



Arzneimittel- versorgung sichern!

Drei Reformfelder für ein AMNOG im globalen Wettbewerb

Warum das AMNOG jetzt neu ausgerichtet werden muss

Das AMNOG war ein zentraler Grund dafür, dass Patient:innen in Deutschland früh Zugang zu neuen Arzneimitteln erhalten haben. Es verband schnelle Verfügbarkeit mit einer nutzenbasierten Preisbildung im Zuge einer Verhandlungslösung zwischen Kostenträgern und pharmazeutischen Unternehmen. Damit schuf es einen international anerkannten Ordnungsrahmen, der Versorgung, Finanzierbarkeit und Innovationsanreize miteinander in Einklang bringen sollte. Durch globale Herausforderungen sowie systemfremde Eingriffe durch das GKV-Beitragssatzstabilisierungsgesetz (BStabG) ist dieser Ordnungsrahmen außer Balance geraten:

Die geopolitischen Rahmenbedingungen haben sich grundlegend verändert.

Deutschland konkurriert längst nicht mehr nur innerhalb Europas um eine gute Arzneimittelversorgung. Weltweit wird um Forschung, Entwicklung, frühe Markteinführungen und Investitionen gerungen. Zugleich erhalten deutsche Erstattungspreise durch immer stärkere internationale Preisreferenzierung und den Most-Favored-Nation-Ansatz (MFN) der US-amerikanischen Preispolitik eine neue globale Wirkung. Ein niedriger Preis in Deutschland wird nun zusätzlich zu bestehenden Preisreferenzierungssystemen auch als Referenz für einen US-Preis herangezogen und reduziert diesen. Aufgrund der herausragenden Bedeutung des US-Marktes erhöht sich damit das Risiko, dass Innovationen später oder gar nicht mehr in Deutschland eingeführt werden können.

Das Kernprinzip des AMNOG wurde durch jüngste Eingriffe im BStabG

erheblich geschwächt. Die nutzenbasierte Preisverhandlung sollte sicherstellen, dass der therapeutische Wert eines Arzneimittels im Erstattungsbetrag abgebildet und damit die gesetzlich beabsichtigte Balance zwischen Finanzierbarkeit, Innovationsförderung und hochwertiger Versorgung gesichert wird. AMNOG-fremde Elemente wie pauschale Abschläge, nicht am Nutzen, sondern ausschließlich am Preis ausgerichtete Rabattverträge für patentgeschützte Arzneimittel und restriktive Preis-Mengen-Regelungen höhlen dieses Prinzip aus. Damit tritt an die Stelle der Abbildung und Würdigung des Zusatznutzens im Rahmen der Preisverhandlung zunehmend eine Preisvorgabe. Dieser Eingriff, selbst in bereits bestehende Vereinbarungen, konterkariert Planbarkeit und Verlässlichkeit und damit zwei Voraussetzungen, die für Markteinführungen von neuen, innovativen Arzneimitteln sowie positive Entscheidungen für den Standort Deutschland zentral sind.

Der medizinische Fortschritt stellt das AMNOG vor neue Anforderungen.

Zielgerichtete Therapien, kleine Patientengruppen, neuartige Therapieansätze bei frühen Therapielinien oder chronifizierten Erkrankungen passen immer weniger in die bestehenden Bewertungs- und Preisbildungslogiken. Ein System, das auf die Versorgung der Zukunft ausgerichtet sein soll, muss diese Entwicklungen abbilden und den Wert von Innovationen entsprechend erfassen können, ohne den frühen Zugang zu Innovationen zu gefährden.

Damit stellt sich die Frage mehr denn je: Hat das AMNOG unter diesen Bedingungen Zukunft – kann es also auch künftig innovationsoffen bleiben und damit eine verlässliche Arzneimittelversorgung gewährleisten? Ja – allerdings nur, wenn es auf seinen Kern zurückgeführt und zugleich an die neue Lage angepasst wird. Es besteht dringender Handlungsbedarf in **drei Reformfeldern**:

1. Den Risiken der US-Preispolitik für die Versorgung aktiv begegnen

Entwicklungen auf globaler Ebene dürfen nicht ausgeblendet werden, sondern müssen sich in den nationalen Rahmenbedingungen widerspiegeln. Arzneimittelpreise können nicht länderspezifisch isoliert betrachtet werden, sondern immer im Kontext internationaler Preisreferenzierung. Notwendig ist daher insbesondere eine **Berücksichtigung des US-amerikanischen Preisniveaus**, **zwölf Monate freie Preisbildung**, eine **besser nutzbare Vertraulichkeitsoption** und **innovationsgerechte Referenzmaßstäbe in der Preisbildung**.

2. Rückkehr zum nutzen- und evidenzbasierten AMNOG

Das Kernprinzip des AMNOG muss zwingend wieder gestärkt werden: Der Erstattungsbetrag muss sich dabei am nachgewiesenen Zusatznutzen und am therapeutischen Wert einer Innovation orientieren. Die Fehlsteuerungen des BStabG durch die Einführung zusätzlicher pauschaler Abschläge, nicht nutzenorientierter Rabattverträge und restriktiverer Preis-Mengen-Regelungen überlagern dieses Prinzip und schwächen die Verlässlichkeit des Systems. **Diese Eingriffe müssen gestrichen werden**, damit das AMNOG wieder planbare, nutzen- und evidenzbasierte Rahmenbedingungen für frühe Markteinführungen schafft. Darüber hinaus ist ein **Inflationsausgleich** zu etablieren, um eine Entwertung der Innovationen zu verhindern.

3. AMNOG zukunftsfähig weiterentwickeln

Damit das AMNOG auch künftig eine innovative Arzneimittelversorgung ermöglicht, muss es dem **medizinischen Fortschritt gerecht werden**. Dazu gehören die **Anerkennung des Zusatznutzens bei besonderen Therapiesituationen**, ein **verlässlicher Bewertungsrahmen**, **innovative Erstattungsmodelle** sowie die **Berücksichtigung eines relevanten Versorgungsbedarfs** in der Preisverhandlung. Ebenso muss das AMNOG besser mit **europäischen Bewertungsprozessen** verzahnt werden.

