



aus der Kommission Nutzenbewertung von Arzneimitteln



## Stellungnahme zum Entwurf

### GKV-Finanzstabilisierungsgesetz

**Vermeidung einer eingeschränkten Verfügbarkeit wirksamer, neuer Arzneimittel  
und Vorschläge für nachhaltige Bewertungen**

## 1. Zusammenfassung

Das erwartete finanzielle Defizit in der gesetzlichen Krankenversicherung zwingt den Gesetzgeber zu kurzfristigen Maßnahmen. Wir unterstützen die Bestrebungen zum Erhalt der Stabilität durch nachhaltige Strategien und sehen bei der Arzneimittelversorgung auch die Chance zur Korrektur im Sinne eines lernenden Systems. Einige der vorgeschlagenen Änderungen erleben wir als unausgewogen, sogar als gefährlich. Dies betrifft:

- Initiale Preisbildung

Wir unterstützen die Begrenzung der initialen Preisbildung auf ein Niveau, das mit der finanziellen Stabilität der gesetzlichen Krankenversicherung vereinbar ist.

- Kategorien der frühen Nutzenbewertung neuer Arzneimittel

Die vorgesehene Gesetzesänderung würde den Anteil von Arzneimitteln mit positiven, für eine Preisverhandlung relevanten Bewertungen von etwa 55% auf 20% reduzieren. Davon wären insbesondere Patientinnen und Patienten mit chronischen Erkrankungen betroffen. Wir schlagen daher vor, die bisherige Methodik der frühen Nutzenbewertung mit 4 positiv bewerteten Kategorien als Basis der Preisverhandlungen beizubehalten und die in den letzten Jahren vom Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) eingeleitete, positive Bewertung von Parametern von Patient-Reported-Outcome und Lebensqualität zu fördern. Verhandlungskompetenz kann nicht gesetzlich geregelt werden.

- Arzneimittel für seltene Erkrankungen

Wir schlagen vor, die Förderung der Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen auf Indikationen zu beschränken, deren Inzidenz und Prävalenz in Deutschland niedrig ist. Indikationen sind entsprechend der jeweiligen Zulassung definiert. Die Festlegung „selten“ kann auch auf molekular oder anders definierte Subtypen innerhalb einer Erkrankung zutreffen.

- Zusätzliche, späte Nutzenbewertung

Wir schlagen die Etablierung einer zusätzlichen, späteren Nutzenbewertung vor. Eine spätere Nutzenbewertung hat aufgrund umfangreicherer Daten und längerer Nachbeobachtungszeiten eine höhere Wahrscheinlichkeit, den „wahren“ Wert eines Arzneimittels zu erfassen. Bei einer erneuten Preisverhandlung sollten auch gesundheitsökonomische Daten berücksichtigt werden.

## 2. Hintergrund

Für viele Erkrankungen hat es in den letzten Jahren geradezu eine Wissensexplosion bei der Umsetzung von Erkenntnissen der Grundlagenforschung in wirksame Arzneimitteltherapien gegeben. Das betrifft z. B. die Onkologie mit der Einführung der personalisierten Medizin und der Immuntherapie, die Infektiologie mit der erfolgreichen Therapie von HIV, Hepatitis B und C sowie den RNA-basierten Impfstoffen bei COVID-19, angeborene Erkrankungen wie die Gentherapie bei der spinalen Muskelatrophie, die Kardiologie mit der Kombinationstherapie bei Herzinsuffizienz, u. v. m.

Der Gesetzgeber hatte auf die zu erwartende Kostensteigerung reagiert und zum 1. Januar 2011 eine frühe Nutzenbewertung für alle neu zugelassenen Arzneimittel in Deutschland mittels des Gesetzes zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes (AMNOG) als Basis der Preisbildung eingeführt. Das Verfahren beim G-BA ist inzwischen etabliert, hat auch in schwierigen Zeiten wie der COVID-19-Pandemie funktioniert und den Versicherten in Deutschland den zeitgerechten Zugang zu neuen Arzneimitteln ermöglicht.

