

**„Das AMNOG im vierten Jahr“**

**Erfahrungsbericht und Regelungsvorschläge  
der forschenden Pharmaunternehmen**

**Berlin, 25. April 2014**

<b>Inhalt</b>	<b>Seite</b>
Executive Summary .....	3
1. Einleitung .....	4
2. Ergebnisse der bisherigen Nutzenbewertungen .....	5
2.1 Zusatznutzen nach Wirkstoffen, Subgruppen und Zielpopulationen .....	5
2.2 Zusatznutzen nach Kategorien .....	6
3. Optimierungsbedarf beim Nutzenbewertungsverfahren .....	9
3.1 Zweckmäßige Vergleichstherapie: 3. AMG-ÄndG ohne gewünschten Effekt .....	9
3.2 Grundprinzip: Verwertung vorhandener Evidenz .....	10
3.3 Realistischer Ansatz bei methodischen Einzelfragen: Endpunkte, Saldierung, Subgruppen, Befristung .....	11
3.4 Verbesserung der Governance: echte Beteiligung der Zulassungsbehörden und Fachgesellschaften .....	13
3.5 Weniger Bürokratie: Verschlinkung der Dossiers .....	14
3.6 Optimierung des Anhörungsverfahrens .....	14
3.7 Rechtsschutz bei G-BA-Beschlüssen .....	15
4. Ergebnisse der Erstattungsbetragsverhandlungen .....	16
4.1 Europäische Erstattungsniveau und internationale Preisreferenzierung .....	16
4.2 Parallelimporte und -exporte .....	18
4.3 Marktrücknahmen und Markteintrittsverzögerungen .....	19
4.4 Verordnungspraxis und Überregulierung .....	20
5. Optimierungsbedarf beim Erstattungsbetragsystem .....	22
5.1 Vermeidung von Fehlanreizen: kein generischer Preisanker .....	22
5.2 Grundprinzip: Verhandlungen statt Zuweisung .....	23
5.3 Stärkung dezentraler Verträge .....	24
5.4 Änderung der Rabattabwicklung .....	25
5.5 Klare Aufgabenteilung: keine Eingruppierung von Arzneimitteln mit Zusatznutzen in das Festbetragsystem .....	25
5.6 Klarstellungen bei der Wirtschaftlichkeit .....	28
6. Regelungen für spezielle Marktsegmente .....	29
6.1 Orphan Drugs im AMNOG: Zusatznutzen-Regelung ist versorgungspolitisch geboten .....	29
6.2 Keine Neuauflage von Bestandsmarktsaufrufen .....	30

## Executive Summary

Seite 3/30

Das AMNOG läuft nach den Erfahrungen der forschenden Pharmaunternehmen in der Praxis keineswegs reibungslos – nicht nur im Einzelfall. Eine Auswertung aller bisherigen Nutzenbewertungen und Erstattungsbetragsverhandlungen zeigt: Es bestehen strukturelle Probleme bei der Umsetzung des AMNOG-Regelwerks. Sie resultieren vor allem daraus, dass der GKV-Spitzenverband das gesamte Verfahren dominiert und seine Machtstellung nutzt, die Erstattungsbeträge von innovativen Arzneimitteln weit unter den europäischen Durchschnitt zu ziehen. Verfahrensoptimierungen sind daher dringend erforderlich.

Insbesondere folgende zielgerichtete Verbesserungen des AMNOG schlägt der vfa vor:

- Bei der frühen Nutzenbewertung muss der Sachverstand der Zulassungshörden und der medizinischen Fachgesellschaften in Zukunft viel besser genutzt werden. Diese wichtigen Experten sind bei den Beratungen und Entscheidungen im G-BA tatsächlich zu beteiligen.
- Inhaltlich müssen die methodischen Anforderungen des G-BA für die frühe Nutzenbewertung mit den Vorgaben der Zulassungsbehörden harmonisiert werden. Sonst besteht kein konsistentes Regulierungsumfeld für die Studienplanung der pharmazeutischen Unternehmen.
- Das Preisniveau von Generika darf nicht der Maßstab für Erstattungsbeträge von innovativen Arzneimitteln sein. Hier ist eine Klarstellung im Gesetz zu den maßgeblichen Verhandlungskriterien erforderlich.
- Die Ausstrahleffekte ins Ausland sind stärker zu berücksichtigen. Es muss sichergestellt sein, dass der Listenpreis des Herstellers weiter in den Preisdatenbanken ausgewiesen und nicht der rabattierte deutsche Preis zum Maßstab der internationalen Preisreferenzierung wird. Eine vertrauliche Rabattgewährung sollte auch durch das Abwicklungsverfahren unterstützt werden.
- Es muss eine transparente, funktionale Aufgabenteilung zwischen der AMNOG-Regulierung und dem Festbetragssystem geben. Arzneimittel mit Zusatznutzen sind über das Erstattungsbetragsystem umfassend preisreguliert und dürfen bis zum Patentablauf nicht in Festbetragsgruppen einsortiert werden.
- Das AMNOG-Verfahren sorgt für ein wirtschaftliches Erstattungsniveau von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Doppelregulierungen auf der Nachfrageseite sind abzubauen.

## 1. Einleitung

Seite 4/30

Der Gesetzgeber hat mit dem Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) eine Neuregelung der Erstattungsbedingungen für innovative Arzneimittel vorgenommen. Eingeführt wurde ein zweistufiges Bewertungs- und Erstattungsverfahren: Zunächst werden Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen einer frühen Nutzenbewertung unterzogen. Anschließend vereinbaren die pharmazeutischen Unternehmer mit dem GKV-Spitzenverband für das Produkt einen Erstattungsbetrag.

Dieses neue Verfahren ist schnell implementiert worden und läuft heute im vierten Jahr. Inzwischen liegen Erfahrungswerte aus einer größeren Zahl von Einzelverfahren vor, so dass Auswirkungen und Fehlentwicklungen zunehmend erkennbar werden. Seit Januar 2011 wurden ca. 90 Verfahren der frühen Nutzenbewertung gestartet, darunter die ersten Verfahren für neue Anwendungsgebiete bereits bewerteter Produkte. Gut 70 Nutzenbewertungsverfahren sind bis heute abgeschlossen worden. In ca. 50 Fällen ist auch die zweite Phase des AMNOG-Prozesses, die Erstattungsbetragsbestimmung, beendet, dabei in mehreren Fällen bereits auf Basis einer zweiten Indikation. Einige weitere Produkte wurden direkt in das Festbetragssystem eingruppiert oder vom Hersteller nach dem Nutzenbewertungsbeschluss des G-BA vom Markt genommen, so dass die Frage des Erstattungsbetrages obsolet war.

Auf den ersten Blick, so könnte man meinen, läuft das neue Verfahren also mit wenigen Friktionen. Tatsächlich machen die betroffenen Unternehmen jedoch vielfach andere Erfahrungen. Der vorliegende Bericht dokumentiert: Die forschenden Pharmaunternehmen können sich der sehr positiven Zwischenbilanz, die Akteure der Selbstverwaltung nach drei Jahren AMNOG-Praxis ziehen, nicht anschließen. Nach ihren Erfahrungen läuft weder das Verfahren der frühen Nutzenbewertung noch das der Vereinbarung von Erstattungsbeträgen wirklich „rund“. An vielen Stellen zeigen sich Probleme bei der Umsetzung des gesetzlichen Regelwerks, die weitere Verfahrensoptimierungen dringend erforderlich machen. Auch jüngst erfolgte Gesetzesänderungen haben nachteilige Auswirkungen, so dass Folgeänderungen nötig sind.

Ein Kernproblem ist die gegenwärtige „Governance-Struktur“ des AMNOG, d. h. die aktuelle Macht- und Kompetenzverteilung bei der frühen Nutzenbewertung und der Erstattungsbetragsfindung: Das AMNOG-Regelwerk sieht keine klare Trennung von Bewertung, Beschlussfassung und Verhandlung vor, die im Sinne einer wissenschaftlichen, neutralen Bewertung selbstverständlich sein müsste. Vielmehr dominiert der GKV-Spitzenverband das gesamte Verfahren. Er ist zu Beginn bei der Festlegung der Bewertungsvorgaben und bei der Beschlussfassung im Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) maßgeblich beteiligt und führt anschließend in einer Monopolstellung

die Erstattungsbetragsverhandlungen. Er ist – bildlich gesprochen – als Regelgeber, Schiedsrichter und Spieler in den AMNOG-Prozess involviert. Institutionell ist damit nicht gewährleistet, dass eine angemessene Bewertung und Preisbildung für Arzneimittelinnovationen stattfindet.

Diese Strukturfrage hat große Versorgungsrelevanz. Wenn keine faire und funktionale Bewertung und Preisbildung für innovative Arzneimittel möglich ist, werden Patienten in Deutschland solche Medikamente in Zukunft nur verzögert oder gar nicht erhalten. Auch wirtschafts- und forschungspolitisch hat Deutschland in der EU eine große Verantwortung und darf nicht zu einem „Billigland“ für Innovationen werden, die anschließend von Parallelhändlern in das europäische Ausland exportiert werden. An diesen Auswirkungen kann niemand in Deutschland ernsthaft ein Interesse haben. Daher sind eine ungeschminkte Bestandsaufnahme und die gemeinsame Suche nach Konfliktlösungen wichtig. Statt – wie von G-BA und GKV-Spitzenverband gewünscht – an vielen vermeintlich „kleinen“ Stellschrauben weitere Verschärfungen oder sogar Umprogrammierungen des Regelwerkes vorzunehmen, sollte das System gesundheits-, wirtschafts- und forschungspolitisch tragfähig ausbalanciert sein.

Der vfa nimmt die These vom AMNOG als „lernendes System“ ernst. Er möchte mit diesem Erfahrungsbericht Problembewusstsein für die Fallstricke des AMNOG-Prozesses schaffen und zielgerichtete Optimierungen vorschlagen, die das Verfahren auch für die pharmazeutische Industrie gängig machen und den Zugang der Patienten zu Innovationen sichern.

## **2. Ergebnisse der bisherigen Nutzenbewertungen**

Bis Mitte April 2014 hat der G-BA 71 Nutzenbewertungsbeschlüsse gefasst. Eine genauere Analyse zeigt, dass seine Entscheidungen keineswegs so positiv ausgefallen sind, wie vielfach kommuniziert. Tatsächlich geben die im folgenden zusammengefassten Ergebnisse Anlass, die Prüfmaßstäbe des G-BA selbst zu überprüfen.

