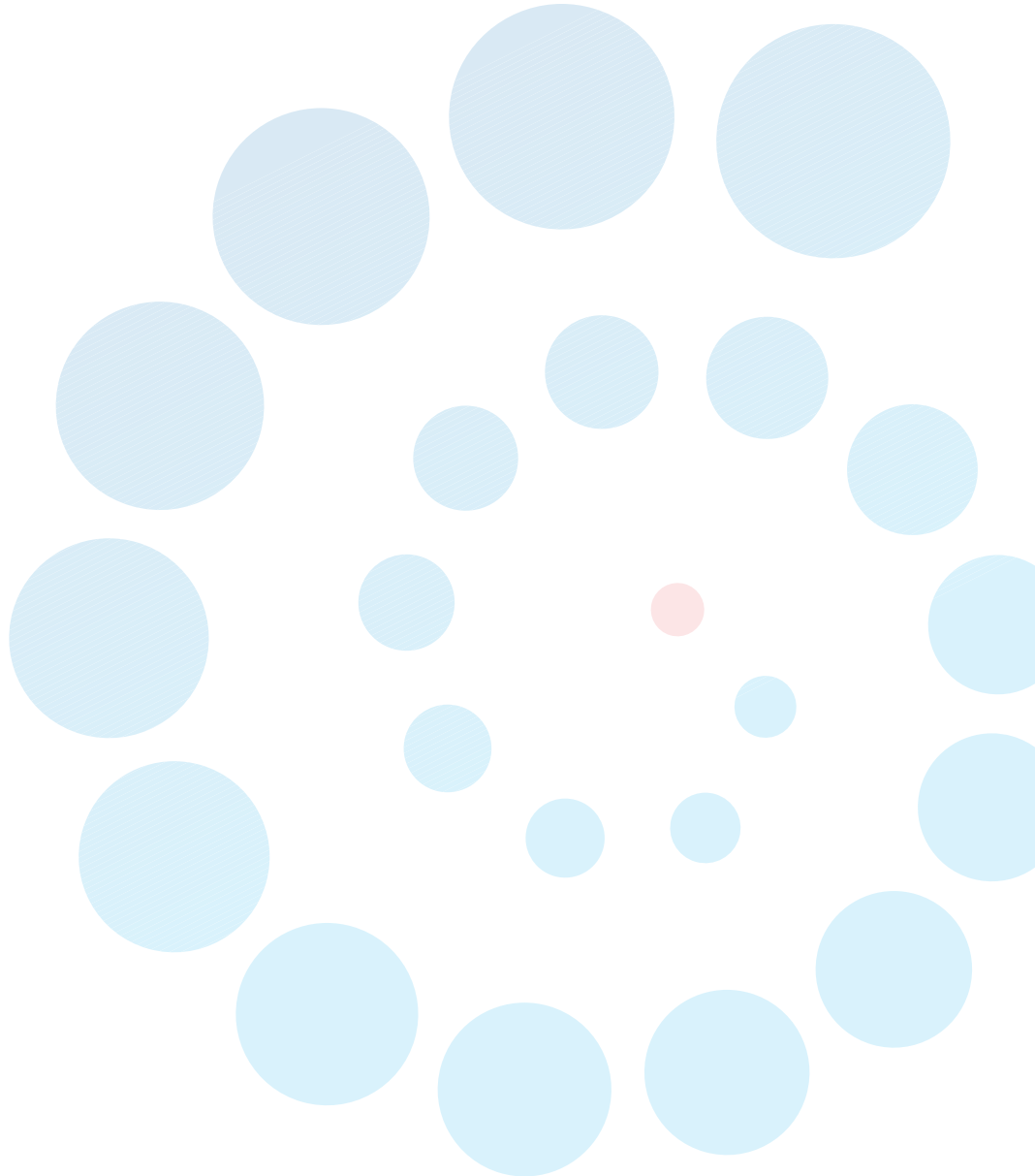


ATSE

ARBEITSGEMEINSCHAFT
THERAPIE SELTENE
ERKRANKUNGEN

ATSE Forderungskatalog zu den Bundestagswahlen 2021



Stand: September 2021

ATSE Forderungskatalog zu den Bundestagswahlen 2021

Inhaltsverzeichnis

1.	Kurzzusammenfassung	3
2.	Einleitung	4
3.	Zentrale Themen und Positionen	4
3.1.	Seltene Erkrankungen rechtzeitig erkennen und behandeln	4
3.2.	Verbesserter Zugang zu Gesundheitsdaten zur Erforschung von seltenen Erkrankungen	5
3.3.	Die Finanzierung von Orphan Drugs in Deutschland	6
3.4.	Der Pharmastandort Deutschland in Europa	8
4.	Fazit	9

