

Nr. 22/2022
vom 21. Juli 2022

Seite 1/3

Seltene Erkrankungen im Visier der Sparpolitik

- Gesetzlicher Rahmen bei Medikamenten gegen seltene Erkrankungen (Orphan Drugs) soll geändert werden
- vfa bio benennt Handlungsempfehlungen für dieses medizinische Gebiet
- Rund 30 % der Orphan Drugs sind Biopharmazeutika

Rückfragen an:

Dr. Rolf Hömke
Telefon 030 20604-204
r.hoemke@vfa.de

Berlin (vfa). Der Entwurf des GKV-Finanzierungsgesetzes sieht vor, die seit mehr als zehn Jahren geltenden Rahmenbedingungen für den Marktzugang von Medikamenten durch das AMNOG-Verfahren tiefgreifend zu verändern. Damit würde dieses Verfahren für viele Orphan Drugs – also Medikamente für Menschen mit seltenen Erkrankungen – plötzlich zu einer unüberwindbaren Hürde. Denn die Standard-Methodik der Arzneimittelnutzenbewertung im AMNOG-Verfahren ist auf große Patient:innengruppen ausgelegt, die es bei seltenen Erkrankungen nicht gibt. So liefen bei einem Absenken der Umsatzschwelle, ab der Orphan Drugs diese Standardbewertung durchlaufen müssen, auf 20 Millionen Euro viele Orphan Drugs Gefahr, ohne Anerkennung ihres Zusatznutzens zu bleiben, und damit ohne Grundlage für faire Preisverhandlungen. Auch weitere vorgesehene Veränderungen im AMNOG-Verfahren werden Orphan Drugs massiv treffen.

Das sieht vfa-Präsident Han Steutel als falschen Weg an: „Bei den Orphan Drugs wirken die geplanten Änderungen im AMNOG-Verfahren kumulativ und werden zu Lasten der Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen gehen. Das hieße Sparen auf Kosten von Menschen, die ohnehin in der medizinischen Versorgung benachteiligt sind. Es wäre auch das falsche Signal an die Pharma- und Biotechunternehmen. Denn gerade jetzt werden für viele seltene

Hausvogteiplatz 13
10117 Berlin
Telefon 030 206 04-0
www.vfa.de

Krankheiten wesentlich bessere Behandlungen entwickelt, unter anderem durch die Möglichkeiten der Gen- und Zelltherapie. Deutschland sollte sich daher besser darauf konzentrieren, diesen Fortschritt den Betroffenen zugänglich zu machen.“

Seite 2/3

Pressemitteilung
Nr. 22/2022
vom 21. Juli 2022

Zusammen mit der Boston Consulting Group hat vfa bio, die Interessengruppe für Biotechnologie im vfa, dafür Empfehlungen ausgearbeitet. Zu diesen zählen beispielsweise:

- Anpassung der Methodik der Nutzenbewertung für Medikamente an die Besonderheiten der seltenen Erkrankungen, insbesondere die geringe Zahl von Patient:innen
- Förderung von Registern mit Behandlungsdaten von Patient:innen mit seltenen Erkrankungen und Nutzung von Versorgungsdaten
- Förderung digitaler Lösungen zur Beschleunigung der Diagnosestellung, sodass Patient:innen schneller eine wirksame Therapie erhalten
- Zügiger Ausbau der Versorgung Deutschlands mit zertifizierten medizinischen Zentren für seltene Erkrankungen

Die Empfehlungen sind erläutert im kürzlich erschienenen Report „Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2022“ von der Boston Consulting Group und vfa bio. Dort finden sich auch Beispiele für Projekte zur Entwicklung neuer biopharmazeutischer Medikamente gegen seltene Erkrankungen unterschiedlicher Art (schon heute sind rund 30 % der Orphan Drugs Biopharmazeutika). Zudem geht der Report auf die wirtschaftliche Lage des Branchensegments in Deutschland ein. Er kann unter www.vfa-bio.de/publikationen als pdf heruntergeladen oder kostenfrei bestellt werden.

Weitere Informationen

- Gutachten „Orphan-Drug-Regulierung und die Versorgung in Deutschland“ von fbeta:
<https://www.vfa.de/download/gutachten-orphan-drugs.pdf>
- Orphan Drugs im AMNOG:
<https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/seltene-erkrankungen/orphan-drugs-im-amnog>
- Verzeichnis aller Medikamente mit aktivem oder früherem Orphan Drug-Status: www.vfa.de/orphans

Der vfa ist der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen in Deutschland. Er vertritt die Interessen von 48 weltweit führenden Herstellern und ihren über 100 Tochter- und Schwesterfirmen in der Gesundheits-, Forschungs- und Wirtschaftspolitik. Die Mitglieder des vfa repräsentieren rund zwei Drittel des gesamten deutschen Arzneimittelmarktes und beschäftigen in Deutschland ca. 80.000 Mitarbeiter. Mehr als 19.000 davon arbeiten in Forschung und Entwicklung. Folgen Sie uns auf Twitter: www.twitter.com/vfapharma

Seite 3/3

Pressemitteilung
Nr. 22/2022
vom 21. Juli 2022