

AMNOG-REPORT

Blinde Flecken im AMNOG-Markt –
Einblicke in die Ausgabendynamik bei Arzneimitteln



Leseprobe

**Band
50** | Beiträge zur Gesundheitsökonomie
und Versorgungsforschung

 medhochzwei

DAK
Gesundheit
Ein Leben lang

Beiträge zur Gesundheitsökonomie und Versorgungsforschung (Band 50)
Andreas Storm (Herausgeber)

AMNOG-Report 2024



dak.de/forschung-1284

Beiträge zur Gesundheitsökonomie und Versorgungsforschung (Band 50)

AMNOG-Report 2024

Blinde Flecken im AMNOG-Markt – Einblicke in die Ausgabendynamik bei Arzneimitteln

Herausgeber:

Andreas Storm, Vorsitzender des Vorstands der DAK-Gesundheit
DAK-Gesundheit
Nagelsweg 27-31, D-20097 Hamburg

Autoren:

Prof. Dr. Wolfgang Greiner (Universität Bielefeld)
Dr. Julian Witte, Dr. Daniel Gensorowsky, Jana Diekmannshemke (Vandage GmbH)

Mit Beiträgen von

Prof. Josef Hecken (Gemeinsamer Bundesausschuss)
Dr. Antje Haas, Dr. Michael Ermisch, Dr. Barbara Wanjiku (GKV-Spitzenverband)
Prof. Dr. Jörg Ruof (r-Connect GmbH)
Dorothee Brakmann (Pharma Deutschland)
Dr. Felix Schönenfeldt, Marcel Fritz LL.M., MBA (DAK-Gesundheit)

Unter Mitarbeit von

Dr. Felix Schönenfeldt (Apotheker), DAK-Gesundheit

Bielefeld & Hamburg
Juli 2024

Bibliografische Informationen der Deutschen Nationalbibliothek
Die Deutsche Nationalbibliothek verzeichnet diese Publikation in der
Deutschen Nationalbibliografie; detaillierte bibliografische Daten sind im Internet über
<http://dnb.d-nb.de> abrufbar.



© 2024 medhochzwei Verlag GmbH, Heidelberg
www.medhochzwei-verlag.de



ISBN 978-3-98800-061-3

Dieses Werk, einschließlich aller seiner Teile, ist urheberrechtlich geschützt. Jede Verwertung außerhalb der engen Grenzen des Urheberrechtsgesetzes ist ohne Zustimmung des Verlages unzulässig und strafbar. Dies gilt insbesondere für Vervielfältigungen, Übersetzungen, Mikroverfilmungen und die Einspeicherung und Verarbeitung in elektronischen Systemen.

Fotos: © Getty Images/ Daniele Mezzadri (Titelbild); DAK-Gesundheit (Foto Greiner, S. 87, Umschlag); privat (Foto Witte, S. 87, Fotos Gensorowsky, Diekmannshemke, S. 88); DAK-Gesundheit/Läufer (Foto Storm, Umschlag)

Titelbildgestaltung: Natalia Degenhardt

Satz: Strassner ComputerSatz, Heidelberg

Druck: mediaprint solutions GmbH, Paderborn

Printed in Germany

Vorwort

Im ersten Halbjahr vor Verabschiedung des GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinStG) im Jahr 2022 lagen die monatlichen GKV-Ausgaben für patentgeschützte Arzneimittel bei 1,86 Milliarden Euro. In den ersten vier Monaten des Jahres 2024 sind sie auf durchschnittlich 2,54 Milliarden Euro gestiegen. Die im Oktober 2022 verabschiedeten Maßnahmen zur Dämpfung des Ausgabenanstiegs bei patentgeschützten Arzneimitteln haben somit offenbar nur bedingt gegriffen. Tatsächlich sind aus dem Maßnahmenpaket des GKV-FinStG bislang nur die Rückwirkung des Erstattungsbetrages, die Absenkung der Umsatzschwelle zur Vollbewertung von Orphan Drugs sowie die sogenannten Leitplanken umgesetzt. Die Sinnhaftigkeit der Rückwirkung des Erstattungsbetrages ist dabei nicht mehr strittig. Auch die niedrigere Schwelle zur Bewertung von Orphan Drugs wird öffentlich nicht mehr in Frage gestellt. Einzig die Leitplanken, welche die Preisbildung neuer Arzneimittel ohne bzw. mit geringem Zusatznutzen als Ergebnis der frühen Nutzenbewertung wesentlich verändert haben, sind fast täglich Gegenstand des fachpolitischen Diskurses. Dabei geht es jedoch weniger um technische Details als vielmehr um die Frage, ob die Leitplanken bei aller Umsetzungskomplexität wirklich einen messbaren Nutzen für die GKV-Versorgung entfalten können. Es werden Kollateraleffekte wie verzögerte oder ausbleibende Markteintritte als Reaktion auf hohe Preisabschläge infolge der Leitplankenregelungen befürchtet und in Einzelfällen auch beschrieben. Eine vom Bundesministerium für Gesundheit veranlasste erneute Evaluation der Maßnahmen des GKV-FinStG soll hierzu zum Jahresende 2024 Aufschluss geben.