1. Kurzzusammenfassung

Im folgenden Forderungskatalog formuliert die „Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen“ (ATSE) acht zentrale Forderungen und Positionen im Zuge der im September 2021 anstehenden Bundestagswahlen.

In den kommenden vier Jahren stehen im Bereich der Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen (sE) einige wegweisende Entscheidungen an. Dabei wurden vier zentrale Handlungsfelder identifiziert, deren Bedeutung nach Ansicht der ATSE von großer Relevanz ist.



Beim ersten Themenkomplex handelt es sich darum, **„Seltene Erkrankungen rechtzeitig erkennen und behandeln“** zu können. Konkret fordert die ATSE:

1. Es gilt, die Gesellschaft für die Wichtigkeit einer schnellen Diagnose und Behandlung zu sensibilisieren, um die Versorgung der Betroffenen auch in den kommenden Jahren nachhaltig auszubauen. Hier ist aus Sicht der ATSE auch die Politik gefordert, die Weichen dafür nachhaltig zu stellen.
2. Das „Frühwarnsystem“ des Neugeborenen Screenings muss ausgeweitet und neue Zielerkrankungen in effizienterer und transparenterer Weise mit konkreten Fristen - ähnlich dem AMNOG - definiert werden. Das frühzeitige Erkennen einer sE ist oft die Voraussetzung dafür, Betroffene noch wirksamer behandeln zu können.



Beim zweiten Themenkomplex geht es um einen **„verbesserten Zugang zu Gesundheitsdaten zur Erforschung von seltenen Erkrankungen“**. Die Herausforderung bei sE liegt darin, dass es einerseits eine große Anzahl an Erkrankungen gibt (es kann von 6.000-8.000 seltenen Erkrankungen ausgegangen werden), jedoch vergleichsweise wenige Betroffene je Leiden. Aus diesem Grund müssen die Daten, die durch die wenigen Betroffenen generiert werden können, viel effizienter genutzt werden:

3. Eine Vereinheitlichung von bereits bestehenden bzw. eine Ausweitung durch weitere Datensysteme zur effizienteren Nutzung und Erfassung von Patientendaten von an seltenen Erkrankungen leidenden Menschen ist dringend notwendig.
4. Unternehmen benötigen einen verbesserten Zugang zu Gesundheitsdaten, um sE besser erforschen und Therapien schneller entwickeln zu können. Sie benötigen insbesondere ein Antragsrecht beim Forschungsdatenzentrum.
5. Eine anwendungsbegleitende Datenerhebung unterstützt die ATSE, wenn diese zu mehr Evidenz beiträgt, also den Kriterien einer sicher gestellten Fragestellung, der Verhältnismäßigkeit und der Umsetzbarkeit entspricht.



Der ATSE ist es durchaus bewusst, dass im Zusammenhang mit Therapien stets auch die Frage nach der **„Finanzierung von Orphan Drugs in Deutschland“** eine zentrale Rolle spielt. So plant die Politik beispielsweise durch eine Zwangssubstitution von biotechnologisch hergestellten Arzneimitteln in den Apotheken durch sogenannte Biolumilars die Kosten für die Krankenversicherungen zu senken. Auch wenn nicht alle Biosimilars in Orphan-Indikationen angewendet werden, möchte die ATSE darauf aufmerksam machen, dass solche Substitutionen, insbesondere im Kontext seltener Erkrankungen, unverhältnismäßige Eingriffe in die meist sehr sensible und fein abgestimmte Therapie von Patientinnen und Patienten darstellt. Entsprechend setzt sich die ATSE für die folgenden Ziele ein:

6. Erhalt der Verfahren im Rahmen des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes (AMNOG), insbesondere der Orphan Drug Regelung, in seiner heutigen Form zur Arzneimittelpreisfestlegung bei seltenen Erkrankungen.
7. Verhinderung der Zwangssubstitution von biotechnologisch hergestellten Arzneimitteln durch Biosimilars in den Apotheken bei Orphan-Indikationen. Eine Anpassung des „Gesetzes für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung“ (GSAV) ist dahingehend dringend notwendig.



