoffe dienen der Identifizierung des im Härtefallprogramm eingesetzten Arzneimittels. Die Bezeichnung kann z.B. der im Zulassungsverfahren beantragte Handelsname oder der Code, der im Rahmen einer klinischen Prüfung für das Prüfearzneimittel benutzt wird, sein. Die INN-Bezeichnung sollte - sofern vorhanden - immer angegeben werden.</i>



Nr. entspr. § 3 Abs. 2 AMHV	Angaben oder Unterlagen gemäß § 3 Abs. 2 AMHV	Angabe / Erläuterung
Nr. 3	Beschreibung der zu einer schweren Behinderung führenden oder lebensbedrohenden Erkrankung, an der die Patientinnen und Patienten leiden und für die das Arzneimittel bestimmt ist,	<i>Hier ist anzugeben, an welcher schwerwiegenden Erkrankung die Patientengruppe leidet, für die das Härtefallprogramm angezeigt wird. Für die Voraussetzungen eines Arzneimittel-Härtefallprogramms nach AMHV und Arzneimittelgesetz (AMG) muss die Erkrankung zu einer schweren Behinderung führen oder lebensbedrohend sein. Da die Definition des Begriffs „Behinderung“ eine Erkrankungsdauer von mindestens 6 Monaten enthält, ist auch die im europäischen Recht vorgesehene Anforderung „chronisch“ enthalten. Zu beachten ist, dass das Arzneimittel in einem direkten Behandlungsbezug zu dieser Erkrankung stehen muss, d.h. unmittelbar angewendet wird, um diesen Zustand zu behandeln.</i>
Nr. 4	Kriterien für die Auswahl der Patientinnen und Patienten und Angabe der voraussichtlichen Patientenzahl,	<i>Hier ist eine Beschreibung der Auswahlkriterien in Form von Ein- und Ausschlusskriterien für die Patienten anzugeben. Diese richtet sich zum einen nach der Erkrankung und Art der bereits erfolgten und nicht dauerhaft erfolgreichen Vorbehandlungen, zum anderen nach dem Profil des Arzneimittels, welches z.B. gewisse Einschränkungen in der Anwendung aufweist. Kommt das Arzneimittel-Härtefallprogramm z.B. in einer so genannten „Second line“-Therapie einer Erkrankung zum Einsatz, so ist hier anzugeben, welche „First line“-Therapie(n) als Vorbedingungen für die Teilnahme an dem Härtefallprogramm bereits erfolgt sein müssen bzw. kontraindiziert sind. Weiterhin sind Angaben zur voraussichtlichen Patientenzahl gefordert. Diese Angabe ist eine Schätzung und soll lediglich darüber informieren, für wie viele Patientinnen und Patienten das Programm organisiert wird. Allerdings sind wesentliche Abweichungen (mehr als 10% nach oben) von der Schätzung der zuständigen Bundesoberbehörde nach § 5 AMHV anzuzeigen.</i>
Nr. 5	Begründung, dass diese Patientinnen und Patienten nicht zufriedenstellend mit einem zum Inverkehrbringen im Geltungsbereich des Arzneimittelgesetzes genehmigten oder zugelassenen Arzneimittel behandelt werden können,	<i>Hier ist durch die verantwortliche Person zu begründen, warum für die Patientengruppe des Härtefallprogramms keine zufriedenstellende Behandlung mit einem Arzneimittel möglich ist, das im Geltungsbereich des Arzneimittelgesetzes genehmigt oder zugelassen ist. Das Fehlen einer Behandlungsalternative für die Patientengruppe muss dabei objektiv vorliegen. Nicht zufriedenstellend bedeutet in diesem Zusammenhang, dass in Deutschland kein genehmigtes oder zugelassenes Arzneimittel zur Behandlung der betreffenden Erkrankung erhältlich ist. Dabei ist es unerheblich, ob die Therapiealternative im Wege des zentralen, des dezentralen oder des nationalen Verfahrens genehmigt oder zugelassen ist. Grundsätzlich keine Therapiealternative ist der Einsatz eines zugelassenen Arzneimittels außerhalb seiner zugelassenen Anwendungsgebiete, der so genannte Off-label Gebrauch. Etwas anderes kann dann gelten, wenn der Off-Label Gebrauch dem allgemein anerkannten Standard entspricht. Zum anderen sind aber insbesondere auch solche Fälle erfasst, in denen es zwar ein Arzneimittel gibt, dieses aber bei den für das Härtefallprogramm bestimmten