Bislang nicht umgesetzt ist die zweite kontroverse Neuerung des GKV-FinStG: Die Einführung eines pauschalen Abschlages auf vorab vom G-BA festgelegte Kombinationstherapien. Im AMNOG-Report konstatierten wir hierzu bereits im Jahr 2023, dass der Abschlag auf Kombinationstherapien – an sich eine naheliegende Lösung den dynamischen Mengen- und Preisentwicklungen in Kombination eingesetzter hochpreisiger Arzneimittel entgegenzuwirken – in der Umsetzung methodisch anspruchsvoll und konflikträchtig wird. Da eine entsprechende „Kombinations-Information“ auf einer Rezeptverordnung fehlt, müssen im Wesentlichen zeitliche Abstände zwischen Arzneimittelverordnungen definiert und überprüft werden. Tatsächlich konnten sich der GKV-Spitzenverband und die maßgeblichen Verbände der pharmazeutischen Industrie auch nach knapp einem Jahr nicht auf ein Umsetzungsmodell einigen. Das Bundesministerium für Gesundheit hat deshalb kürzlich einen Regelungsvorschlag in die Verbändeabstimmung geben. Der Ansatz des BMG: weitestgehend pragmatisch. Der aktuelle DAK-AMNOG-Report zeigt jedoch auch, dass insbesondere die fehlende Berücksichtigung stationärer Arzneimittelumsätze das Einsparpotenzial deutlich schmälert. Von den vormals avisierten Einsparungen in Höhe von jährlich 185 Millionen Euro lassen sich nach unseren Berechnungen nur etwas mehr als die Hälfte realisieren, wenn dem Umsetzungsvorschlag des Ministeriums gefolgt wird.

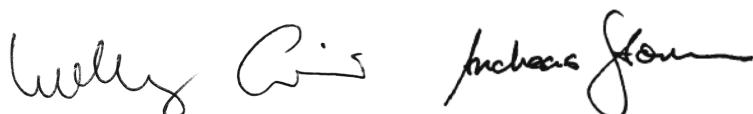
Dabei ist aktuell gar nicht klar, ob der pauschale Kombinationsabschlag jemals umgesetzt wird. Den aktuellen Stand um die geplante Einführung vertraulicher Erstattungsbeträge zeichnet der vorliegende Report nach. Zudem zeigt der Report, dass viele Diskussionen

Vorwort

im AMNOG auch 14 Jahre nach Einführung eine Vielzahl blinder Flecken aufweisen. Ein Beispiel: Stationäre Umsätze hochpreisiger Arzneimittel finden faktisch in keiner Debatte Berücksichtigung – nicht, weil sie nicht relevant sind, sondern weil belastbare Daten fehlen. Der aktuelle AMNOG-Report legt hierzu zum zweiten Mal Auswertungen vor. Die Ergebnisse zeigen, dass trotz politischer Eingriffe zur Ausgabendämpfung die stationären Umsätze hochpreisiger Arzneimittel kontinuierlich steigen und im Jahr 2023 einen neuen Höchststand erreicht haben.

Darüber hinaus freuen wir uns, mit Prof. Josef Hecken, unparteiischer Vorsitzender des Gemeinsamen Bundesausschusses, Dr. Antje Haas, Dr. Michael Ermisch und Dr. Barbara Wanjiku vom GKV-Spitzenverband, Prof. Dr. Jörg Ruof von r-Connect sowie Frau Dorothee Brakmann vom Industrieverband Pharma Deutschland Gastautoren gewonnen zu haben, die in kurzen Statements die aus Ihrer Sicht relevanten „blinden Flecken“ im AMNOG-Verfahren darstellen. Dr. Felix Schönfeldt und Marcel Fritz von der DAK-Gesundheit ordnen ihrerseits die Ergebnisse des Reportes ein.

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

The image shows two handwritten signatures side-by-side. The signature on the left appears to be "Wolfgang Greiner" and the signature on the right appears to be "Andreas Storm". Both signatures are written in black ink on a white background.

Prof. Dr. Wolfgang Greiner und Andreas Storm

Bielefeld und Hamburg, Juli 2024

Inhalt

Vorwort	v
Executive Summary	ix
1. Die Pharmastrategie und ihre Folgen	1
1.1 Vertraulichkeit ante portas?	1
1.2 Leitplanken	4
1.3 Abschläge auf Kombinationstherapien	6
2. Auswirkungen des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes	9
2.1 Nutzenbewertung von Orphan Drugs	9
2.1.1 Hintergrund	9
2.1.2 Methodik	9
2.1.3 Orphan-Vollbewertungen und -Marktentwicklung	10
2.2 Nutzenbewertungsergebnisse	13
2.2.1 Hintergrund	13
2.2.2 Methodik	14
2.2.3 Zusatznutzenzuschreibungen von Erstbewertungen	14
2.3 Markteinführungen und Marktverfügbarkeit	15
2.3.1 Hintergrund	15
2.3.2 Methodik	16
2.3.3 Time-to-Market und Marktrücknahmen	16
3. Ausgabenentwicklungen im Arzneimittelmarkt	21
3.1 Entwicklung der Markteintrittspreise neuer Arzneimittel	21
3.1.1 Hintergrund	21
3.1.2 Methodik	21
3.1.3 Jahrestherapiekosten im AMNOG-Markt	21
3.2 Entwicklung der Ausgaben für patentgeschützte Arzneimittel	24
3.2.1 Hintergrund	24
3.2.2 Methodik	24
3.2.3 Arzneimittelabsatz und Ausgabenentwicklung in der GKV, 2022–2024	25
3.3 Entwicklung der Ausgaben neuer Arzneimittel im Krankenhaus	28
3.3.1 Hintergrund: Erstattung von Arzneimittelkosten im Krankenhaus	28
3.3.2 Methodik	31
3.3.3 Entwicklung der Arzneimittelausgaben im Krankenhaus	31
4. Preisabschläge auf Kombinationstherapien	39
4.1 Hintergrund	39
4.2 Methodik	40
4.3 Umsetzbarkeit des pauschalen Abschlages auf Kombinationstherapien	43
4.3.1 Erfasste Arzneimittelkombinationen	43