In Bezug auf den **„Pharmastandort Deutschland in Europa“** wird die ATSE den Prozess der Anpassungen der Orphan-Drug-Verordnung genau beobachten, da europäische Regeln auch immer einen Einfluss auf die Situation in Deutschland haben werden.

8. Beibehaltung deutscher Standards in der Versorgungssicherung trotz europäischer Anpassungen im Rahmen der Orphan-Drug-Verordnung.

2. Einleitung

Mit diesem Forderungskatalog möchte sich die „Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen“ (ATSE) zu den im September 2021 anstehenden Bundestagswahlen positionieren und die für sie relevanten Themen in der kommenden Legislaturperiode skizzieren.

Bei der ATSE handelt es sich um eine Arbeitsgemeinschaft von sechs pharmazeutischen Unternehmen, die sich stark für die Erforschung und Entwicklung von Medikamenten und Therapien zur Behandlung von seltenen Erkrankungen, sogenannten Orphan Drugs, engagieren. Zu den Mitgliedern der ATSE zählen die Unternehmen Alexion, BioMarin, Bristol Myers Squibb, Chiesi, Takeda und Vertex. Seit über 10 Jahren setzt sich die Arbeitsgemeinschaft für die passenden Rahmenbedingungen zur Sicherstellung der Arzneimittelversorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen ein. Dies geschieht im gemeinsamen Austausch mit anderen Akteuren des deutschen Gesundheitswesens. Darüber hinaus leistet die ATSE Aufklärungsarbeit zu den Besonderheiten in diesem Versorgungsbereich, mit dem Ziel die Lebenssituation der Betroffenen nachhaltig zu verbessern. So organisiert die ATSE immer wieder Veranstaltungen sowie Diskussionsrunden und trägt damit zu einem wichtigen Austausch zwischen den unterschiedlichen Stakeholdern aus Politik, Selbstverwaltung, Patientenorganisationen, Industrie und Gesellschaft bei.

3. Zentrale Themen und Positionen

Nachfolgend werden in vier Abschnitten die zentralen Themen für die kommenden Jahre skizziert, die die ATSE im Rahmen der Bundestagswahlen 2021 hervorheben möchte.



3.1. Seltene Erkrankungen rechtzeitig erkennen und behandeln

Eine Verbesserung der Versorgung und Behandlung von Menschen mit seltenen Erkrankungen ist die zentrale Motivation der ATSE-Mitglieder. Um eine sE handelt es sich, wenn die entsprechende Prävalenz (Zahl der Erkrankten) bei nicht mehr als 5 von 10.000 Personen liegt. Dieser Wert wurde in der Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden der Europäischen Union (EU-Verordnung 141/200)¹ festgehalten. Das Bundesgesundheitsministerium geht von rund 6.000² existierenden seltenen Erkrankungen aus, andere Institutionen von bis zu 8.000³. Diese hohe Zahl an sE sorgt dafür, dass in Deutschland gemäß Schätzungen rund vier Millionen Menschen mit einer solchen Erkrankung leben, in der gesamten EU mutmaßlich über 30 Millionen.⁴ Die Seltenheit der Erkrankungen führte vor der Einführung der Förderung von Orphan Drugs in Europa im Jahr 2000 zu der inakzeptablen Situation, dass Millionen von Menschen mit meist lebensbedrohlichen Erkrankungen nur relativ wenig Hilfe erfuhren, da die Entwicklung von Arzneimitteln und Therapien durch privatwirtschaftliche Unternehmen lange Zeit nicht möglich war. Auch wenn sich die Situation von vielen Betroffenen durch die Förderung von Orphan Drugs seit 2000 merklich verbessert hat – heute stehen ca. 160 Therapien zur Behandlung von sE zur Verfügung – ist aufgrund der schieren Zahl an sE noch sehr viel zu tun, um die Lücken an Therapien zu schließen.