Die wissenschaftlichen, medizinischen Fachgesellschaften beteiligen sich nicht an den Preisverhandlungen, sind aber in den Einzelverfahren und jetzt auch in den vorhergehenden Beratungen zur Integration der Evidenzbasierung von Festlegungen zur zweckmäßigen Vergleichstherapie (ZVT) intensiv beteiligt [1-4].

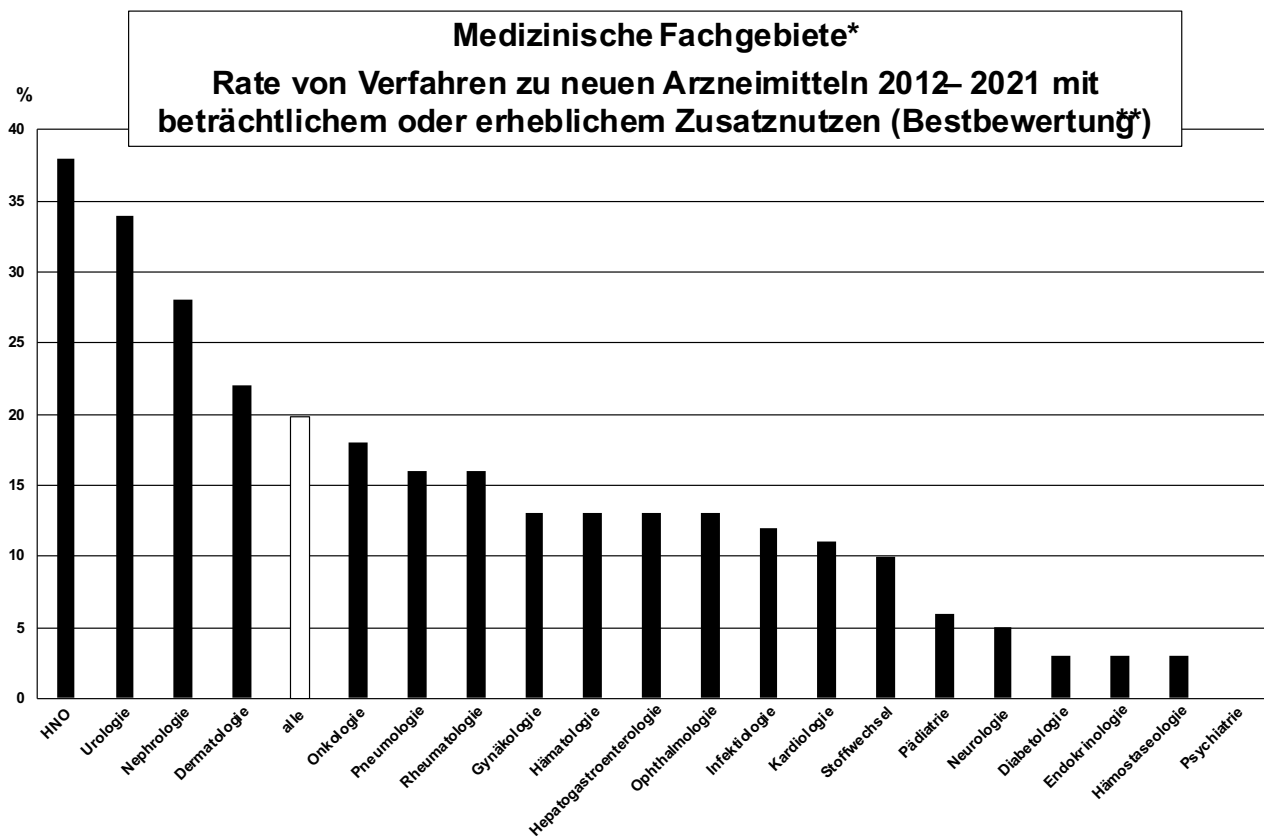
Im dem jetzt geplanten Gesetz zur finanziellen Stabilisierung der gesetzlichen Krankenversicherung sind auch Maßnahmen zur Änderung der frühen Nutzenbewertung neuer Arzneimittel vorgesehen. Dieser Ansatz ist nicht unerwartet und in Anbetracht der Kostenentwicklung für neue Arzneimittel in den letzten Jahren verständlich. Insbesondere hatte die im AMNOG vorgesehene, initiale Festlegung des Preises durch den pharmazeutischen Unternehmer und die Erstattung dieses Preises durch die gesetzlichen Krankenkassen in den ersten 12 Monaten nach Markteinführung zu einem Anstieg des Einstiegspreises um ein Mehrfaches innerhalb der letzten 10 Jahre geführt.