4.3.2	Unsicherheit des BMG-Algorithmus zur Identifikation von Kombinationstherapien	45
4.3.3	Einsparpotenziale durch den pauschalen Abschlag auf Kombinationstherapien	51
5. Statements	53	
5.1	Blinde Flecken im AMNOG-Verfahren aus Sicht des G-BA	53
5.2	Blinde Flecken im AMNOG-Verfahren aus Sicht des GKV-Spitzenverbandes	56
5.3	EU-HTA: Blinde Flecken? – Gelbe Flecken? Wo stehen wir mit dem AMNOG	60
5.4	AMNOG – lernfähig, auch lernwillig? Blinde Flecken im AMNOG-Verfahren aus Sicht von Pharma Deutschland	66
5.5	Blinde Flecken im AMNOG-Verfahren aus Sicht der DAK-Gesundheit	69
6. Fazit	73	
Anlagen	77	
Anlage A1: Hinweise zur Datengrundlage und zum Datenschutz	77	
Anlage A2: Methodik der Hochrechnung	78	
Anlage A3: Datengrundlage der Nutzenbewertungsverfahren und Preisbildungsergebnisse	79	
Literatur	81	
Abbildungsverzeichnis	83	
Tabellenverzeichnis	85	
Autoren	87	
Transparenzhinweis	88	

Executive Summary

Faire Preise für neue Arzneimittel und damit ein Interessensaustausch zwischen der pharmazeutischen Industrie und den gesetzlichen Krankenkassen – mit dieser Intention ist das AMNOG 2011 eingeführt worden. Mischpreise, indirekte Vergleiche, Arztinformationssysteme oder zuletzt die Erstattung von Einmaltherapien – seit seiner Einführung wurde das AMNOG-Verfahren von vielen kontroversen Diskussionen begleitet. Diese haben sich seit der Verabschiedung des GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinStG) weiter intensiviert, waren die mit dem Gesetz eingeführten Neuerungen, darunter die schnellere Vollbewertung von Orphan Drugs, ein pauschaler Abschlag auf Kombinationstherapien und engere Leitplanken für die Erstattungsbetragsverhandlungen doch mit einer Abkehr von den eingespielten Prinzipien des AMNOGs verbunden. Gerade die Leitplankenregelungen, welche die Preise für neu eingeführte Arzneimittel durch neue Verhandlungsvorgaben senken sollen, sorgten angesichts der potenziellen Benachteiligung von Schrittinnovationen nicht nur bei Vertretern der pharmazeutischen Industrie für deutliche Kritik.

Auch nach einer ersten Evaluation durch das BMG in 2023 ist bislang nicht bekannt, ob sich aus den Neuregelungen des GKV-FinStG negative Effekte für die Patientenversorgung ergeben haben. Für eine objektivierende Beurteilung ist es besonders wichtig, keine „blinden Flecken“ im Sichtfeld zu haben. Das Schließen bestehender Wissenslücken ist sowohl für die Beurteilung politischer Regulierung als auch für eine wirksame und faire Weiterentwicklung des AMNOG-Verfahrens essentiell. Mit umfangreichen Analysen richtet der DAK-AMNOG-Report 2024 den Blick daher auf solche Erkenntnislücken im AMNOG-Markt. Dazu zählen die zu beobachtenden Auswirkungen des GKV-FinStG, die allgemeine Ausgabenentwicklung unter Berücksichtigung von Arzneimittelumsätzen im Krankenhaus und die Implikationen des jüngst vom Bundesministerium für Gesundheit veröffentlichten Vorschlags zur Umsetzung des pauschalen Kombinationsabschlages.

Auswirkungen des GKV-FinStG

...auf die Nutzenbewertung von Orphan Drugs:

- Bis Ende 2023 wurden 29 Orphan Drugs nach Überschreibung der Umsatzschwelle einer uneingeschränkten Nutzenbewertung („Vollbewertung“) unterzogen. Erst nach Überschreitung der Umsatzschwelle gilt ein Zusatznutzen für Orphan Drugs nicht mehr automatisch als belegt, was Einfluss auf die Höhe der zu verhandelnden Preise haben kann.
- Unabhängig vom allgemeinen zeitlichen Trend zu mehr Vollbewertungen ergeben sich klare Hinweise auf einen Effekt der im Rahmen des GKV-FinStG vorgenommenen Absenkung der Umsatzschwelle. Allein im Jahr 2023, nach Inkrafttreten der Neuregelung wurden zehn Vollbewertungen von Orphan Drugs veranlasst.
- Hinweise auf eine verbesserte Evidenzgrundlage der Nutzenbewertung von Orphan Drugs zeigen sich bislang nicht, sind aber im Hinblick auf den Planungshorizont klinischer Studien auch noch nicht zu erwarten.

...auf die Nutzenbewertungsergebnisse aller Arzneimittel:

- Seit Einführung des AMNOG bis Ende 2023 haben insgesamt 413 Wirkstoffe eine erstmalige frühe Nutzenbewertung durchlaufen. Im Durchschnitt wurde in 57 Prozent aller Erstbewertungsverfahren in mindestens einer Teilpopulation ein Zusatznutzen festgestellt.
- Nach Einführung des GKV-FinStG wurden im Jahr 2023 insgesamt 38 Erstbewertungsverfahren abgeschlossen. Bei der Betrachtung der Zusatznutzenzuschreibungen fallen im Vergleich zu den Vorjahren insbesondere zwei Aspekte auf: Mit 20 Verfahren (53 Prozent) wurde im Jahr 2023 absolut wie relativ ein neues Allzeithoch bei den jährlichen Erstbewertungen ohne belegten Zusatznutzen erreicht. Ein Tiefstand zeigt sich zudem hinsichtlich der Erstbewertungen mit beträchtlichem oder erheblichem Zusatznutzen. Mit knapp 8 Prozent lag ihr Anteil im Jahr 2023 so tief wie nie und etwa 10 Prozentpunkte unter dem AMNOG-Durchschnitt. Zu beachten ist jedoch die kurze Zeitreihe und damit die geringe Datengrundlage.