### **2.1 Zusatznutzen nach Wirkstoffen, Subgruppen und Zielpopulationen**

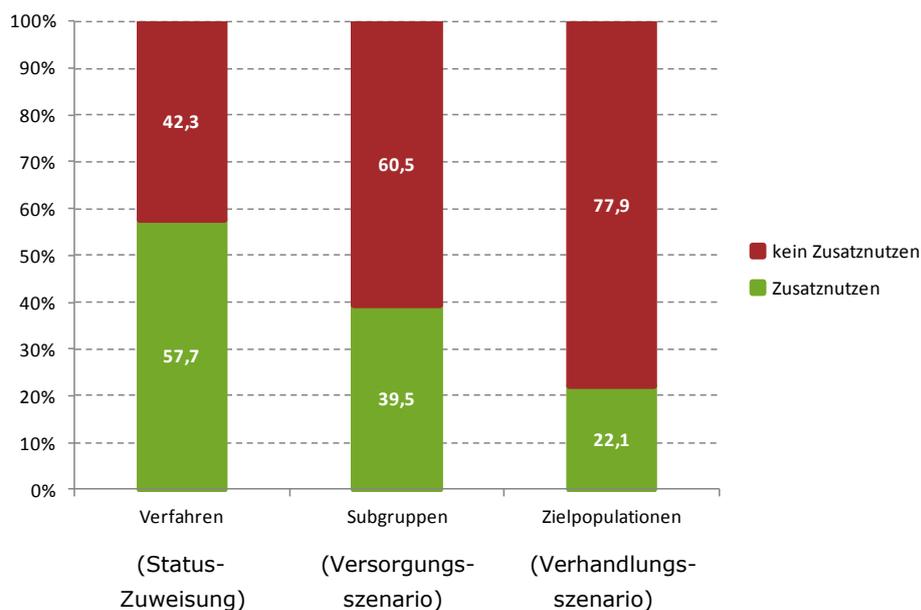
Eine Auswertung aller vorliegenden Nutzenbewertungsbeschlüsse des G-BA (N=71, ohne Verfahrenseinstellungen und -doppelungen, Stand: 22.04.2014) ergibt ein differenziertes Bild: Der G-BA attestierte zwar der Mehrzahl der bewerteten Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen einen Zusatznutzen (etwa 58 Prozent). Allerdings wurde ihnen dieser zumeist nur in Teilen eines Anwendungsgebietes beschieden. Dies zeigt eine Auswertung auf Subgruppenebene. Bei den insgesamt

bewerteten Subgruppen (N=124) sah der G-BA nur in etwa 40 Prozent der Fälle einen Zusatznutzen (vgl. Graphik 1).

Seite 6/30

### Graphik 1:

Zusatznutzen bewerteter Arzneimittel (G-BA-Beschlüsse, Stand 22.04.2014)



Für die anschließenden Erstattungsbetragsverhandlungen ist vor allem eine dritte Auswertungsebene relevant: diejenige nach Größe der von der Krankheit betroffenen Zielpopulation. Da der GKV-Spitzenverband „Mischpreise“ über alle Zielpopulationen vereinbaren will, haben große Zielpopulationen einen größeren „budget impact“ für die Verhandlungspartner als kleinere Gruppen. Die Größe der Zielpopulation mit Zusatznutzen ist daher ein wichtiger Verhandlungsparameter. Auf dieser Ebene erweist sich die Bewertungspraxis des G-BA als sehr restriktiv: In den bisher abgeschlossenen Verfahren sprach der G-BA nur für gut 22 Prozent der betroffenen Zielpopulationen einen Zusatznutzen aus (vgl. Graphik 1). Es zeigt sich, dass die bewerteten Arzneimittel eher für Subgruppen mit kleineren Zielpopulationen eine positive Bewertung erhielten als für Subgruppen mit größeren Zielpopulationen.

## 2.2 Zusatznutzen nach Kategorien

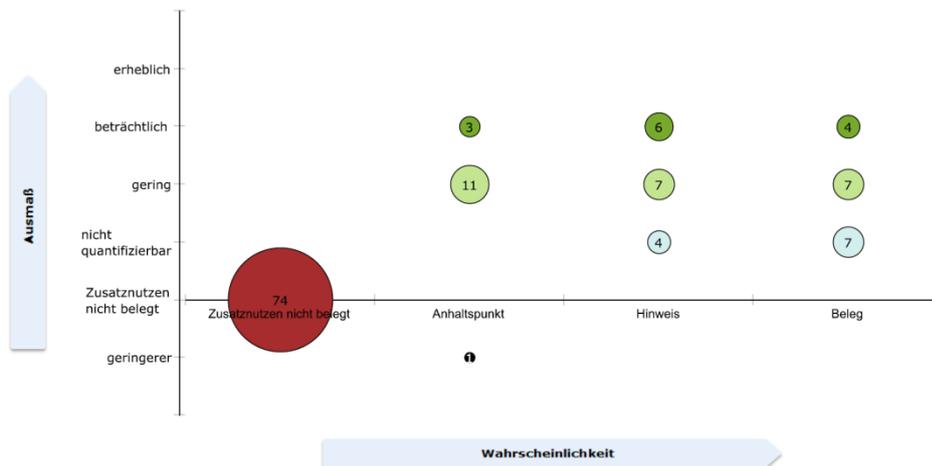
Im Detail ist die Zusatznutzenbewertung in Deutschland sehr komplex gestaltet. Neben der Unterscheidung nach Anwendungsgebiet und Subpopulation wird das Bewertungsergebnis zusätzlich nach „Ausmaß des Zusatznutzens“ und „Wahrscheinlichkeit der Aussage“

differenziert. Die Grundlagen für diese Klassifizierung finden sich in der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV), die der G-BA in seiner Verfahrensordnung weiter spezifiziert hat.

Bei einer Auswertung nach vergebenen Kategorien wird ersichtlich, dass der G-BA, wenn er für eine Subpopulation einen Zusatznutzen sieht, diesen eher niedrig einstuft: Die Kategorie „gering“ wird am häufigsten vergeben, die Einstufung „beträchtlich“ deutlich seltener. Die Ausmaßkategorie „erheblich“, die beste Note im Ranking, wurde bei 71 abgeschlossenen Verfahren mit 124 Subpopulationen kein einziges Mal erteilt (vgl. Graphik 2). In die Kategorie „geringer Zusatznutzen“ wurden auch lebensverlängernde Arzneimittel (etwa aus dem Bereich der Onkologie) nach einer Abwägung von unterschiedlichen Begleiteffekten einsortiert. Dies geschah selbst dann, wenn neben den positiven Effekten keine negativen Begleiteffekte nachgewiesen werden konnten. Das unterstreicht: Die Zuordnung des Zusatznutzens durch den G-BA entzieht sich letztlich einer fundierten wissenschaftlichen Bewertung, auch wenn dies wegen der vorgeschalteten Nutzenbewertung suggeriert wird.

#### Graphik 2:

Zusatznutzen nach Ausmaß und Ergebnissicherheit in 124 bewerteten Subpopulationen (G-BA Beschlüsse, Stand 22.04.2014)

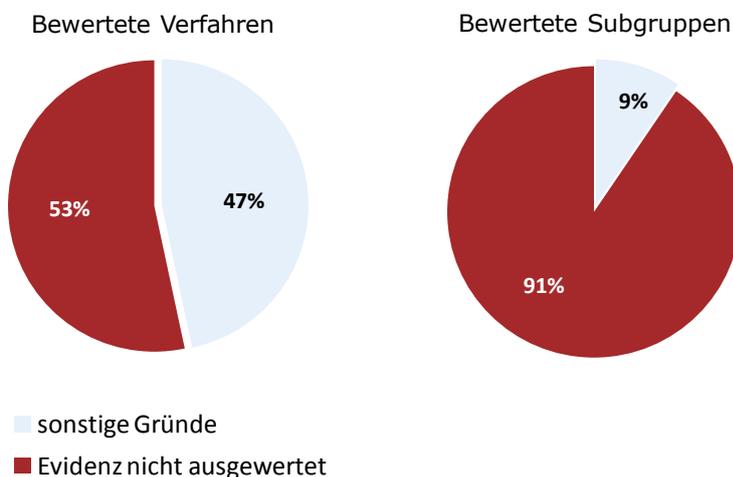


Ein ähnliches Bild ergibt sich mit Blick auf die Ergebnissicherheit. Bei der Einstufung der Wahrscheinlichkeit der Aussage sah der G-BA bis dato ebenfalls überwiegend „Hinweise“ oder „Anhaltspunkte“ als „Belege“. Die höchste Kategorie „Beleg“ findet sich vor allem bei Wirkstoffen mit Orphan-Drug-Status, bei denen sich dies unmittelbar aus der Zulassung ergab (vgl. Graphik 2).

Die zahlreichen negativen Beschlüsse des G-BA ergeben sich überwiegend nicht aus einer Studiauswertung, sondern aufgrund von Inkongruenzen zwischen den Bewertungsmaßstäben des G-BA und der bestverfügbaren Evidenz (wissenschaftliche Erkenntnisse aus Studien) nach der Zulassung. Eingereichte Studien werden in vielen Fällen von vorneherein als nicht bewertungsrelevant eingestuft, so dass kein Zusatznutzen aus quasi formalen Gründen festgestellt wird, ohne dass die Studien im Einzelnen betrachtet werden. Analysiert man die Beschlüsse ohne Zusatznutzen, so zeigt sich, dass in mehr als der Hälfte der Fälle die verfügbare Evidenz gar nicht ausgewertet worden ist. Bei einer Betrachtung von negativ bewerteten Subgruppen steigt dieser Anteil sogar auf rund 90 Prozent (vgl. Graphik 3). Fast immer lagen zwar randomisiert-kontrollierte Studien vor, doch der G-BA sah Abweichungen in der verwendeten zweckmäßigen Vergleichstherapie (auch nur mit Blick auf die Dossierung oder das Titrationmuster), im Therapieregime oder in der untersuchten Population, die zum „formalen Scheitern“ des Produkts in der frühen Nutzenbewertung führten.

### Graphik 3:

Berücksichtigung der Evidenz bei Beschlüssen ohne Zusatznutzen  
(G-BA-Beschlüsse, Stand 22.04.2014)



Im Ergebnis stellt sich die frühe Nutzenbewertung des AMNOG bislang als wenig innovationsfreundlich dar. Die Bewertungsmaßstäbe und die Evidenzanforderungen des G-BA – im Zusammenspiel mit dem Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) – sind in Teilen realitätsfremd und können in der Praxis von den betroffenen Wirkstoffen nur partiell erreicht werden.

### **3. Optimierungsbedarf beim Nutzenbewertungsverfahren**

Seite 9/30

Die Frage ist, welche Verbesserungen bei der Nutzenbewertung vorgenommen werden müssen, um das Verfahren auch für die pharmazeutische Industrie gängig zu machen und den Zugang der Patienten zu Innovationen zu sichern. Der vfa hat alle Einzelverfahren, die seit Inkrafttreten des AMNOG gestartet worden sind, aktiv begleitet und ausgewertet. Nach Durchsicht der veröffentlichten Verfahrensdokumente, regelmäßiger Teilnahme an Anhörungen und Plenumsitzungen des G-BA sowie Gesprächen mit betroffenen pharmazeutischen Unternehmen kommt der vfa zu der Einschätzung, dass die Umsetzung der frühen Nutzenbewertung nach wie vor nicht gut läuft. Es zeigen sich zahlreiche methodische und verfahrenstechnische Probleme, die dringend einer Lösung bedürfen.