Dennoch sehen wir einige der vorgesehenen Regelungen mit großer Sorge im Hinblick auf die nachhaltige Verfügbarkeit neuer Arzneimittel.

### 3. Relevanz der Bewertungskategorien – Schiefelage zwischen den Fachgebieten

Die Festlegungen des G-BA erfolgen in 6 Kategorien. Sie sind die Basis der anschließenden Verhandlungen zwischen dem GKV-Spitzenverband und dem pharmazeutischen Unternehmer. Ein positiver Zusatznutzen wird in „gering“, „beträchtlich“, „erheblich“ oder „nicht quantifizierbar“ kategorisiert. In 56% der bis Ende 2021 mit einer Festlegung abgeschlossenen Verfahren wurde in mindestens einer Subgruppe ein positiver Zusatznutzen zuerkannt. Die jetzt vorgesehene Änderung sieht einen positiven Zusatznutzen mit einer Preisbildung oberhalb der ZVT nur noch bei Festlegung eines „beträchtlichen“ oder „erheblichen“ Zusatznutzens vor. Eine Auswertung von 666, bis Ende 2021 durch den G-BA abgeschlossenen Verfahren der frühen Nutzenbewertung und Zuerkennung eines mindestens beträchtlichen Zusatznutzens ist – differenziert nach Fachgebieten – in Abbildung 1 dargestellt.

Abbildung 1: Rate von Verfahren mit beträchtlichem oder erheblichem Zusatznutzen, nach Fachgebieten



\* Es wurden nur Fachgebiete mit mehr als 5 Bewertungsverfahren ausgewertet. Bei überlappenden Indikationen (z. B. Onkologie und Pneumologie, Pädiatrie und Stoffwechselerkrankungen, u. a.) wurden die Ergebnisse in beiden Fachgebieten ausgewertet.

\*\* Bei Verfahren mit mehreren Subgruppen wurde jeweils die bestbewertete Subgruppe in die Auswertung eingeschlossen.

Nur in **19,8%** aller Verfahren wurde ein beträchtlicher oder erheblicher Zusatznutzen zuerkannt. Überdurchschnittlich positiv schneiden alle Fachgebiete mit onkologischem Schwerpunkt bei neuen Arzneimitteln ab. Hintergrund ist der besondere Wert einer Verlängerung der Gesamtüberlebenszeit in der Methodik des Health Technology Assessment (HTA). Auf der anderen Seite erreichen Fachgebiete mit chronischen Erkrankungen wie die Diabetologie, die Endokrinologie, die Hämostaseologie oder die Psychiatrie fast nie einen hohen positiven Zusatznutzen.