...auf Markteinführung und Marktrücknahmen:

- Die durchschnittliche Zeit zwischen europäischer Zulassung und Markteintritt eines neuen Arzneimittels in Deutschland liegt seit Einführung des AMNOGs bei 124 Tagen. Die mediane Time-to-Market bewegt sich im Zeitverlauf auf einem Niveau zwischen 34 Tagen (2017) und 71 Tagen (2023).
- Die mediane Time-to-Market der Produkte, für die nach Inkrafttreten der Regelungen des GKV-FinStG erstmals ein Nutzenbewertungsverfahren veranlasst wurde, liegt bei 64 Tagen. Auch der Mittelwert liegt mit 151 Tagen weit unter dem Durchschnitt der EU-27-Länder von etwa 517 Tagen.
- Orphan Drugs kommen im Schnitt schneller auf den deutschen Markt als andere Arzneimittel. Die mediane Zeit von Zulassung bis zur Verfügbarkeit neuer Orphan Drugs liegt insgesamt bei 38 Tagen und nach Inkrafttreten des GKV-FinStG bei 45 Tagen.
- Bis einschließlich April 2024 wurden 51 von insgesamt 457 AMNOG-Produkten (11,2 Prozent) in Deutschland außer Vertrieb gesetzt. Unmittelbar nach Inkrafttreten des GKV-FinStG waren im Jahr 2023 fünf Marktaustritte zu beobachten.
- In der Regel handelt es sich bei den vom Markt genommenen Produkten nicht um neue Arzneimittel. So waren die zuletzt vom Markt genommenen Arzneimittel im Schnitt bereits 36 (Rücknahmen des Jahres 2023) bzw. sogar 63 Monate (Rücknahmen des Jahres 2024) im Markt.

Ausgabenentwicklung im Arzneimittelmarkt

Entwicklung der Markteintrittspreise:

- Die Jahrestherapiekosten neuer Arzneimittel sind in den vergangenen Jahren kontinuierlich angestiegen. Im Durchschnitt fallen für ein zwischen 2011 und 2023 nutzenbewertetes Arzneimittel Jahrestherapiekosten in Höhe von 169.000 Euro an.



1. Die Pharmastrategie und ihre Folgen

1.1 Vertraulichkeit ante portas?

„Für einen guten Zugang zu neuen Arzneimitteln werden verlässliche, nachvollziehbare und einfach umsetzbare Rahmenbedingungen bei der Preisbildung und Erstattung gewährleistet, die den Prinzipien einer sozialen Marktwirtschaft folgen. Dabei werden auch therapeutische Verbesserungen angemessen berücksichtigt. Gleichzeitig gilt es, die Finanzstabilität der Gesetzlichen Krankenversicherung im Blick zu behalten.“¹ Mit diesen Zielen formulierte das Bundesministerium für Gesundheit im Oktober 2023 die Pharmastrategie, in welcher unter anderem die Einführung vertraulicher Erstattungsbeträge sowie die zukünftig nicht mehr vorgesehene Anhebung des Herstellerabschlages angekündigt wurden.

Die Einführung vertraulicher Erstattungsbeträge befindet sich als Teil des geplanten Medizinforschungsgesetzes (MFG) derzeit im parlamentarischen Prozess. Am 27. März 2024 ist hierzu der Kabinettsentwurf verabschiedet worden. Mit einem Inkrafttreten ist im Oktober 2024 zu rechnen. Die Ampelregierung will mit der Einführung vertraulicher Erstattungsbeträge erreichen, dass in Deutschland verhandelte Preise neuer Arzneimittel nicht mehr als Referenzwert für die Preisbildung in anderen, zumeist europäischen Ländern, gelten. Deutschland ist in der Europäischen Union das einzige Mitgliedsland mit einer vergleichbaren Transparenz der Arzneimittelpreise. Mit der Ermöglichung der Vertraulichkeit gleiche man daher einen Nachteil im Wettbewerb mit anderen Ländern aus, die von jeher vertrauliche Preise für neue Arzneimittel vereinbart hätten. Gleichzeitig ist zu konstatieren, dass derzeitige europäische Initiativen in die gegenteilige Richtung ziehen. Im Pharma-Strategie-Papier der EU-Kommission aus dem Jahr 2020 beschreibt die Kommission das Ziel, die Transparenz von Preisinformationen zu fördern, um in nationalen Preisbildungssystemen bessere Entscheidungen über die Preisgestaltung und Kostenerstattung zu treffen. Einschränkend beschreibt die Kommission, dass sie dabei auch mögliche Auswirkungen auf pharmazeutische Innovationen, gemeint ist vermutlich deren Verfügbarkeit, berücksichtigen wird.² 2019 verabschiedeten 194 Mitgliedstaaten der WHO die (rechtlich nicht bindende) „Transparenz-Resolution“ (WHO-Resolution 72.8), in der die Mitgliedstaaten aufgefordert werden, Maßnahmen zu ergreifen, um Informationen über die Nettopreise unter anderem von Arzneimitteln öffentlich zugänglich zu machen, und die Mitgliedstaaten zur Zusammenarbeit aufgerufen werden.³

Zur Objektivierung der Debatte hat der AMNOG-Kurzreport der DAK-Gesundheit aus dem März 2024 eine Systematisierung bestehender Argumentationen vorgenommen⁴. In der öffentlichen Debatte überwogen derzeit zwei Gegenargumente: Vertrauliche Erstattungsbeträge machen es schwierig bis unmöglich, die wirtschaftliche Verordnungsweise nie-

