AWMF
Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften e.V.

Europäische Vernetzung der Zulassungsverfahren

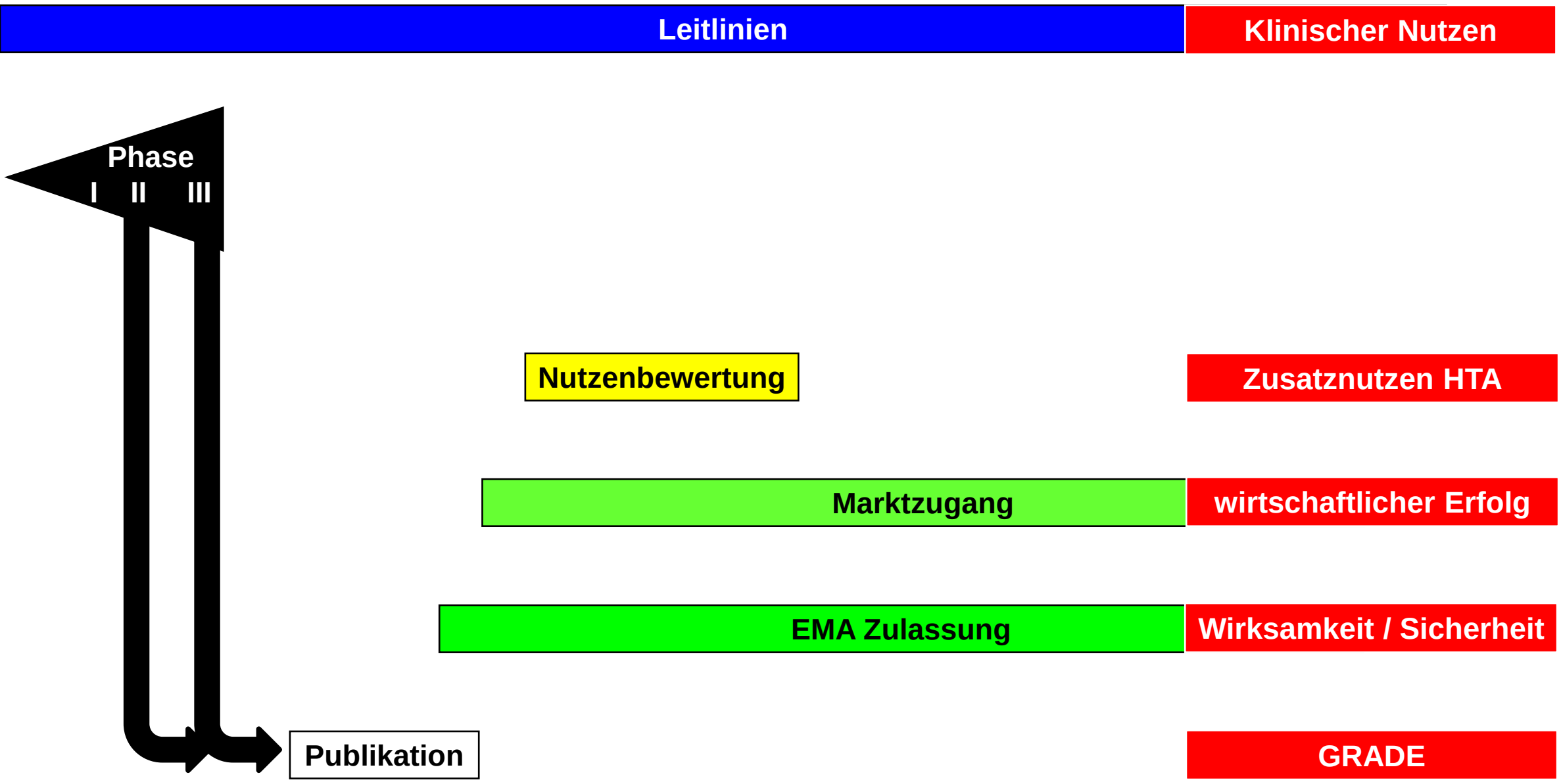
Beispiel Arzneimittel

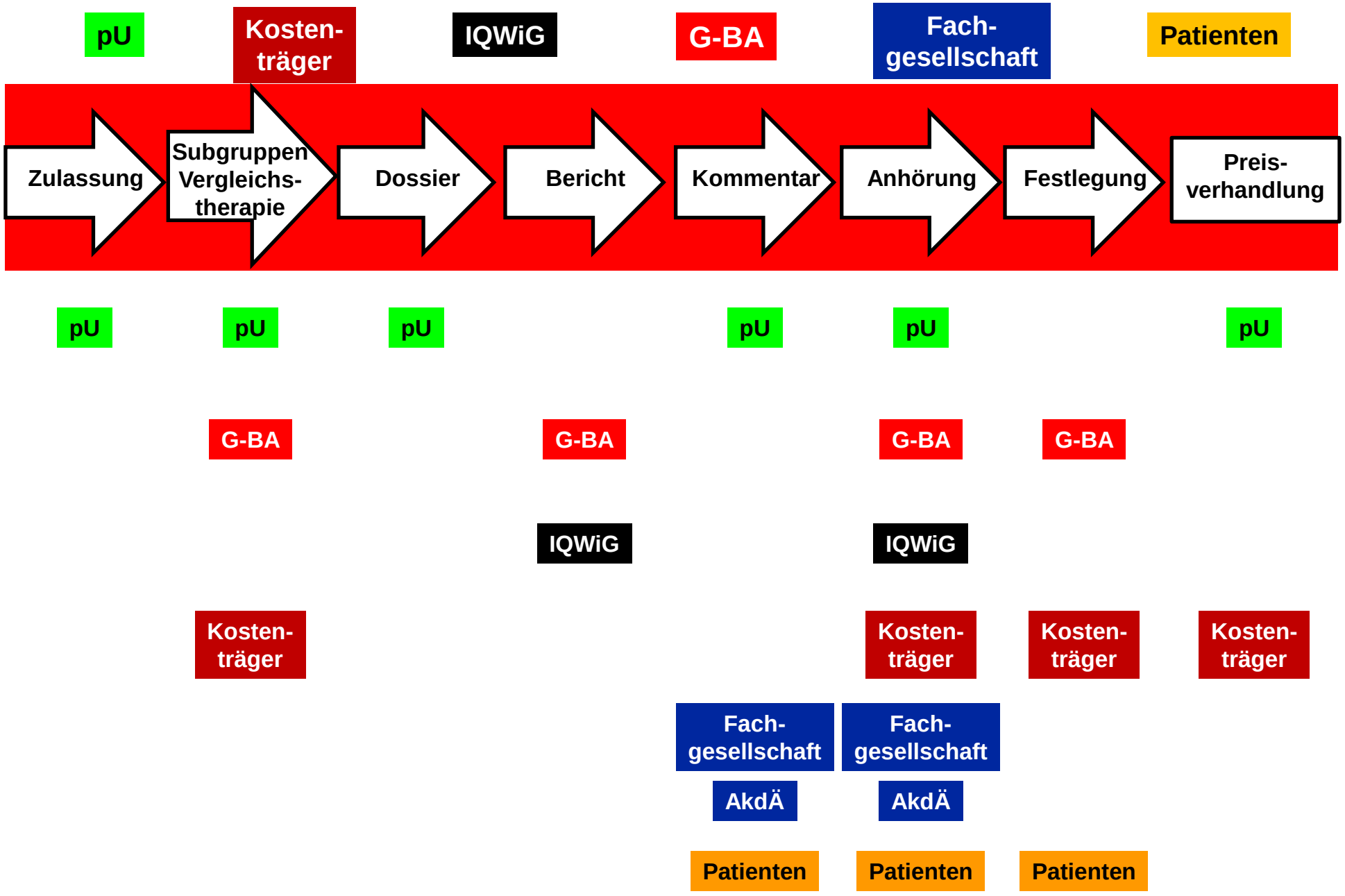
Prof. Dr. med. Bernhard Wörmann

DGHO
DEUTSCHE GESELLSCHAFT FÜR HÄMATOLOGIE UND MEDIZINISCHE ONKOLOGIE

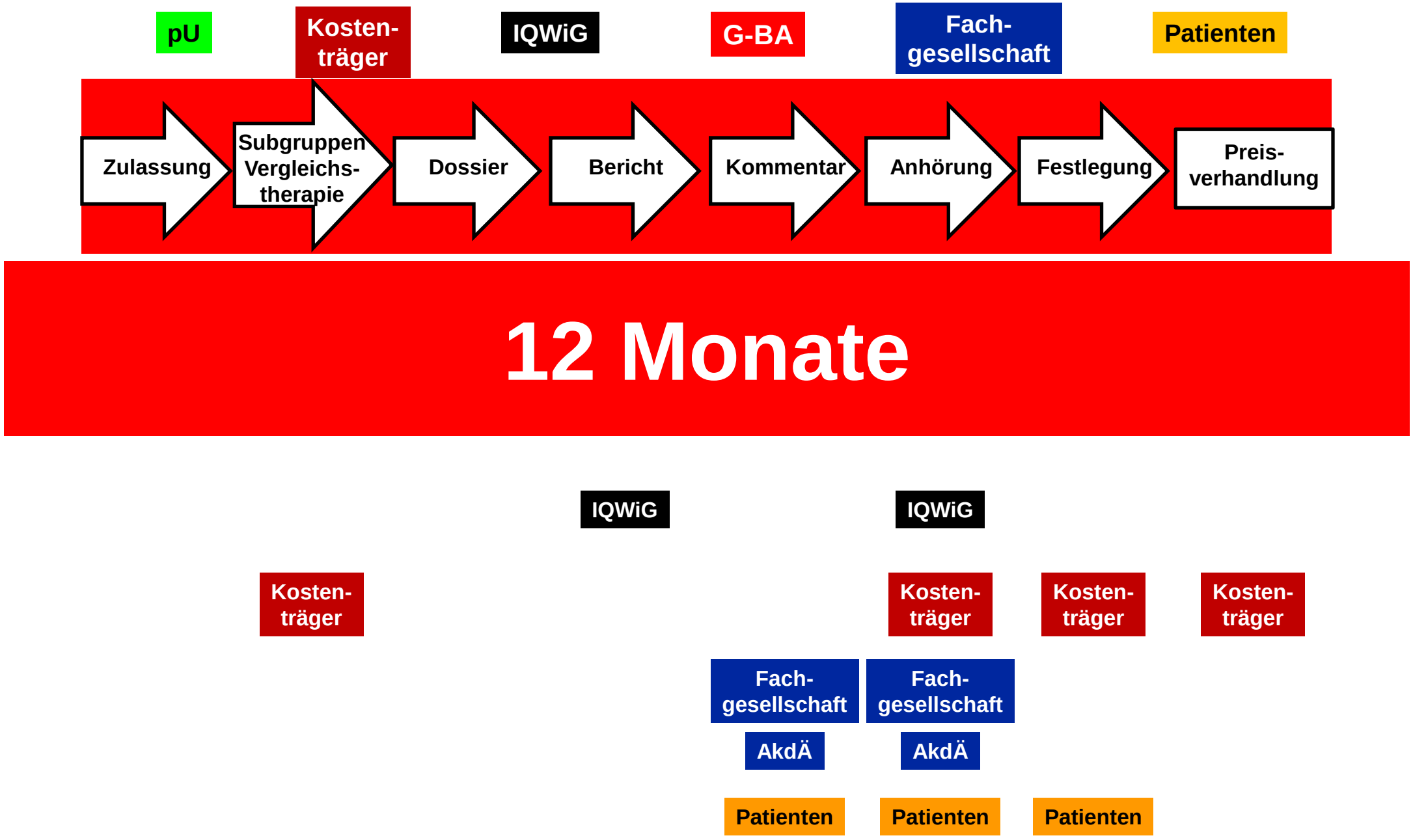
eha

Berliner Forum
5. Dezember 2025


Leitlinien
Klinischer Nutzen
Phase
I II III
Nutzenbewertung
Zusatznutzen HTA
Marktzugang
wirtschaftlicher Erfolg
EMA Zulassung
Wirksamkeit / Sicherheit
Publikation
GRADE


pU
Kosten-
träger
IQWiG
G-BA
Fach-
gesellschaft
Patienten
Zulassung
Subgruppen
Vergleichs-
therapie
Dossier
Bericht
Kommentar