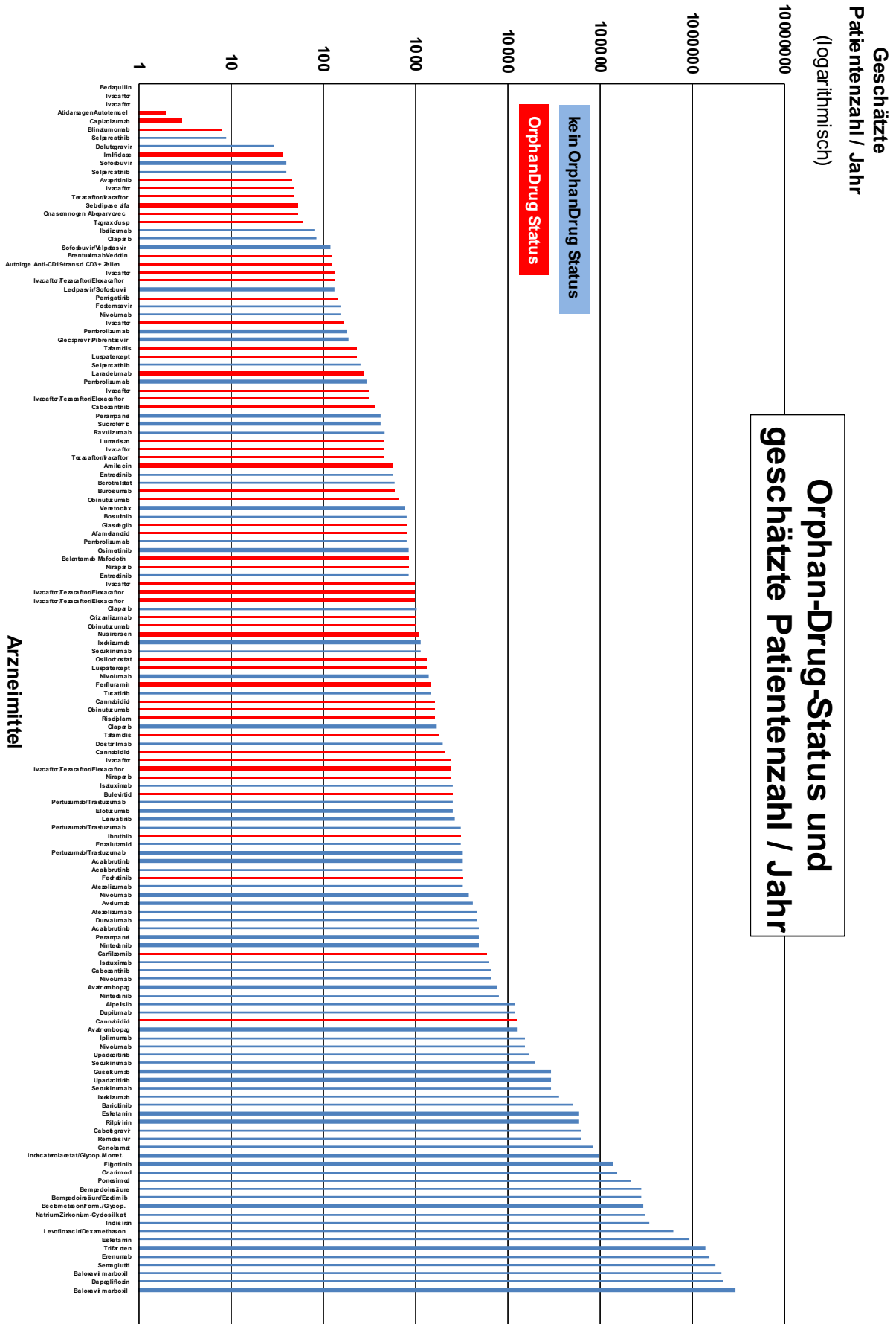
*Die vorgesehene Gesetzesänderung würde die jetzt schon bestehende Schieflage bei der Entwicklung neuer Arzneimittel noch verstärken. Wir schlagen vor, die bisherige Methodik der frühen Nutzenbewertung mit 4 positiv bewerteten Kategorien als Basis der Preisverhandlungen beizubehalten und die in den letzten Jahren vom G-BA eingeleitete, positive Bewertung von Parametern von Patient-Reported-Outcome und Lebensqualität noch stärker mit einzubeziehen. Verhandlungskompetenz muss nicht gesetzlich geregelt werden.*

#### **4. Arzneimittel für seltene Erkrankungen**

Die Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen ist für die pharmazeutische Industrie weniger attraktiv und lukrativ als die Entwicklung von Arzneimitteln für Volkskrankheiten. Im AMNOG wurde die besondere Situation von Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen berücksichtigt und eine eigene Regelung für die frühe Nutzenbewertung von den Arzneimitteln eingeführt, die von der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) als Orphan Drugs zugelassen wurden. Im AMNOG wurde festgeschrieben, dass für Arzneimittel, die zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden zugelassen sind, der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung durch die EMA als belegt gilt.