Die ATSE ist vom gesellschaftlichen Mehrwert der Erforschung und Entwicklung von Therapien zur Behandlung seltener Erkrankungen überzeugt. Dieser Mehrwert muss immer wieder aufs Neue ins Bewusstsein von Gesellschaft und Politik gerufen werden.

Um die Versorgung von Menschen mit sE zu verbessern, gilt es früh anzusetzen und entsprechende Erkrankungen in einem möglichst frühen Stadium zu diagnostizieren. Dies ist darauf zurückzuführen, dass die meisten sE genetisch bedingt und daher bereits kurz nach der Geburt erkennbar sind. Von zentraler Bedeutung ist in diesem Zusammenhang das Neugeborenencreening. Dabei geht es um die Untersuchung Neugeborener innerhalb der ersten drei Lebensstage. Bei diesem Screening kann der Säugling gemäß der Kinder-Richtlinie⁵ des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) auf bis zu 16 seltene Erkrankungen (Zielerkrankungen) untersucht werden. Durch diese frühzeitige Untersuchung besteht die Möglichkeit, das Voranschreiten der Erkrankung durch rechtzeitiges Behandeln möglichst zu verlangsamen und ein Versterben des Neugeborenen zu verhindern. Zudem kann Betroffenen und Angehörigen so alsbald Gewissheit verschafft und ein langwieriger und mühsamer Prozess der Untersuchungen zu einem späteren Zeitpunkt im Leben erspart werden.

Um dieses sinnvolle „Frühwarnsystem“ noch weiter auszubauen und mehr Neugeborenen und ihren Angehörigen Sicherheit zu geben, sollte die Ausweitung der beim Neugeborenencreening untersuchten seltenen Zielerkrankungen über die 16 bisher festgelegten hinaus angestrebt wer-

1 Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden, abrufbar unter: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/?uri=CELEX:32000R0141>.

2 Bundesministerium für Gesundheit (o.D.) Seltene Erkrankungen. Abgerufen am 14.05.2021, von <https://www.bundesgesundheitsministerium.de/themen/praevention/gesundheitsgefahren/seltene-erkrankungen.html#:~:text=Allein%20in%20Deutschland%20leben%20Sch%C3%A4tzungen,Gruppe%20von%20zumeist%20komplexen%20Krankheitsbildern>.

3 Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE) (o.D.) Seltene Erkrankungen. Abgerufen am 14.05.2021, von https://www.achse-online.de/de/die_achse/Seltene-Erkrankungen.php.

4 Siehe Fußnote 2.

5 Richtlinie des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Früherkennung von Krankheiten bei Kindern (Kinder-Richtlinie), Stand: 17. Dezember 2020. Abgerufen am 14.05.2021, von https://www.g-ba.de/downloads/62-492-2432/Kinder-RL_2020-12-17_ik-2021-04-01.pdf.

den. Die Kriterien für die Aufnahme neuer Zielerkrankungen in das Neugeborenencreening sind im Fünften Buch Sozialgesetzbuch (SGB V) klar geregelt.⁶ Längst werden jedoch nicht alle sE, die diese Kriterien erfüllen, im G-BA beraten. Das Aufnahmeverfahren des G-BA ist in einigen Fällen langwierig, wenig transparent und relativ schwer zugänglich. Die Beratung neuer Zielerkrankungen im G-BA muss daher schneller, transparenter und offener gestaltet werden. Eine Nutzenbewertung von mehreren Jahren bei der Definition neuer Zielerkrankungen – insbesondere im Kontext seltener Erkrankungen – hält die ATSE für fahrlässig und nicht verhältnismäßig. Ein frühes Diagnostizieren bedeutet meist eine erhöhte Chance mit der Krankheit umgehen und länger leben zu können.⁷

Forderungen der ATSE:

- **Es gilt, die Gesellschaft für die Wichtigkeit einer schnellen Diagnose und Behandlung zu sensibilisieren, um die Versorgung der Betroffenen auch in den kommenden Jahren nachhaltig auszubauen. Hier ist aus Sicht der ATSE auch die Politik gefordert, die Weichen dafür nachhaltig zu stellen.**
- **Das „Frühwarnsystem“ des Neugeborenencreenings muss ausgeweitet und neue Zielerkrankungen in effizienterer und transparenterer Weise mit konkreten Fristen - ähnlich dem AMNOG - definiert werden. Das frühzeitige Erkennen einer sE ist oft die Voraussetzung dafür, Betroffene noch wirksamer behandeln zu können.**



3.2. Verbesserter Zugang zu Gesundheitsdaten zur Erforschung von seltenen Erkrankungen

Der Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen (SVR Gesundheit) hat in seinem jüngsten Gutachten gefordert, Datenschutz im Sinne eines umfassenden Patientenschutzes neu zu denken.⁸ Er müsse, so der SVR Gesundheit weiter, insbesondere mit dem Schutz von Leben und Gesundheit abgewogen und in sinnvollen Einklang gebracht werden. Es gelte im Sinne des Patientenwohls, bei der Erschließung neuer Datenbestände die Risiken der Datennutzung zu minimieren, vor allem aber den potenziellen Nutzen medizinischer Forschung zu maximieren. Dabei müssen die potenziellen Schäden durch eine Nichtnutzung von Daten angemessen bewertet und in die Abwägung einbezogen werden. Der Rat fordert, dass durch öffentliche Mittel finanzierte Datenbestände auch tatsächlich und möglichst breit nutzbar sein sollten. Derzeit werde wissenschaftliche Forschung mit potenziellem gesellschaftlichem Mehrwert zu oft durch rechtliche, administrative oder technische Hürden verhindert. Dies schwäche den Wissenschafts- und Innovationsstandort Deutschland im internationalen Wettbewerb erheblich.

Gerade bei der Erforschung von seltenen Erkrankungen bzw. bei der Entwicklung von Medikamenten und Therapien gegen diese spielen Daten bzw. der Zugang zu Daten eine besonders zentrale Rolle, weil durch die Seltenheit der Erkrankungen Daten ein besonders knappes Gut sind. Der Großteil der bisher bekannten sE konnte bisher jedoch noch nicht in einer Art erforscht werden, die Rückschlüsse auf mögliche Therapieansätze zulassen würde. Als ein Kernproblem hat sich die Tatsache herausgestellt, wie es auch SVR Gesundheit betont hat, dass die grundsätzlich zur Verfügung stehenden Daten in Deutschland nach wie vor nicht effizient genutzt werden. Stichworte sind hier ein falsches Verständnis von Datenschutz und die Erschwerung bzw. Verhinderung des Datenzugangs durch rechtliche, administrative oder technische Hürden. So gehören beispielsweise privatwirtschaftliche Unternehmen nicht zum Kreis der Antragsberechtigten beim Forschungsdatenzentrum.⁹

Aus diesem Grund muss ein intelligenterer und zielgerichteter Umgang mit der Ressource „Daten“ erfolgen. Dabei darf die Datenerhebung selbstverständlich nicht wahllos erfolgen. Datenschutz ist und bleibt ein wichtiges Gut und definiert den Korridor, im Rahmen dessen es zu handeln gilt. Die neuen Regelungen zur Datentransparenz im SGB V (§§ 303a ff.) werden u.E. diesen Anforderungen gerecht.

Dennoch bedarf es einiger wichtiger Weichenstellungen in Bezug auf den Umgang mit Gesundheitsdaten, insbesondere bei seltenen Erkrankungen. Dafür gilt es, durch bessere Vernetzungen und zielgerichteteren Austausch zwischen bereits zur Verfügung stehenden Datensystemen in Deutschland und Europa, eine effektivere Ausnutzung und Generierung neuer Erkenntnisse zu ermöglichen.

⁶ Im Fünften Buch Sozialgesetzbuch (SGB V) sind alle Belange, die die Gesetzliche Krankenversicherung in Deutschland betreffen, aufgeführt. Die §§25 und 26 SGB V decken die verschiedenen Gesundheitsuntersuchungen und Früherkennungsprogramme ab.