Geopolitische Herausforderungen
Wettbewerb um Innovationen

Nutzenbasierte Verhandlung ist ausgehebelt
Systemfremde Eingriffe durch BStabG

Medizinischer Fortschritt
Neue Herausforderungen für Nutzenbewertung

Reformfelder

1.

Den Risiken der US-Preispolitik für die Versorgung aktiv begegnen

- ☒ US-Preisniveau berücksichtigen
- ☒ Vertraulichkeit und freie Preisbildung stärken
- ☒ Innovationsgerechte Referenzmaßstäbe heranziehen

2.

Rückkehr zum nutzen- und evidenzbasierten AMNOG

- ☒ Fehlsteuerung des BStabG korrigieren
 - Zwangsabschläge
 - verordnungssteuernde Rabattverträge für Patentarzneimittel
 - Preis-Mengen-Regelungen
- ☒ Inflationsausgleich etablieren

3.

AMNOG zukunftsfähig weiterentwickeln

- ☒ Besondere Therapie-situationen anerkennen
- ☒ EU-HTA besser verzahnen
- ☒ zVT verlässlich gestalten
- ☒ Versorgungsbedarf berücksichtigen
- ☒ Innovative Erstattungsmodelle ermöglichen



Ziel: Arzneimittelversorgung sichern!

schneller Zugang zu Innovationen | verlässliche Rahmenbedingungen | starker Pharmastandort

Reformfeld

1

Den Risiken der US-Preispolitik für die Versorgung aktiv begegnen

Aktuelle Risiken durch die US-Preispolitik gefährden die Zukunftsfähigkeit der innovativen Patientenversorgung. Mit diesen Risiken muss sich die Politik aktiv auseinandersetzen, um die Attraktivität Deutschlands im Wettbewerb um Innovationen zu erhalten und damit weiterhin auf einen schnellen und umfassenden Zugang zu Innovationen vertrauen zu können.

Handlungsempfehlung

AMNOG als Versorgungs- und Standortfaktor begreifen



Durchlässigkeit von Innovationen in die Versorgung sicherstellen

Die abnehmende Attraktivität Deutschlands für Innovationen führt zu einer Abkopplung vom medizinischen Fortschritt. Bereits jetzt ist jedes dritte Arzneimittel, das in den letzten zehn Jahren in den USA zugelassen wurde, in Deutschland nicht zugelassen. Konkret fehlen den Ärzt:innen in der Behandlung 175 innovative Arzneimittel, darunter 51 mit Breakthrough-Therapy-Status, also mit besonders hohem medizinischem Potenzial. Zugleich verliert Europa, auch im Vergleich zu China, als früher Zulassungsstandort an Bedeutung (CRA 2026).

Gerade vor dem Hintergrund neuer nationaler Gesetzgebung und der US-Preispolitik zeigt sich: Der Innovationsrückstand hat nicht zuvorderst regulatorische Ursachen, sondern ist vielmehr eng mit der Attraktivität und Verlässlichkeit des deutschen Marktumfelds verknüpft. Das unterstreicht die Dringlichkeit, das AMNOG-Verfahren planbar zu gestalten, die Wertschätzung von Innovation durch das AMNOG sicherzustellen und stärkere Anreize für einen zügigen Marktzugang zu schaffen, statt gesetzliche Vorgaben einzuführen, die allein kurzfristigen Einsparzielen folgen.

Im globalen Wettbewerb um Innovationen muss das AMNOG als strategischer Standortfaktor begriffen werden. Kostendämpfung darf dabei nicht zum alleinigen Maßstab werden und nicht zulasten des Zugangs der Patient:innen zu innovativen Therapien gehen. Das AMNOG muss vor allem die Durchlässigkeit von Innovationen in die Versorgung sicherstellen.

Globalen Herausforderungen aktiv begegnen

Die Preisbildung im AMNOG kann nicht mehr allein national gedacht werden. Deutsche Erstattungspreise wirken über die US-Preispolitik mittels Preisreferenzierung direkt in den weltweit größten Markt hinein. Dadurch sinkt das Preisniveau dort erheblich und gefährdet damit die Refinanzierung von Forschung und Entwicklung. Nationale Preisvorgaben entfalten damit Rückwirkungen auf globale Investitionsentscheidungen und Markteinführungsstrategien und können die zukünftige Verfügbarkeit innovativer Arzneimittel in Deutschland gefährden. Die Eingriffe in die AMNOG-Preisbildung durch das BStabG verschärfen diese Risiken erheblich. Das Verhandlungsprinzip im AMNOG muss folglich wieder hergestellt werden, um ausreichend Gestaltungsspielraum für individuelle Vereinbarungen sicherzustellen.

Den Gefahren der US-Preispolitik ist aktiv entgegenzutreten, um die Zukunftsfähigkeit der innovativen Versorgung in Deutschland zu sichern. In den Erstattungsbetragsverhandlungen muss dazu das US-amerikanische Preisniveau berücksichtigt werden können, um damit die erheblichen internationalen Rückwirkungen abzumildern.

Um die Attraktivität der Markteinführung in Deutschland sicherzustellen, sollte die freie Preisbildung für die ersten zwölf Monate nach Markteinführung gelten. Dies würde die unternehmerische Entscheidung dahingehend begünstigen, für neue Arzneimittel trotz internationaler Referenzwirkungen zeitnah eine europäische Zulassung anzustreben und diese auch in Deutschland verfügbar zu machen.

Flankierend muss die bereits bestehende Möglichkeit zur Nicht-Listung von verhandelten Erstattungsbeträgen („Vertraulichkeitsoption“) entfristet, ausgeweitet und besser umsetzbar gestaltet werden, um negative Effekte auf andere Länder zu begrenzen und mögliche europäische Lösungsmaßnahmen nicht zu unterlaufen. Dafür sind der zusätzliche Abschlag von 9 Prozent sowie die Begrenzung auf das erstmalige Inverkehrbringen aufzuheben. Die Regelung muss so ausgestaltet werden, dass die Vertraulichkeit tatsächlich wirksam und praktikabel gewährleistet wird. Dazu gehört auch die Aufhebung des Ausgleichs der Handelsmargen durch die pharmazeutische Industrie. Die Industrie muss hier für Kosten aufkommen, die sie nicht verursacht hat, was auch das BVerfG für unangebracht hält.