Diese Regelung muss kritisch hinterfragt werden. Abbildung 2 zeigt eine Auswertung aller im Jahr 2021 abgeschlossenen Verfahren mit Korrelation des Orphan-Drug-Status zur geschätzten, jährlichen Patientenzahl.

*Abbildung 2: Orphan-Drug-Status und geschätzte Patientenzahlen im Jahr 2021*

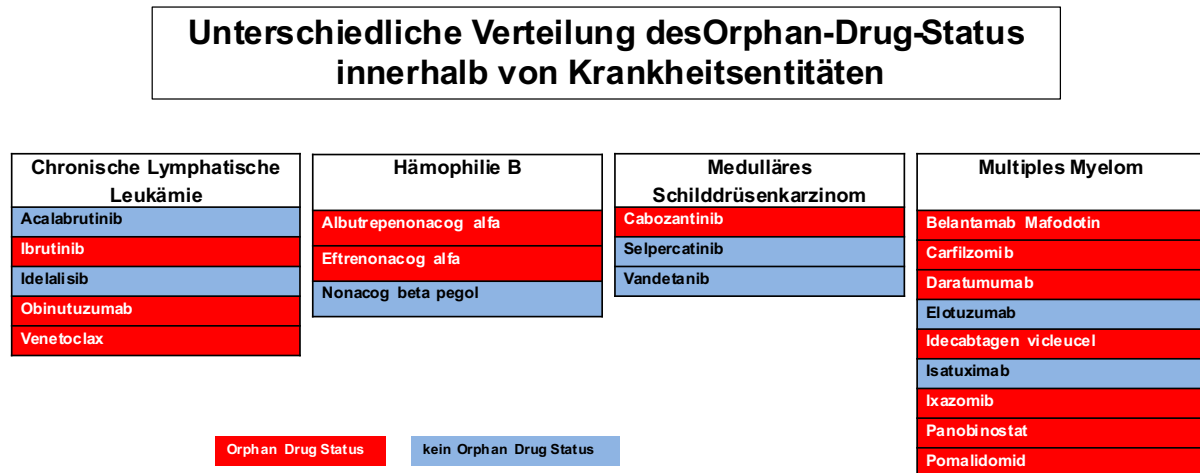


\* Die in einigen Ausdrücken bzw. Bildschirmdarstellungen unterschiedlich scheinende Dicke der Balken hat keine inhaltliche Bedeutung.

Die Auswertung zeigt eine Korrelation zwischen dem Orphan-Drug-Status und niedrigen Patientenzahlen, aber auch eine breite Überlappung. Einigen Arzneimitteln für Indikationen mit sehr niedrigen Patientenzahlen ist kein Orphan-Drug-Status zuerkannt, während andere Arzneimittel für 5.000 oder sogar 10.000 Pat./Jahr einen Orphan-Drug-Status haben.

Die Problematik kann auch an der Analyse einzelner Indikationen deutlich gemacht werden, siehe Abbildung 3.

Abbildung 3: Orphan-Drug-Status bei einzelnen Indikationen



Die Zuteilung eines Orphan-Drug-Status erfolgt in der Interaktion zwischen pharmazeutischem Unternehmer und der EMA. Die Übernahme dieses Status führt zu Verwerfungen im AMNOG-Verfahren.

*Wir schlagen vor, die Förderung der Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen auf Indikationen zu beschränken, deren Inzidenz und Prävalenz in Deutschland niedrig ist. Indikationen sind entsprechend der jeweiligen Zulassung definiert. Die Festlegung „selten“ kann auch auf molekular oder anders definierte Subtypen innerhalb einer Erkrankung zutreffen.*