Patientinnen oder Patienten versagt hat, gemäß den Angaben in der Genehmigung oder Zulassung bei den für das Härtefallprogramm bestimmten Patientinnen oder Patienten kontraindiziert ist oder höhere Nebenwirkungen im Hinblick auf Häufigkeit oder Schweregrad im Vergleich zu dem Härtefall-Arzneimittel hat. Die Angabe, dass das neue, im Härtefall-Programm abgegebene Arzneimittel „besser“ als der zugelassene Therapiestandard sei und daher auch ohne Behandlung mit dem zugelassenen Therapiestandard unmittelbar eingesetzt werden soll, kann hingegen i.A. nicht akzeptiert werden, da die Überlegenheit zum Zeitpunkt der Antragstellung meist nicht hinreichend belegt ist, bzw. erst durch eine erteilte „First line“-Therapie-Zulassung im Rahmen der umfangreichen Prüfungen der Zulassungsunterlagen bestätigt wird.</i>

Nr. entspr. § 3 Abs. 2 AMHV	Angaben oder Unterlagen gemäß § 3 Abs. 2 AMHV	Angabe / Erläuterung
Nr. 6	Begründung dafür, dass die Patientinnen oder Patienten in eine laufende klinische Prüfung nicht einbezogen werden können,	<i>Härtefallprogramme sind kein methodischer Ersatz für klinische Prüfungen. Patientinnen und Patienten sind in klinischen Prüfungen besser überwacht als in Härtefallprogrammen und nur klinische Prüfungen können qualitätsgesicherte Daten für die Zwecke der Zulassung generieren. Daher ist aus wissenschaftlicher Sicht, wie auch aus Sicherheitsaspekten für die Patientinnen und Patienten der Einschluss in eine klinische Prüfung die vorrangig zu wählende Behandlungsform. Wenn Patientinnen und Patienten die Kriterien für die Einbeziehung in eine klinische Prüfung erfüllen und eine Behandlung im Rahmen einer laufenden klinischen Prüfung möglich ist, sollten sie in die klinische Prüfung einbezogen und nicht im Rahmen eines Härtefallprogramms behandelt werden. In den Fällen, in denen eine Verlängerung der klinischen Prüfung möglich ist, sollte dies vor Durchführung eines Härtefallprogramms geprüft werden.</i>
Nr. 7	Nachweise, dass das Arzneimittel die nach den anerkannten pharmazeutischen Regeln angemessene Qualität aufweist, sowie eine Bestätigung der sachkundigen Person nach § 14 des Arzneimittelgesetzes, dass das Arzneimittel nach den Grundsätzen und Leitlinien der Guten Herstellungspraxis für Arzneimittel hergestellt ist,	<i>Die angemessene pharmazeutische Qualität muss durch geeignete Unterlagen nachgewiesen werden. Dies können zum Beispiel die für das Arzneimittel im Rahmen einer klinischen Prüfung eingereichten Dossiers für das Prüfpräparat sein. Bei Bezugnahmen auf bereits in Deutschland genehmigte klinische Prüfungen sollte, für den Fall dass eine aktualisierte Version des IMPD eingereicht wird, eine kurze Übersicht über die vorgenommenen Änderungen (z.B. in tabellarischer Form) beigefügt werden. Alternativ können, sofern ein Zulassungsantrag bereits gestellt ist, die mit den im Zulassungsverfahren vorzulegenden Unterlagen oder aussagekräftige Zusammenfassungen dieser Unterlagen vorgelegt werden. Zusätzlich bedarf es der <u>expliziten Vorlage einer Bestätigung über die GMP-gerechte Herstellung des Arzneimittels durch die sachkundige Person („qualified person“, QP).</u></i>
Nr. 8	Belege und Begründung für die Annahme, dass das Arzneimittel sicher und wirksam bei der vorgesehenen Anwendung ist, in der Regel durch Vorlage der Ergebnisse konfirmatorischer klinischer Prüfungen,	<i>Zum Schutz der Patientinnen und Patienten in Härtefallprogrammen sind hinreichend gesicherte Erkenntnisse für die Annahme der Wirksamkeit und Sicherheit des im Härtefallprogramm einzusetzenden Arzneimittels bei der vorgesehenen Erkrankung zu erbringen. Dies geschieht in der Regel durch eine klinische Prüfung der Phase III bzw. durch (konfirmatorische) Ergebnisse klinischer Prüfungen, die eine laufende, noch nicht abgeschlossene klinische Prüfung der Phase III gerechtfertigt haben. In besonderen Ausnahmefällen kann der Nachweis auch durch eine klinische Prüfung der Phase II erbracht werden. Bei der Vorlage von abgeschlossenen Studien, sollte primär eine Synopse des Studienabschlussberichts gemäß ICH E3 "Structure and Content of Clinical Study Reports" vorgelegt werden.</i>