Anhörung
Festlegung
Preis-
verhandlung
pU
pU
pU
pU
pU
pU
G-BA
G-BA
G-BA
G-BA
IQWiG
IQWiG
Kosten-
träger
Kosten-
träger
Kosten-
träger
Kosten-
träger
Fach-
gesellschaft
Fach-
gesellschaft
AkdÄ
AkdÄ
Patienten
Patienten
Patienten

Gemeinsamer Bundesausschuss


pU
Kosten-
träger
IQWiG
G-BA
Fach-
gesellschaft
Patienten
Zulassung
Subgruppen
Vergleichs-
therapie
Dossier
Bericht
Kommentar
Anhörung
Festlegung
Preis-
verhandlung
12 Monate
IQWiG
IQWiG
Kosten-
träger
Kosten-
träger
Kosten-
träger
Kosten-
träger
Fach-
gesellschaft
Fach-
gesellschaft
AkdÄ
AkdÄ
Patienten
Patienten
Patienten

AMNOG

Abschlag bei erheblichem Zusatznutzen

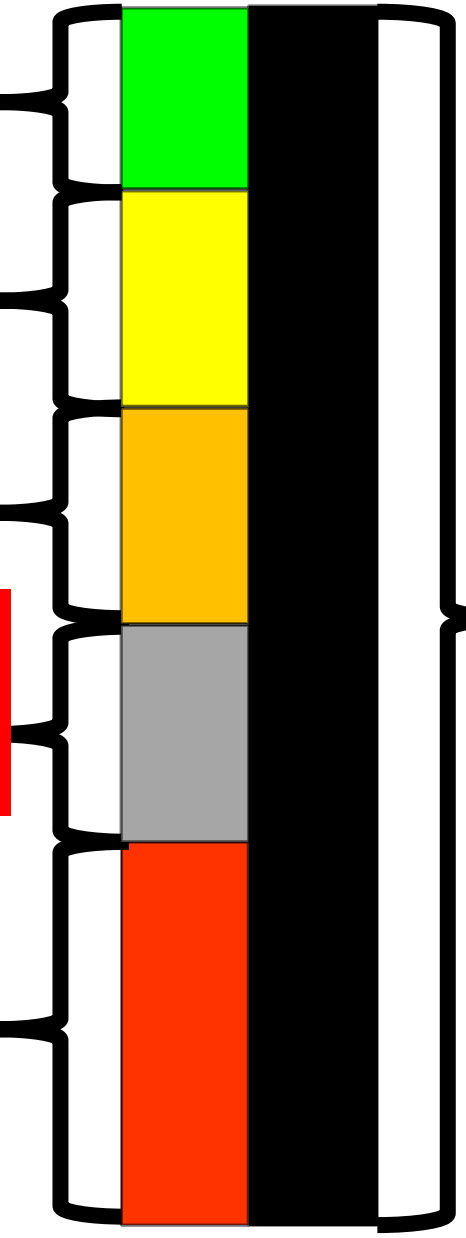
Abschlag bei beträchtlichem Zusatznutzen