#### **3.1 Zweckmäßige Vergleichstherapie: 3. AMG-ÄndG ohne gewünschten Effekt**

Die zweckmäßige Vergleichstherapie ist eine zentrale Stellschraube im gesamten AMNOG-Verfahren: Sie ist der Komparator, gegenüber dem der pharmazeutische Unternehmer den Zusatznutzen seines Medikaments nachweisen muss, und wird vom G-BA festgelegt. In den Beratungsgesprächen des G-BA ist ein fachlicher Austausch darüber nicht möglich, da nur die nicht entscheidungsbefugte Geschäftsstelle des G-BA vertreten ist und diese eine geringe Bereitschaft zeigt, bewertungsrelevante Vorgaben bei der Beratung klar zu benennen, geschweige denn ggf. zu modifizieren. Im Anschluss an die Nutzenbewertung verwendet der GKV-Spitzenverband die zweckmäßige Vergleichstherapie, die er selbst wesentlich mitbestimmt hat, in den Verhandlungen als Maßstab für den Erstattungsbetrag.

Der Gesetzgeber hat das Fehlsteuerungspotential dieser zentralen Stellschraube erkannt und wollte mit einer Klarstellung im Rahmen des 3. AMG-Änderungsgesetzes (3. AMG-ÄndG) im Sommer 2013 die Auswahl der zweckmäßigen Vergleichstherapie sachgerechter regeln. Es wurde festgelegt, dass die Auswahl der Komparatoren allein nach medizinischen Kriterien erfolgen muss und nicht auch nach wirtschaftlichen Erwägungen. Zudem wurde dem G-BA die Möglichkeit eingeräumt, sofern medizinisch sinnvoll, mehrere Komparatoren vorzugeben, gegenüber denen der Hersteller den Zusatznutzen seines Arzneimittels nachweisen kann. Damit sollte zum einen ein automatisches Scheitern von Produkten in der Nutzenbewertung „aus formalen Gründen“ (wegen abweichender Komparatoren der Zulassungsstudien und methodischer Probleme indirekter Vergleiche) vermieden werden. Zum anderen wollte die Politik das Problem des generischen Preisankers lösen.

Leider hat diese Adjustierung in der Praxis nicht zu spürbaren Verbesserungen geführt: Weiterhin gibt es etwa in jedem vierten Verfahren negative Zusatznutzenbeschlüsse des G-BA aus quasi formalen Gründen. Und weiterhin werden bei einem großen Teil der Subgruppen kostengünstige Vergleichstherapien (z. B. Generika oder „best supportive care“) benannt, die vor allem mit Blick auf die anschließenden Erstattungsbetragsverhandlungen für den GKV-Spitzenverband von Interesse sind. Der Anreiz, bei mehreren Alternativen eine billige Vergleichstherapie mitzubennen, selbst wenn sie nur eine sehr geringe Versorgungsrelevanz hat, ist sogar größer geworden. Denn der Hersteller ist nun nicht mehr formal gezwungen, sein Dossier auf diesen einen Komparator auszurichten. Für die späteren Verhandlungen kann aber dennoch eine niedrige ökonomische Bezugsgröße mit „durchgeschleift“ werden, die sich der GKV-Spitzenverband dann in den Verhandlungen mit dem pharmazeutischen Unternehmer zunutze machen kann.

Daraus wird ersichtlich, dass der Lösungsansatz des 3. AMG-ÄndG weitergedacht werden muss. Zwei Regelungsfelder sind wichtig:

- Optimierung der Nutzenbewertungsvorgaben: Wenn das Scheitern von Produkten in der frühen Nutzenbewertung aus nicht sachgerechten, quasi formalen Gründen verhindert werden soll, muss das Verfahren insgesamt stärker mit den Zulassungsstandards harmonisiert werden. Die frühe Nutzenbewertung des G-BA muss prinzipiell auf der vorhandenen hochwertigen Evidenz aus der Zulassung aufsetzen. Darüber hinaus sollte der Sachverstand der Zulassungsbehörden und der medizinischen Fachgesellschaften im Verfahren umfassend genutzt werden. (Diese Vorschläge werden im Folgenden näher erläutert.)
- Optimierung der Erstattungsbetragsvorgaben: Wenn ein ökonomisches Kalkül bei der Benennung von Komparatoren wirksam unterbunden werden soll, müssen die gesetzlichen Vorgaben für die Erstattungsbetragsfindung überprüft werden. Die Problematik des generischen Preisankers für Arzneimittelinnovationen kann nur durch eine Klarstellung in § 130b SGB V gelöst werden. (Dieses Thema wird in Kapitel 5.1 ausgeführt.)

### **3.2 Grundprinzip: Verwertung vorhandener Evidenz**

In vielen Fällen hat sich gezeigt, dass IQWiG und G-BA vorhandene hochwertige Evidenz, die die Hersteller in das Verfahren einbringen, bei der Bewertung des Zusatznutzens neuer Wirkstoffe komplett ignorieren (vgl. Kapitel 2.2). Grund ist die methodische Position des IQWiG, nur Studien zu berücksichtigen, die das theoretisch bestmögliche Design aufweisen. Andere Studien, die diesen idealtypischen Anforderungen von IQWiG und G-BA nicht exakt entsprechen, werden

nicht etwa abgestuft nach ihrer methodischen Aussagekraft für die Entscheidungsfindung verwertet, sondern schon bei kleineren Inkongruenzen zu den idealtypischen Vorgaben inhaltlich überhaupt nicht begutachtet. Die im Gesetz vorgesehenen indirekten Vergleiche stellen an dieser Stelle in Deutschland keinen Ausweg dar, da solche Analysen in der Praxis vom IQWiG aufgrund rigider methodischer Anforderungen nicht akzeptiert werden. Das hat im Ergebnis zu zahlreichen negativen Nutzenbewertungsbeschlüssen aus quasi formalen Gründen geführt, obwohl hochwertige Evidenz aus der Zulassung in Form randomisierter klinischer Studien vorlag.

Dieses Vorgehen von IQWiG und G-BA widerspricht dem Grundsatz der evidenzbasierten Medizin, die bestverfügbare (und nicht nur die bestmögliche) Evidenz bei der Entscheidungsfindung zu berücksichtigen. Es deckt sich auch nicht mit der zentralen Regelungsidee des AMNOG, neue Wirkstoffe zu einem frühen Zeitpunkt einer Nutzenbewertung zu unterziehen. Zu diesem Zeitpunkt liegen in aller Regel ausschließlich Zulassungsstudien vor, deren Design wiederum mit den Zulassungsbehörden und Ethik-Kommissionen in den jeweiligen Ländern lange vorher abgestimmt wurde. Es ist daher erforderlich, bei der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V die Studienlage zum Zeitpunkt der Zulassung grundsätzlich zu akzeptieren und die vorhandene Evidenz tatsächlich auszuwerten. Dies sollte in der AM-NutzenV dringend klargestellt werden.

### **3.3 Realistischer Ansatz bei methodischen Einzelfragen: Endpunkte, Saldierung, Subgruppen, Befristung**

Bei der Bewertung eingereicherter Studien setzen sich die Probleme fort. IQWiG und G-BA formulieren oft überzogene methodische Anforderungen und Auswertungswünsche, die die Hersteller im Rahmen der frühen Nutzenbewertung nicht erfüllen können. Aus diesem Grund kommt es oft zu Herabstufungen bei der Nutzenbewertung, die nicht sachgerecht erscheinen. Oft werden Beschlüsse zudem befristet und Folgeanalysen gefordert – auch in Fällen, bei denen sich aus den eingereichten Studien eigentlich keine Bewertungsunsicherheiten ergaben.

- Anerkennung von Endpunkten: IQWiG und G-BA formulieren bis dato die Erwartung, der Nutzen eines Arzneimittels müsse sich direkt in Mortalitäts- und Morbiditätseffekten bzw. einer verbesserten Lebensqualität zeigen. Diese rigide methodische Position ist jedoch nicht bei allen Krankheitsbildern für Patienten akzeptabel, weil entsprechende Datenerhebungen als unethisch eingestuft würden, eine zu lange Beobachtungszeit bräuchten oder in der Praxis (z. B. in einer palliativen Situation) nicht umsetzbar wären. Diese Anforderungen decken sich daher nicht mit den Vorgaben von Zulassungsbehörden und wichtigen Fachgesellschaften, die in

solchen Fällen auch andere valide Wirksamkeitsparameter als entscheidungsrelevant ansehen. So erkennt das IQWiG bei Krebserkrankungen nicht einmal Endpunkte wie die Verlängerung des progressionsfreien Überlebens (PFS) oder des krankheitsfreien Überlebens (DFS) als aussagekräftig an, obwohl diese von der europäischen Zulassungsbehörde in ihrer aktuellen Leitlinie zur klinischen Entwicklung von Arzneimitteln für Krebspatienten als relevant erachtet werden. Ähnlich verhält es sich mit der Senkung der Viruslast bei Infektionskrankheiten wie Hepatitis C und HIV/AIDS. Sie werden vom IQWiG nicht als patientenrelevante Endpunkte angesehen, auch wenn sie weltweit als Heilungsparameter in der Klinik anerkannt sind und sämtliche Zulassungen von Arzneimitteln in diesen Indikationsgebieten darauf fußen.

- Saldierung von Nutzen und Risiken: Hier gehen IQWiG und G-BA eigene Wege und führen die bereits im Rahmen der Zulassung erfolgte Nutzen-Risiko-Abwägung erneut durch. Das IQWiG hatte zunächst ein Eigenkonstrukt zur Quantifizierung des Zusatznutzens und der Risiken vorgelegt, das der G-BA nicht anerkennt. Der G-BA führt eine Saldierung gegenwärtig im Rahmen der jeweiligen Einzelfallentscheidung durch. Dies birgt die Gefahr, inkonsistent und nicht nachvollziehbar vorzugehen, wie es beim Vergleich verschiedener Arzneimittel der Fall zu sein scheint.
- „Slicing“ in Subgruppen: Darunter wird die Aufteilung einer Zielpopulation in mehrere Subgruppen nach Abschluss der Studie verstanden. Das Phänomen des „Slicing“ ist zunächst gehäuft bei den ersten Bewertungen aufgetreten und nun bei den jüngsten Beschlüssen wieder forciert zu beobachten. Das nachträgliche Aufsplitten einer Studienpopulation in vorher nicht definierte Subpopulationen durch IQWiG und G-BA ist methodisch nicht unterlegt und fragwürdig. Die Beantwortung der medizinischen Fragestellung in klinischen Studien erfolgt nach strengem Protokoll, das mit der Zulassungsbehörde definiert wird. Darin ist auch festgelegt, welche Subgruppen analysiert werden und wie viele Patienten mindestens benötigt werden um eine belastbare Aussage zu erhalten. Durch das „Slicing“ wird das vorher genau festgelegte Vorgehen einfach übergangen. In der Regel führt diese nachträgliche Änderung der Fragestellung aus statistischen Gründen zu einer Herabstufung bzw. Aberkennung des Zusatznutzens in den jeweiligen Subgruppen.
- Befristung: Unrealistische Erwartungen an die Planung und Durchführung klinischer Studien werden auch bei der Befristung von Beschlüssen formuliert. Der G-BA hat zahlreiche seiner Nutzenbewertungsbeschlüsse zeitlich befristet und detaillierte Vorgaben gemacht, welche Evidenznachweise innerhalb der Fristen vom Hersteller zu erbringen sind. Diese Vorgaben decken sich nur teil-

weise mit den Anforderungen der Zulassungsbehörden bei „bedingten Zulassungen“ (etwa der Auflage, Erkenntnisse für noch laufende Studien nachzureichen). Zum Teil hat der G-BA viel weitergehendere Erwartungen bezüglich der weltweit laufenden Studien der Firmen und versteht das Instrument der frühen Nutzenbewertung als eine permanente Bewertung unterlagengeschützter Arzneimittel.