1 www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/P/Pharmastrategie/231213_Kabinett_Strategiepapier.pdf

2 https://health.ec.europa.eu/system/files/2021-02/pharma-strategy_report_en_0.pdf (S. 13)

3 https://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/WHA72/A72_R8-en.pdf

4 Greiner et al. (2024)

dergessener Ärztinnen und Ärzte zu bewerten.⁵ Damit einher ginge nach Ansicht von Kritikern ein erhebliches finanzielles Risiko für die GKV. Modellrechnungen des GKV-Spitzenverbandes beziffern die potenziellen Mehrausgaben auf bis zu 33 Mrd. Euro jährlich. Zurückzuführen sei dieses Kostenrisiko auf den Wegfall der Wirtschaftlichkeitssteuerung durch den Arzt auf Einzelverordnungs- und Regionalebene, den Wegfall der Importregelung sowie Bürokratiekosten für Auskunftsansprüche. Das Argument der Befürworter: Es seien höhere potenzielle Einsparungen für die GKV durch mehr Verhandlungsspielraum aufseiten der pharmazeutischen Unternehmer möglich. Zumal Deutschland auch nach 14 Jahren transparenter Erstattungsbeträge europaweit das Land mit der höchsten und schnellsten Verfügbarkeit neuer Arzneimittel ist.

Dass auch die Industrie nicht durchweg begeistert von der Einführung vertraulicher Erstattungsbeträge ist, wurde bereits früh in der Debatte deutlich. Dies muss jedoch nicht zwangsläufig daran liegen, dass die Option der Preisvertraulichkeit industrieitig abgelehnt wird. Vielmehr ist davon auszugehen, dass in der aktuellen AMNOG-Arithmetik die Vertraulichkeit nicht ganz oben auf dem Wunschzettel für eine Reformagenda steht. So betonten Industrievertreter wiederholt, dass für mehr Verlässlichkeit und Planbarkeit im Marktzugang neuer Arzneimittel in Deutschland die Abschaffung der Leitplanken und des Kombinationsabschlages wichtiger wäre. Auf die Vertraulichkeit – so die Lesart – könne dann verzichtet werden.

Unstrittig ist dabei, dass der Nutzen einer Preisvertraulichkeit von Arzneimitteln ebenso wenig wie der einer Preistransparenz empirisch bislang belegt ist. Je nach Perspektive sind aus der Theorie Vorteile einer Preisvertraulichkeit hinsichtlich der Nachfragemacht und der Möglichkeit zur effizienten Preisdiskriminierung nicht von der Hand zu weisen. Individuelle Vorteile für ein Gesundheitssystem sind offenbar angesichts einer in entwickelten Industrienationen derzeit nahezu vollständig verbreiteten Vertraulichkeit verhandelter Arzneimittelpreise ebenfalls evident. Allerdings ist in Deutschland das System aus freiem Marktzugang bei freier Preisfestsetzung durch den pharmazeutischen Unternehmer auch einzigartig.

Da es sich dem aktuellen Gesetzesentwurf nach um eine herstellerseitige Optionslösung handelt, wird aus Perspektive der AMNOG-begleitenden Versorgungsforschung spannend sein zu beobachten, in welcher Form und, wenn nachvollziehbar, in welchen Verfahren die Option des vertraulichen Erstattungsbetrages zur Anwendung kommt. Denkbar wäre auch, die Vertraulichkeit von Preisen nicht ausschließlich in das Ermessen des Herstellers zu legen, sondern zum Teil in einer gemeinsamen Preisfindung von Anbietern und GKV-Spitzenverband auszugestalten, wie im AMNOG-Kurzreport 2024 der DAK-Gesundheit vorgeschlagen.⁶ Dies würde allerdings voraussetzen, dass sich auch die Krankenkassen und die weiteren Verfahrensbeteiligten diesem (für Deutschland) neuen Instrument in den Preisverhandlungen öffnen würden. Dies ist derzeit nicht abzusehen.⁷

5 ÄrzteZeitung (2024)

6 Greiner et al. (2024)

7 Trappe (2024a)



2. Auswirkungen des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes

2.1 Nutzenbewertung von Orphan Drugs

2.1.1 Hintergrund

Die Umsatzschwelle für die Nutzenbewertung bei Arzneimitteln zur Behandlung eines seltenen Leidens (§ 35a Abs. 1 S. 12 SGB V) wurde durch das GKV-FinStG von 50 Mio. auf 30 Mio. Euro reduziert. Hintergrund dieser vermeintlich nur geringfügigen Verfahrensanpassung war eine Diskussion um die Verwertbarkeit von Evidenz zum Nutzen von Orphan Drugs. So konnte vor der Reform in rund 70 Prozent aller bisherigen Vollbewertungsverfahren lediglich ein nicht quantifizierbarer oder nicht belegter Zusatznutzen in den vom G-BA bewerteten Teilpopulationen festgestellt werden. Gleichzeitig gilt Deutschland hinsichtlich der Zugänglichkeit von Orphan Drugs im internationalen Vergleich als besonders niedrigschwellig, sodass die Produkte nach Zulassung hierzulande bedeutend schneller im Markt verfügbar sind als in anderen europäischen Ländern.

Die Absenkung der Umsatzschwelle sollte somit einerseits Anreize zu einer verbesserten Evidenzgenerierung für Orphan Drugs schaffen. Andererseits sollten durch die nun häufigere Verhandlung von Erstattungsbeträgen, die nicht auf der Zusatznutzenfiktion, sondern auf einer Vollbewertung basieren, direkte Einsparungen für die GKV in Höhe von mittelfristig 100 Mio. Euro jährlich realisiert werden. Gemäß der Gesetzesbegründung zum GKV-FinStG wurde dabei von ca. 20 Arzneimitteln ausgegangen, die von der Neuregelung betroffen wären. Der konkrete Zeitraum, auf den sich diese Schätzung bezieht, wurde indes nicht benannt.