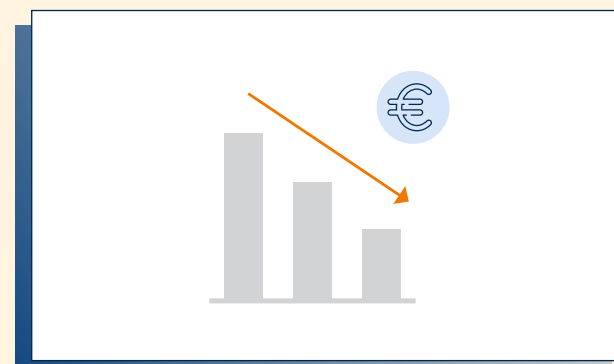
Ebenso sollten innovationsgerechte Referenzmaßstäbe („Innovationsanker“) in der Preisverhandlung herangezogen werden. Generikapreise spiegeln den Wettbewerb nach Ablauf des Patentschutzes wider und sind daher nicht geeignet, den Wert einer neuen Therapie abzubilden. Maßgeblich sollten der medizinische Fortschritt und vergleichbare patentgeschützte Therapieoptionen sein, damit Patient:innen schnellen Zugang auch zu inkrementellen Innovationen erhalten und Anreize für Forschung und Entwicklung gestärkt werden.

Nationale Bedingungen



Eingriffe in das AMNOG schränken nutzenbasierte Verhandlungslösung ein.

Auswirkung auf Preisniveau



Maßnahmen führen zu niedrigen Erstattungspreisen in Deutschland

Die Herausforderungen durch MFN erfordern neue Ansätze und tragfähige Lösungen. Die bislang genannten oder diskutierten Maßnahmen werden voraussichtlich nicht ausreichen, um den damit verbundenen Risiken wirksam und mit der notwendigen Entschlossenheit zu begegnen. Gleichwohl sind sie ein notwendiger erster Schritt und sollten konsequent umgesetzt werden.

vfa-Vorschlag:

Die Preisbildung muss unter Berücksichtigung der globalen Entwicklungen innovationsgerecht weiterentwickelt werden. Erste Maßnahmen sind:

- Berücksichtigung des US-amerikanischen Preisniveaus,
- eine freie Preisbildung für 12 Monate,
- Stärkung der Vertraulichkeitsoption unter anderem durch die Streichung des zusätzlichen Abschlags sowie des Handelsmargenausgleichs und
- innovationsgerechte Referenzmaßstäbe in der Preisverhandlung.

Referenzproblem USA



Deutsche Preise sind durch MFN Referenz für US-Preise

Folge: Launchrisiko in Deutschland



Niedrige Referenzpreise erhöhen das wirtschaftliche Risiko – Innovationen werden erst später oder gar nicht in Deutschland eingeführt.



Erhöhtes Launchrisiko in Deutschland

Reformfeld

2

Rückkehr zum nutzen- und evidenzbasierten AMNOG

Jüngste gesetzgeberische Eingriffe gefährden die Zukunftsfähigkeit der innovativen Arzneimittelversorgung. Diese Fehlentwicklungen müssen dringend korrigiert werden. Für einen schnellen Zugang zu Innovationen und einen starken Pharmastandort braucht es verlässliche, innovationsfördernde Rahmenbedingungen.

Handlungsempfehlung

Innovationsfördernde Rahmenbedingungen schaffen

Die Fehlsteuerungen korrigieren

Das Kernprinzip der Preisfindung für innovative Arzneimittel im AMNOG-Verfahren war stets: Der Erstattungsbetrag wird auf Grundlage des Zusatznutzenbeschlusses des G-BA zwischen pharmazeutischem Unternehmer und GKV-Spitzenverband verhandelt und das Arzneimittel zum verhandelten Betrag erstattet. Diese international anerkannte nutzenbasierte Preisbildung ermöglichte es weitgehend, den Wert von Innovationen angemessen zu berücksichtigen und zugleich die Vorlage einer möglichst umfangreichen Evidenz durch den pharmazeutischen Unternehmer zu honorieren. Dieses Kernprinzip ist mit dem GKV-Beitragssatzstabilisierungsgesetz (BStabG) durch systemfremde Vorgaben weitgehend ausgehebelt worden:

- Der zusätzliche Zwangsabschlag von 8,5 Prozent auf bereits verhandelte Erstattungsbeträge verschärft den Preisdruck unabhängig vom therapeutischen Wert eines Arzneimittels.
- Verordnungssteuernde Rabattverträge für patentgeschützte Arzneimittel brechen mit dem evidenzbasierten AMNOG-Prinzip und führen zu einer rein preisgetriebenen Versorgung nach Belieben der Krankenkassen.
- Restriktive Preis-Mengen-Regelungen senken den nutzenbasiert verhandelten Erstattungsbetrag erheblich.

In ihrer Gesamtheit stehen diese Instrumente dem AMNOG-Prinzip der nutzenbasierten Preisbildung diametral entgegen. Die Berücksichtigung des nachgewiesenen Zusatznutzens und des therapeutischen Werts einer Innovation im Erstattungsbetrag wird durch pauschale Abschläge, mengenbezogene Automatismen und nachgelagerte Rabattlogiken überlagert. Künftig entscheiden maßgeblich die gesetzlichen Krankenkassen im

Zuge von Ausschreibungen über die konkrete Therapie für eine Patientin oder einen Patienten, nicht mehr die behandelnde Ärztin oder der behandelnde Arzt. Die Verordnungssteuerung hin zur möglichst günstigen statt zur geeigneten Therapie ist die Konsequenz. Mit diesen Maßnahmen greift der Gesetzgeber nicht nur bewusst in bestehende nutzenbasierte Erstattungsbetragsvereinbarungen ein, sondern vollzieht auch einen Paradigmenwechsel weg von einer nutzen- und versorgungsorientierten Ausrichtung hin zu einem System, bei dem zunehmend der niedrigste Preis über die Verordnung entscheidet.