Bei allen Einzelthemen zeigt sich der dringende Bedarf, das Instrument der frühen Nutzenbewertung kongruent mit den Zulassungsanforderungen zu gestalten, um ein in sich stimmiges, planbares Regulierungsumfeld für global tätige forschende Pharmaunternehmen zu schaffen.

### **3.4 Verbesserung der Governance: echte Beteiligung der Zulassungsbehörden und Fachgesellschaften**

Die Differenzen zwischen Studienforderungen der Zulassungsbehörden und methodischen Vorgaben des G-BA kommen nicht von ungefähr. Die ersten drei Jahre AMNOG-Praxis haben gezeigt, dass der Sachverstand der Zulassungsbehörden und der medizinischen Fachgesellschaften im Verfahren nur unzureichend genutzt wird. Fachleute in den Zulassungsbehörden, an den Universitäten und an Kliniken sind an der Konzeption und Umsetzung klinischer Studien, die Grundlage für die frühe Nutzenbewertung sind, maßgeblich beteiligt. Behandlungsleitlinien der Fachgesellschaften definieren die Therapiestandards in einem Indikationsgebiet, auf die die frühe Nutzenbewertung rekurriert. Gerade die oben angeschnittenen methodischen Einzelfragen müssten unbedingt mit diesen Experten regelmäßig besprochen werden. Der G-BA sucht bislang aber keine direkte fachliche Einbindung von ihnen, sondern beschränkt sich auf eine Kooperation mit der Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AKdÄ).

Dies muss aus Sicht des vfa dringend geändert werden. Eine starke „Stimme der Wissenschaft“ im G-BA könnte die Expertise bei der frühen Nutzenbewertung verbreitern und die Kostendämpfungsperspektive des GKV-Spitzenverbandes relativieren. Eine pragmatische Lösung könnte sein, in der AG 35a des Unterausschusses Arzneimittel eine „Wissenschaftsbank“ einzurichten, ergänzend zu den Bänken der Kassen, der Leistungserbringer (zu denen auch die AKdÄ zu rechnen ist) und der Patienten. Dieser Wissenschaftsbank würden Vertreter der Zulassungsbehörden (BfArM, PEI) und der medizinischen Fachkreise (AWMF, betroffene Fachgesellschaften) angehören, die sich unmittelbar mit der Studienkonzeption und der Versorgung auskennen. Die AG 35a bereitet schon heute alle AMNOG-relevanten Entscheidungen des Unterausschusses vor (Festlegung der Bewertungsvorgaben, Nutzenbewertungsbeschlüsse u. a.). Die Experten der Wissenschaftsbank wären durch eine Mitarbeit in diesem Arbeitsgremium

bei allen AMNOG-Entscheidungen direkt beteiligt. Der Dialog der Selbstverwaltung auf Augenhöhe mit wichtigen Experten, die die Studienlage und die Versorgungsrealität genau kennen, würde unterstützt. Durch die direkte Form der Beteiligung im G-BA könnten verfahrenstechnische Komplikationen für das AMNOG vermieden werden.

Seite 14/30

### **3.5 Weniger Bürokratie: Verschlinkung der Dossiers**

Die frühe Nutzenbewertung ist derzeit für alle Beteiligten mit einem unverhältnismäßig hohen Aufwand verbunden. Die Dossievorlagen, die IQWiG und G-BA für das Verfahren entwickelt haben, sind kleinteilig und inhaltlich überfrachtet. Die Aktualisierung der Modulvorlagen, die im Sommer 2013 veröffentlicht worden ist, hat den Erhebungsaufwand für die Hersteller noch einmal erhöht. Spezifische Subgruppenanalysen, die der G-BA verlangt, sind für die Unternehmen oft mit einem enormen Aufwand verbunden. Nach Einreichung umfangreicher Dossiers werden die Unternehmen zum Teil mit zahlreichen Nachbesserungswünschen des G-BA konfrontiert; wenn sie diesen nicht entsprechen, riskieren sie unmittelbar eine Ablehnung aus formalen Gründen. Die Kosten der Dossiererstellung werden von den pharmazeutischen Unternehmen aktuell mit 450.000 bis 800.000 Euro beziffert. Aufgrund der spezifischen und umfangreicheren Anforderungen von IQWiG und G-BA ist es ihnen kaum möglich, auf Nutzen dossiers zurückzugreifen, die für andere Länder erstellt wurden.

Dieser Erhebungsaufwand ist weder zielführend noch angemessen. Der Gesetzgeber war von Mehrkosten der Dossiererstellung in Höhe von ca. 1.250 Euro pro Verfahren ausgegangen (BT-Drs. 17/2413 vom 06.07.2010. S. 3, bzw. 3.750 Euro laut Begründung zur AM-NutzenV). Andere europäische Health Technology Assessment (HTA)-Agenturen führen vergleichbare Bewertungen mit weitaus geringerem Aufwand durch. Es sollte daher geprüft werden, welche Möglichkeiten zur Verschlinkung der Dossieranforderungen bestehen. Sinnvoll erscheint die Einrichtung einer gemeinsamen Arbeitsgruppe von Selbstverwaltung und Industrie, um ausgehend von den Vorgaben der AM-NutzenV die verfahrensrelevanten Inhalte der Dossiers festzulegen.

### **3.6 Optimierung des Anhörungsverfahrens**

Ein wichtiger Prozessschritt im Nutzenbewertungsverfahren ist die Anhörung beim G-BA. Gegenwärtig ist diese ausschließlich auf den IQWiG-Bericht fokussiert, nicht jedoch auf die Interpretation der IQWiG-Bewertung durch den G-BA und damit nicht auf die maßgebliche Entscheidungsgrundlage der Nutzenbewertung. Tatsächlich gibt es zwischen IQWiG-Bericht und G-BA-Beschlussvorlage jedoch immer wieder entscheidende Differenzen, die die Perspektive auf die Daten völlig verändern (abweichende Subgruppenbildung, Gewichtung von Endpunkten, Zusatznutzeinstufungen etc.). Der zur Anhörung ge-

stellte IQWiG-Bericht und der Beschluss des G-BA unterscheiden sich oft in so wesentlichen Aspekten, dass die Anhörung in der Praxis ins Leere läuft. Das bedeutet wiederum: Die für die Entscheidungsfindung relevante Sicht des G-BA wird nicht zur Anhörung gestellt, sondern hinter verschlossenen Türen entwickelt und anschließend im Plenum beschlossen und veröffentlicht.

Dieses Strukturproblem könnte durch eine offenere Ausgestaltung des Anhörungsverfahrens zumindest abgeschwächt werden. Als suboptimal erweist sich vor allem die Praxis des G-BA, die zum IQWiG-Bericht eingereichten schriftlichen Einzelstellungen – in der Regel nehmen neben dem betroffenen Hersteller seine Wettbewerber und weitere Experten (u. a. Fachgesellschaften, Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft) Stellung – nicht im Vorfeld der mündlichen Anhörung allen Teilnehmern zur Kenntnis zu stellen. Dadurch wird es dem betroffenen Hersteller unnötig erschwert, sich auf Fragen des G-BA in der Anhörung vorzubereiten, die sich aus den Stellungnahmen anderer Teilnehmer ergeben. Eine Änderung dieses Prozederes würde nicht zuletzt die inhaltliche Qualität der G-BA-Bewertungen verbessern, da bei Vorabkenntnis der Fragen diese ggf. sogar noch durch spezifische Datenauswertungen des Herstellers beantwortet werden können.

### **3.7 Rechtsschutz bei G-BA-Beschlüssen**

Die Schiedsstelle zur Festlegung von Erstattungsbeträgen nach § 130b Abs. 5 SGB V hat angeregt, dass Klagen nicht erst gegen den Schiedsspruch möglich sein sollten. Vielmehr sollte der Hersteller die Option haben, bereits den G-BA-Beschluss gesondert gerichtlich überprüfen zu lassen. Dies begründet die Schiedsstelle damit, dass sie selbst keine Kapazitäten hat, die Nutzenbewertung zu überprüfen und somit das Klagerisiko trägt für eine Maßnahme, die sie weder zu verantworten hat noch beurteilen kann.

Die Möglichkeit, den Nutzenbewertungsbeschluss des G-BA gerichtlich überprüfen zu lassen, ist auch aus Herstellersicht dringend geboten. Der Beschluss hat eine enorme Tragweite – nicht nur für das betroffene pharmazeutische Unternehmen, sondern für alle Beteiligten im Gesundheitswesen. Auf diese Weise könnte frühzeitiger im Verfahren Rechtssicherheit und -klarheit hergestellt werden. Das LSG Berlin-Brandenburg hat im vergangenen Jahr im Zusammenhang mit Bestandsmarktaufrufen aufgezeigt, dass ein vollständiger Ausschluss von Rechtsschutzmöglichkeiten gegen den Nutzenbewertungsbeschluss verfassungsrechtlich problematisch ist. Auch im Rahmen der Anhörung zum 14. SGB V-Änderungsgesetz (14. SGB V-ÄndG) ist die Rechtslage in diesem wichtigen Punkt problematisiert worden.

Gegenwärtig kann die Überprüfung von Entscheidungen regelmäßig erst nach Abschluss eines Schiedsstellenverfahrens eingeleitet werden. Wenn sich GKV-Spitzenverband und pharmazeutischer Unternehmer auf einen Erstattungsbetrag einigen, ist eine gerichtliche Überprüfung des vorgelagerten G-BA-Beschlusses auch am Ende des AMNOG-Verfahrens nicht zulässig. Der Rechtsschutz des Herstellers ist nach der aktuellen Gesetzeslage also massiv eingeschränkt. Dies ist sachlich unbegründet und unverhältnismäßig, wenn man bedenkt, dass die Rechtsschutzoption nicht zwingend eine aufschiebende Wirkung haben müsste und der AMNOG-Prozess insoweit ohne zeitliche Verzögerung weiterlaufen könnte.