2.1.2 Methodik

Die folgenden Analysen untersuchen die Auswirkungen durch die Absenkung der Umsatzschwelle für Orphan Drugs. Im Fokus steht dabei die Zahl der neu initiierten Orphan-Vollbewertungen vor und nach Einführung des GKV-FinStG. Dabei werden alle initiierten Vollbewertungen seit Einführung des AMNOG bis zum Stichtag 31. Dezember 2023 berücksichtigt. Zur Abbildung möglicher Effekte auf die Evidenzgüte von Orphan Drugs werden die Verteilungen der Zusatznutzenzuschreibungen im Rahmen der Vollbewertungen auf Verfahrensebene gegenübergestellt.

Die abgesenkte Umsatzschwelle könnte in Kombination mit der durch das GKV-FinStG eingeführten Rückwirkung des Erstattungsbetrages auf den siebten Monat nach Markteintritt auch Auswirkungen auf die Dynamik der Marktdurchdringung von Orphan Drugs haben. Für Orphan Drugs, für die in den Jahren 2018 bis 2023 erstmals ein Nutzenbewertungsverfahren initiiert wurde, wird daher explorativ der relative DDD-Uptake in den

sechs Monaten nach Markteintritt auf Basis von Abrechnungsdaten der DAK-Gesundheit untersucht.

2.1.3 Orphan-Vollbewertungen und -Marktentwicklung

Abbildung 2 stellt die Zahl der jährlich initiierten Vollbewertungen von Orphan Drugs im Zeitverlauf seit Einführung des AMNOG dar. Insgesamt haben 29 Wirkstoffe bis Ende des Jahres 2023 Umsätze über der jeweils geltenden Orphan-Umsatzschwelle realisiert. Die erste Vollbewertung wurde 2014, im vierten Jahr des AMNOG, für den Wirkstoff Ruxolitinib (Jakavi®) veranlasst. In den Folgejahren wurden ein bis zwei Vollbewertungsverfahren pro Jahr gestartet. Nach einem Jahr ohne Verfahren in 2018 wurden in den Jahren 2019 bis 2021 dann mit jeweils vier Verfahren deutlich mehr Vollbewertungen gestartet als im Schnitt der Vorjahre. Im Jahr 2022 war indes wiederum nur eine veranlasste Vollbewertung zu beobachten. Trotz gewisser jährlicher Schwankungen deuten die Zahlen somit insgesamt auf eine steigende Frequenz von Orphan-Vollbewertungen im Zeitablauf hin. Diese dürfte einerseits auf eine zunehmende Zahl im Markt verfügbarerer Orphan Drugs zurückzuführen sein. Kamen im Sechs-Jahres-Zeitraum von 2011 bis 2016 jährlich noch durchschnittlich sieben neue Orphan Drugs in den Markt, waren es im Folgezeitraum von 2017 bis 2022 bereits 14. Ein weiterer Faktor, der sich auf die Anzahl zu beobachtenden Vollbewertungen auswirkt, ist das im Zeitverlauf steigende Preisniveau (vgl. Kapitel 3.1).

Unabhängig vom allgemeinen zeitlichen Trend zu mehr Vollbewertung ergeben sich klare Hinweise auf einen Effekt der im Rahmen des GKV-FinStG vorgenommenen Absenkung der Umsatzschwelle. So wurden allein im Jahr 2023 nach Inkrafttreten der Neuregelung zehn Vollbewertungen von Orphan Drugs veranlasst. Dies entspricht im Umfang mehr als der Hälfte aller Vollbewertungen aus den vorangegangenen zwölf Jahren seit Einführung des AMNOG und zudem dem Zweieinhalfachen des bisherigen Höchstwertes der in einem Jahr initiierten Verfahren in Höhe von vier in den Jahren 2019 bis 2021. Eine abschließende Bewertung des Einflusses der Absenkung der Umsatzschwelle erfordert indes – insbesondere vor dem Hintergrund der in den Vorjahren beobachteten zeitlichen Variationen – einen mehrjährigen Beobachtungszeitraum.

Bei den vor dem Jahr 2023 unter der ehemals höheren Umsatzschwelle initiierten Orphan-Vollbewertungen lagen zwischen Erst- und Vollbewertung im Schnitt 42 Monate. Dabei sticht der Wirkstoff Onasemnogen-Abeparvovec (Zolgensma®) mit Jahrestherapiekosten bei Markteintritt in Höhe von rund 2,3 Mio. Euro als Sonderfall heraus, da es sich bei der Erstbewertung gleichzeitig auch um die Vollbewertung nach Überschreiten der Umsatzschwelle handelte. Beim Blick auf die nach Inkrafttreten des GKV-FinStG initiierten Vollbewertungen fällt zudem auf, dass mit 57 Monaten im Schnitt mehr Zeit zwischen Erst- und Vollbewertung vergangen ist als in den Vorjahren. Dies deutet darauf hin, dass zunächst vor allem ältere Produkte mit einer gewissen Marktreife von der Absenkung der Orphan-Umsatzschwelle betroffen waren. Von den betroffenen Wirkstoffen mit Vollbewertung im Jahr 2023 lag bei Migalastat (Galafold®) die Erstbewertung mit mehr als sieben Jahren am weitesten zurück.