Abschlag bei geringem Zusatznutzen

verhandelt

Preis der Vergleichstherapie „Zusatznutzen nicht belegt“

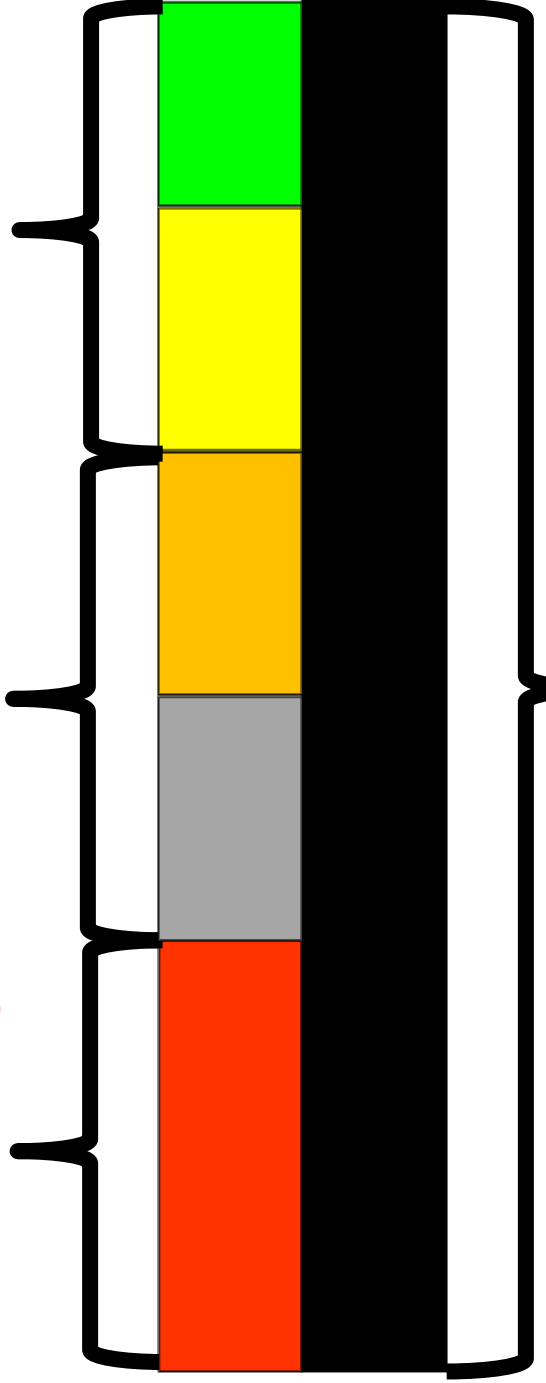
endgültiger Preis



Preis im ersten Jahr vom pharmazeutischen Unternehmer bestimmt

GKV-FSG

verhandelter Preis, wie bisher



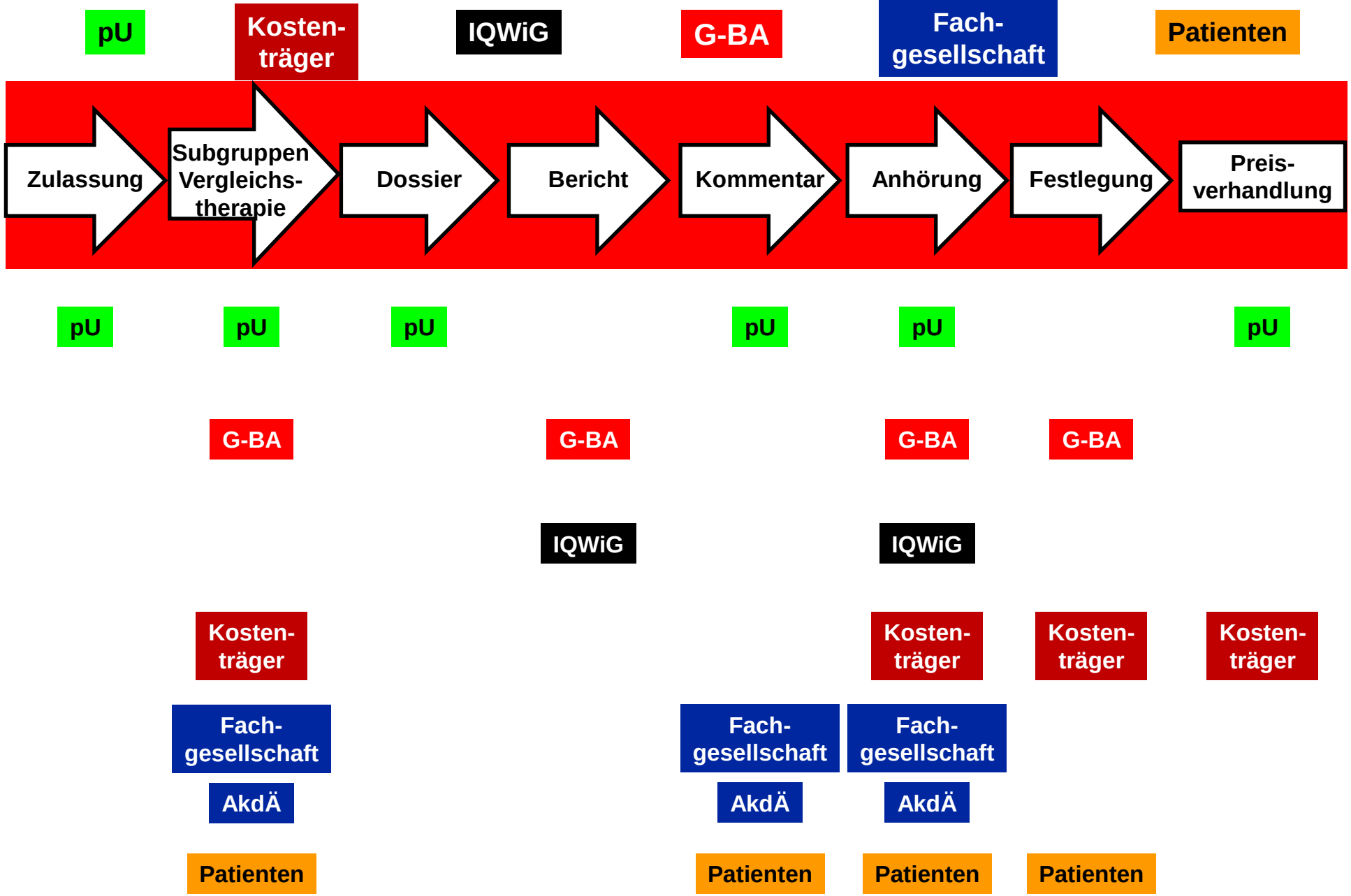
Preis = ZVT

Patentschutz: Preis = ZVT

kein Patentschutz:
Preis = ZVT -10%

Preis im ersten Jahr vom pharmazeutischen Unternehmer bestimmt

verhandelter Erstattungsbetrag
rückwirkend gültig
ab dem 7. Monat


pU
Kosten-
träger
IQWiG
G-BA
Fach-
gesellschaft
Patienten
Zulassung
Subgruppen
Vergleichs-
therapie
Dossier
Bericht
Kommentar
Anhörung
Festlegung
Preis-
verhandlung
pU
pU
pU
pU
pU
pU
G-BA
G-BA
G-BA
G-BA
IQWiG
IQWiG
Kosten-
träger
Kosten-
träger
Kosten-
träger
Kosten-
träger
Fach-
gesellschaft
Fach-
gesellschaft
Fach-
gesellschaft
AkdÄ
AkdÄ
AkdÄ
Patienten
Patienten
Patienten
Patienten

Kooperationsvereinbarung

zwischen dem

Gemeinsamen Bundesausschuss
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin

vertreten durch den Vorsitzenden
Prof. Josef Hecken
(im Folgenden: G-BA)

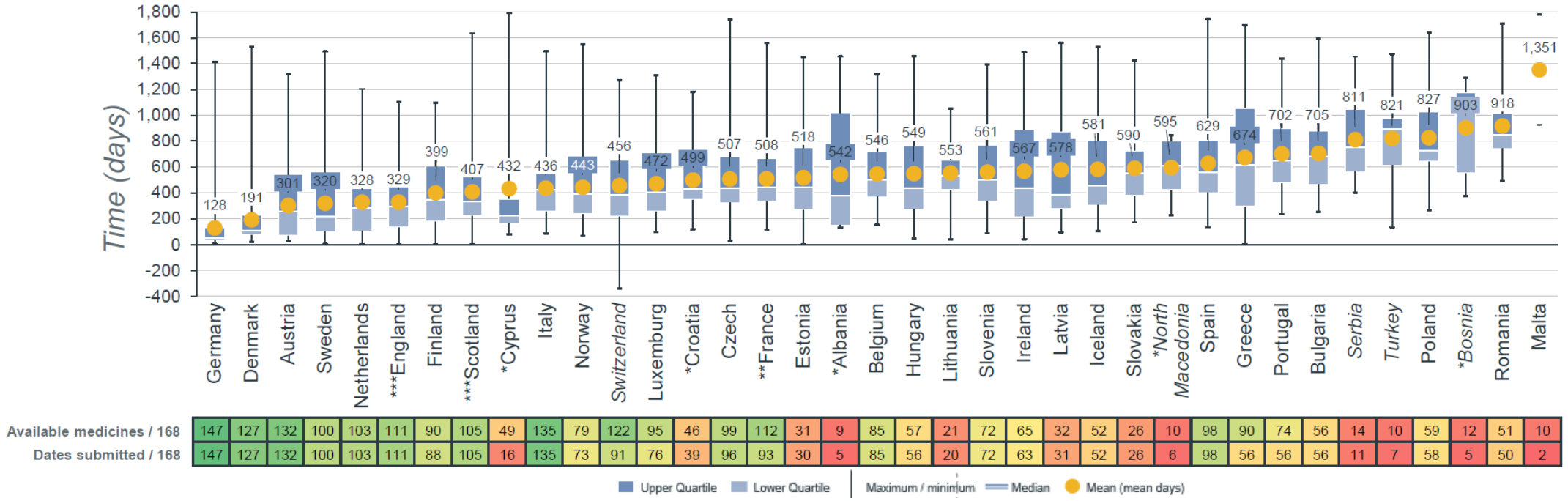
und der

Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften (AWMF)
vertreten durch die Stellvertretenden Präsidenten
Prof. Dr. med. Rolf-Detlef Treede und
Prof. Dr. med. Dr. med. Dent. Henning Schliephake
(im Folgenden: AWMF)