#### **4. Ergebnisse der Erstattungsbetragsverhandlungen**

Bis Mitte April 2014 waren 47 Erstattungsbetragsverfahren abgeschlossen. Überwiegend wurde auf dem Verhandlungswege ein Ergebnis erzielt. In elf Fällen wurde die Schiedsstelle angerufen. Während des Schiedsverfahrens kam es in einigen Fällen dann aber doch zu einer Verhandlungslösung, so dass bis heute nur wenige Schiedssprüche zu Erstattungsbeträgen getroffen worden sind. Die Verhandlungslösung ist immer mit Blick auf den möglichen Ausgang eines Schiedsverfahrens zu sehen. Die bisherige Spruchpraxis zeigt, dass sich die Schiedsstelle stark an der Normauslegung des GKV-Spitzenverbandes orientiert und sich der pharmazeutische Unternehmer somit vor der Schiedsstelle kaum bessere Ergebnisse ausrechnen kann. Die Zahl der Vertragsabschlüsse an sich, die gerne als Erfolgsmeldung gewertet wird, sagt daher wenig über die Tragfähigkeit und Ausgewogenheit der gefundenen Ergebnisse aus. Tatsächlich gewinnt man bei einer Betrachtung der Ergebnisse der Erstattungsbetragsverfahren den Eindruck, dass aufgrund der strukturellen Übermacht des GKV-Spitzenverbandes die „AMNOG-Preisschraube“ oft überdreht und das Instrumentarium als reines Kostendämpfungsinstrument eingesetzt wird.

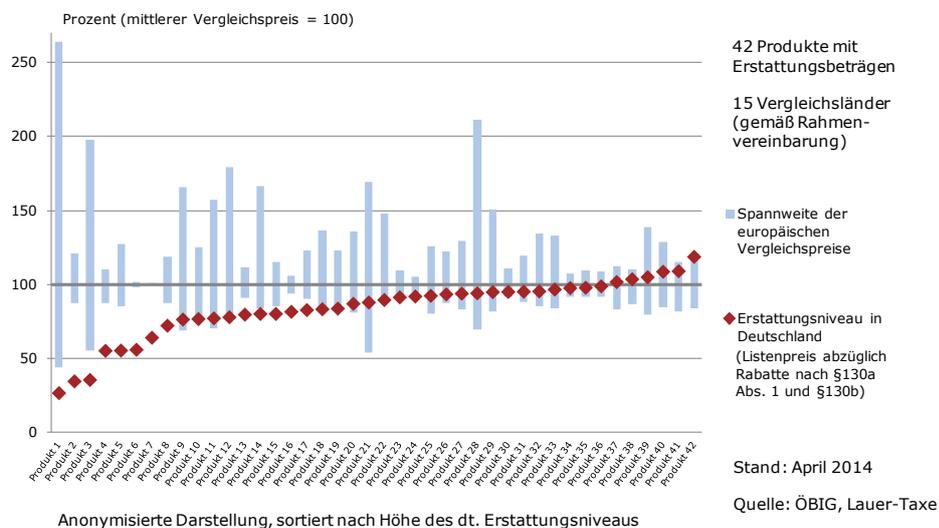
##### **4.1 Europäische Erstattungsniveau und internationale Preisreferenzierung**

In der Gesetzesbegründung zum AMNOG wurde angenommen, dass durch die AMNOG-Regulierung eine Angleichung deutscher Erstattungsbeträge an den europäischen Durchschnitt erfolgen werde (vgl. BT-Drs. 17/2413, S. 38). Statt einer Angleichung lässt sich nach drei Jahren AMNOG nunmehr beobachten, dass das deutsche Erstattungsniveau den europäischen Durchschnitt in der Regel unterschreitet. So liegen 86 Prozent der deutschen Erstattungsbeträge unter dem europäischen Mittel. In 40 Prozent der bisher verhandelten Fälle liegt das deutsche Erstattungsniveau sogar unter dem niedrigsten europäischen Vergleichspreis (vgl. Graphik 4, Stand: April 2014). Deutsch-

land ist somit innerhalb kürzester Zeit zum Niedrigpreisland im europäischen Vergleich geworden. Dies zeigt die dominante Verhandlungsposition des GKV-Spitzenverbandes im Verfahren. Diese Praxis führt zu Fehlanreizen für die pharmazeutische Industrie und wirkt mittel- und langfristig als Innovationsbremse.

#### Graphik 4:

Deutsches Erstattungsniveau im europäischen Vergleich



Gelegentlich wird dieses Auswertungsergebnis mit dem Argument in Frage gestellt, ein Listenpreis-Vergleich verbiete sich vor dem Hintergrund vertraulicher Rabatte in anderen europäischen Ländern. Dieser Einwand ist aus mehreren Gründen nicht überzeugend:

- Zum einen ist die Einführung des AMNOG mit Verweis auf die hohen Listenpreise in Deutschland im Vergleich zu den Listenpreisen in europäischen Nachbarländern begründet worden. Die Analyse zeigt also schlicht, dass das politische Ziel der Preisanpassung an europäisches Niveau mehr als erfüllt wurde.
- Zum zweiten gibt es in internationalen Preisdatenbanken keine anderen Angaben als die der Listenpreise. Vertrauliche Rabatte können nicht erfasst werden. Die Vertraulichkeit ist in diesen Ländern intendiert und leitet sich aus ökonomischer Rationalität ab. Im Übrigen kennt auch das deutsche Gesundheitssystem vertrauliche, individuell vereinbarte Rabatte, die niemandem außer den Rabattvertragspartnern bekannt sind.
- Die Aussage bestätigen zudem empirische Beobachtungen, dass es Parallelhändlern offenbar kaum gelingt, AMNOG-Produkte im Ausland günstiger zu erwerben (s. Kapitel 4.2).

Der Trend, dass das deutsche Erstattungsniveau unter dem europäischen Mittel liegt, ist auch vor dem Hintergrund der internationalen Preisreferenzierung besorgniserregend. Das Instrument der internationalen Preisreferenzierung wird häufig im Ausland genutzt und birgt die Gefahr europaweiter Verwerfungen in der Arzneimittelversorgung. Europaweit bestimmen 19 und weltweit sogar 28 Länder den eigenen Arzneimittelpreis mit Hilfe einer Referenzierung auf den deutschen Preis. Wenn der pharmazeutische Unternehmer alle ein bis zwei Jahre in neuerliche Verhandlungen mit dem GKV-Spitzenverband eintritt, kann der Preis der referenzierenden Länder wiederum Grundlage für den deutschen Erstattungsbetrag werden. Auf diese Weise wird ein folgenschwerer Kellertreppeneffekt ausgelöst: Die Preisregulierung des europäischen Auslands wird nach Deutschland importiert und anschließend wieder in das referenzierende Ausland exportiert.

#### **4.2 Parallelimporte und -exporte**

Die für den deutschen Markt vorliegende empirische Evidenz zur Parallelimport-/Parallelexportsituation deutet ebenfalls auf ein niedriges Erstattungsniveau in Deutschland im europäischen Vergleich hin:

- Bei vielen AMNOG-Produkten findet gar kein Parallelimport statt. Von den Anfang des Jahres 2014 verfügbaren AMNOG-Produkten hatten nur knapp zwei Drittel überhaupt ein parallelimportiertes Präparat als direkten Wettbewerber. Zudem zeigt sich: Wenn ein Parallelimport stattfindet, unterbieten Parallelimporteure den Erstattungsbetrag des Originals regelmäßig nicht. Parallel importierte AMNOG-Produkte sind in den allermeisten Fällen gegenüber dem Original-Arzneimittel teurer (Lauer-Fischer, Stand: 13.03.2014). Sie entsprechen nicht der Preisgünstigkeitsregel der Importförderklausel in § 129 SGB V, sondern sind sogar unwirtschaftlich im Sinne von § 12 SGB V.
- Auch bei den dauerhaft oder temporär nicht mehr verfügbaren AMNOG-Produkten findet meist kein Parallelimport mehr statt. Konsequenz der einzigen AMNOG-Verhandlung, die nach dem Marktrückzug des Originals mit einem Parallelimporteure geführt wurde, war die Marktrücknahme des Importarzneimittels, weil der vom GKV-Spitzenverband geforderte Erstattungsbetrag den Einstandspreis des Anbieters nicht deckte.
- Nach offiziellen Angaben der europäischen Zulassungsbehörde (European Medicines Agency – EMA) wird Deutschland bei AMNOG-Produkten inzwischen häufiger als Land angegeben, für das ein Parallelexport angemeldet wird, als umgekehrt Parallelimporte nach Deutschland erfolgen sollen – mit zunehmender Tendenz.

Diese empirischen Entwicklungen deuten auf einen Trend hin, der mit Verwerfungen der nationalen und internationalen Arzneimittelversorgung einhergeht: Durch niedrigste Erstattungsbeträge in Deutschland werden Parallelhändler, die in der Vergangenheit typischerweise nach Deutschland importiert hatten, in der Zukunft zunehmend Export aus Deutschland heraus in das europäische Ausland betreiben. Damit wird zum Einen die Versorgung der Patienten mit innovativen AMNOG-Arzneimitteln in Deutschland gefährdet. Zum Anderen profitiert das Ausland via Export durch Parallelhändler von den AMNOG-Rabatten. Verwerfungen dieser Art sind weder aus gesamtwirtschaftlicher noch aus gesundheitspolitischer Sicht wünschenswert.

### **4.3 Marktrücknahmen und Markteintrittsverzögerungen**

In den ersten drei Jahren hat es bereits mehrere Marktrücknahmen (Opt out) aufgrund negativer AMNOG-Ergebnisse gegeben. Bisher wurden sieben Produkte vom Hersteller im Zuge des AMNOG-Prozesses vom Markt genommen (Stand: 22.04.2014). Weitere zwei Arzneimittel, die zwischenzeitlich aus dem Markt zurückgezogen worden waren, sind im Zuge von Nachverhandlungen mit dem GKV-Spitzenverband wieder verfügbar gemacht worden.

Deutschland ist aus Sicht der Unternehmen nach wie vor ein sehr wichtiger Markt. Die forschenden Pharmaunternehmen sehen eine Marktrücknahme nur als Ultima Ratio – auch mit Blick auf die betroffenen Patienten, die von dem Medikament profitieren können. In den Konzernzentralen wird die Situation in Deutschland allerdings inzwischen wegen fehlender Verfahrenssicherheit und der Dominanz des GKV-Spitzenverbandes sehr kritisch diskutiert. So gibt es Anzeichen, dass innovative Arzneimittel in Deutschland in Reaktion auf das AMNOG verzögert oder gar nicht auf den Markt kommen. Global tätige pharmazeutische Unternehmen müssen nicht nur kalkulieren, ob sie ihr Produkt A zum erwartbaren Preis X hierzulande noch wirtschaftlich vermarkten können, sondern auch die internationale Rückwirkungen dieses Preises berücksichtigen: Ein niedriger deutscher Erstattungsbetrag wirkt sich negativ auf den Erstattungsbetrag in vielen anderen Ländern aus, die auf das deutsche Preisniveau referenzieren. Durch einen verzögerten Markteintritt in Deutschland können Unternehmen solche negativen Implikationen ggf. abschwächen. Dies bedeutet, dass innovative Arzneimittel deutschen Patienten künftig zu einem späteren Zeitpunkt zur Verfügung stehen könnten als vor AMNOG.

