

Gemeinsame Stellungnahme zur Arbeitsgruppe 3 „Zusatznutzenbewertung und EU-HTA“ des Pharma- und Medizintechnikdialogs

Die pharmazeutische Industrie hat für die Bundesrepublik Deutschland eine herausragende Bedeutung. Sie wird als Schlüsselsektor und Leitindustrie der deutschen Volkswirtschaft anerkannt (1). Zugleich stehen der Pharmastandort Deutschland und die Versorgung mit innovativen Arzneimitteln vor großen Herausforderungen. Der globale Wettbewerb um Technologien und strategische Güter ist seit längerem spür- und sichtbar. Aktuell bedroht insbesondere die Preisreferenzierung der USA nach dem Most-Favored-Nation-Prinzip (MFN) in Verbindung mit weiteren Schritten der US-Administration erheblich den frühen und umfassenden Zugang zu Arzneimitteln in Deutschland. Die aktuelle Situation verlangt somit eine Zäsur, damit Deutschland im globalen Wettbewerb mit notwendiger Innovationsoffenheit und Verlässlichkeit der Rahmenbedingungen bestehen kann.

Seit seiner Einführung im Jahr 2011 verfügt Deutschland mit dem AMNOG über ein etabliertes System zur Bewertung des Zusatznutzens und einer darauf basierenden Verhandlung des Erstattungsbetrags für neue Arzneimittel. Insgesamt betrachtet erfüllt das AMNOG auch die Erwartungen der Politik. Allein im Jahr 2024 kam es zu Einsparungen von rund 10 Mrd. Euro aus Preisabsenkungen und Rabatten. Seit Einführung des Gesetzes sind es rund 57 Mrd. Euro zugunsten der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV), wenn die erwarteten Einsparungen in Höhe von 12 Mrd. Euro für 2025 mitberücksichtigt werden.

Dieses System steht allerdings zunehmend vor neuen Herausforderungen, die Anpassungen der Bewertungsregeln erfordern. Im Sinne einer kohärenten Pharmastrategie ist es zugleich essenziell, diese Anpassungen mit den Lösungsansätzen der Arbeitsgruppe 4 „Preisbildung und Erstattung neuer Arzneimittel“ in Beziehung zu setzen.

Die vorliegende Stellungnahme baut auf den dem BMG bereits übermittelten Stellungnahmen im Nachgang der 1. und 2. Sitzung der AG 3 im Pharma-Dialog auf und geht auf die im Nachgang der 3. Sitzung vom BMG übermittelten Fragen ein.

Die vom BMG übermittelten Leitfragen zur Definition neuer Zusatznutzenkategorien, zur Konkretisierung des Zusatznutzens bei der Bewertung von Orphan Drugs gegenüber einem Therapiestandard sowie zu möglichen erweiterten Dossieranforderungen mit Blick auf EU-HTA und die Darstellung eines „Therapiestandards“ berühren zentrale Grundfragen der Weiterentwicklung des AMNOG.

Aus Sicht der Herstellerverbände sollten diese Fragen jedoch nicht isoliert als technische Anpassungen des Orphan-Drug-Verfahrens verstanden werden, sondern im Zusammenhang mit der übergeordneten Zielsetzung eines innovationsoffenen, verlässlichen und bürokratiearmen AMNOG diskutiert werden. Entscheidend ist daher nicht die Einführung zusätzlicher Kategorien oder neuer Darlegungspflichten, sondern die Frage, wie das bestehende System so weiterentwickelt werden kann, dass der besondere Status von Orphan Drugs, die Nutzung bestverfügbarer Evidenz und der schnelle Zugang von Patientinnen und Patienten zu innovativen Therapien gewahrt bleiben.

Die Herstellerverbände unterstützen grundsätzlich das Ziel, das AMNOG gemeinsam weiterzuentwickeln und bürokratische Belastungen im Verfahren abzubauen. Diese Diskussion muss jedoch vor dem Hintergrund des aktuellen Gesetzgebungsvorhabens zum GKV-Beitragssatzstabilisierungsgesetz geführt werden, da bestehende und vorgeschlagene Sparmaßnahmen in einem deutlichen Spannungsverhältnis zur langfristigen Sicherung von Innovation und Patientenzugang stehen. Vor diesem Hintergrund greift es zu kurz, punktuelle Anpassungen bei Orphan Drugs isoliert zu diskutieren, während die grundlegenden Rahmenbedingungen für Markteinführung und Verfügbarkeit von Innovationen zunehmend erschwert werden.