Stand 22.9.2021

Zugang zu neuen Arzneimitteln

Europa - Zeit



EFPIA, 2024

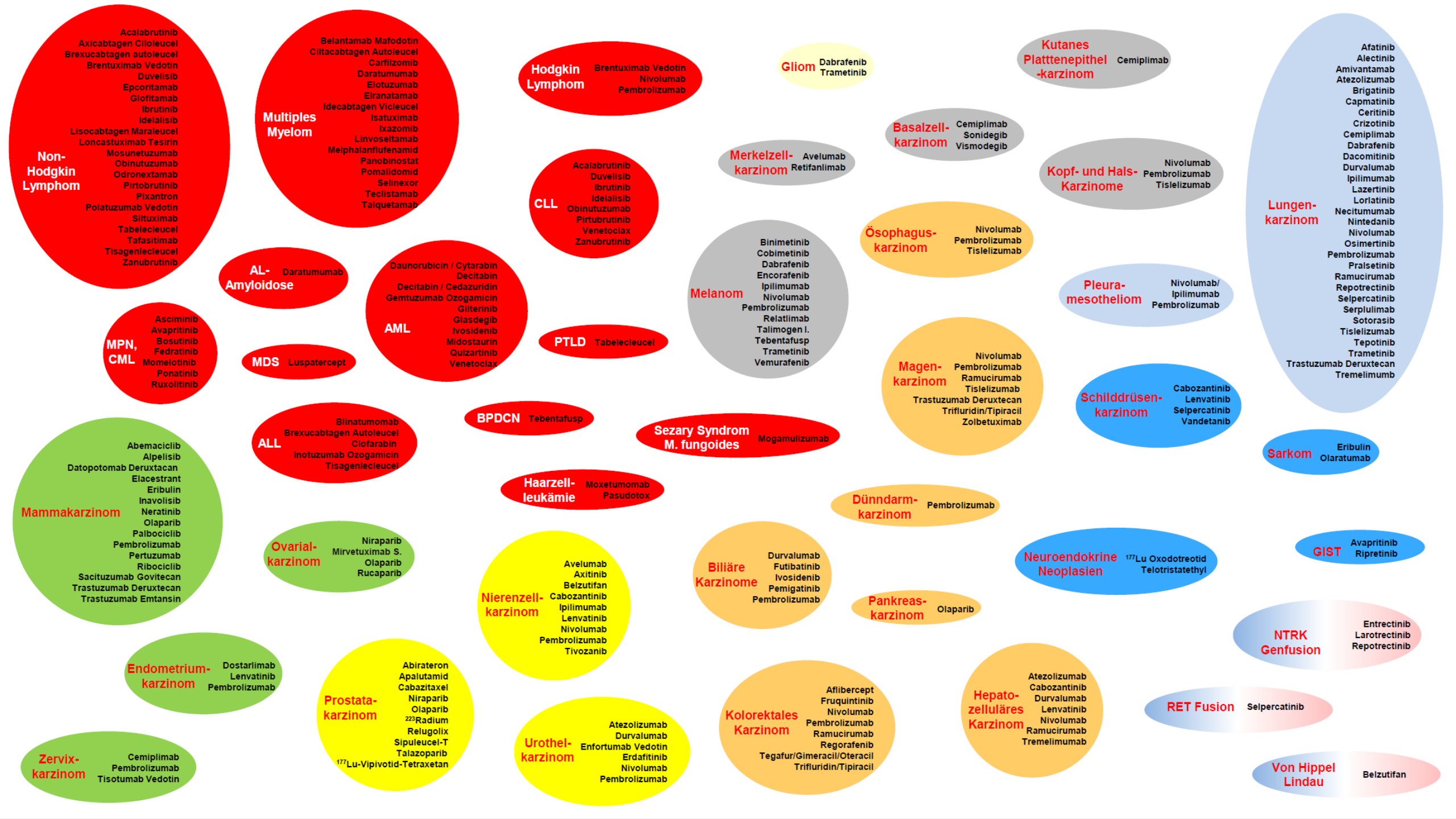
France
100%
80%
60%
40%
20%
0%
18%
22%
26%
2016-19 avg
2020
2021
Spain
26%
45%
39%
Germany
26%
15%
21%
UK
60%
51%
63%
Positive recommendation
Positive with restrictions or conditions
Negative recommendation

