vfa. Die forschenden Pharma-Unternehmen

Orphan Drugs im AMNOG: Eine sachgerechte Debatte führen

In Anbetracht des enormen medizinischen Bedarfs fördern die EU und auch Deutschland die Erforschung seltener Erkrankungen, die Entwicklung wirksamer Medikamente sowie die Schaffung von Rahmenbedingungen für die Behandlung der ca. 4 Mio. Betroffenen in Deutschland. Damit neue Medikamente gegen seltene Erkrankungen, Orphan Drugs, hier schnell zur Verfügung stehen, hat der Gesetzgeber eine Regelung im AMNOG geschaffen, die den bereits mit der Zulassung belegten, therapeutischen Zusatznutzen anerkennt. Trotzdem und obwohl diese Medikamente preisverhandelt sind, lässt die nationale Debatte Sachlichkeit vermissen, in der dieser Umstand und die erschwerten Bedingungen der Evidenzgenerierung unerwähnt bleiben. Damit wird ein versorgungspolitischer Wille auf gefährliche Weise konterkariert.

Orphan Drugs erreichen deutsche Patienten umfassend und schnell

Seit Einführung der EG-Verordnung über Arzneimittel für seltene Erkrankungen Anfang 2000 sind in Europa mehr als 240 Orphan Drugs zugelassen worden, mit denen Patienten, darunter auch vielen Kindern, beispielsweise mit seltenen Stoffwechsel-, Blut- und Krebserkrankungen, besser geholfen werden kann. Das ist eine Erfolgsgeschichte, denn zuvor wurden nur sehr wenige Orphan Drugs in Europa zugelassen. Im Vergleich mit anderen europäischen Ländern stehen Orphan Drugs dabei den Erkrankten in Deutschland am umfassendsten (89 Prozent) sowie am schnellsten (innerhalb von 96 Tagen nach Zulassung) zur Verfügung.

Dennoch sind erst ungefähr zwei Prozent der ca. 8.000 bekannten seltenen Erkrankungen behandelbar. Das bedeutet, dass nach wie vor ein großer Bedarf an wirksamen Medikamenten in diesen komplexen Krankheitsbildern besteht.

Dass der politische Wille zu einer besseren Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen gegeben ist, belegen nicht zuletzt das „Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen“ (NAMSE) und daraus resultierende Initiativen, in die enorme Ressourcen investiert wurden.

Zusatznutzen mit der Zulassung bestätigt, im AMNOG bewertet und preisverhandelt

Der Gesetzgeber hat aus eben diesen versorgungspolitischen Erwägungen von Beginn an die Notwendigkeit mitgedacht, die besondere Situation bei Orphan Drugs im AMNOG zu berücksichtigen. Diese Medikamente müssen bereits im Rahmen der Zulassung zeigen, dass sie einen signifikanten klinisch relevanten Nutzen gegenüber anderen verfügbaren Therapien – sofern überhaupt vorhanden – haben. Ihr Zusatznutzen gilt daher im AMNOG folgerichtig mit der Zulassung als belegt und der G-BA beschließt über das Ausmaß des Zusatznutzens. Auf dieser Grundlage finden dann, wie bei allen anderen Medikamenten, die

Erstattungsbetragsverhandlungen statt, die zu deutlichen Rabatten führen können.

Diese AMNOG-Regelung gilt, bis ein Orphan Drug innerhalb von zwölf Monaten einen Bruttoumsatz von 30 Mio. Euro erzielt. Sobald es diese Schwelle überschreitet, wird es rechtlich und methodisch wie alle anderen Arzneimittel behandelt: Es stellt sich einer dann vollumfänglichen Nutzenbewertung mit erneuter Erstattungsbetragsverhandlung. Die wenigen Orphan Drugs mit einem Jahresbruttoumsatz von über 30 Mio. Euro, welche aber ca. 80 Prozent der Orphan assoziierten GKV-Arzneimittelausgaben ausmachen, werden damit wie jedes andere innovative Medikament bewertet.