5. Statements

5.1 Blinde Flecken im AMNOG-Verfahren aus Sicht des G-BA

Prof. Josef Hecken

Unparteiischer Vorsitzender des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA)

„Bei der Nutzenbewertung neuer Arzneimittel sehe ich gesetzgeberische Lücken im Bereich der anwendungsbegleitenden Datenerhebung (AbD). Speziell geht es mir um den Umgang mit methodischen Vorarbeiten und erstellten Studienunterlagen der pharmazeutischen Hersteller bei einer AbD. In den Studienunterlagen werden die vom Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) festgelegten Verfahrensanforderungen beispielsweise zu Dauer, Art und Umfang der Datenerhebung konkretisiert und es wird das spezifische Vorgehen für die Auswertung der erhobenen Daten bestimmt. In der Regel fließen in die Erstellung wichtige Ergebnisse ein, die zwischen G-BA, dem Hersteller und Registerbetreibern abgeklärt wurden. Im Moment dürfen wir diese Unterlagen für das jeweilige Verfahren zwar (unter Wahrung der Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse) auch auf unserer Website publizieren – jedoch nicht für andere AbD mit vergleichbaren Fragestellungen verwenden. Denn ein mehrfaches Verwertungsrecht über das laufende Verfahren hinaus fehlt aktuell. Das ist ein ineffizientes und ressourcenbeanspruchendes Vorgehen, das uns dazu zwingt, uns ‚blind zu stellen‘, dabei könnte der Missstand relativ einfach behoben werden.“

Den Vorschlag, dem G-BA ein mehrfaches Nutzungsrecht einzuräumen, haben die drei unparteiischen Mitglieder dem Gesetzgeber in ihrer Stellungnahme zum Gesundheitsversorgungsstärkungsgesetz (GVSG) übermittelt. Dieser beinhaltet auch eine Entschädigung der pharmazeutischen Hersteller, wenn sie dem G-BA die Verwertungsrechte an den ggf. urheberrechtlich geschützten Dokumenten überlassen. Mit einer solchen weitergehenden Verwertungsmöglichkeit der Dokumente ließe sich eine AbD ressourcenschonend standardisieren. Zur Erinnerung: Auf eine AbD greift der G-BA zurück, wenn neue Wirkstoffe bei der Zulassung auf Basis weniger und/oder schwacher Studiendaten auf den Markt kommen. Solche Produkte haben zwar das Zulassungsverfahren durchlaufen (und teilweise mit Auflagen beendet), die zugrunde liegenden klinischen Daten beantworten jedoch Fragen der Nutzenbewertung oft nicht oder nicht ausreichend. Der Mehrwert für die Patientenversorgung bleibt bei einer schwachen Datenbasis unklar. Mit der AbD sollen deshalb aus der Versorgungspraxis und unter qualitätsgesicherten Standards weitere Daten erhoben werden, um den patientenrelevanten Zusatznutzen erneut zu bewerten. Als Datenplattform dienen oft bestehende indikationsspezifische Register, teilweise müssen sie aber auch erst aufgebaut werden.

Was ebenfalls für den G-BA-Vorschlag spricht: Bisherige Erfahrungen zeigen, dass eine unzureichende Evidenzlage bei der Zulassung häufig in bestimmten Indikationsgebieten vorliegt – und damit in der Regel dasselbe indikationsspezifische Register als potenzielle Datenquelle für eine AbD in Betracht kommt. Die Ausgangssituation für weitere AbD bei diesem Register wären sehr viel besser, wenn auf bereits vorhandene Standards wie z. B.

festgelegte patientenberichtete Endpunkte und spezifische Messinstrumente zurückgegriffen werden kann. Mit generalisierten Anforderungen und einer einheitlichen Datenerhebung wäre auch eine Vergleichbarkeit der Ergebnisse der AbD in einem Indikationsgebiet sichergestellt. Zudem könnten so die Daten zu Patientinnen und Patienten unter der Vergleichstherapie für alle in dem jeweiligen Indikationsgebiet geforderten anwendungsbegleitenden Studien genutzt werden. Das wäre gerade bei seltenen Krankheiten mit häufig kleinen Patientenzahlen relevant.

Und noch ein zweiter, zwar nicht blinder, aber zumindest trüber Fleck in Sachen anwendungsbegleitender Datenerhebung: Was uns ebenfalls helfen würde, wäre der frühzeitige Aufbau von Registerstrukturen, die sich gut für eine AbD eignen. Gebraucht werden Register, die die notwendigen Daten aus der Versorgung erheben können, um sie für eine nachgelagerte Nutzenbewertung einzusetzen. Die vorhandenen Register müssen für eine AbD oft umfassend nachgerüstet werden, was den Start einer solchen Datenerhebung verzögert – und damit auch eine zweite Nutzenbewertung nach hinten verlagert. Deshalb haben die unparteiischen Mitglieder des G-BA in ihrer GVSG-Stellungnahme auch vorgeschlagen, Registerbetreiber frühzeitig in die Entwicklung geeigneter Strukturen einzubeziehen. Denkbar wäre eine Kooperation zwischen den Zulassungsbehörden, medizinischen Fachgesellschaften und dem G-BA – und zwar schon ca. fünf, sechs Jahre bevor ein neuer Wirkstoff auf den Markt kommt. Diese Zeit brauchen wir, um ein Register vor Markteintritt des neuen Wirkstoffs zu etablieren. So könnten wir sicherstellen, dass die Register den hohen Qualitätsstandards entsprechen, die für eine AbD notwendig sind, sowie alle wichtigen Endpunkte und Patientencharakteristika erfasst werden. Aufgabe des G-BA wäre bei einer solchen Kooperation die Beratung von (potenziellen) Betreibern: beispielsweise zum Registeraufbau, zur Entwicklung von Strukturen für eine AbD und zu patientenrelevanten Endpunkten sowie zur relevanten Patientenpopulation. Eine finanzielle Beteiligung am Registerbetrieb oder die direkte Förderung einer AbD wären allerdings ausgeschlossen. Gerade mit Blick auf die Veränderungen im Arzneimittelbereich mit immer kleineren Patientengruppen, teuren Gentherapien etc. wäre der Aufbau von AbD-kompatiblen Registern ein sehr sinnvoller Schritt.