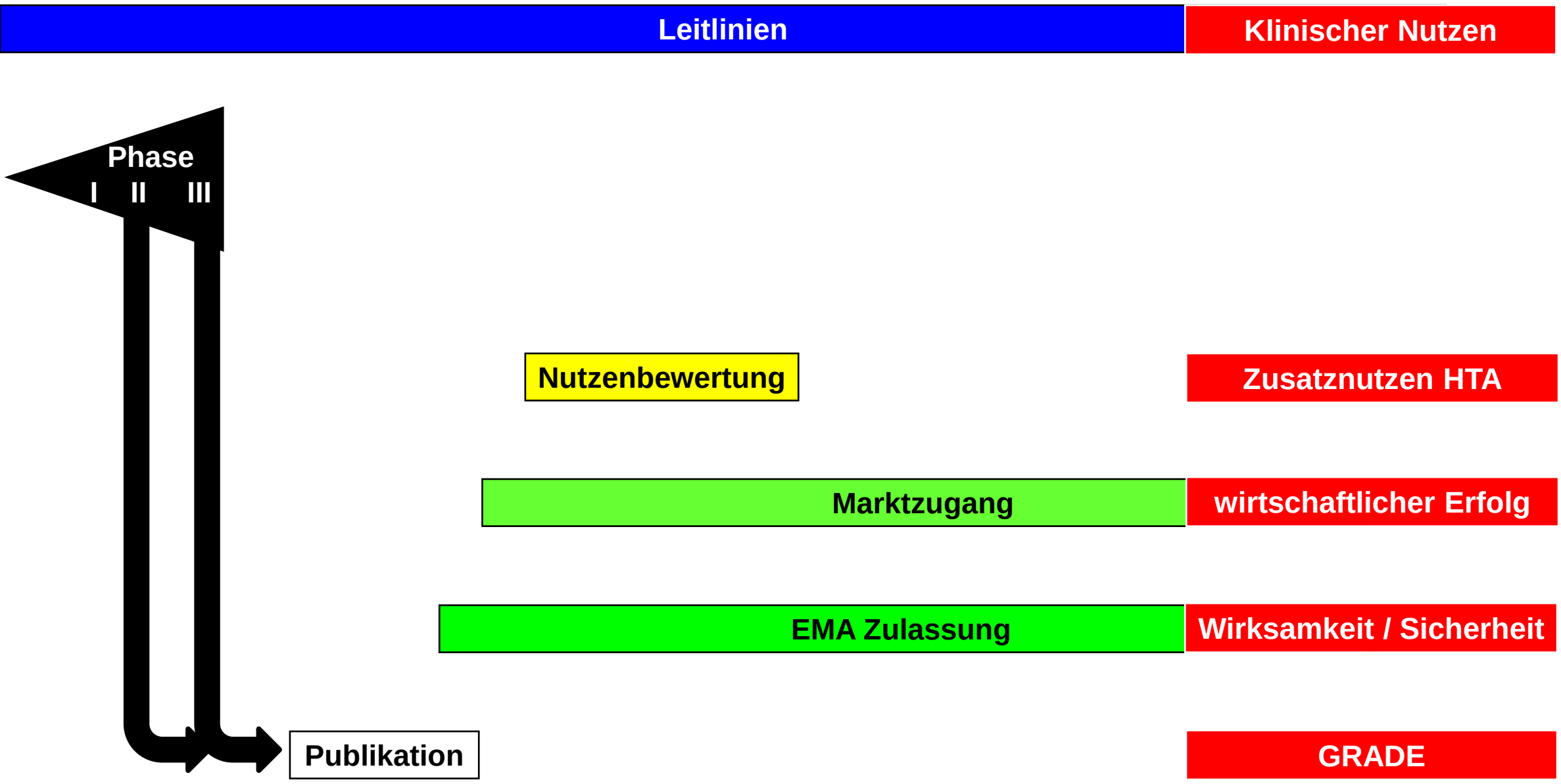
EU-HTA verabschiedet

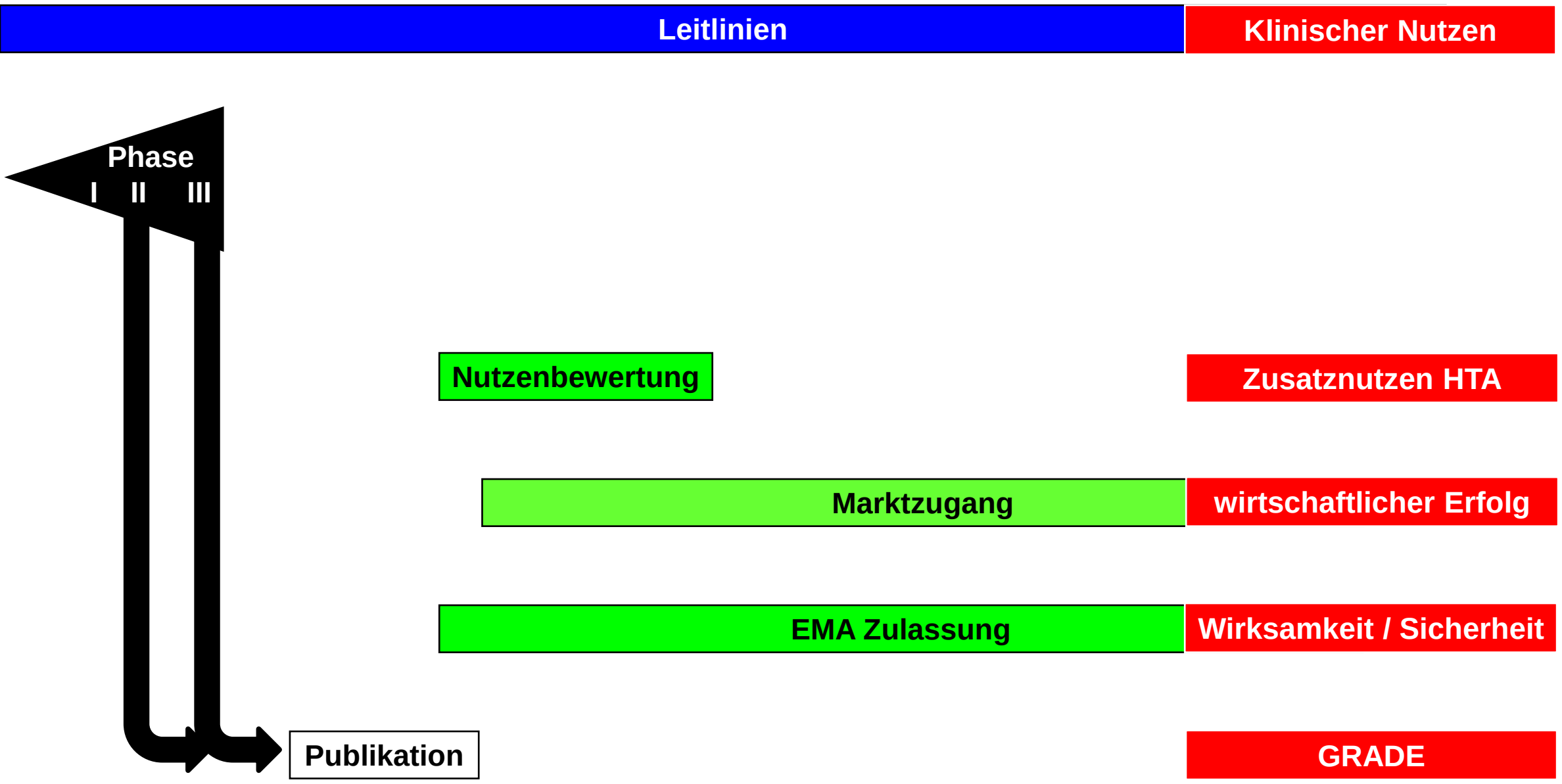
- **HTA-Verordnung**
- **Guidance Dokumente**
- **Coordination Group**
- **Stakeholder Network**
- **Pilotprojekte**
  - **Joint Scientific Consultation (JCS)**
  - **Joint Clinical Assessment (JCA)**

Modellprojekte

2025	**Onkologika und ATMPs**
2028	**Orphan Drugs**
…	**alle anderen**

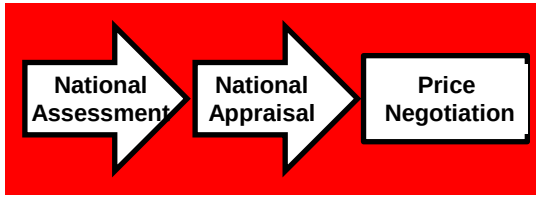

Non-Hodgkin Lymphom
Acalabrutinib
Axicabtagen Ciloleucel
Brexucabtagen autoleucel
Brentuximab Vedotin
Duvelisib
Epcoritamab
Glofitamab
Ibrutinib
Idelalisib
Lisocabtagen Maraleucel
Loncastuximab Tesirin
Mosunetuzumab
Obinutuzumab
Odronextamab
Pirtobrutinib
Pixantron
Polatuzumab Vedotin
Siltuximab
Tabelecleucel
Tafasitimab
Tisagenlecleucel
Zanubrutinib
Multiples Myelom
Belantamab Mafodotin
Ciltacabtagen Autoleucel
Carfilzomib
Daratumumab
Elotuzumab
Elranatamab
Idecabtagen Vicleucel
Isatuximab
Ixazomib
Linvoseltamab
Melphalanflufenamid
Panobinostat
Pomalidomid
Selinexor
Teclistamab
Talquetamab
Hodgkin Lymphom
Brentuximab Vedotin
Nivolumab
Pembrolizumab
Gliom
Dabrafenib
Trametinib
Kutanes Platttenepithel-karzinom
Cemiplimab
Basalzell-karzinom
Cemiplimab
Sonidegib
Vismodegib
Merkelzell-karzinom
Avelumab
Retifanlimab
Kopf- und Hals-Karzinome
Nivolumab
Pembrolizumab
Tislelizumab
CLL
Acalabrutinib
Duvelisib
Ibrutinib
Idelalisib
Obinutuzumab
Pirtubrutinib
Venetoclax
Zanubrutinib
Lungen-karzinom
Afatinib
Alectinib
Amivantamab
Atezolizumab
Brigatinib
Capmatinib
Ceritinib
Crizotinib
Cemiplimab
Dabrafenib
Dacomitinib
Durvalumab
Ipilimumab
Lazertinib
Lorlatinib
Necitumumab
Nintedanib
Nivolumab
Osimertinib
Pembrolizumab
Pralsetinib
Ramucirumab
Repotrectinib
Selpercatinib
Serplulimab
Sotorasib
Tislelizumab
Tepotinib
Trametinib
Trastuzumab Deruxtecan
Tremelimumb
AL-Amyloidose
Daratumumab
Daunorubicin / Cytarabin
Decitabin
Decitabin / Cedazuridin
Gemtuzumab Ozogamicin
Gilterinib
Glasdegib
AML
Ivosidenib
Midostaurin
Quizartinib
Venetoclax
Melanom
Binimetinib
Cobimetinib
Dabrafenib
Encorafenib
Ipilimumab
Nivolumab
Pembrolizumab
Relatlimab
Talimogen I.
Tebentafusp
Trametinib
Vemurafenib
Ösophagus-karzinom
Nivolumab
Pembrolizumab
Tislelizumab
Pleura-mesotheliom
Nivolumab/ Ipilimumab
Pembrolizumab
MPN, CML
Asciminib
Avapritinib
Bosutinib
Fedratinib
Momelotinib
Ponatinib
Ruxolitinib
MDS
Luspatercept
PTLD
Tabelecleucel
Magen-karzinom
Nivolumab
Pembrolizumab
Ramucirumab
Tislelizumab
Trastuzumab Deruxtecan
Trifluridin/Tipiracil
Zolbetuximab
Schilddrüsen-karzinom
Cabozantinib
Lenvatinib
Selpercatinib
Vandetanib
Sarkom
Eribulin
Olaratumab
ALL
Blinatumomab
Brexucabtagen Autoleucel
Clofarabin
Inotuzumab Ozogamicin
Tisagenlecleucel
BPDCN
Tebentafusp
Sezary Syndrom M. fungoides
Mogamulizumab
Haarzell-leukämie
Moxetumomab
Pasudotox
Mammakarzinom
Abemaciclib
Alpelisib
Datopotomab Deruxtacan
Elacestrant
Eribulin
Inavolisib
Neratinib
Olaparib
Palbociclib
Pembrolizumab
Pertuzumab
Ribociclib
Sacituzumab Govitecan
Trastuzumab Deruxtecan
Trastuzumab Emtansin
Dünndarm-karzinom
Pembrolizumab
Ovarial-karzinom
Niraparib
Mirvetuximab S.
Olaparib
Rucaparib
Nierenzell-karzinom
Avelumab
Axitinib
Belzutifan
Cabozantinib
Ipilimumab
Lenvatinib
Nivolumab
Pembrolizumab
Tivozanib
Biliäre Karzinome
Durvalumab
Futibatinib
Ivosidenib
Pemigatinib
Pembrolizumab
Neuroendokrine Neoplasien
177Lu Oxodotreotid
Telotristatethyl
GIST
Avapritinib
Ripretinib
Pankreas-karzinom
Olaparib
NTRK Genfusion
Entrectinib
Larotrectinib
Repotrectinib
Endometrium-karzinom
Dostarlimab
Lenvatinib
Pembrolizumab
Prostata-karzinom
Abirateron
Apalutamid
Cabazitaxel
Niraparib
Olaparib
223Radium
Relugolix
Sipuleucel-T
Talazoparib
177Lu-Vipivotid-Tetraxetan
Urothel-karzinom
Atezolizumab
Durvalumab
Enfortumab Vedotin
Erdafitinib
Nivolumab
Pembrolizumab
Kolorektales Karzinom
Aflibercept
Fruquintinib
Nivolumab
Pembrolizumab
Ramucirumab
Regorafenib
Tegafur/Gimeracil/Oteracil
Trifluridin/Tipiracil
Hepato-zelluläres Karzinom
Atezolizumab
Cabozantinib
Durvalumab
Lenvatinib
Nivolumab
Ramucirumab
Tremelimumab
RET Fusion
Selpercatinib
Zervix-karzinom
Cemiplimab
Pembrolizumab
Tisotumab Vedotin
Von Hippel Lindau
Belzutifan


