

## Innovation stärken, Versorgung sichern: Positionierung der ATSE zur Bundestagswahl 2025

In diesem Papier skizziert die Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen (ATSE), die sich grundsätzlich für gute Rahmenbedingungen zur Forschung und Entwicklung (F&E) von Arzneimitteln zur Behandlung von seltenen Erkrankungen, sogenannte Orphan Drugs, einsetzt, die für sie relevanten Themen in der kommenden Legislaturperiode.

Um das im europäischen Vergleich bisher gute Versorgungsniveau mit Orphan Drugs in Deutschland aufrechtzuerhalten, muss sichergestellt werden, dass global agierende pharmazeutische Unternehmen und hiesige Forschungseinrichtungen bestmögliche Rahmenbedingungen vorfinden. Es gilt, Strukturen zu modernisieren, dem medizinischen Fortschritt anzupassen und die Besonderheiten von Orphan Drugs – die speziell für kleine Patientengruppen mit oftmals langer Leidensgeschichte entwickelt werden – darin abzubilden. Zusätzliche Effekte von verlässlichen Konditionen sind die Stärkung des Pharmastandortes Deutschland mit tausenden Arbeitsplätzen, signifikanter Wertschöpfung und positiven Effekten für das Sozialversicherungssystem.

Dafür möchte die ATSE die folgenden Punkte in die politische Diskussion einbringen:

- ❖ Für die Berechnung der **Umsatzschwelle** muss dem Ziel entsprechend der Nettoumsatz des pharmazeutischen Unternehmers innerhalb der GKV anstelle des Apothekenverkaufspreises (inkl. aller Zuschläge) maßgeblich sein. Der Nettoverkaufspreis spiegelt den wahren Umsatz der pharmazeutischen Unternehmen wider und ist deshalb angemessen. Darüber hinaus muss die willkürlich gegriffene Schwelle, die den Nutzen in Abhängigkeit vom Umsatz stellt und grundsätzlich innovationsfeindlich ist, wieder von 30 auf 50 Mio. EUR angehoben werden. So könnte der intendierten Förderung der Orphan Drugs Rechnung getragen und der Zugang zu wichtigen Therapieoptionen weiterhin gesichert werden.
- ❖ Seit einigen Jahren zeigt sich, dass der **Nutzenbewertungsprozess** des Arzneimittelmarkt-Neuordnungsgesetzes (AMNOG) dem medizinischen Fortschritt zunehmend nicht mehr gewachsen ist. Der „One size fits all“-Ansatz des AMNOG wird den besonderen Therapiesituationen bei seltenen Erkrankungen oft nicht gerecht. Aus diesem Grund müssen die Evidenzanforderungen an Orphan Drugs angepasst werden: Statt oberhalb der Umsatzschwelle die Existenz von randomisierten kontrollierten Studien (RCTs) zur Voraussetzung für die Gewährung eines Zusatznutzens zu machen, sollte die bestverfügbare Evidenz in der Nutzenbewertung bewertet werden.
- ❖ Die Anwendung der sogenannten **„Leitplanken“** im AMNOG-Prozess, die mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinStG) eingeführt wurden, sollten bei Arzneimitteln gegen seltene Erkrankungen keine Anwendung finden. Diese sind u.a. aufgrund der Bewertungsmethodik für Therapien, die nur bei kleinen Patientengruppen Anwendung finden, ungeeignet.
- ❖ Der **Kombinationsrabatt** muss abgeschafft werden. Es handelt sich um eine Doppelregulierung und Doppelbelastung, die sich nicht rechtssicher umsetzen lässt. Zudem sind Orphan Drugs vom Kombinationsrabatt besonders negativ betroffen, da sich bei ihnen die Maßnahmen des GKV-FinStG besonders negativ auswirken und kumulieren können (Absenkung der Umsatzschwelle, Leitplanken, Kombinations- und Verwurfs-Rabatt).