Entwertung von Innovationen verhindern

Der Wert von Innovationen wird darüber hinaus auch durch den vollständigen Verzicht auf einen Inflationsausgleich bei den Erstattungsbeträgen gemindert. Oft wird übersehen, wie pharmazeutische Innovation finanziert wird: Die Erlöse der heute verfügbaren Medikamente refinanzieren nicht nur vergangene Aufwendungen, sondern sind die alleinige wirtschaftliche Basis für die aktuelle und zukünftige Forschung und Entwicklung. Klinische Studien, hochqualifiziertes Personal, Labormaterialien und die Weiterentwicklung bereits zugelassener Therapien unterliegen aktuell massiven inflationsbedingten Kostensteigerungen. Wenn diese realen Kostensteigerungen auf Erstattungsbeträge treffen, die über Jahre starr eingefroren bleiben, schrumpft der finanzielle Spielraum für neue Forschungsprojekte drastisch. Hinzu kommen exorbitant gestiegene Energie-, Rohstoff- und Produktionskosten, die die Versorgungssicherheit zusätzlich belasten. Ein AMNOG, das den Pharmastandort Deutschland stärken will, muss daher einen Mechanismus zum Inflationsausgleich vorsehen, um die Finanzierung der medizinischen Durchbrüche von morgen abzusichern.

Versorgung und Standort gefährdet

Insgesamt wird mittlerweile der Preisdruck auf eine Weise erhöht, die vom pharmazeutischen Unternehmer weder verlässlich antizipiert noch akzeptiert werden kann. Das stellt die zukünftige Einführung neuer Arzneimittel und deren dauerhafte Verfügbarkeit infrage. Auch für den Innovations- und Produktionsstandort ist diese Entwicklung höchst problematisch. Sie schwächt Deutschland im globalen Wettbewerb um Forschung und Investitionen. Standortentscheidungen sind weder Automatismus noch Selbstverständlichkeiten. Verlässliche und innovationsfördernde Standortbedingungen setzen voraus, dass diese schädlichen Eingriffe zurückgenommen und die nutzen- und verhandlungsbasierte Preisfindung wiederhergestellt werden.

vfa-Vorschlag:

- Innovationsfeindliche Vorgaben wie zusätzlicher Herstellerabschlag, Rabattverträge für patentgeschützte Medikamente und restriktive Preis-Mengen-Regelungen sind abzuschaffen.
- Ein Inflationsausgleich für erstattungsbetragsregelte Arzneimittel ist zu etablieren.

Zurück zu den AMNOG-Prinzipien

Nutzen- und evidenzbasiertes AMNOG



Zusatznutzenbeschluss



Verhandlung zwischen pharmazeutischem Unternehmer und Kostenträgern



Erstattungsbetrag orientiert sich am Wert der Innovation



Verlässlichkeit



Schneller Zugang zu Innovationen



Starker Pharmastandort



Reformfeld

3

AMNOG zukunftsfähig weiterentwickeln

Neue europäische Bewertungsprozesse und der medizinische Fortschritt stellen das AMNOG vor zusätzliche Anforderungen. Diese müssen aufgegriffen werden, damit die Nutzenbewertung verlässlich, anschlussfähig und innovationsoffen bleibt. Notwendig sind insbesondere die Anerkennung besonderer Therapiesituationen, eine bessere Verzahnung mit dem europäischen HTA-Prozess, mehr Verlässlichkeit bei der zweckmäßigen Vergleichstherapie, die Berücksichtigung eines relevanten Versorgungsbedarfs und Optionen für innovative Erstattungsmodelle. Die Weiterentwicklung des AMNOG ist allerdings nur zielführend, sofern es von den bereits erwähnten systemfremden Eingriffen befreit und eine internationale Wettbewerbsfähigkeit wiederhergestellt wird.

Handlungsempfehlung

Zusatznutzen bei besonderen Therapiesituationen anerkennen



Forschung heißt Wandel

Der medizinische Fortschritt ermöglicht in den letzten Jahren zunehmend zielgerichtete Therapien für eng definierte, häufig kleinere Gruppen von Patient:innen sowie frühe Therapieansätze. Dieser Fortschritt wird dadurch zu einer Herausforderung für die Arzneimittelbewertung.

Die Zulassungsbehörden stellen sich seit Jahren dieser Entwicklung. Ob randomisierte kontrollierte Studien (RCT) angemessen sind oder ob alternative Studienansätze und Endpunkte zum Nutznachweis gewählt werden müssen, wird spezifisch für die jeweiligen Zulassungen bewertet. Im Fokus steht dabei eine einzelfallgerechte Abwägung zwischen einer zeitnahen Verfügbarkeit eines wirksamen und sicheren Arzneimittels und einer möglichst hohen Ergebnissicherheit der Studiendaten. Diese Abwägung findet unter anderem unter Berücksichtigung der Art, des Schweregrades und der Seltenheit der Erkrankung sowie des ungedeckten medizinischen Bedarfs statt. Wenn es frühzeitig Hinweise dafür gibt, dass Patient:innen und Patienten in besonderem Maße von der neuen Therapie profitieren oder die Erhebung langfristiger Therapieeffekte einen unverhältnismäßig langen Zeitraum erfordern würde, besteht ein Bedarf an einem zeitnahen Therapiezugang. Dieser sollte auf der jeweils angemessenen Evidenz basieren, auch auf nicht-randomisierten Studien oder den für die Therapiesituation relevanten Endpunkten sowie Risikofaktoren.

Webfehler im AMNOG-Verfahren

Eine Anpassung im Umgang mit nicht-randomisierten Studien sowie den für die Therapiesituation angemessenen Endpunkten ist im AMNOG-Verfahren noch nicht erfolgt. Der rechtliche Rahmen der Nutzenbewertung erkennt in der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) allerdings an, dass es Therapiesituationen gibt,

in denen es „unmöglich oder unangemessen ist, Studien höchster Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern“. In diesem Fall sind „Nachweise der bestverfügbaren Evidenzstufe einzureichen“. Ebenso soll laut AM-NutzenV die Bewertung „auf der Grundlage der verfügbaren Evidenz“ erfolgen, wenn „valide Daten zu patientenrelevanten Endpunkten noch nicht vorliegen“.