Das bestehende Orphan-Drug-Verfahren trägt dem besonderen Status von Arzneimitteln gegen seltene Erkrankungen Rechnung und sollte in seiner derzeitigen Grundausrichtung erhalten bleiben. Eine zusätzliche Nutzenkategorie wird abgelehnt, weil sie die Komplexität im bestehenden System erhöhen, neue Abgrenzungsfragen schaffen und damit eher zu mehr Bürokratie als zu Entlastung führen würde. Gleiches gilt für die Festlegung eines „Therapiestandards“ als neues eigenständiges Bewertungskonstrukt.

Gerade bei seltenen Erkrankungen, präzisionsmedizinischen Ansätzen, tumoragnostischen Therapien und Gentherapien bestehen häufig kleine Patientenkollektive und besondere Evidenzsituationen, in denen randomisiert-kontrollierte Studien (RCT) nicht immer ethisch vertretbar oder praktisch umsetzbar sind. Eine Konkretisierung des Zusatznutzens bei Orphan Drugs sollte daher nicht über neue Kategorien erfolgen, sondern über eine sachgerechtere Anwendung der vorhandenen Bewertungsmaßstäbe. Dem G-BA stehen bereits heute differenzierte Bewertungsstufen hinsichtlich Ausmaß und Aussagewahrscheinlichkeit des Zusatznutzens zur Verfügung, die auch bei Orphan Drugs angemessene Bewertungsergebnisse ermöglichen können. Das häufige Ergebnis eines nicht quantifizierbaren Zusatznutzens ist vielfach nicht Ausdruck fehlender therapeutischer Relevanz, sondern Folge starrer Bewertungskriterien und einer unzureichenden Anerkennung besonderer Therapiesituationen. Erforderlich ist deshalb eine stärkere Anerkennung bestverfügbarer Evidenz, insbesondere wenn RCT nicht machbar oder ethisch nicht vertretbar sind.

Die AM-NutzenV erkennt bereits an, dass es Therapiesituationen gibt, in denen Studien höchster Evidenzstufe unmöglich oder unangemessen sind und Nachweise der bestverfügbaren Evidenzstufe einzureichen sind. Diese Regelung läuft in der Praxis jedoch häufig ins Leere, weil Evidenz aus

einarmigen Studien, historischen Kontrollgruppen oder synthetischen Kontrollarmen regelmäßig als ungeeignet für den Nachweis des Zusatznutzens eingestuft wird. Für ein innovationsoffenes AMNOG sollte daher frühzeitig festgestellt werden können, ob eine besondere Therapiesituation vorliegt und höhere Unsicherheiten im Studiendesign akzeptiert werden müssen. Dabei sollten Schweregrad und Häufigkeit der Erkrankung, der ungedeckte medizinische Bedarf, die Verfügbarkeit adäquater Therapiealternativen sowie Praktikabilität und Angemessenheit der Studiendurchführung berücksichtigt werden.

Mit Blick auf EU-HTA sollten zusätzliche nationale Dossieranforderungen für Orphan Drugs vermieden werden. Ziel der Verzahnung von EU-HTA und AMNOG muss es sein, Doppelstrukturen zu vermeiden, Synergien zu nutzen und nationale Zusatzanalysen auf das notwendige Maß zu begrenzen. Daher sollten europäische Bewertungsergebnisse verbindlich berücksichtigt und methodische Bewertungsgrundsätze stärker an europäischen Leitlinien ausgerichtet werden, insbesondere hinsichtlich patientenzentrierter Endpunkte, indirekter Vergleiche und spezifischer Studiendesigns.

Konkretes Bürokratieabbaupotenzial besteht speziell bei Orphan Drugs an anderer Stelle. Wenn ein Orphan Drug bereits im Rahmen der Erstbewertung eine Quantifizierung des Zusatznutzens erhalten hat, sollte nach Überschreiten der Umsatzschwelle auf eine erneute Vollbewertung verzichtet werden können. In diesen Fällen hat der pharmazeutische Unternehmer bereits Daten eingereicht, und der G-BA hat sich fachlich mit der Evidenz auseinandergesetzt und eine Quantifizierung vorgenommen. Eine erneute Vollbewertung schafft dann regelmäßig keinen angemessenen zusätzlichen Erkenntnisgewinn, verursacht aber erheblichen Aufwand für Unternehmen und Selbstverwaltung. Zudem sollte die Umsatzschwelle für Orphan Drugs wieder auf 50 Mio. Euro angehoben werden, damit die Sonderregelung insbesondere bei geringen Umsätzen oder einmaliger Gabe ihre Schutzwirkung tatsächlich entfalten kann. Ebenso sollte die Berechnungsgrundlage für das Erreichen der Umsatzschwelle angepasst werden, damit die realen Umsätze anhand des Abgabepreises des pharmazeutischen Unternehmers (ApU) und der jeweiligen Rabatte (anstatt der artifiziellen Umsätze auf der AVP-Ebene) berücksichtigt werden.