#### 4.4 Verordnungspraxis und Überregulierung

Seite 20/30

Neben dem Niveau der Erstattungsbeträge im europäischen Vergleich stellt sich der sog. „Uptake“ der AMNOG-Produkte nach Abschluss des Verfahrens problematisch dar. Erste Auswertungen von IGES im Arzneimittelatlas 2013 deuteten darauf hin, dass innovative Arzneimittel trotz attestiertem Zusatznutzen nur zögerlich im Versorgungsalltag eingesetzt werden. Dies wird durch eine vfa-Auswertung neuerer IGES-Daten bestätigt. Die Problematik soll hier an drei Beispielen nutzenbewerteter Wirkstoffe, denen der G-BA einen beträchtlichen Zusatznutzen zugesprochen hat, und bei denen ein schneller Uptake erwartet werden konnte, aufgezeigt werden (vgl. Graphik 5):

- Pirfenidon, ein Orphan Drug mit Solistenstatus zur Behandlung der idiopathischen Lungenfibrose, hat post AMNOG weiter eine geringe Verordnungshäufigkeit. Nur 7 bzw. 11 Prozent der Zielpopulation erhielt das Medikament in den Jahren 2012 und 2013.
- Belimumab als besondere Zusatztherapie bei der Autoimmunerkrankung Lupus erythematodes, bei der es lange Zeit keinen therapeutischen Fortschritt gegeben hatte, weist im gleichen Zeitraum einen marginalen Verordnungsanteil von nur 2 bzw. 3 Prozent der Zielpopulation auf.
- Ticagrelor zur Behandlung des akuten Koronarsyndroms kann 2013 erst 18 Prozent der betroffenen Patienten, für die ein beträchtlicher therapeutischer Vorteil attestiert wurde, erreichen. Überwiegend wird weiter das in der Nutzenbewertung unterlegene generische Arzneimittel verordnet.

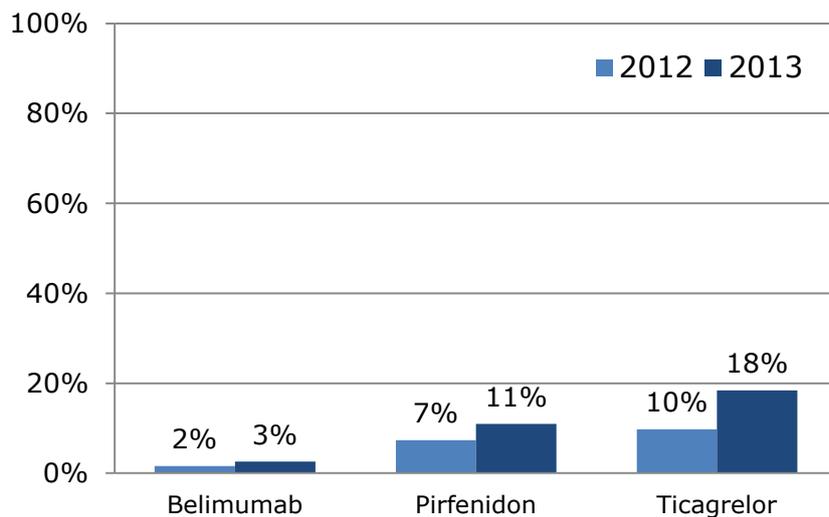
Dies sind deutliche Anzeichen dafür, dass der Zusatznutzen innovativer Arzneimittel offenbar nicht direkt allen Patienten zu Gute kommt. Die Zielsetzung des AMNOG, auch die Versorgungsqualität zu verbessern, wird hier verfehlt.

Graphik 5:

Ausschöpfung des Zusatznutzens

Seite 21/30

Anteil der verordneten Tagesdosen am maximal zu erwartenden Verbrauch in Prozent



Quelle: IGES

Die Daten deuten darauf hin, dass die Ärzteschaft nach wie vor nicht von Kontroll- und Regressdruck bei der Verordnung von innovativen Arzneimitteln, die das AMNOG durchlaufen haben, befreit ist. Entgegen der ursprünglichen Intention, die Ärzteschaft zu entlasten, werden die Beschränkungen für die Ärzteschaft durch die Aktivitäten einiger Kassenärztlicher Vereinigungen und Krankenkassen sogar verschärft. Beispielhaft erwähnt sei hier die aktuelle Arzneimittelvereinbarung in Bayern, die verhindern soll, dass Ärzte AMNOG-Arzneimittel bei Patientengruppen, für die kein Zusatznutzen attestiert wurde, überhaupt einsetzen. Hinzu kommt, dass die gesetzliche „Soll-Vorgabe“, bundesweite Praxisbesonderheiten für AMNOG-Produkte zu vereinbaren, in der Praxis kaum eine Rolle spielt. Diese Vorgabe wurde bislang nur bei drei Produkten vertraglich umgesetzt, und das auch nur in der frühen AMNOG-Phase. Es haben sich technische und administrative Hürden auf regionaler Ebene gezeigt, die eine einheitliche Verfahrensweise bei der Umsetzung dieser bundesweiten Praxisbesonderheiten verhindern.

Insgesamt ist zu konstatieren, dass – zusätzlich zur Preisregulierung durch das AMNOG auf der Angebotsseite – für Ärzte und Apotheker Beschränkungen und Kontrollen auf der Nachfrageseite fortbestehen (z. B. Richtgrößen, Wirtschaftlichkeitsprüfung, Arzneimittelvereinbarungen, Parallelimportförderklausel). Es ist ersichtlich, dass die deutsche Erstattungsregulierung bei innovativen Arzneimitteln unter einer Überkomplexität leidet, die zu Widersprüchen beiträgt.

## 5. Optimierungsbedarf beim Erstattungsbetragsystem

Seite 22/30

Aus Sicht des vfa muss neben dem Nutzenbewertungsverfahren auch das Regelungssystem zur Bestimmung von Erstattungsbeträgen optimiert werden. Dies betrifft zum Einen die Grundlagen und Kriterien der Erstattungsbetragsfindung. Zum Anderen bedarf es der Synchronisierung des Erstattungsbetragsystems mit den weiteren Regulierungsinstrumenten des SGB V (Festbeträge, Nachfrageregulierung).

### 5.1 Vermeidung von Fehlanreizen: kein generischer Preisanker

Die strukturelle Übermacht des GKV-Spitzenverbandes bei den Erstattungsbetragsverhandlungen muss durch ein adäquates gesetzliches Rahmenkorsett eingegrenzt werden. Vor allem ist dringend klarzustellen, dass das Preisniveau von Generika kein Orientierungsmaßstab für Erstattungsbeträge von innovativen Arzneimitteln sein darf.

Der GKV-Spitzenverband versucht in den Verhandlungen, die Erstattungsbeträge auch für Arzneimittel mit festgestelltem Zusatznutzen von den Jahrestherapiekosten der festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie abzuleiten. Zumindest eine der vom G-BA festgelegten Vergleichstherapien ist in der Regel generisch und fungiert in der zweiten Phase des AMNOG-Verfahrens als kostengünstiger Preisanker (vgl. Kapitel 3.1). Diese Praxis ist weder vom Gesetz noch – wie gerne behauptet wird – von der AMNOG-Rahmenvereinbarung vorgegeben. Ein generischer Preisanker widerspricht vielmehr der politischen Intention, dass im AMNOG-Verfahren Arzneimittel mit nachgewiesenem Zusatznutzen einen fairen Preis bekommen sollen.

Der Vergleich von Kosten einer generischen Therapie mit denen einer innovativen Therapie verbietet sich aus ökonomischer Sicht: Eine generische Therapie kann allein zu Produktionskosten angeboten werden, wohingegen eine innovative Therapie ihre Forschungs- und Entwicklungskosten amortisieren muss. Eine Preisbildung nach Maßgabe einer billigen Vergleichstherapie setzt mithin keinen Anreiz für Arzneimittelinnovationen. Sie benachteiligt sogar gerade die Indikationen, in denen lange kein therapeutischer Fortschritt erfolgt ist. Im Extremfall liegt die Kostenbasis nach dieser Logik nahezu bei null, nämlich dann, wenn es bislang gar keine Therapie gibt. Ausgerechnet die Solisten, die das AMNOG besonders fördern soll, werden hier systematisch „bestraft“.

Es sollte daher in § 130b SGB V ausdrücklich festgehalten werden, dass die Jahrestherapiekosten der zweckmäßigen Vergleichstherapie kein maßgebliches Verhandlungskriterium bei Arzneimitteln mit Zusatznutzen sein dürfen. Damit würde eine klare Trennlinie zwischen der medizinischen Nutzenbewertung und dem anschließenden Ver-

handlungsverfahren geschaffen und die Fehlanreize abgebaut, bei der Nutzenbewertung billige Komparatoren mitzubedenken.

Seite 23/30

Darüber hinaus sollte für Arzneimittel ohne festgestellten Zusatznutzen der in § 130b Abs. 3 Satz 2 SGB V neu gesetzte, eigentlich systemfremde Orientierungsmaßstab der „wirtschaftlich~~sten~~ Alternative“ überprüft werden. Denn auch hier besteht Anlass zur Sorge, dass der GKV-Spitzenverband die Formulierung mit dem Ziel der Ausgaben-dämpfung zulasten von Patienten und Industrie einseitig strapaziert.

## 5.2 Grundprinzip: Verhandlungen statt Zuweisung

Preisbildungsmodell im AMNOG ist das Verhandlungsverfahren. Bedauerlicherweise wird das Verhandlungsprinzip durch den im Rahmen des 14. SGB V-ÄndG neu eingefügten § 130b Abs. 3a SGB V deutlich abgeschwächt. Ein einmal vereinbarter Erstattungsbetrag soll nun für alle nachfolgend in Verkehr gebrachten Arzneimittel mit dem gleichen neuen Wirkstoff ebenfalls gelten. Er soll für weitere Hersteller algorithmisch abgeleitet und zugewiesen statt eigenständig verhandelt werden.

Zwar erscheint es nachvollziehbar, Parallelimporteuren und Mitvertreibern Erstattungsbeträge zuzuweisen. Mit einer Zuweisungs-lösung spezifisch für diese Fälle werden dem Gesundheitssystem unnötige Verhandlungskosten erspart. Die gesetzgeberisch gewählte Formulierung schießt jedoch über dieses Regelungsziel hinaus. Selbst für Originalhersteller, die eigene Zulassungsstudien erstellt haben und neue Evidenz vorlegen können, wird der Weg für eigene Verhandlungen versperrt, wenn Erstattungsbeträge grundsätzlich wirkstoffspezifisch vereinbart werden sollen. Dahinter steht offenbar der Gedanke, dass nach der Erstzulassung eines Wirkstoffes dessen Entwicklung praktisch abgeschlossen sei. Dies verkennt das Wesen der Arzneimittelentwicklung, auch nach der Erstzulassung weiteren Nutzen des Produktes für Patienten zu generieren (z. B. neue Anwendungsgebiete, Darreichungsformen, Schaffung einer besseren Evidenzlage).