⁷ Siehe hierzu: Positionspapier der ATSE zu „Aspekte der Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen“ aus dem Jahr 2017.

⁸ Digitalisierung für Gesundheit Ziele und Rahmenbedingungen eines dynamisch lernenden Gesundheitssystems Gutachten 2021, Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen. Abgerufen am 28.06.2021, von <https://www.svr-gesundheit.de/gutachten/gutachten-2021/>.

⁹ Sozialgesetzbuch Fünftes Buch, Gesetzliche Krankenversicherung vom 20. Dezember 1988, § 303e Datenverarbeitung.

Mit diesem Thema hat sich die ATSE bereits im Rahmen der Veranstaltung „Innovationen und Digitalisierung in der Versorgung und Forschung von seltenen Erkrankungen“ vom 12. April 2021 befasst, wo u.a. Orphanet, genomDE und weitere Datensysteme für sE thematisiert worden sind. Einhelliges Ergebnis der Veranstaltung war der Wunsch nach einer einheitlichen, standardisierten, sektorübergreifenden und offenen Datenerfassung. Ein „nebeneinander-arbeiten“, wie es bisher im Zusammenspiel aus Politik, Industrie und Betroffenen der Fall war, sorgt für eine unnötige Verschwendung wertvoller Ressourcen und muss in Zukunft minimiert werden. Vielmehr bedarf es einer gemeinsamen Anstrengung aller Beteiligten, um den enormen Mehrwert, der uns theoretisch bereits heute zur Verfügung stehen könnte, richtig ausschöpfen zu können. Aus Sicht der ATSE rechtfertigt die Vulnerabilität der Betroffenen jedwede Anstrengung, um potenzielle Synergieeffekte zu nutzen und den Betroffenen im Rahmen neuer Therapieoptionen letztendlich gezielter helfen zu können. In einem weiteren Schritt würde die ATSE eine zielgerichtete Freigabe von Gesundheitsdaten an die Forschung und Entwicklung – natürlich anonymisiert oder pseudonymisiert und unter Einhaltung datenschutzrechtlicher Vorgaben – begrüßen.

Im Zuge einer zielgerichteteren Zusammenarbeit bei der Erforschung von sE unterstützt die ATSE grundsätzlich in geeigneten Fällen auch die Generierung zusätzlicher Daten im Rahmen der anwendungsbegleitenden Datenerhebung (AwD).¹⁰ Diese muss jedoch verhältnismäßig, realistisch und umsetzbar sein. Darüber hinaus müssen Fristen sowie Anforderungen klar definiert werden.¹¹ Besondere Berücksichtigung müssen die Gegebenheiten bei sE finden, insbesondere die kleinen Fallzahlen von Betroffenen. Andernfalls sieht die ATSE den Beitrag der AwD zu einer signifikanten Steigerung der Evidenz als sehr kritisch an.

Forderungen der ATSE:

- **Eine Vereinheitlichung von bereits bestehenden bzw. eine Ausweitung durch weitere Datensysteme zur effizienteren Nutzung und Erfassung von Patientendaten von an seltenen Erkrankungen leidenden Menschen ist dringend notwendig.**
- **Unternehmen benötigen einen verbesserten Zugang zu Gesundheitsdaten, um sE besser erforschen und Therapien schneller entwickeln zu können. Sie benötigen insbesondere ein Antragsrecht beim Forschungsdatenzentrum.**
- **Eine anwendungsbegleitende Datenerhebung unterstützt die ATSE, wenn diese zu mehr Evidenz beiträgt, also den Kriterien einer sichergestellten Fragestellung, der Verhältnismäßigkeit und der Umsetzbarkeit entspricht.**



3.3. Die Finanzierung von Orphan Drugs in Deutschland

Ein zentraler Faktor bei der Bewertung von Medikamenten sind neben der Wirksamkeit gegen die jeweilige Erkrankung die entsprechenden Kosten. Dies gilt insbesondere im Kontext von sE. Aufgrund des seltenen Auftretens und des zumeist sehr hohen Aufwandes in der Erforschung und Entwicklung von Therapieansätzen und Medikamenten spielt der Kostendruck hier eine besonders ausgeprägte Rolle.