Über die Orphan-Drug-Fragen hinaus sollten die bereits eingebrachten Vorschläge zum Bürokratieabbau vorrangig aufgegriffen werden. Dazu gehören die Anhebung der Freistellungsgrenze bei Geringfügigkeit, der Verzicht auf Nutzenbewertungen bei bestimmten Anwendungsgebietserweiterungen insbesondere im pädiatrischen Bereich, der Verzicht auf Nutzenbewertungen bei Diagnostika sowie eine Erweiterung des Zeitrahmens zur Verfahrensbündelung. Pädiatrische Indikationserweiterungen unterscheiden sich in der Evidenzgenerierung grundlegend von Erwachsenenindikationen, weil Studien aus ethischen Gründen nur eingeschränkt möglich sind, Patientenzahlen regelmäßig niedrig bleiben und Erkenntnisse häufig über Extrapolation und Modellierung entstehen. Diagnostika können regelmäßig nicht sinnvoll anhand der therapeutischen patientenrelevanten Effekte bewertet werden, die § 2 Abs. 3 AM-NutzenV adressiert.

Zusammenfassend sollten die Leitfragen nicht zum Ausgangspunkt zusätzlicher Nutzenkategorien, neuer Therapiestandard-Konstrukte oder erweiterter Dossierpflichten gemacht werden. Erforderlich sind vielmehr der Erhalt des bestehenden Orphan-Drug-Verfahrens, eine bessere Anerkennung besonderer Therapiesituationen und bestverfügbarer Evidenz, mehr Verlässlichkeit bei zVT-Beratungen mit der zusätzlichen regelhaften Abfrage relevanter Endpunkte bei den Fachgesellschaften sowie eine

EU-HTA-Umsetzung, die Doppelarbeit vermeidet und Synergien nutzt. Nur so kann Bürokratieabbau mit Innovationsförderung, Planungssicherheit und dem schnellen Zugang von Patientinnen und Patienten zu Arzneimitteln gegen seltene Erkrankungen verbunden werden.

Aus diesen Gründen sollte der Pharma- und Medizintechnikdialog zeitnah insbesondere die Verzahnung von EU-HTA und deutschem AMNOG-Verfahren als Fokusthema aufgreifen. Die Europäische Kommission soll zum 13. Januar 2028 einen Bericht zur Wirksamkeit der EU-Vorschriften zur Bewertung von Gesundheitstechnologien (EU-HTA) vorlegen. Zu diesem Zweck hat die Kommission bereits einen Aufruf zur Vorlage von Evidenz bzw. eine öffentliche Konsultation angekündigt, der bereits im 3. Quartal 2026 erfolgen soll. Die Reformdiskussionen zu EU-HTA beginnen damit bereits zu diesem frühen Zeitpunkt (2). Darüber hinaus ist das erste nationale Verfahren auf Grundlage einer europäischen Nutzenbewertung am 15. Mai 2026 gestartet und Weiterentwicklungsbedarf ist jetzt schon ersichtlich: Die Fristen im AMNOG-Verfahren müssen so flexibilisiert werden, dass europäische Bewertungsberichte stets direkt genutzt werden können. Europäische und nationale Dossier-Vorgaben müssen weiter harmonisiert werden, insbesondere bei der Frage der Endpunkte. Zugleich müssen die Ergebnisse der europäischen Bewertung verbindlicher in das deutsche Verfahren einfließen, damit keine parallelen Bewertungsprozesse entstehen.

Literatur:

- (1) Die Bundesregierung (2023). Strategiepapier „Verbesserungen der Rahmenbedingungen für den Pharmabereich in Deutschland. Handlungskonzepte für den Forschungs- und Produktionsstandort“
- (2) European Commission. Health technology assessment – evaluation of EU rules. https://ec.europa.eu/info/law/better-regulation/have-your-say/initiatives/17992-Health-technology-assessment-evaluation-of-EU-rules_en

BIO Deutschland e.V.

Dr. Viola Bronsema, Geschäftsführerin
Tel.: +49 30 2332164-30
E-Mail: bronsema@biodeutschland.org

Pharma Deutschland e. V.

Bernhard Liebenhoff, Referent HTA / Frühe
Nutzenbewertung
Tel.: +49-160-97514853
E-Mail: liebenhoff@pharmadeutschland.de

Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V.

Dr. Matthias Wilken, Geschäftsführer Market Access,
Märkte und Versorgung
Tel.: +49 30 27909-172
E-Mail: mwilken@bpi.de

Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V.

Dr. Sven Prietzel, Geschäftsführer Gesundheitspolitik
Tel.: +49 30 206 04–504
E-Mail: s.prietzel@vfa.de