Es muss der Anreiz bestehen bleiben, bereits im Markt befindliche Wirkstoffe weiterzuentwickeln. Dies lässt sich auch nicht auf dem Weg einer rahmenvertraglichen Konkretisierung heilen. Außerdem bleibt unverständlich, wie ein Erstattungsbetrag eines konkreten Herstellers, der ja regelmäßig Preis-Volumen-Aspekte beinhaltet, ohne Verhandlung auf ein anderes Produkt (mit gleichem Wirkstoff) eines anderen Herstellers und eine anders geartete Volumen- und Indikationenkonstellation übertragen werden kann.

Aus Sicht des vfa lebt das AMNOG von Verhandlungen. Vorfestlegungen im Sinne vorgegebener Entscheidungsalgorithmen sind daher so

weit wie möglich zu vermeiden. Es sollte daher bei dem ursprünglichen Regelungsansatz bleiben, dass Erstattungsbetragsvereinbarungen arzneimittelspezifisch getroffen werden. Die Zuweisung von Erstattungsbeträgen ist nur in den Sonderfällen angezeigt, in denen rechtlich oder faktisch durch den betroffenen pharmazeutischen Unternehmer kein eigener Nutznachweis erbracht werden kann: Parallelimport und Mitvertrieb.

### 5.3 Stärkung dezentraler Verträge

Mit dem AMNOG wurde ein zentrales Verhandlungssystem für Arzneimittel-Erstattungsbeträge etabliert. Theoretisch können zwar im Anschluss an die § 130b-Vereinbarungen auch individuelle Verträge mit Einzelkassen geschlossen werden (§ 130c-Verträge). In der Praxis spielt diese Option aber keine Rolle, weil der GKV-Spitzenverband mit seiner Monopolmacht bereits vorneweg den Rabatt maximiert hat und de facto für kassenindividuelle Verträge kein Spielraum verbleibt. Einzelne Krankenkassen haben gegenwärtig überhaupt keinen Anreiz, über 130c-Verträge versorgungsfördernde Vertragslösungen zu schaffen. Das gilt ungeachtet des gelegentlich geäußerten Unbehagens von Einzelkassenvertretern an der reinen Kostendämpfungsorientierung ihres Dachverbandes bei AMNOG-Verfahren.

Dies gilt insbesondere für Produkte, die wegen des AMNOG vom deutschen Markt zurückgezogen werden mussten. Solche Produkte werden derzeit auf dem Wege des Einzelimports aus dem europäischen Ausland zur Verfügung gestellt. Dieses Verfahren ist jedoch aufwändig, teuer und bietet nur für Spezialpräparate im Einzelfall und aus Kulanz eine Lösung. Außerdem gibt es Versicherten keine vorab garantierte Finanzierungszusage. Es schafft somit Unsicherheit. Auch wegen der zusätzlichen Kosten ist es einer Einzelvertragslösung unterlegen.

Im Übrigen ist die Aussage, der GKV-Spitzenverband müsse als Monopolist auftreten, um auf Augenhöhe mit dem ebenfalls monopolistischen pharmazeutischen Unternehmer verhandeln zu können, unhaltbar. Pharmazeutische Unternehmer stehen auch bei innovativen Arzneimitteln in einem starken Wettbewerb. Dies zeigt sich auch bei AMNOG-Produkten mit ähnlichen oder unterschiedlichen Therapieansätzen in gleichen Therapiegebieten.

Deshalb sollte der Gesetzgeber die erforderlichen Spielräume für dezentrale Verhandlungslösungen schaffen. Dies erfordert eine Aufwertung der derzeit nur nachgelagert vorgesehenen § 130c-Verträge zu einer echten Alternative. Einzelkassen sollte die Möglichkeit gegeben werden, mit pharmazeutischen Unternehmern auch parallel zu den Zentralverhandlungen oder nach einer Marktrücknahme individuelle Vereinbarungen zur Erstattung und Versorgung zu treffen.

## 5.4 Änderung der Rabattabwicklung

Seite 25/30

Der vfa hat immer wieder darauf hingewiesen, dass das AMNOG nicht nur in Deutschland wirkt, sondern auch ins Ausland ausstrahlt – was seinerseits Rückwirkungen auf die Findung von Erstattungsbeträgen hierzulande hat. Mit diesen Wechselwirkungen müssen die global tätigen forschenden Pharmaunternehmen leben und die Entscheidungsträger der nationalen Gesundheitssysteme verantwortlich umgehen. Die Neuerungen des 14. SGB V-ÄndG zum Erstattungsbetrag, die die Berechnung von Handelsmargen bei AMNOG-Arzneimitteln adjustieren sollen, sieht der vfa vor diesem Hintergrund mit größter Besorgnis. Ein annähernd funktionslos gewordener Listenpreis verliert in der internationalen Preisreferenzierung absehbar an Bedeutung. Umso wichtiger ist es, dass endlich Vertraulichkeit über die vereinbarten Erstattungsbeträge hergestellt wird.

Statt den Listenpreis zunehmend zu entwerten und die Transparenz von AMNOG-Erstattungsbeträgen in den Preisdatenbanken weiter zu erhöhen, sollte der gesetzlich vorgesehene Abwicklungsweg selbst noch einmal überdacht werden. Für die Abwicklung der Erstattungsbeträge hat das AMNOG ein eigenes Abrechnungsverfahren über die Vertriebskette vorgesehen – neben den bereits etablierten beiden Wegen der Rabattabwicklung (gesetzliche Herstellerabschläge, Rabattverträge). Die neue Form der Abwicklung erweist sich vor dem Hintergrund der vielfältigen AMNOG-Ergebnisse als wenig flexibel und muss in der Praxis immer wieder durch Direktabwicklungsverfahren zwischen Einzelkassen und pharmazeutischen Unternehmen ergänzt werden. Dieses Nebeneinander unterschiedlicher Rabattabwicklungsverfahren kann nicht als effizient angesehen werden.

Der vfa plädiert dafür, das Verfahren der Abwicklung von Erstattungsbeträgen zu vereinheitlichen und konsequent allein auf eine Direktabwicklung mit Krankenkassen umzustellen, die sich bei den Rabattverträgen nach § 130a Abs. 8 SGB V bereits bewährt hat. Dies hätte außerdem den Vorteil, dass AMNOG-Rabatte nicht zu Abwicklungszwecken in Preisdatenbanken gelistet würden und die oben skizzierten internationalen Rückwirkungen begrenzt werden könnten.

## 5.5 Klare Aufgabenteilung: keine Eingruppierung von Arzneimitteln mit Zusatznutzen in das Festbetragssystem

Auch das genaue Zusammenspiel der AMNOG-Regulierung mit dem Festbetragssystem ist noch nicht geklärt. Mit zunehmender Zahl von Produkten, die das AMNOG-Verfahren durchlaufen haben, gewinnt es immer mehr praktische Relevanz. Der vfa hat auf den politischen Diskussionsbedarf bei diesem Thema bereits im Kontext der Beratungen zum 14. SGB V-ÄndG hingewiesen. Aus seiner Sicht bedarf es bei beiden Instrumenten gesetzlicher Klarstellungen, um insgesamt zu

einer stimmigen, für die betroffenen Unternehmen wie für die Selbstverwaltung plan- und handhabbaren Regulierungssystematik zu kommen.

Seite 26/30

Tatsächlich gründet sich das Festbetragsystem auf eine völlig andere Systematik als die Nutzenbewertung und Erstattungsbetragsfestlegung im Rahmen des AMNOG (vgl. Tabelle 1). Festbeträge beruhen auf einer vergleichenden Bewertung von Arzneimitteln in einem gemeinsamen Anwendungsgebiet. Für die gesamte Gruppe wird ein Erstattungshöchstbetrag der GKV festgesetzt. Dahinter steht die Idee der Austauschbarkeit der eingruppierten Produkte. Das AMNOG fragt hingegen individuell nach dem Zusatznutzen von Produkten. Erstattungsbeträge beruhen auf einer Zusatznutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen in allen Indikationen gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie. Die Vergleichstherapien bei der Nutzenbewertung müssen nicht den Arzneimitteln einer möglichen Festbetragsgruppe entsprechen. Für jedes Produkt mit attestiertem Zusatznutzen wird anschließend eine Erstattungsbetragsvereinbarung getroffen, die für GKV und PKV gilt und mit weiteren Vertragsbedingungen (insbesondere Volumenregelungen) verknüpft ist. Dahinter steht die Idee des „value based pricing“ und der Differenzierung zwischen Produkten mit und ohne nachgewiesenen Zusatznutzen.

Tabelle 1: Festbetrags- und Erstattungsbetragsystem

	<b>Festbeträge</b>	<b>Erstattungsbeträge</b>
Regelungsziel	Verstärkung des Preiswettbewerbs zwischen wirkstoffgleichen / vergleichbaren Arzneimitteln	Preisregulierung für Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen mit Zusatznutzen (patentschutzter, nicht-festbetrags geregelter Markt)
Bewertungsfokus	Bewertung im Hinblick auf therapeutische Gleichwertigkeit bzw. Verbesserung ausschließlich für das gemeinsame Anwendungsgebiet der Wirkstoffgruppe (Teilbewertung)	Bewertung des Zusatznutzens für alle Anwendungsgebiete des Arzneimittels (vollständige Bewertung)
Komparator	andere Arzneimittel der Festbetragsgruppe (vor allem anatomisch-therapeutisch vergleichbare Arzneimittel)	festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie(n)
Verfahren	Zuweisung nach mathematisch-statistischem Algorithmus des GKV-SV	Verhandlung zwischen pharmazeutischen Unternehmer und GKV-SV
Ergebnis	Erstattungshöchstbetrag für die gesamte Wirkstoffgruppe	produktindividuelle Preis-(Volumen-)Vereinbarung

	<b>Festbeträge</b>	<b>Erstattungsbeträge</b>
Regulierungsansatz	indirekte Preisregulierung, Preisbildungsfreiheit des pharmazeutischen Unternehmers bleibt formal erhalten, Möglichkeit der Aufzahlung für Patienten	Preisbildungsfreiheit des pharmazeutischen Unternehmers wird de facto beendet
Geltungsbereich	GKV	GKV und PKV

Diese unterschiedlichen Systematiken sind bei der Adjustierung beider Instrumente zu berücksichtigen. Regulatorisch sinnvoll wäre die folgende Abfolge: Zunächst wird ergebnisoffen nach der AMNOG-Logik eine Zusatznutzenbewertung der Produkte in allen Indikationen durchgeführt. Auf dieser Basis werden die Arzneimittel im nächsten Schritt einem der beiden Preisregulierungssysteme zugeordnet: Ein Arzneimittel mit Zusatznutzen erhält einen Erstattungsbetrag nach den AMNOG-Kriterien. Wird ihm kein Zusatznutzen attestiert, wird es in das Festbetragssystem nach den dort geltenden Kriterien eingruppiert. Diese Arbeitsteilung nach dem Kriterium „Zusatznutzen“ sollte dann auch in den Folgejahren bis zum Einsetzen des generischen Wettbewerbs, wo die Regulierungsaufgabe des AMNOGs endet, gelten. Produkte mit Zusatznutzen bleiben im Erstattungsbetragsystem und werden nicht nach einiger Zeit mit Produkten ohne Zusatznutzen in eine gemeinsame Festbetragsgruppe eingruppiert. Eine Anpassung an die Marktdynamik erfolgt weiter individuell über Neuverhandlungen der Erstattungsbeträge.