## 5. Zusätzliche, späte Nutzenbewertung

Die frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel nach dem AMNOG wird auch international positiv wahrgenommen. Das Verfahren und die stringende Durchführung durch den G-BA ermöglicht vielen Patientinnen und Patienten den raschen Zugang zu neuen und innovativen Arzneimitteln. Der deutsche Weg hat viele Vorteile, aber auch den Nachteil einer Bewertung oft unreifer Daten. Vor allem aus wissenschaftlicher Sicht wäre eine zusätzliche, spätere Nutzenbewertung sinnvoller. Die wissenschaftlichen medizinischen Fachgesellschaften hatten schon vor einigen Jahren die Verfahren analysiert, bei denen der G-BA eine Neubewertung im Sinne einer zusätzlichen, späten Nutzenbewertung durchgeführt hatte. Gründe für die erneute Nutzenbewertung waren Befristung der ersten Festlegung, Änderung des Orphan-Drug-Status oder Überschreiten der Umsatzgrenze oder neue wissenschaftliche Erkenntnisse. Bei bis zur Hälfte der Verfahren wich die Neubewertung von der Erstbewertung ab. Änderungen fanden vor allem in Richtung einer besseren Bewertung statt, aber auch schlechtere Bewertungen bis zu einem „geringeren Nutzen als die zweckmäßige Vergleichstherapie“ wurden vom G-BA festgelegt. Andere Analysen haben diese Ergebnisse bestätigt.

Eine zusätzliche, späte späte Nutzenbewertung ermöglicht es den Kostenträgern auch, bei initial unerwarteten Langzeitbehandlungen zu einem späteren Zeitpunkt erneut in Preisverhandlungen einzusteigen.

*Wir schlagen die Etablierung einer zusätzlichen, späteren Nutzenbewertung vor. Eine spätere Nutzenbewertung hat aufgrund umfangreicherer Daten und längerer Nachbeobachtungszeiten eine höhere Wahrscheinlichkeit, den „wahren“ Wert eines Arzneimittels zu erfassen. In die erneute Preisverhandlung sollten auch gesundheitsökonomische Daten integriert werden.*

## **6. Literatur / Referenzen**

1. Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011 – 2016. Analysen und Impulse. [Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011 - 2016](#)
2. Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011 – 2017 Status und Tendenzen. [Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011 - 2017](#)
3. Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011 – 2018 Gerechtigkeit und Nachhaltigkeit. [Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011 - 2018](#)
4. Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011-2020. Preisbildung und mehr. [Frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel in Deutschland 2011 - 2020](#)

*Die Stellungnahme wurde von Prof. Dr. Bernhard Wörmann (Vorsitzender der AWMF Kommission Nutzenbewertung von Arzneimitteln) in Kooperation mit den Vertretern und Repräsentanten der AWMF Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften (Prof. Dr. Peter Falkai, Dr. Monika Nothacker, Prof. Dr. Rolf-Detlef Treede), DDG Deutsche Diabetes Gesellschaft (Prof. Dr. Baptist Gallwitz, Prof. Dr. Dieter Müller-Wieland), DGE Deutsche Gesellschaft für Endokrinologie (Prof. Dr. Joachim Feldkamp), DGHNO Deutsche Gesellschaft für Hals-Nasen-Ohren- Heilkunde (Prof. Dr. Thomas Deitmer), DGHO Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (Prof. Dr. Hermann Einsele, Prof. Dr. Andreas Hochhaus, Prof. Dr. Maike de Wit, Dr. Carsten-Oliver Schulz), DGIM Deutsche Gesellschaft für Innere Medizin (Prof. Dr. Tilman Sauerbruch), DGK Deutsche Gesellschaft für Kardiologie, Herz- und Kreislaufforschung (Prof. Dr. Bernd Nowak), DGP Deutsche Gesellschaft für Pneumologie und Beatmungsmedizin (Prof. Dr. Torsten Bauer, Prof. Dr. Felix Herth), DGRh Deutsche Gesellschaft für Rheumatologie (Prof. Dr. Klaus Krüger), Deutsche Gesellschaft für Urologie (Dr. Holger Borchers), Deutsche Gesellschaft für Gastroenterologie, Verdauungs- und Stoffwechselkrankheiten (PD Dr. Petra Lynen Jansen), DKG Deutsche Krebsgesellschaft (Dr. Johannes Bruns, Jan Krause) und DOG Deutsche Ophthalmologische Gesellschaft (Prof. Dr. Focke Ziemssen) erarbeitet.*