Nr. 9	Kriterien für das Aussetzen oder vorzeitige Beenden des Härtefallprogramms,	<i>Zur Gewährleistung der Patientensicherheit hat die verantwortliche Person Kriterien für das Aussetzen oder das vorzeitige Beenden eines Härtefallprogramms darzulegen.</i>

Nr. entspr. § 3 Abs. 2 AMHV	Angaben oder Unterlagen gemäß § 3 Abs. 2 AMHV	Angabe / Erläuterung
Nr. 10	<p>Nähere Angaben</p> <p>a) zur genehmigten klinischen Prüfung des Arzneimittels im vorgesehenen Anwendungsgebiet mit Angabe der EudraCT-Nummer oder</p> <p>b) zur klinischen Prüfung des Arzneimittels im vorgesehenen Anwendungsgebiet in einem Drittstaat und Nachweis, dass diese nach den international harmonisierten Standards der Guten Klinischen Praxis durchgeführt wird, oder</p> <p>c) über den Genehmigungs- oder Zulassungsantrag, der für das Arzneimittel in dem vorgesehenen Anwendungsgebiet bei der Europäischen Arzneimittel-Agentur, der zuständigen Bundesoberbehörde oder einer für die Zulassung zuständigen Behörde eines Mitgliedstaates gestellt wurde,</p>	<p><i>Die Freistellung von der Genehmigungs- oder Zulassungspflicht im Rahmen eines Härtefallprogramms ist nur gerechtfertigt, wenn parallel zu dem Härtefallprogramm eine klinische Prüfung für das Arzneimittel mit dem gleichen Anwendungsgebiet genehmigt oder ein Genehmigungs- oder Zulassungsantrag gestellt worden ist. Härtefallprogramme legitimieren nicht das dauerhafte Inverkehrbringen von Arzneimitteln ohne Genehmigung oder Zulassung. In den Fällen, in denen es eine begründete Aussicht auf Heilungserfolg gibt, wird einer Gruppe von Patientinnen und Patienten, die an einer schwerwiegenden Erkrankung leiden und mit einem in der Europäischen Union (EU) oder in einem Vertragsstaat des Abkommens über den Europäischen Wirtschaftsraum (EWR) nicht genehmigten oder zugelassenen Arzneimittel therapiert werden können, bereits während der Erprobungsphase und des Genehmigungs- oder Zulassungsverfahrens eine Behandlungsmöglichkeit eröffnet. Härtefallprogramme können aber niemals Ersatz für ein Genehmigungs- oder Zulassungsverfahren sein und können daher auch nicht Härten auffangen, die entstehen, wenn ein pharmazeutischer Unternehmer – aus welchen Gründen auch immer – davon absieht, einen Antrag auf Genehmigung oder Zulassung im Geltungsbereich des Arzneimittelgesetzes oder in einem Mitgliedstaat der Europäischen Union oder einem Vertragsstaat des Abkommens über den Europäischen Wirtschaftsraum zu stellen.</i></p> <p>zu a) <i>Im Fall einer laufenden klinischen Prüfung im vorgesehenen Anwendungsgebiet kann diese in Deutschland aber auch in einem anderen Mitgliedstaat der EU/EWR durchgeführt werden. Es ist die EudraCT-Nummer der genehmigten klinischen Prüfung bei der Anzeige anzugeben.</i></p> <p>zu b) <i>Ein Härtefallprogramm kommt auch in Betracht, wenn eine klinische Prüfung nur in einem Drittstaat durchgeführt wird. In diesem Fall hat die verantwortliche Person nachweisbar darzulegen, dass die klinische Prüfung nach den international harmonisierten Standards der „Guten Klinischen Praxis“ (ICH-GCP) durchgeführt wird. Ein geeigneter Nachweis kann z.B. ein Votum der zuständigen, gemäß Abschnitt 3.2 der ICH-GCP Guidelines operierenden, unabhängigen Ethik-Kommission sein. Dem Votum der unabhängigen Ethik-Kommission muss zu entnehmen sein, welche Studie beraten wurde, welche Unterlagen der Beratung zu Grunde gelegen haben, wie die prüfungsbezogene Bewertung/Entscheidung lautet und wie diese Entscheidung begründet wurde. Dem Votum oder einem entsprechenden Begleitschreiben durch die unabhängige Ethik-Kommission sollte entnommen werden können, dass die unabhängigen Ethik-Kommission gemäß den ICH-GCP Leitlinien arbeitet. Sofern das Votum und eventuelle Begleitschreiben nicht in deutscher oder englischer Sprache vorliegen, sind beglaubigte Übersetzungen vorzulegen.