Debatte lässt Sachlichkeit vermissen

Trotz dieser Fakten ist der Selbstverwaltung die Orphan Drug-Regelung im AMNOG ein Dorn im Auge. Gebrandmarkt als „Kostentreiber“, steht bei diesen Arzneimitteln dabei vordergründig die „unzureichende Evidenzlage“ im Fokus.

Die Evidenzgenerierung und die Bewertung von Arzneimitteln gegen seltene Erkrankungen stellen alle Beteiligten unbestritten vor große Herausforderungen. Wenn es nur sehr wenige Betroffene gibt, können beispielsweise keine Studien mit großen Patientenzahlen oder mehreren Therapiearmen zum randomisierten Vergleich durchgeführt werden. Die europäische Zulassungsbehörde EMA berücksichtigt dies, ohne dabei den ungedeckten medizinischen Bedarf, den Schweregrad und die Seltenheit der Erkrankung aus den Augen zu verlieren. Bei der vollumfänglichen AMNOG-Nutzenbewertung finden die Besonderheiten von Therapiesituationen hingegen derzeit keine Berücksichtigung. Daher ist es für viele dieser Produkte bereits jetzt schwierig bis unmöglich, die Evidenz-Anforderungen zu erfüllen und damit eine ihrem therapeutischen Stellenwert angemessene Bewertung zu bekommen. Eine Adaptierung der Methodik für besondere Therapien wäre an dieser Stelle zwingend notwendig.

Tatsächlich geraten diese Missstände in den Hintergrund, wenn die Evidenzlage bei Orphan Drugs im selben Atemzug wie deren Kosten genannt werden. Dabei ist auch hier dringend mehr Sachlichkeit bei der Betrachtung der Fakten anzuraten:

- In der Diskussion wird mit unterschiedlichen Zahlen operiert: oftmals werden neben Orphan Drugs mit aktivem Status auch solche Arzneimittel in die Berechnungen einbezogen, deren zeitlich begrenzter Orphan Drug-Status längst abgelaufen ist und die folglich dem Wettbewerb unterliegen.
- Transparent ist der Anteil aktiver Orphan Drugs an den GKV-Arzneimittelausgaben: 4,7 Prozent entfallen auf ambulant, weitere 2,1 Prozent auf stationär eingesetzte Orphan Drugs.

Keine Verschärfung der AMNOG-Regelungen

Die auf der Basis dieser Themen geführte Debatte um den Entzug der besonderen Regelung für Orphan Drugs im AMNOG zielt darauf ab, diese von vornherein einer „vollständigen Zusatznutzenbewertung“ zuzuführen. Das würde implizieren, dass ihnen der G-BA auf Basis seiner „one size fits all“-Anforderungen regelhaft einen Zusatznutzen absprechen könnte.

Für Hersteller, die auf dieser Basis einen Erstattungsbetrag verhandeln müssten, entfiele somit ein wichtiger wirtschaftlicher Anreiz, in Forschung und Entwicklung von Arzneimitteln für kleine Patientengruppen mit seltenen Erkrankungen zu investieren und die Medikamente schnell für die Patientenversorgung in Deutschland zur Verfügung zu stellen. Ohne diese Regelung wären mehr als die Hälfte der Orphan Drugs einem hohen Marktrücknahmerisiko ausgesetzt.

Insgesamt ist es weder medizinisch noch regulatorisch zu begründen, den Zusatznutzen von Orphan Drugs bei der G-BA-Bewertung in Frage zu stellen und die versorgungspolitisch gewollte, europaweit wie national geförderte Entwicklung dieser Therapien zu konterkarieren. Von unsachgerechten Eingriffen in die Balance von guter Versorgung und Kostenkontrolle im AMNOG sollte daher dringend abgesehen werden, damit auch zukünftig die Versorgung der 4 Mio. Menschen mit seltenen Erkrankungen in Deutschland im Mittelpunkt steht.

Stand: Feb 2025