Diese Regelungen laufen jedoch in der Bewertungspraxis ins Leere, da die Angemessenheit von klinischen Studien höchster Evidenzstufe (also RCT) sowie Daten zu patientenrelevanten Endpunkten nicht geprüft werden. Die eingereichte Evidenz niedrigerer Stufen bzw. die verfügbaren Studienergebnisse werden regelhaft als ungeeignet eingestuft. Die Besonderheiten von Therapiesituationen werden damit insgesamt nicht adäquat berücksichtigt. Dies ist ein Webfehler im AMNOG seit seinem Inkrafttreten im Jahr 2011. Die Folgen werden zunehmend deutlich: Der therapeutische Zusatznutzen wird in besonderen Therapiesituationen nicht entsprechend gewürdigt. Dies wirkt sich negativ auf die Verfügbarkeit und den Einsatz neuer Therapien in der Versorgung aus.

Vorliegen einer besonderen Therapiesituation ist festzustellen

Auf Antrag des pharmazeutischen Unternehmens muss vom G-BA festgestellt werden, ob eine besondere Therapiesituation vorliegt. Dies ist insbesondere bei speziellen Zulassungen wie „Conditional Approval“ oder „Exceptional Circumstances“ der Fall.

Eine besondere Therapiesituation liegt zusätzlich vor, wenn dies anhand von Kriterien wie z.B. dem Schweregrad oder der Häufigkeit der Erkrankung sowie die Verfügbarkeit von adäquaten Therapiealternativen (ungedekter medizinischer Bedarf) festgestellt wird. Zu berücksichtigen sind ebenso

die Praktikabilität und Angemessenheit bei der Studiendurchführung sowie der Erhebung relevanter Endpunkte. Dies gilt insbesondere für die Erhebung langfristiger Therapieeffekte bei frühen Therapielinien, chronifizierten oder infektiösen Erkrankungen. Dabei sollen die Erwägungen der Zulassungsbehörden sowie die Therapieziele in den einschlägigen medizinischen Leitlinien und der Versorgungspraxis gewürdigt werden.

Bestverfügbare Evidenz ist heranzuziehen

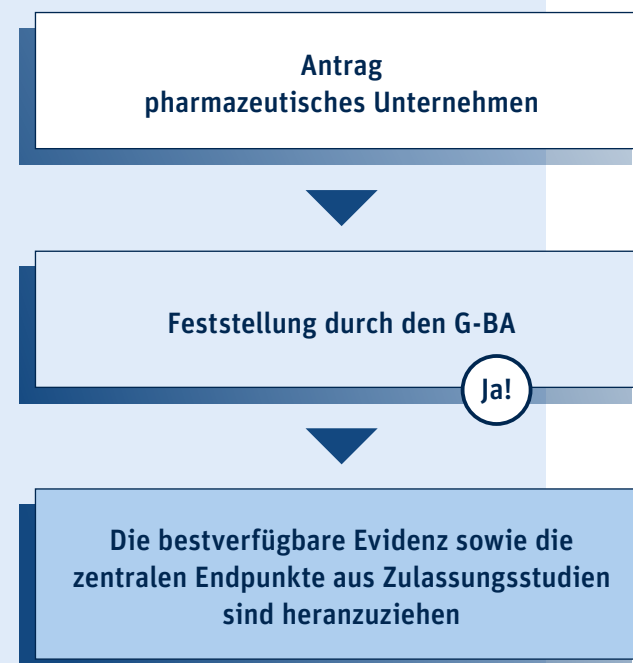
Liegt eine besondere Therapiesituation vor, sind die bestverfügbare Evidenz sowie die zentralen Endpunkte der Zulassungsstudien für die Bewertung des Zusatznutzens maßgeblich und als

Bewertungsgrundlage heranzuziehen. Bei der Bewertung des Zusatznutzens ist die mit der bestverfügbaren Evidenz in der jeweiligen besonderen Therapiesituation erreichte Ergebnissicherheit zu berücksichtigen.

vfa-Vorschlag:

- Der G-BA stellt fest, ob eine besondere Therapiesituation vorliegt.
- Die bestverfügbare Evidenz sowie die zentralen Endpunkte aus Zulassungsstudien sind für den Nachweis des Zusatznutzens heranzuziehen.

Liegt eine besondere Therapiesituation vor?



Handlungsempfehlung

Europäisches HTA und Nutzenbewertung besser verzahnen



Standortattraktivität durch europäische Zusammenarbeit stärken

Die gemeinsame klinische Bewertung neuer Arzneimittel auf europäischer Ebene bietet die Chance, Europas Position im Innovationswettbewerb zu stärken und zugleich die Nutzenbewertung in Deutschland effizienter zu gestalten. Richtig umgesetzt kann EU-HTA Doppelarbeit vermeiden, nationale Prozesse vereinfachen, Bürokratie reduzieren und den Marktzugang verbessern. Zugleich bietet es die historische Chance, die bislang fragmentierte klinische Bewertung in Europa zu harmonisieren, ohne die nationale Zuständigkeit für Erstattungsentscheidungen einzuschränken. Damit dieses Potenzial tatsächlich der Patientenversorgung und der Wettbewerbsfähigkeit Europas zugutekommt, muss das AMNOG konsequent mit dem europäischen Prozess verzahnt werden.

Europäische Bewertungen effizient nutzen

Nur wenn die europäischen Bewertungsergebnisse im AMNOG konsequent genutzt werden, kann EU-HTA tatsächlich Bürokratie abbauen. Die bislang offenen Vorgaben lassen jedoch zu große Spielräume für parallele nationale Bewertungen der europäischen Datengrundlage. Dadurch droht die europäische Zusammenarbeit zu einer weiteren Verfahrensebene zu werden, anstatt nationale Prozesse zu vereinfachen. Deshalb braucht es ein Berücksichtigungsgebot für die europäischen Ergebnisse im AMNOG, um eine verbindlichere Grundlage zu bilden. Abweichende nationale Bewertungen sollten nur auf neuen, vom Unternehmen vorgelegten zusätzlichen Analysen beruhen. Zugleich müssen die europäischen und nationalen Anforderungen an Auswertungen und Analysen stärker harmonisiert werden. Die deutschen Vorgaben können umfangreiche zusätzliche nationale

Analysen erforderlich machen. Sie sollten daher, soweit möglich, an den europäischen Rahmen angeglichen werden und auf begründete Ausnahmefälle begrenzt bleiben. Umgekehrt sollten europäische Analysen in geeigneten Bereichen, z. B. bei Endpunkten, auch in der deutschen Nutzenbewertung berücksichtigt werden können, wenn diese über die bisherigen nationalen Vorgaben hinausgehen.