</i></p> <p>zu c) <i>Der gestellte Genehmigungs- oder Zulassungsantrag muss in dem gleichen Anwendungsgebiet wie das des angezeigten Härtefallprogramms entweder bei der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA), der zuständigen Bundesoberbehörde oder bei der zuständigen Behörde eines Mitgliedstaats der EU/EWR gestellt worden sein. Ein Genehmigungs- oder Zulassungsantrag ausschließlich bei einer Zulassungsbehörde eines Drittstaats (z.B. US-amerikanische FDA) genügt nicht den Anforderungen unter c).</i></p>

Nr. entspr. § 3 Abs. 2 AMHV	Angaben oder Unterlagen gemäß § 3 Abs. 2 AMHV	Angabe / Erläuterung
Nr. 11	bei Arzneimitteln, die aus einem gentechnisch veränderten Organismus oder aus einer Kombination von gentechnisch veränderten Organismen bestehen oder solche enthalten, Unterlagen gemäß Anhang II und III der Richtlinie 2001/18/EG des Europäischen Parlaments und des Rates vom 12. März 2001 über die absichtliche Freisetzung genetisch veränderter Organismen in die Umwelt und zur Aufhebung der Richtlinie 90/220/EWG des Rates (ABl. L 106 vom 17.4.2001, S. 1),	<i>Bei Arzneimitteln, die aus einem gentechnisch veränderten Organismus oder aus einer Kombination von gentechnisch veränderten Organismen bestehen oder solche enthalten, müssen besondere Nachweise vorgelegt werden. Gemäß Anhang II der Richtlinie 2001/18/EG gehören hierzu eine Darlegung und Bewertung der Risiken für die Gesundheit nicht betroffener Personen und für die Umwelt sowie eine Darlegung der vorgesehenen Vorkehrungen und, gemäß Anhang III dieser Richtlinie, Informationen über den gentechnisch veränderten Organismus, Informationen über die Bedingungen des Härtefallprogramms und der klinischen Prüfung und über die den gentechnisch veränderten Organismus möglicherweise aufnehmende Umwelt, Informationen über die Wechselwirkung zwischen dem gentechnisch veränderten Organismus und der Umwelt, ein Beobachtungsplan zur Ermittlung der Auswirkungen auf die Gesundheit nicht betroffener Personen und die Umwelt, eine Beschreibung der geplanten Überwachungsmaßnahmen und Angaben über entstehende Reststoffe und ihre Behandlung sowie über Notfallpläne.</i>
Nr. 12	Begründung für eine Behandlung mit einem Arzneimittel, für das ein Antrag auf Genehmigung oder Zulassung des Arzneimittels versagt, zurückgenommen, widerrufen oder ruhend gestellt worden ist oder die Genehmigung einer klinischen Prüfung versagt, zurückgenommen, widerrufen oder ruhend gestellt oder unter Nebenbedingungen erteilt worden ist, unter Angabe der Entscheidungsgründe,	<i>Diese Unterlagen sind nur vorzulegen, wenn ein Antrag auf Genehmigung oder Zulassung des Arzneimittels versagt, zurückgenommen, widerrufen oder ruhend gestellt worden ist oder die Genehmigung einer klinischen Prüfung versagt, zurückgenommen, widerrufen oder ruhend gestellt oder unter Nebenbedingungen erteilt worden ist. Die Ablehnung eines Genehmigungs- oder Zulassungsantrags oder eines Antrags auf Durchführung einer klinischen Prüfung spricht nicht grundsätzlich gegen die Durchführung eines Härtefallprogramms. Der zuständigen Bundesoberbehörde sollen aber die Gründe für die Ablehnung dargelegt werden, damit sie entscheiden kann, ob sich hieraus ein Widerspruchsgrund ergeben könnte (z.B. kein günstiges Nutzen-Risiko-Verhältnis). Die Angabe über Ruhensgründe umfasst dabei sowohl die behördliche Anordnung des Ruhens als auch die durch den Sponsor selbst veranlasste Ruhensanordnung. Ferner ist es von Bedeutung, wenn die klinische Prüfung unter Nebenbestimmungen beispielsweise einer Auflage erteilt worden ist.</i>