In Deutschland gibt es grundsätzlich klare und nachvollziehbare Regelungen, die die Kosten von neu entwickelten Medikamenten regulieren. Um Kosten zu reduzieren, trat 2011 das „Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz“ (AMNOG)¹² in Kraft, das seither die Arzneimittelausgaben der Gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) für patentgeschützte Arzneimittel regelt. In einem transparenten Prozess wurden so im Zusammenspiel von G-BA, dem GKV-Spitzenverband (GKV-SV) sowie der Pharmaindustrie Preismodelle für neue Arzneimittel entwickelt.

Die deutsche AMNOG-Regulierung stellt – unabhängig von der Bewertung des AMNOG im Detail – sicher, dass die Finanzierbarkeit von Orphan Drugs bzw. der Arzneimitteltherapie als Ganzes nicht gefährdet ist.

¹⁰ Bei der anwendungsbegleitenden Datenerhebung geht es um die Generierung zusätzlicher Daten für die Zulassung neuer Therapien und Medikamente. Bei einigen neu entwickelten Arzneimitteln, insbesondere bei solchen für die Behandlung von seltenen Erkrankungen, liegen bei Zulassung des Medikamentes nicht ausreichend Daten für die endgültige Bewertung des Nutzens und des Zusatznutzens dieses Medikamentes vor. In solchen Fällen kann der G-BA das Sammeln weiterer Daten im „täglichen Gebrauch“ vom Pharmakonzern verlangen.

¹¹ Siehe hierzu: Positionspapier der ATSE zur „anwendungsbegleitenden Datenerhebung“ aus dem Jahr 2020.

¹² Das AMNOG hat drei zentrale Ziele: Die optimale Patientenversorgung mit den besten und wirkungsvollsten Medikamenten im Krankheitsfall, die Gewährleistung von kosteneffizienten Preisen sowie die Schaffung von verlässlichen Rahmenbedingungen als Innovationsanreiz. Die Preise bestimmen sich aus dem Zusatznutzen, der einem neuen Medikament gegenüber bereits bestehenden Medikamenten beigemessen wird. Das entsprechende AMNOG-Verfahren ist grundsätzlich in zwei Phasen unterteilt: In einer ersten Phase wird der Zusatznutzen eines neuen Arzneimittels anhand bestimmter, vom G-BA aufgestellter Kriterien, und nach eingehender Untersuchung durch das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), bewertet. Ergibt sich ein Zusatznutzen für ein neues Arzneimittel, können Pharmaunternehmen und der Spitzenverband der Gesetzlichen Krankenversicherung einen individuellen Erstattungsbetrag verhandeln. Liegt ein solcher Zusatznutzen nicht vor, muss das Arzneimittel zu einem Festbetrag angeboten werden.

Aus Sicht der ATSE hat sich insbesondere die Orphan Drug Regelung des AMNOG in den vergangenen 10 Jahren derart bewährt, dass ein Erhalt in der aktuellen Form zwingend angestrebt werden sollte. Deutschland ist das Land mit der besten Verfügbarkeit von zugelassenen Orphan Drugs. Dieser Erfolg sollte nicht aufs Spiel gesetzt werden. Dies gilt ebenfalls für neuartige Therapien, wie beispielsweise Gentherapien bzw. Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP), deren Anwendung auf Genen, Geweben oder Zellen basiert. Der ATSE ist bewusst, dass die Finanzierung von neuartigen Therapieformen durchaus eine Herausforderung für das deutsche Gesundheitswesen in seiner heutigen Form darstellt. Dennoch wäre es fahrlässig, ein permanentes Preisfindungsregime außerhalb des bewährten AMNOG-Verfahrens zu etablieren. Vielmehr sollte dieses dahingehend flexibel ausgestaltet werden, dass innovative Preismodelle im Rahmen des AMNOG ermöglicht werden, ohne Automatismen zu schaffen, die zur Etablierung eines parallelen Preismechanismus führen würden.