Zum Schluss lassen Sie mich auf einen ‚blinden Fleck‘ hinweisen, zu dem es im AMNOG-Verfahren nun durch das gerade verabschiedete Medizinforschungsgesetz kommen wird. Ich meine die von Januar 2025 bis zum Sommer 2028 den pharmazeutischen Unternehmen unter bestimmten Bedingungen zu gewährende Wahloption der vertraulichen Erstattungsbeträge. Das Grundproblem der neuen Regelungen bleibt trotz der letzten Anpassungen am Gesetz: Im Inland löst es eine massive Störung bei der Kosten-Nutzen-Kontrolle aus. Für Europa ist es ein fatales Signal, wenn Deutschland als positives Beispieldland für eine Preistransparenz vor der Industrie einknickt.

Von niedergelassenen Ärztinnen und Ärzten wird nach wie vor eine wirtschaftliche Arzneimittelverordnung erwartet. Wie aber soll das funktionieren, wenn die Preise nicht bekannt sind? Statt Preisangaben sollen Hinweise in der Praxissoftware – z. B. farblich oder als Erläuterung – die Verordnenden leiten. Wie gut das klappt, ist neben der technischen Um-

setzung eine Frage, wie oft die Möglichkeit genutzt wird, keinen Preis zu nennen. Und da prognostiziere ich: Gerade jene pharmazeutischen Hersteller, die nur einen geringen oder gar keinen Zusatznutzen nachweisen können, werden auf vertrauliche Erstattungsbeträge setzen. Das werden keine Einzelfälle sein, wie Befürworter der gesetzlichen Änderungen argumentieren, immerhin betrifft das mehr als die Hälfte aller bewerteten Arzneimittel. Solche Überlegungen zur Wirkung der gesetzlichen Änderungen wären mit einem Blick auf bisherige AMNOG-Bewertungen leicht anzustellen gewesen, waren aber ganz offenbar nicht gewollt. Vielmehr setzte die Politik auf eine Industrieförderung.“



AMNOG-Report 2024

Die Sicherstellung einer stabilen und nachhaltigen Finanzierung auf der einen und einer qualitativ hochwertigen medizinischen Versorgung auf der anderen Seite stellt eine zentrale Zukunftsherausforderung für die Gesetzliche Krankenversicherung (GKV) dar. Zur Bewältigung akuter Finanzierungsengpässe wurde mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinStG) im Jahr 2022 ein umfassendes Maßnahmenpaket verabschiedet, das auch grundlegende Änderungen am AMNOG-Verfahren der frühen Nutzenbewertung und Preisverhandlung bei neuen Arzneimitteln vorsah.

Die jüngsten Ausgabenanstiege bei patentgeschützten Arzneimitteln legen jedoch nahe, dass die Kostendämpfungsmaßnahmen des GKV-FinStG offenbar nur bedingt greifen haben. Tatsächlich sind aus dem verabschiedeten Maßnahmenpaket bislang nur die Rückwirkung des Erstattungsbetrages, die Absenkung der Umsatzschwelle zur Vollbewertung von Orphan Drugs sowie die sogenannten Leitplanken umgesetzt. Der AMNOG-Report 2024 beleuchtet die verschiedenen Facetten der Ausgabendynamik deshalb genauer. Blinde Flecken gab es bislang zudem vor allem bei der Anwendung von AMNOG-Arzneimitteln im Krankenhaus. Die Analysen des Reports zeigen nun, dass die Ausgaben für patentgeschützte Arzneimittel im Krankenhaus im Jahr 2023 mehr als 1,2 Milliarden betragen. Trotz der Maßnahmen des GKV-FinStG ein neuer Höchstwert. Detaillierte Analysen auf Basis von Abrechnungsdaten der DAK-Gesundheit legen zudem nahe, dass der jüngst vom Bundesministerium für Gesundheit vorgelegte pragmatische Vorschlag zur Umsetzung des Kombinationsabschlages die 2022 formulierten Einsparziele verfehlt wird.



„Die Ausgabendynamik auf dem Arzneimittelmarkt ist eine Herausforderung für die Finanzstabilität der GKV. Durch die aktuellen politischen Maßnahmen entwickelte sich die Kostenausweitung von exorbitant zu katastrophal. Im Sinne einer ausgewogenen, einnahmenorientierten Ausgabenpolitik braucht es weniger blinde Flecken wie die Arzneimittelposten im Krankenhaus auf der einen sowie wirksame und planbare Mechanismen zur Ausgabenbegrenzung auf der anderen Seite“, sagt Andreas Storm, Vorstandsvorsitzender der DAK-Gesundheit.



„Fast zwei Jahre nach Verabschiedung des GKV-FinStG ist die Ausgabendiskussion im AMNOG-Markt neu entfacht. Die komplexen und diskussionsbehafteten Neuregelungen im AMNOG können die gesteckten Einsparziele aktuell nicht erreichen. Andererseits scheint mit der Umsetzung des Kombinationsabschlages ein pragmatischer und kompromissorientierter Weg gefunden worden zu sein. Es bleiben aber noch viele andere Herausforderungen im AMNOG-Markt“, so Prof. Dr. Wolfgang Greiner, Mitautor des Reports.

Leseprobe

ISBN 978-3-98800-061-3



9 783988 000613

€ 29,00 [D]