Europäisch anerkannte Endpunkte berücksichtigen

Damit EU-HTA sein Potenzial entfalten kann, müssen die nationalen Bewertungsmaßstäbe stärker an den europäischen Rahmen angeglichen werden. Deutsche Sonderwege bei der Anerkennung von Endpunkten verstärken die Fragmentierung und erschweren es, klinische Studien zugleich auf Zulassung und Nutzenbewertung auszurichten. Das erhöht den Entwicklungsaufwand und schwächt Europa als Forschungs- und Innovationsstandort.

Endpunkte sind eine zentrale Schnittstelle zwischen Zulassung und Nutzenbewertung. Weichen die Anforderungen hier dauerhaft voneinander ab, entstehen zusätzliche Evidenzanforderungen, ohne dass daraus zwangsläufig ein höherer Erkenntnisgewinn resultiert. Deshalb braucht es im AMNOG mehr Flexibilität, um gesundheitsbezogene Endpunkte des EU-HTA und zentrale Endpunkte der europäischen Zulassungsstudien grundsätzlich zu berücksichtigen.

Europäisches HTA und AMNOG zeitlich verzahnen

Europäisches HTA und AMNOG zeitlich verzahnen. Nur wenn das nationale Verfahren zeitlich besser an die Veröffentlichung der europäischen Bewertung ausgerichtet wird, kann EU-HTA effizient Grundlage der Nutzenbewertung sein. Dies ist noch nicht gewährleistet, da AMNOG-Verfahren auch ohne europäische Ergebnisse starten und so erst nachträglich im Stellungnahme-Verfahren berücksichtigt werden können. Dadurch entstehen parallele nationale Bewertungen, die wesentliche Teile der europäischen Arbeit wiederholen. EU-HTA schafft so Doppelarbeit in den HTA-Institutionen.

Deshalb sollten nationale Prozessvorgaben flexibilisiert werden, um sicherzustellen, dass der europäische Bericht stets Grundlage der Nutzenbewertung ist, solange er innerhalb der ersten vier Wochen nach Beginn des AMNOG-Verfahrens veröffentlicht wird. Alternativ könnte der G-BA die Möglichkeit erhalten, das Verfahren bis zur Veröffentlichung des europäischen Berichts vorübergehend auszusetzen. Beide Lösungen ermöglichen schnelle Markteintritte und direkte Nutzung der europäischen Bewertung.

vfa-Vorschlag:

- **Europäisch anerkannte Endpunkte sind zu berücksichtigen.**
- **Europäisches HTA und AMNOG müssen zeitlich verzahnt werden.**
- **Fragmentierung muss abgebaut und europäische Bewertungen effizient genutzt werden.**



Verzahnung von europäischen und nationalen Prozessen



Reibungslose Integration der EU-Ergebnisse in den nationalen Prozess, ohne Doppelarbeit und Hemmnisse

Handlungsempfehlung

Verlässlichkeit der zweckmäßigen Vergleichstherapie verbessern



Die zweckmäßige Vergleichstherapie (zVT) ist im AMNOG-Verfahren von zentraler Bedeutung, da der Zusatznutzen neuer Arzneimittel gegenüber dieser Therapie nachgewiesen werden muss. Die zVT muss auch weiterhin den aktuellen Stand der medizinischen Erkenntnisse abbilden – ohne dabei hochwertige Evidenz zu entwerten. Trotz der bestehenden Beratungsmöglichkeit beim G-BA ist die zVT-Vorgabe ein Unsicherheitsfaktor für die betroffenen Unternehmen. Denn sie kann vom G-BA zu jedem Zeitpunkt verändert werden – auch nachträglich, wenn die entsprechenden Studien bereits auf den Weg gebracht oder durchgeführt wurden. Besonders problematisch sind solche Änderungen, wenn dadurch klinische Studien der pharmazeutischen Unternehmen für die Nutzenbewertung entwertet werden oder gänzlich unberücksichtigt bleiben – vor allem dann, wenn sie in Übereinstimmung mit einer G-BA-Beratung durchgeführt wurden. Trotz wissenschaftlich hochwertiger Evidenz wird in solchen Fällen ein Zusatznutzen aus formalen Gründen als nicht belegt erachtet. Mithin wird in der Folge der Stellenwert der Innovation in der Versorgung auch für die Verordner:innen nicht erkennbar.

Hier muss dringend Verlässlichkeit geschaffen werden: Wurde eine zVT übereinstimmend zur G-BA-Beratung in einer klinischen Studie eingesetzt, kann der Zusatznutzen auch gegenüber dieser Therapie nachgewiesen werden. Zur Verbesserung der Verfahrenstransparenz und Verlässlichkeit ist es zudem erforderlich, dass der G-BA pharmazeutische Unternehmen nach einer Beratung, wie jahrelang üblich, frühestmöglich und proaktiv über Änderungen in der zVT informiert.

vfa-Vorschlag:

- **Nachweis eines Zusatznutzens gegenüber einer beratenen zVT ist zu ermöglichen.**



Handlungsempfehlung

Versorgungsbedarf berücksichtigen

Unverzichtbar im Therapiealltag

Die Arzneimittelforschung bringt zahlreiche neue Therapieansätze hervor. Einige Arzneimittel helfen Betroffenen durch neue Wirkprinzipien dort, wo bisherige Behandlungsalternativen unzureichend sind. Andere eröffnen sogar erstmalig eine zugelassene, zielgerichtete Therapiemöglichkeit für Patientinnen und Patienten. Darüber hinaus können Arzneimittelinnovationen, ob ambulant oder stationär eingesetzt, substanziell zur Entlastung im Gesundheitswesen beitragen, wenn sie beispielsweise Erwerbsfähigkeit erhalten sowie Nachsorge- und Pflegeaufwendungen erheblich reduzieren und damit auch Kosten sparen. Aus diesen vielfältigen Gründen etablieren sie sich innerhalb kürzester Zeit zum Therapiestandard und werden unverzichtbar in der Patientenversorgung.