Leitlinien
Klinischer Nutzen
Phase
I II III
Nutzenbewertung
Zusatznutzen HTA
Marktzugang
wirtschaftlicher Erfolg
EMA Zulassung
Wirksamkeit / Sicherheit
Publikation
GRADE

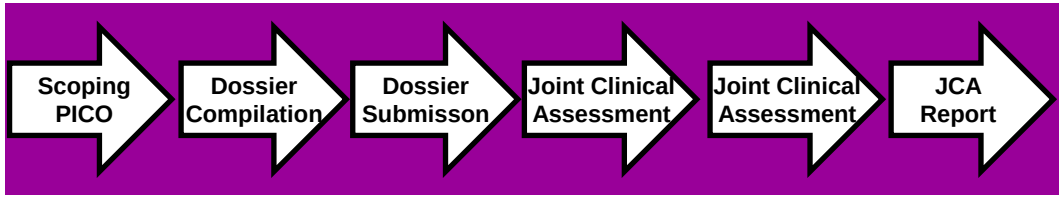

Leitlinien
Klinischer Nutzen
Phase
I II III
Nutzenbewertung
Zusatznutzen HTA
Marktzugang
wirtschaftlicher Erfolg
EMA Zulassung
Wirksamkeit / Sicherheit
Publikation
GRADE

EMA Approval

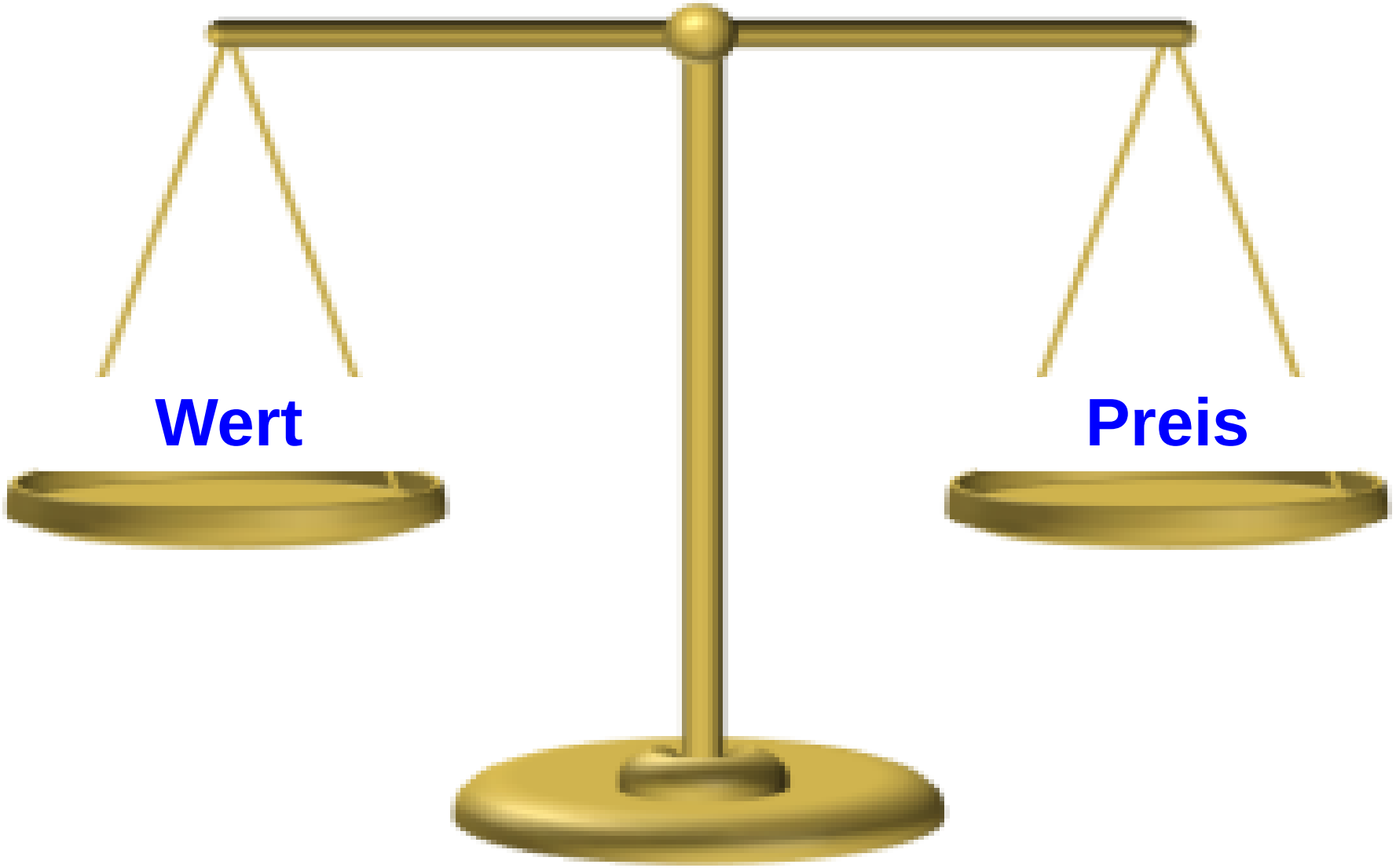
Market Access



EMA Health Technology Assessment

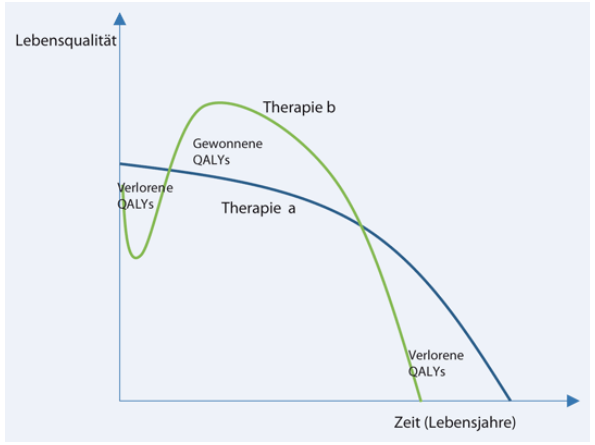


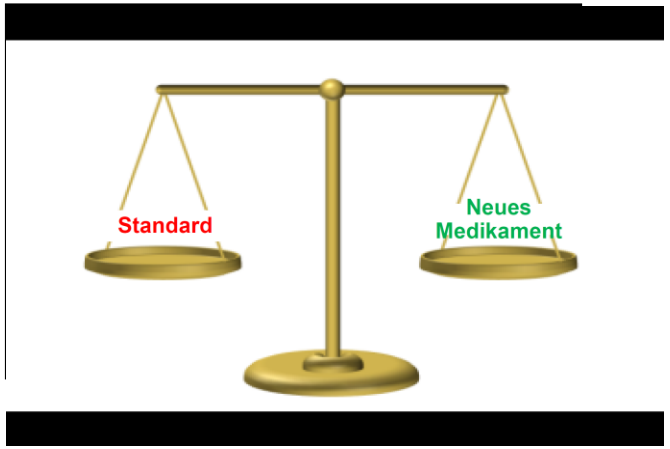
Was ist ein fairer Preis?



Arzneimittel

Was ist ein fairer Preis?