Um diese Abfolge zu erreichen, müssten zwei gesetzliche Klarstellungen vorgenommen werden:

- Zurzeit gelten im AMNOG-Verfahren unterschiedliche Bewertungskriterien, je nachdem, ob für ein Arzneimittel, das dieses Verfahren durchläuft, bereits eine Festbetragsgruppe existiert oder nicht. Entsprechend hat der G-BA auch unterschiedliche Dossierunterlagen entwickelt. Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 4 SGB V soll die Nutzenbewertung bei Arzneimitteln, die nach Einschätzung des G-BA „festbetragsfähig“ sind (d. h. es existiert bereits eine Festbetragsgruppe, in die die Produkte eingruppiert werden könnten), nur im gemeinsamen Anwendungsgebiet der Festbetragsgruppe durchgeführt werden.

Es soll also gar nicht geprüft werden, ob das Arzneimittel für eine andere Patientengruppe einen Zusatznutzen hat und damit ggf. einen Erstattungsbetrag erhalten müsste. Dadurch kommt es zu einer Ungleichbehandlung von Produkten, je nachdem, ob gerade eine Festbetragsgruppe existiert oder nicht. Darüber hinaus ist unklar, wie im Falle einer positiven Zusatznutzenbewertung im

ausschließlich geprüften gemeinsamen Anwendungsgebiet der Festbetragsgruppe der Erstattungsbetrag für alle Indikationen festgelegt werden soll.

Der vfa schlägt eine Streichung von § 35a Abs. 1 Satz 4 und Abs. 4 SGB V vor. Das Nutzendossier des pharmazeutischen Unternehmers würde damit in allen Fällen nach einem einheitlichen Verfahren geprüft. Das Bewertungsverfahren wäre ergebnisoffen mit Blick auf die anschließend anstehende Zuweisung zu einem der beiden Preisregulierungssysteme gestaltet.

- Darüber hinaus ist in § 35 Abs. 1a SGB V klarzustellen, dass der Nachweis des Zusatznutzens im Rahmen des AMNOG-Verfahrens – wie eine therapeutische Verbesserung – eine Ausnahme von der Festbetragsgruppenbildung begründet. AMNOG-Produkte mit Zusatznutzen wären dann bis zum Ablauf des Patentschutzes von der Festbetragsgruppenbildung ausgenommen. Sie würden in dieser Zeit nur durch das Erstattungsbetragsystem preisreguliert. Die Zuständigkeitsfelder beider Regulierungsinstrumente wären damit klar voneinander abgegrenzt und der AMNOG-Idee der wertbasierten Erstattung würde Rechnung getragen.

## 5.6 Klarstellungen bei der Wirtschaftlichkeit

Wie in Kapitel 4.4 dargestellt, kann das Instrument der bundesweiten Praxisbesonderheit wegen Umsetzungsschwierigkeiten in den Regionen nicht seine gewünschte Wirkung entfalten. Hinzu kommen die erwähnten Aktivitäten einiger Kassenärztlicher Vereinigungen und Krankenkassen, die die Wirtschaftlichkeit der Verordnung eines erstattungsbetragsgeregelten AMNOG-Produkts für Patientengruppen ohne attestierten Zusatznutzen anzweifeln, obwohl diese Tatsache bei den Erstattungsbetragsverhandlungen berücksichtigt wurde.

Aus Sicht des vfa besteht daher bezüglich der Frage der Wirtschaftlichkeit der Verordnung von AMNOG-Produkten mit Erstattungsbetrag Klarstellungsbedarf:

- Ein durch das AMNOG preis- und volumengeregeltes Produkt (Angebotssteuerung) darf nicht anschließend durch Richtgrößen, Verordnungsquoten usw. (Nachfragesteuerung) ein weiteres Mal reguliert werden. Der durch die Vertragsparteien vereinbarte oder durch die Schiedsstelle festgesetzte Erstattungsbetrag sorgt aus ökonomischer Sicht für ein wirtschaftliches Erstattungsniveau eines Arzneimittels mit neuem Wirkstoff über alle seine Anwendungsgebiete und Subgruppen hinweg. Differenzierte Nutzenbewertungsergebnisse werden bei der Findung von Erstattungsbeträgen bereits berücksichtigt. Es sollte daher gesetzlich klargestellt werden, dass indikationsgerechte Verordnungen von nach

zusatznutzenbewerteten Arzneimitteln mit vorliegendem Erstattungsbetrag nach § 130b SGB V über alle Anwendungsgebiete hinweg wirtschaftlich sind.

- Dies heißt ausdrücklich nicht, dass Arzneimittel, die vor dem 1. Januar 2011 auf den Markt gekommen sind, somit unwirtschaftlich sind. Sie müssen ihren Stellenwert für die Versorgung behalten. Aus der Stichtagsregelung des AMNOG darf keine Benachteiligung für Wettbewerber entstehen.
- Das Nähere sollten im Übrigen weiterhin die jeweiligen Verträge nach § 130b SGB V regeln, die es den Verhandlungspartnern u. U. auch erlauben, eine nachgelagerte differenziertere Wirtschaftlichkeitsbetrachtung zu vereinbaren.

Weiterhin dürfen Produkte während des AMNOG-Verfahrens, also in den ersten zwölf Monaten nach Markteinführung, nicht – wie in der Vergangenheit teilweise geschehen – unter den Pauschalverdacht der „Unwirtschaftlichkeit“ gestellt werden. Eine unbegründet zurückhaltende Verordnung ist auch vor der Festlegung eines Erstattungsbetrages weder im Sinne der Patienten noch rechtlich haltbar.

## **6. Regelungen für spezielle Marktsegmente**

### **6.1 Orphan Drugs im AMNOG: Zusatznutzen-Regelung ist versorgungspolitisch geboten**

Bei der arzneimittelrechtlichen Zulassung eines sog. „Orphan Drug“, eines Medikaments gegen seltene Erkrankungen, prüft bereits die europäische Zulassungsbehörde EMA den Zusatznutzen des Arzneimittels. Ohne den Nachweis eines Solistenstatus oder eines erheblichen Mehrnutzens gegenüber der bisherigen Therapie darf die EMA der Europäischen Kommission, die den Verwaltungsakt vollzieht, keine Orphan-Zulassung empfehlen. Konsequenterweise muss der G-BA im AMNOG-Verfahren dieser vorgelagerten behördlichen Feststellung folgen: Er darf diesen Arzneimitteln den Zusatznutzen nicht absprechen (§ 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V). Ansonsten durchlaufen Orphan-Medikamente denselben AMNOG-Prozess der Nutzenbewertung und Verhandlung wie jedes andere Arzneimittel. Dies beinhaltet sogar die Quantifizierung des Zusatznutzens, mit der das Produkt in die Erstattungsbetragsverhandlung geht. Orphan Drugs sind also wie alle anderen Arzneimittel vollumfänglich durch das AMNOG preisreguliert. Die einzige Inkonsistenz im derzeitigen Verfahren ist die Umsatzschwelle von 50 Mio. Euro, bis zu der die Zusatznutzen-Regelung zum Tragen kommt (§ 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V).

Eine Änderung der Zusatznutzen-Regelung für Orphans, wie sie von der Selbstverwaltung vorgeschlagen wird, würde die vorgelagerte behördliche Prüfung in Frage stellen und ggf. zu widersprüchlichen Bewertungen führen. Zudem wären damit unmittelbare Konsequenzen für die Versorgung verbunden: Ohne grundsätzliche Zubilligung eines Zusatznutzens durch den G-BA wären Orphans nicht mehr sicher für Patienten verfügbar. Denn für Wirkstoffe ohne Zusatznutzen dürfen die Erstattungsbeträge gemäß AMNOG maximal den Kosten der zweckmäßigen Vergleichstherapie entsprechen. Da es für Orphan-Medikamente definitionsgemäß in den allermeisten Fällen keine medikamentöse Alternative gibt, dürften Orphans, denen kein Zusatznutzen attestiert wird, praktisch keine Kosten verursachen. Der Hersteller wäre in diesen Fällen in aller Regel gezwungen, sein Medikament vom deutschen Markt zu nehmen. Mit anderen Worten: Die grundsätzliche Anerkennung eines Zusatznutzens bei Orphans im Rahmen des AMNOG ist eine sinnvolle „Sicherheitsregel“, damit Patienten mit seltenen Erkrankungen in Deutschland nicht ohne medikamentöse Therapie bleiben. Diese Regel muss erhalten bleiben und darf nicht durch eine Umsatzschwelle ausgehöhlt werden.

## **6.2 Keine Neuauflage von Bestandsmarktaufrufen**

Mit großer Sorge sieht der vfa Initiativen der Selbstverwaltung, die Bestandsmarkt-Nutzenbewertung wieder aufleben zu lassen. Die Abschaffung der Bestandsmarkt-Nutzenbewertung im Rahmen des 14. SGB V-ÄndG erfolgte aus der Erkenntnis, dass die nachträgliche Anwendung des AMNOG-Regelwerks auf den Bestandsmarkt administrativ sehr aufwendig ist und methodisch, rechtlich und versorgungspolitisch viele Probleme verursacht. Die politische Entscheidung ist durch die zeitgleiche Verlängerung des Preismoratoriums und die Anhebung des Herstellerrabatts finanziell bei weitem überkompensiert worden.

Die politische Grundsatzentscheidung, dass das AMNOG – wie vergleichbare Bewertungssysteme in anderen Ländern – „nach vorne“, also für den Neumarkt, gilt, darf nicht in Frage gestellt werden. Wenn z. B. über das Kriterium „Indikationserweiterung“, so lautet einer der Vorschläge des GKV-Spitzenverbandes, zukünftig eine Nutzenbewertung von Bestandsmarktarzneimittel ausgelöst würde, würden Verfahren mit sehr hohem administrativem Aufwand für die betroffenen Unternehmen und die bewertenden Institutionen initiiert. Zudem hätte dies negative Auswirkungen auf die Bereitschaft der Firmen, Indikationsausweitungen zu erforschen und zuzulassen – und damit negative Auswirkungen für Patienten. Ggf. würden auf diese Weise sogar alte Wirkstoffe aufrufbar, die selbst nach alter Rechtslage nicht dem AMNOG-fähigen Bestandsmarkt angehörten. Der vfa plädiert daher nachdrücklich dafür, an der im Rahmen des 14. SGB V-ÄndG festgelegten Ausrichtung des AMNOG auf den Neumarkt festzuhalten.