Versorgungsperspektive nicht abgebildet

Im AMNOG-Verfahren werden jedoch die therapeutische Bedeutung und die systemrelevanten Vorteile häufig nicht angemessen gewürdigt, da der Zusatznutzen aus formalen Gründen nicht anerkannt wird. Das ist in 38 Prozent aller Verfahren bisher der Fall gewesen. Für die anschließende Preisverhandlung können die Folgen gravierend sein. Wurde ein Zusatznutzen nicht anerkannt, soll ein Erstattungsbetrag vereinbart werden, der nicht zu höheren Jahrestherapiekosten führt als die zVT. Eine Berücksichtigung des tatsächlichen Stellenwerts neuer Arzneimittel ist in einem solchen starren Verhandlungsrahmen nicht möglich. Die zuvor beschriebene US-Preisreferenzierungslogik des MFN-Ansatzes verstärkt diese Problematik zusätzlich, weil starre Preisgrenzen die Attraktivität früher Markteinführungen weiter mindern können. Die fehlende Einbeziehung der Versorgungsperspektive wirkt sich somit negativ auf die Verfügbar-

keit neuer Therapien aus und gefährdet auch die zukünftige Deckung des Versorgungsbedarfs. Versorgungsbedarf im AMNOG identifizieren Die therapeutische Bedeutung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen muss in der Nutzenbewertung besser abgebildet werden. Wenn ein Zusatznutzen eines neuen Arzneimittels nicht belegt werden kann, bedarf es einer stärkeren Berücksichtigung der Versorgungsrelevanz. Der G-BA muss in seinen Beschlüssen positiv feststellen, wenn bei einem nicht belegten Zusatznutzen ein medizinischer Versorgungsbedarf vorliegt, zu dessen Abdeckung das Arzneimittel einen Beitrag leistet. Bei der Feststellung soll die Expertise aus der Behandlungspraxis und die Patientenperspektive maßgeblich berücksichtigt werden. Dies könnte durch die medizinischen Fachgesellschaften oder Sachverständige mit Erfahrungen aus dem Behandlungsalltag sowie Patientenvertreter:innen im Rahmen des Stimmabgabeverfahrens eingebracht werden. Auf diese Weise wird eine mögliche Diskrepanz zwischen dem Ergebnis der Nutzenbewertung und den klinischen Erfahrungen bzw. der Versorgungspraxis vermieden.

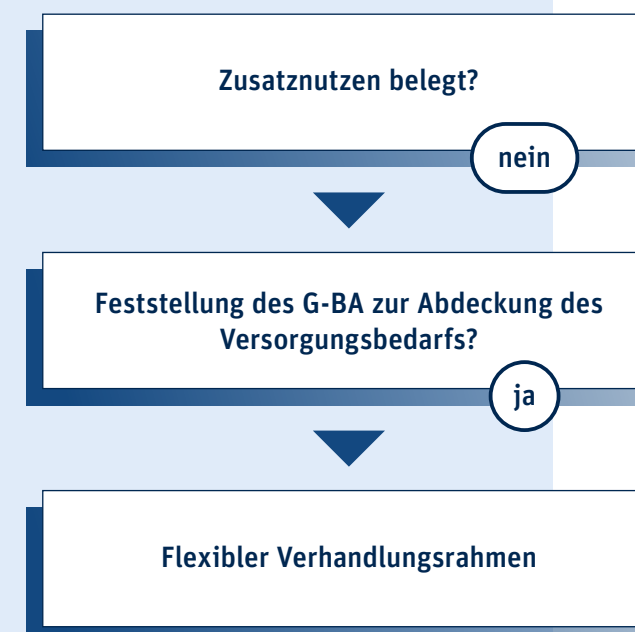
Flexibilität in der Verhandlung ermöglichen

Ist in den Beschlüssen der frühen Nutzenbewertung festgestellt worden, dass ein Versorgungsbedarf besteht und ein Arzneimittel einen Beitrag zu seiner Abdeckung leistet, so ist die notwendige Flexibilität für die Vereinbarung eines Erstattungsbetrags nach § 130b SGB V zu ermöglichen. Beiden Verhandlungspartnern, dem GKV-Spitzenverband für die Kostenträgerseite und dem pharmazeutischen Unternehmer, würde somit Freiraum gegeben, für die Versorgung bedeutsame Arzneimittelinnovationen gemeinsam in ihrer Preisverhandlung zu würdigen. In diesen Fällen wäre vorgesehen, dass ein Erstattungsbetrag

vereinbart werden darf, der oberhalb der für die jeweilige Konstellation geltenden Preisgrenzen liegt. Dadurch kann gewährleistet werden, dass der Zugang von Patient:innen zu unverzichtbaren Arzneimitteln offenbleibt. Zugleich wird der Grundsatz, dass sich der Erstattungsbetrag maßgeblich am Ergebnis der Nutzenbewertung orientiert, nicht konterkariert.

vfa-Vorschlag:

- Prüfung, ob ein Versorgungsbedarf besteht und ein Arzneimittel einen Beitrag zu seiner Abdeckung leistet.
- Flexiblen Rahmen für Erstattungsbetragsvereinbarungen schaffen.