Forschung

Herstellung

Vertrieb

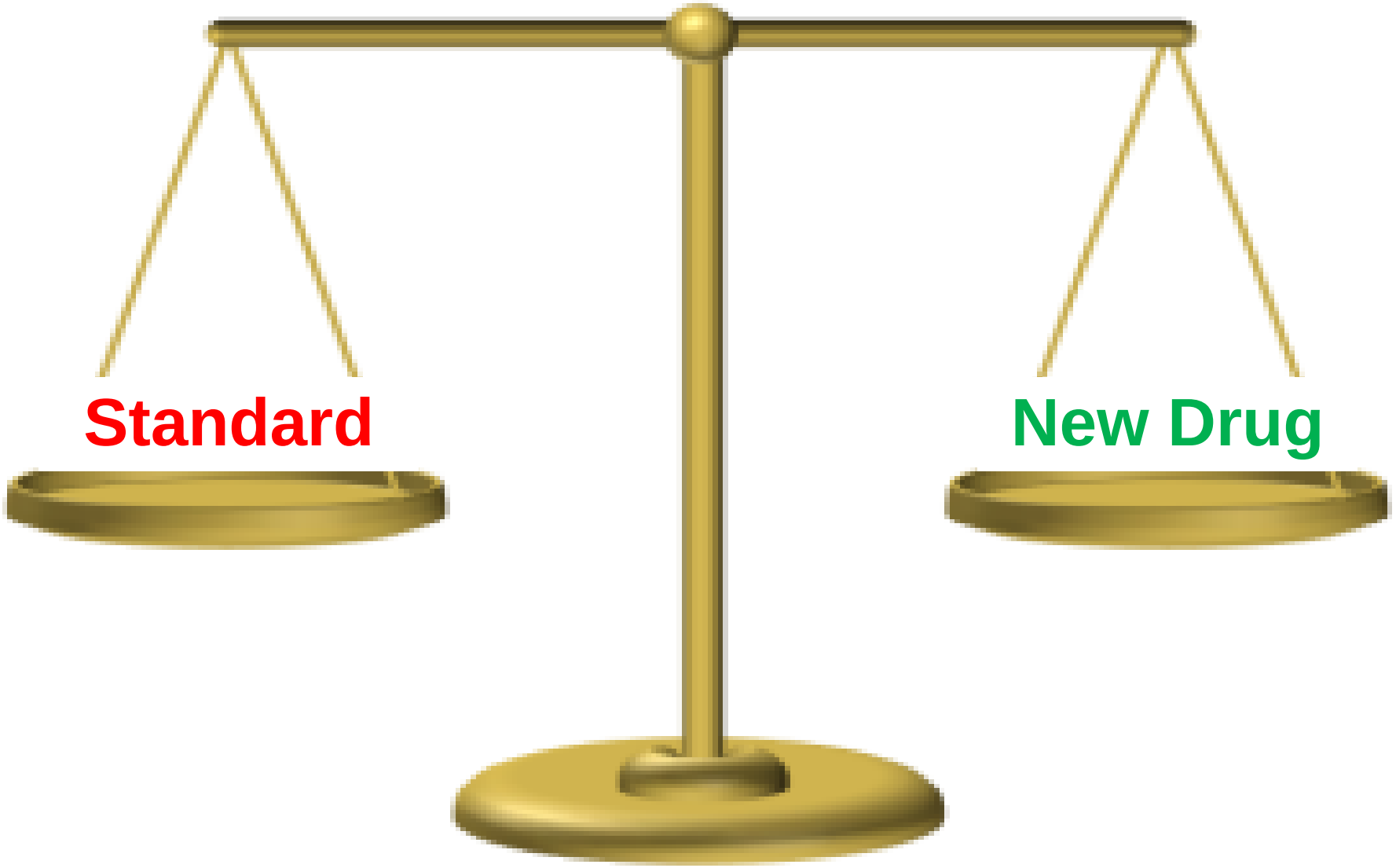
Kosteneffektivität

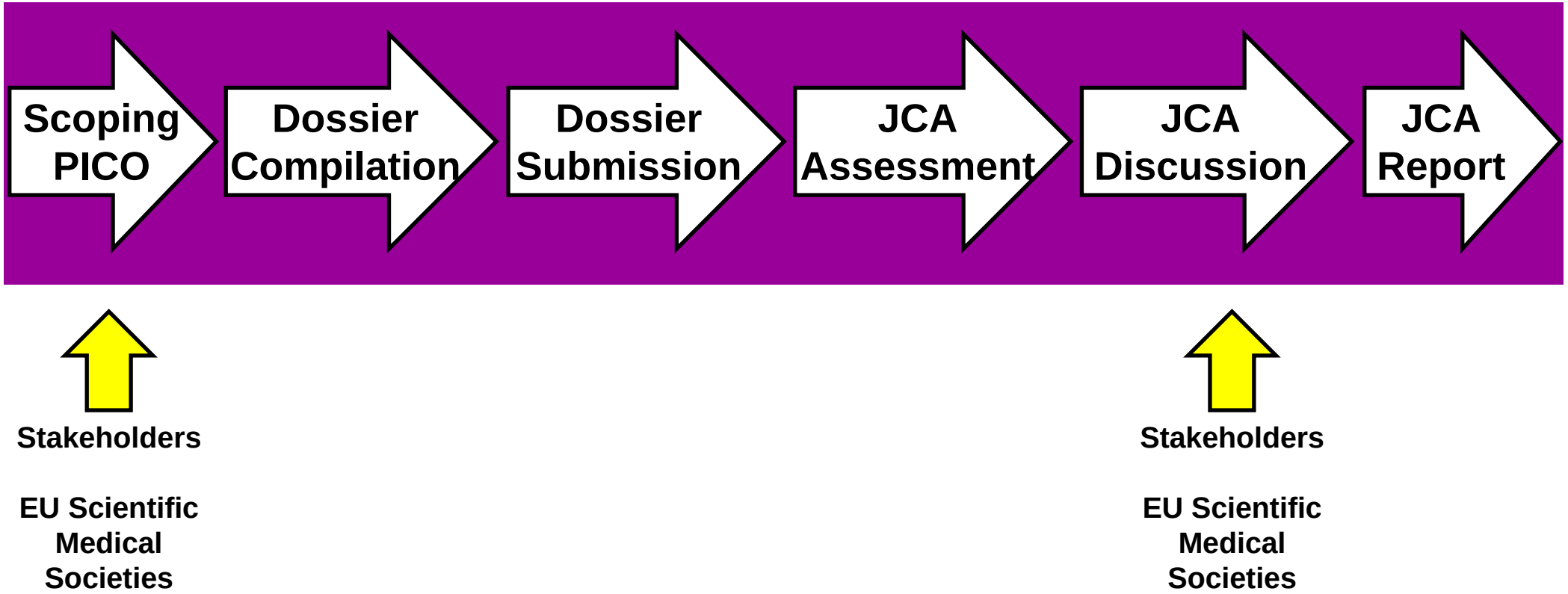
QALY

Komparator-Modell

Freie Marktwirtschaft

Comparative Effectiveness




Scoping PICO
Dossier Compilation
Dossier Submission
JCA Assessment
JCA Discussion
JCA Report
Stakeholders
EU Scientific Medical Societies
Stakeholders
EU Scientific Medical Societies

Value Assessment of New Drugs

PICO

- Population
- Intervention
- Comparator
- Outcome

eha

EMA New Approval

EU
Joint Scientific Consultation
Joint Clinical Assessment

Central Coordination Hematology
Draft
Current guidelines: Diagnostics, Treatment
PICO: Population, Comparator, Outcome

European Expert Working Group for the Disease (SWG, Guideline Authors)
Comments
Draft Consensus Statement

National Expert Working Group
Comments
Verification of National Standards

Consensus Document
Summary of Evidence
ESMO-MCBS:H Score

Current EU Treatment Standards (PICO):
Patients, Comparator, Outcome

EU
Joint Clinical Assessment

EU HTA

Survey on Access to EMA approved Drugs 2015 - 2025

all		**142**
Hematology, classical		**20**
Hemostaseology		**18**
Hematooncology		
Acute Leukemia		**18**
B-CLL		**12**
Lymphoid Neoplasia	**aggressive**	**18**
	indolent	**17**
	other	**5**
Multiple Myeloma		**20**
Myeloid Neoplasia, excluding AML		**14**

