

Vorwort

Das Arzneimittelneuordnungsgesetz (AMNOG) regelt in Deutschland seit 2011 die Nutzenbewertung von Arzneimitteln, welche sich an die Zulassung anschließt. Das Ergebnis dieser Nutzenbewertung bildet die Grundlage für die Preisverhandlung mit dem Spitzenverband Bund der Krankenkassen und hat somit großen Einfluss auf den Preis, der ein Jahr nach Markteinführung für ein neues Arzneimittel durch die gesetzlichen Krankenkassen bezahlt wird.

Bis Ende 2020 wurden 291 Arzneimittel in 527 Verfahren einer frühen Nutzenbewertung unterzogen; in 58 % aller Verfahren konnte dabei ein Zusatznutzen belegt werden. Im Rahmen des AMNOG-Reportes sowie vielen begleitenden Diskussionsforen haben wir dabei in den vergangenen Jahren methodische und politische Herausforderungen erörtert, zum Beispiel die Akzeptanz von Lebensqualitätsdaten oder auch die beobachtete Marktentwicklung der neuen Arzneimittel in Relation zu ihrem belegten Vorteil für die Patientenversorgung. Seit zwei Jahren rücken jedoch methodische Themen verstärkt in den Hintergrund. Auf der politischen Agenda stehen inzwischen vielmehr Grundsatzfragen zum AMNOG. Zum Beispiel, ob das Verfahren noch geeignet ist, einen fairen Interessenausgleich zwischen Herstellern und den gesetzlichen Krankenkassen in der Erstattung neuer, jedes Jahr teurerer Medikamente zu gewährleisten.

Die vergangenen AMNOG-Reporte haben gezeigt, dass trotz jährlich steigender Preisvorstellungen der pharmazeutischen Unternehmer der durchschnittliche Rabatt nach erfolgter Nutzenbewertung konstant bei ca. 20 % verbleibt. Dies wird jedoch dann problematisch, wenn zunehmend mehr extrem hochpreisige Arzneimittel in immer mehr Indikationen auf den Markt kommen. 183 Medikamente gegen seltene Erkrankungen sind in den vergangenen zwanzig Jahren neu zugelassen worden, 81 davon seit Einführung der frühen Nutzenbewertung. Dabei war fast jedes fünfte Medikament mit neuem Wirkstoff, das im vergangenen Jahr in Deutschland neu eingeführt wurde, ein Orphan Drug für Krebspatienten. Eine grundsätzlich gute Nachricht für betroffene Patientinnen und Patienten, für die damit häufig erstmals eine medikamentöse Therapieoption zur Verfügung steht.

Die Entwicklung neuer Medikamente gegen seltene Erkrankungen ist deshalb besonders wichtig. In der frühen Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen sind für Orphan Drugs insofern besondere Regelungen vorgesehen: Gemäß den gesetzlichen Vorgaben gilt für diese Medikamente der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt. Nach über zehn Jahren Anwendungserfahrung werden jedoch verschiedene Herausforderungen und Problemstellungen sichtbar. Die heute verfügbare Evidenz

entspricht für viele Orphan Drugs nicht den Anforderungen des Verfahrens. Wissenslücken über den Nutzen dieser Arzneimittel sollen zukünftig mit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung geschlossen werden. Doch wie gut kann dies gelingen? Und welche Konsequenzen haben diese Daten für die Preisbildung? Wie können geeignete Erstattungsmodelle für zum Teil sehr hochpreisige Arzneimittel mit nur sehr kleinen Patientengruppen aussehen, insbesondere wenn es sich um sogenannte Einmaltherapien handelt? Und welche Herausforderungen stellen sich in der Versorgungspraxis? Angesichts der anhaltenden Preisdynamik mit jährlich steigenden Jahrestherapiekosten für Orphan Drugs sind dies Fragen, auf die der AMNOG-Report Antworten geben möchte.

Der erste Abschnitt des Buches gibt zunächst ein kurzes politisches Update über die jüngsten Gesetzesänderungen am AMNOG sowie politischen Debatten. Wir werfen dabei auch einen Blick auf die politischen Forderungen der Partner der Selbstverwaltung für die Phase nach der Regierungsbildung. Ein dabei viel diskutiertes Thema sind mögliche zusätzliche Einspareffekte aus einer Rückwirkung des Erstattungsbetrages. Wir evaluieren deshalb in diesem Kapitel, wie hoch die tatsächlich möglichen Einsparungen aus verschiedenen Rückwirkungsszenarien sind (Kapitel 1). Wie in den vorherigen Reports geben wir mit einer systematischen Analyse der bis Ende 2020 abgeschlossenen Nutzenbewertungsverfahren sowie einer Aufstellung der abgeschlossenen Erstattungsbetragsverhandlungen, Schiedsverfahren und Marktrücknahmen einen umfassenden Überblick über alle wesentlichen Fakten zur Nutzenbewertung (Kapitel 2). Im Schwerpunkt diskutieren wir Modelle für eine faire Preisbildung von Orphan Drugs aus (Kapitel 3). Zusätzlich haben wir enge Wegbegleiter des AMNOGs eingeladen, die Herausforderungen der Preisbildung und Erstattung von Orphan Drugs und insbesondere von ATMPs näher zu beleuchten (Kapitel 4). Im letzten Abschnitt des Reportes beleuchten wir zudem erneut verschiedene AMNOG-Mythen und fragen uns beispielsweise, ob die derzeitigen Kriterien zur Ermittlung eines Erstattungsbetrages von Orphan Drugs wirklich angemessen sind.

Wir hoffen, wie in den Vorjahren, auf breites Interesse an den vorliegenden Ergebnissen und freuen uns auf weitere spannende Diskussionen.

Prof. Dr. Wolfgang Greiner und Andreas Storm

Bielefeld und Hamburg, Januar 2022