Handlungsempfehlung

Innovative Erstattungsmodelle ermöglichen



Fehlende Umsetzung

Innovative Erstattungsmodelle sind im Rahmen der zentralen AMNOG-Preisverhandlungen mit dem GKV-Spitzenverband bislang nur schwer umsetzbar. Vereinzelt geschlossene Vergütungsmodelle auf kollektivvertraglicher Ebene bilden nur einen Bruchteil der Möglichkeiten ab, einen dem Einzelfall angemessenen Vertrag zu vereinbaren. Oftmals fehlt es an Voraussetzungen, etwa an geeigneten Datengrundlagen und einer adäquaten Abbildung solcher Erstattungsmodelle im morbiditätsorientierten Risikostrukturausgleich („MorbiRSA“). Solche Modelle sind bisher am ehesten in Einzelverträgen für das erste Jahr nach Markteinführung zwischen einzelnen Krankenkassen und pharmazeutischem Hersteller vereinbart worden. Sobald der dann zentral vereinbarte Erstattungsbetrag vorliegt, bestehen allerdings kaum Anreize, an den dezentral geschlossenen Vereinbarungen festzuhalten oder gar neue zu schließen.

Bestehende Herausforderungen

Das System der Preisbildung und Erstattung im AMNOG ist nur eingeschränkt auf Therapien mit begründbar limitierter Evidenz oder Einmaltherapien mit langanhaltender Wirksamkeit zugeschnitten. Eine ihrem medizinischen Nutzen angemessene Preisbildung ist nicht sichergestellt. So lassen Gen- und Zelltherapien bei oftmals nur einmaliger Anwendung eine langanhaltende Wirksamkeit erwarten, doch klinische Daten über die langfristige Wirksamkeitsdauer sind bei Markteinführung häufig noch limitiert.

Grundsätzlich kann der Therapieerfolg sowohl bei Dauertherapien als auch bei Einmaltherapien von Fall zu Fall unterschiedlich sein. Eine Dauertherapie ließe sich im Bedarfsfall anpassen oder

absetzen und verursacht dann zumindest durch das jeweilige Arzneimittel keine weiteren Kosten. Bei Einmaltherapien ist das nicht möglich. Daher werden erfolgsabhängige Erstattungsmodelle derzeit vor allem bei Einmaltherapien diskutiert. Allerdings erfordert die Umsetzung bestimmte Voraussetzungen wie messbare Erfolgsparameter und einen angemessenen Verwaltungsaufwand. Weiterentwicklung des gesetzlichen Rahmens Der gesetzliche Rahmen sollte den breiten Optionenraum für verschiedene Vertragsmodelle ausdrücklich absichern. § 130b SGB V sollte dahingehend ergänzt werden, dass die Erstattung alternativ auch in Abhängigkeit von messbaren Therapieerfolgen vereinbart werden kann. Dabei sollten neben Rückerstattungsmodellen auch ratenbasierte und mehrjährige adaptive Zahlungsmodelle zwischen pharmazeutischem Hersteller und dem GKV-Spitzenverband vereinbart werden können.

Erfolgsmessung flexibel und administrierbar ausgestalten

Die Vereinbarung geeigneter Erfolgsparameter spielt bei erfolgsabhängigen Erstattungsmodellen eine zentrale Rolle. Die Vertragspartner sollten die Datengrundlage, die Erfolgskriterien und die Messebene sowie Datenauswertungen, Datenweitergaben, Zuständigkeiten und Bereitstellungsfristen einzelfallbezogen vereinbaren können. Die Erfolgsmessung kann beispielsweise retrospektiv anhand bereits vorhandener Daten oder auch prospektiv durch eine gezielte Datenerhebung erfolgen und mehrere Messzeitpunkte umfassen.

Als Erfolgskriterien kommen insbesondere klinische Endpunkte, geeignete Surrogatendpunkte, patientenberichtete Parameter sowie versorgungsbezogene Parameter in Betracht.

Dazu können beispielsweise vermiedene Krankenhausweisungen, ein reduzierter Bedarf an Folgetherapien oder andere aus Routinedaten ableitbare Kriterien gehören. Entscheidend ist, dass die Parameter valide und zugleich administrierbar sind. Eine gesetzliche Definition von Erfolgskriterien ist nicht zielführend, da diese immer im Einzelfall auf ihre Eignung zu prüfen sind.

Auch die Messebene sollte flexibel bestimmt werden können. Je nach Therapiesituation kann die Erfolgsmessung patientenindividuell, für eine definierte Teilpopulation oder auf Ebene der gesamten behandelten Population erfolgen.

Notwendige Rahmenbedingungen

Die derzeitige Ausgestaltung des Risikopools im Risikostrukturausgleich führt zu einer Ungleichbehandlung verschiedener Zahlungsmodelle. Rückzahlungsmodelle können für Krankenkassen finanziell attraktiver sein, während Annuitätenmodelle benachteiligt werden. Der Schwellenwert des sogenannten Risikopools, ab dem darüberliegende Leistungsausgaben durch teilweisen Ist-Kostenausgleich refinanziert werden, wird bei Rückzahlungsmodellen einmalig, bei Annuitätenmodellen hingegen mehrmals angewendet.

Das Bundesamt für Soziale Sicherung (BAS) hat hierzu bereits 2022 ein konkretes P4P-Ausgleichsverfahren vorgeschlagen. Danach soll für Versicherte, die ein Arzneimittel im Rahmen eines Pay-for-Performance-Vertrags erhalten, eine Fall-ID vergeben werden. Damit können die mit dem jeweiligen Fall verbundenen Ausgaben über mehrere Jahre hinweg und auch bei einem Wechsel der Krankenkasse zugeordnet werden.

Auf dieser Grundlage können sowohl zusätzliche Ausgleichsbeträge als auch erforderliche Rückzahlungen an den Gesundheitsfonds berechnet und Rückzahlungs- und Annuitätenmodelle somit gleichbehandelt werden. Dieser Vorschlag sollte ohne weiteres Zögern umgesetzt werden. Hierfür sind insbesondere Anpassungen des § 268 SGB V und der Risikostrukturausgleichs-Verordnung erforderlich.

vfa-Vorschlag:

- Innovative Erstattungsmodelle können gemeinsam verhandelt werden.
- Hierfür muss der gesetzliche Rahmen ausreichend Flexibilität in der Ausgestaltung sicherstellen.

Aspekte erfolgsabhängiger Vertragsmodelle





vfa
Charlottenstraße 59
10117 Berlin
Telefon 030 206 04-0
www.vfa.de

Illustration: Adrian Bauer
Gestaltung: Gerald Geffert

Stand: September 2026