Nr. 13	die in der klinischen Prüfung der Prüferin oder dem Prüfer zur Verfügung gestellte aktuelle Prüferinformation oder der im Antrag auf Zulassung oder Genehmigung vorgesehene Entwurf einer Zusammenfassung der Produktmerkmale des Arzneimittels,	<i>Wurde ein Antrag auf Genehmigung oder Zulassung des Arzneimittels gemäß Unterlagen unter Nr. 10 c) gestellt, ist der Entwurf der Zusammenfassung der Produktmerkmale („Summary of Product Characteristics“, SmPC) in deutscher oder englischer Sprache vorzulegen, die identisch mit der Fachinformation nach § 11a AMG ist. Sofern noch kein Genehmigungs- oder Zulassungsantrag gestellt worden ist, ist der Anzeige die Prüferinformation nach § 3 Abs. 4 der Verordnung über die Anwendung der Guten Klinischen Praxis bei der Durchführung von klinischen Prüfungen mit Arzneimitteln zur Anwendung am Menschen (GCP-V) für die in dieser Indikation genehmigte und laufende Studie beizufügen. Im Falle von ausschließlich in Drittstaaten laufenden klinischen Prüfungen ist eine im Wesen, Inhalt und Umfang vergleichbare Dokumentation entsprechend § 3 Abs. 4 GCP-V vorzulegen.</i>

Nr. entspr. § 3 Abs. 2 AMHV	Angaben oder Unterlagen gemäß § 3 Abs. 2 AMHV	Angabe / Erläuterung
Nr. 14	Informationen und Unterlagen, die die Patientinnen und Patienten erhalten, in deutscher Sprache sowie eine Darstellung des Verfahrens der Einwilligung nach Aufklärung durch eine teilnehmende Ärztin oder einen teilnehmenden Arzt,	<i>Die verantwortliche Person hat eine ordnungsgemäße, das heißt insbesondere eine umfassende, inhaltliche korrekte und für die teilnehmende Patientin bzw. den teilnehmenden Patienten verständliche Aufklärung der Patientinnen und Patienten durch die teilnehmenden Ärztinnen und Ärzte sicherzustellen. Zum Schutz der Patientinnen oder Patienten ist es daher wichtig, dass die zuständige Bundesoberbehörde die Möglichkeit hat, von der Patienteninformation Kenntnis zu nehmen. Die Patienteninformation muss dabei in deutscher Sprache vorgelegt werden. Die Patienteninformation sollte sich dabei an die Patienteninformation der laufenden klinischen Prüfung bzw. dem Muster der Gebrauchsinformation anlehnen, was die Charakterisierung des Arzneimittels angeht. Zusätzlich sollte auf die Besonderheiten des Arzneimittel-Härtefallprogramms, insbesondere darauf, dass das Arzneimittel noch nicht zugelassen bzw. genehmigt ist, hingewiesen werden. Die Patientinnen und Patienten sollten im Text gebeten werden, alle Nebenwirkungen, die sie als Folge der Behandlung mit dem Arzneimittel vermuten, der behandelnden Ärztin oder dem behandelnden Arzt mitzuteilen. Der Text sollte grundsätzlich nicht werbender Natur sein und insbesondere nicht den Eindruck erwecken, dass die Teilnahme an besondere Bedingungen, außer den gesetzlichen Vorgaben, geknüpft sei. Die Patienteneinverständniserklärung sollte eine Bestätigung der Patientinnen und Patienten enthalten, dass sie über die allgemeinen Gegebenheiten eines Härtefallprogramms grundsätzlich und über die Besonderheiten dieses Arzneimittel-Härtefallprogramms aufgeklärt wurden, dass sie am Arzneimittel-Härtefallprogramm teilnehmen möchten und dass sie wissen, dass die Teilnahme jederzeit von Seiten der Patientin oder des Patienten beendet werden kann, ohne dass daraus Nachteile für sie erwachsen. Zusätzlich sollten die Patientinnen und Patienten eine getrennte Einverständniserklärung zu den datenschutzrechtlichen Belangen abgeben. Diese sollte beinhalten, dass sich die Patientinnen und Patienten zur pseudonymisierten Weitergabe von Verdachtsfällen auf Nebenwirkungen durch die behandelnde Ärztin oder den behandelnden Arzt bereit erklären und wissen, dass ihr einmal erklärtes Einverständnis zur pseudonymisierten Weitergabe ihrer Daten zur Arzneimittelsicherheit nicht widerrufen werden kann.</i>