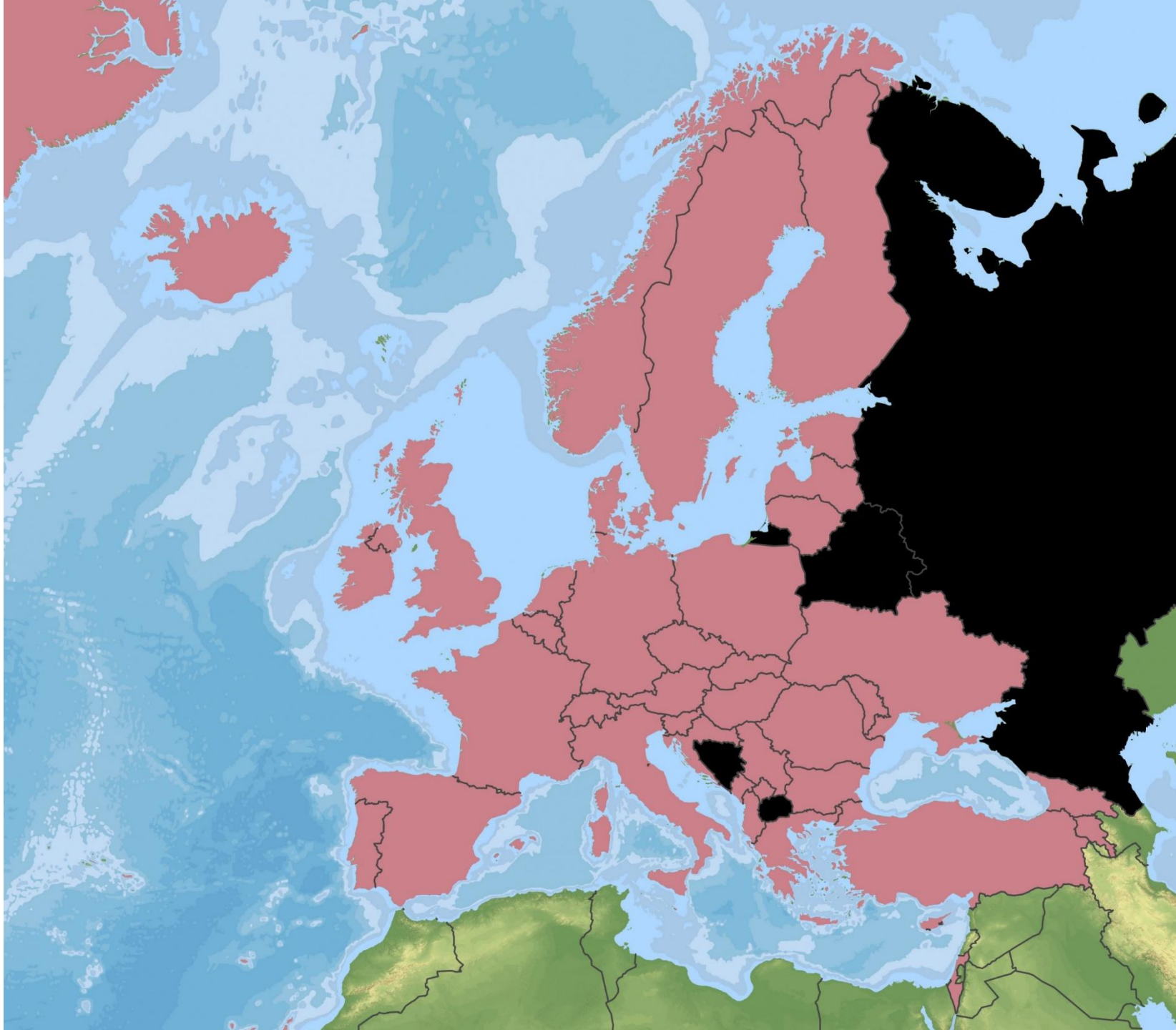
EU HTA

Access to New Drugs
Oct 29, 2025

Fully completed	**38**	**EU**	**27**
Partially completed	**4**	**Non EU**	**15**
No response	**4**		

Hematology

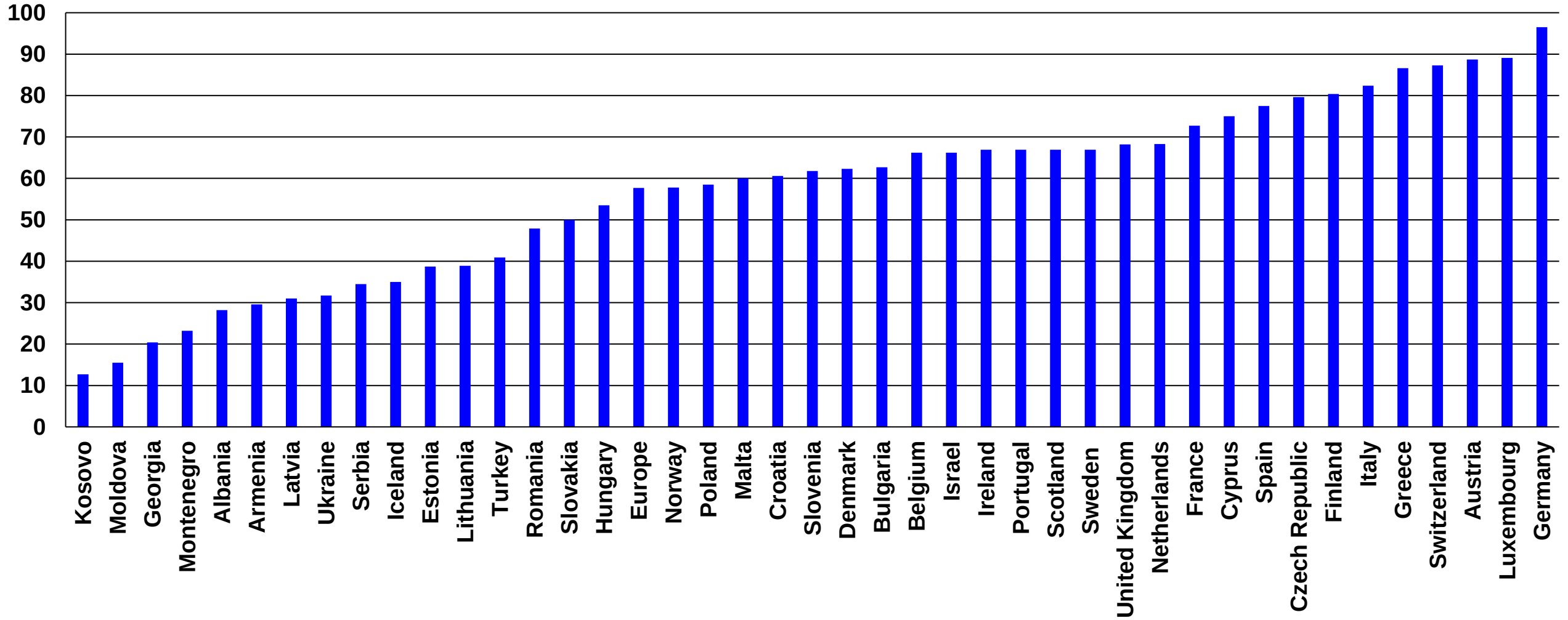
Access to new Drugs
Status Oct 29, 2025



EU HTA

preliminary

Access to New Drugs 2015 - 2025



Value Assessment of New Drugs

Estimate for 2025

- **Procedures for cancer drugs and ATMP** **25**

- **Procedures in hematology** **10**

EU HTA

Anträge

Autologous melanoma-derived tumor infiltrating lymphocytes, ex vivo-expanded	**Treatment of melanoma**	**ATMP**	**27.03.2025**
Tovorafenib	**Treatment of paediatric low-grade glioma (LGG)**	**Chemicals**	**27.03.2025**
Sasanlimab	**Treatment of bladder cancer**	**Biologicals**	**22.05.2025**
Onasemnogene abeparvovec	**Treatment of 5q spinal muscular atrophy (SMA)**	**ATMP**	**22.05.2025**
Lurbinectedin	**Maintenance treatment of adult patients with extensive-stage small cell lung cancer (ES-SCLC)**	**Chemicals**	**19.06.2025**
Camizestrant	**Treatment of adults with locally advanced or metastatic breast cancer**	**Chemicals**	**19.06.2025**
Tarlatamab	**Treatment of extensive-stage small cell lung cancer**	**Biologicals**	**17.07.2025**
Catequentinib	**Treatment of synovial sarcoma or leiomyosarcoma**	**Chemicals**	**17.07.2025**
Senaparib	**Maintenance treatment of advanced epithelial high-grade ovarian, fallopian tube or primary peritoneal cancer**	**Chemicals**	**14.08.2025**
Relacorilant	**Treatment of adult patients with platinum-resistant epithelial ovarian, fallopian tube, or primary peritoneal cancer**	**Chemicals**	**30.10.2025**

EU HTA

Chance oder Risiko

- Breiterer Zugang zu neuen Arzneimitteln
- Vereinfachung der Verfahren
- Standardisierung der Methodik
- Verzögerung der Abläufe
- Rückgang der Marktzugänge in Deutschland
- Rekrutierung von Fachexpertise

Vielen Dank für

Ihr Interesse