Nr. 15	Anforderungen an die ärztlichen Einrichtungen und an die Qualifikation der teilnehmenden Ärztinnen und Ärzte,	<i>Um eine möglichst sichere Anwendung des noch nicht abschließend geprüften Arzneimittels zu gewährleisten, kommt der Auswahl der Einrichtungen und der teilnehmenden ärztlichen Personen eine besondere Bedeutung zu. Die verantwortliche Person hat daher zu definieren, welche Qualitätsanforderungen an die Einrichtung (zum Beispiel Ausstattung) und an die Ärztinnen und Ärzte (beispielsweise besonderes Fachwissen) zu stellen sind, um eine möglichst sichere Anwendung zu gewährleisten.</i>
Nr. 16	Beschreibung der vorgesehenen Maßnahmen zur Gewährleistung einer sicheren Aufbewahrung, Anwendung sowie des Verbleibs der zur Verfügung gestellten Arzneimittel,	<i>Um eine möglichst sicheren Umgang mit dem noch nicht zugelassenen Arzneimittel sicherzustellen, muss die verantwortliche Person darlegen, welche besonderen Sicherheitsvorkehrungen die teilnehmenden Ärztinnen und Ärzte oder Einrichtungen bei der Anwendung des Arzneimittels zu beachten haben. Dabei muss auch dargelegt werden, was mit den Arzneimitteln geschieht, die am Schluss des Härtefallprogramms noch nicht angewendet worden sind (z.B. Rückgabe an die verantwortliche Person).</i>

Nr. entspr. § 3 Abs. 2 AMHV	Angaben oder Unterlagen gemäß § 3 Abs. 2 AMHV	Angabe / Erläuterung
Nr. 17	Angaben, soweit zutreffend, zu bereits laufenden Härtefallprogrammen in Mitgliedstaaten der Europäischen Union oder anderen Vertragsstaaten des Abkommens über den Europäischen Wirtschaftsraum und, soweit vorhanden, Gutachten des Ausschusses für Humanarzneimittel nach Artikel 83 Absatz 4 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004,	<i>Erkenntnisse aus bereits durchgeführten oder laufenden Härtefallprogrammen können Hinweise auf die Wirksamkeit und Unbedenklichkeit geben. Ob Härtefallprogramme durchgeführt worden sind und ob diese z.B. vorzeitig beendet wurden, ist für die Gesamteinschätzung eines Härtefallprogramms wichtig. Dies gilt umso mehr für das Vorliegen eines Gutachtens des zuständigen Ausschusses der Europäischen Arzneimittel-Agentur (CHMP bei der EMA).</i>
Nr. 18	Einverständniserklärung dafür, die Information über die Grundzüge des angezeigten Härtefallprogramms an die Öffentlichkeit weiterzugeben.	<i>Korrespondierend mit der Informationspflicht der zuständigen Bundesoberbehörde gegenüber der Europäischen Arzneimittel-Agentur ist festgelegt, dass die verantwortliche Person sich mit der Veröffentlichung der wesentlichen Inhalte des Härtefallprogramms auf den Internetseiten der zuständigen Bundesoberbehörde einverstanden erklären muss. Zu den wesentlichen veröffentlichten Inhalten des Programms zählen insbesondere der Name der verantwortlichen Person (ggf. Firma), die Bezeichnung des Arzneimittels, die Angaben zum Wirkstoff und zur Darreichungsform und Dosierung, die Art der Anwendung, die Angaben zur Patientengruppe, zur Kontaktperson (bei der verantwortlichen Person, sofern letztere keine natürliche Person ist) und zur Laufzeit. Die Veröffentlichung dient der Transparenz und insbesondere der Information der Patientinnen und Patienten und von im Gesundheitswesen tätigen Personen.</i>

Hinweis: Die in § 7 Satz 1 Nr. 3 AMHV geforderten Angaben zur Beschriftung der Arzneimittelbehältnisse in Arzneimittel-Härtefallprogrammen sind bei der Anzeige der zuständigen Bundesoberbehörde nicht vorzulegen. Die verantwortliche Person nach § 3 Abs. 1 AMHV hat aber sicherzustellen, dass das Arzneimittel nur in Verkehr gelangt, wenn auf den Behältnissen und soweit verwendet auf den äußeren Umhüllungen die geforderten Angaben mindestens enthalten sind.