In Bezug auf ein anderes Gesetz hat der Gesetzgeber die Weichen für tiefgreifende Veränderungen bereits gestellt. Hierbei geht es um das „Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung“ (GSAV). Im Rahmen dessen sollen ab 2022 biotechnologisch hergestellte Arzneimittel in Apotheken durch Nachahmerpräparate, sogenannte Biosimilars, ausgetauscht werden. Der ATSE ist durchaus bewusst, dass nicht alle Biosimilars in Orphan-Indikationen angewendet werden. Dennoch darf eine solche Substitution, sofern sie denn erfolgen muss, nur von behandelnden Ärztinnen und Ärzten in enger Absprache mit den betroffenen Patientinnen und Patienten erfolgen. Biosimilars sind, anders als Generika, nicht bioäquivalent zum Originalprodukt. Eine automatische Substitution in der Apotheke, wie sie angedacht ist, stellt daher einen unverhältnismäßigen Eingriff in die meist sehr sensible und fein abgestimmte Therapie von Patientinnen und Patienten dar. Die Gefahren, die für die Betroffenen von einer unabgestimmten Substitution in der Apotheke ausgehen können, sind nicht zu unterschätzen und könnten in einigen Fällen fatale Folgen haben.

Selbst die Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ) und der pharmakritische Arzneiverordnungs-Report 2020 (AVR)¹³ sprechen sich gegen die automatische Substitution in der Apotheke aus. Der AVR verweist hier insbesondere auf die Bedeutung der Aufklärung durch die Ärztinnen und Ärzte, um einen Nocebo-Effekt zu vermeiden. Auch eine engmaschige, klinische Überwachung nach einer Umstellung auf ein Biosimilar könne, wie sie von der AkdÄ und den medizinischen Fachgesellschaften empfohlen werden, von Ärztinnen und Ärzten nur dann geleistet werden, wenn diese über die Umstellung informiert sind. Zudem sei, so der AVR weiter, ein integraler Bestandteil der Pharmakovigilanz biologischer Arzneimittel die genaue Identifizierung und die gesicherte Rückverfolgbarkeit bei Meldungen von Nebenwirkungen. Bei der automatischen Substitution in der Apotheke ließe sich im Fall einer schweren Nebenwirkung nicht mehr sofort erkennen, welches Biologikum die Patientin bzw. der Patient genau erhalten habe. Nur wenn diese Voraussetzung erfüllt sei, könne aber die Behandlung patientenindividuell angepasst werden.

Auch wenn die ATSE grundsätzlich ein Streben des Gesetzgebers nach einer für die GKV kosteneffizienten Bereitstellung von Arzneimitteln nachvollziehen kann, muss an dieser Stelle dringend für die unterschiedlichen Eigenschaften der verschriebenen Medikamente und die Anforderungen an die Arzneimittelsicherheit sensibilisiert werden. Auf diese gilt es bei allen Bestrebungen zur Kostenersparnis – nichts anderes wäre die Zwangssubstitution von Biosimilars in Apotheken – zu achten, im Sinne aller unter einer sE leidenden Menschen.

Dies gilt umso mehr, da auch ohne die automatische Substitution nach Aussage des AVR im Jahre 2019 Biosimilars deutlich häufiger verordnet wurden als im Vorjahr, einige davon erreichten sehr schnell eine hohe Marktdurchdringung, sodass hohe Einsparungen erzielt wurden. Die Quote an Biosimilarverordnungen lässt sich also offensichtlich auch ohne Risiken für die Therapiequalität und die Arzneimittelsicherheit steigern.

Forderungen der ATSE:

- **Erhalt der Verfahren im Rahmen des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes (AMNOG), insbesondere der Orphan Drug Regelung, in seiner heutigen Form zur Arzneimittelpreisfestlegung bei seltenen Erkrankungen.**
- **Verhinderung der Zwangssubstitution von biotechnologisch hergestellten Arzneimitteln durch Biosimilars in den Apotheken bei Orphan-Indikationen. Eine Anpassung des „Gesetzes für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung“ (GSAV) ist dahingehend dringend notwendig.**

¹³ Arzneiverordnungs-Report 2020, Schwabe, Ulrich, Ludwig, Wolf-Dieter (Hrsg.), Springer-Verlag Berlin Heidelberg (2020). Abrufbar unter: DOI 10.1007/978-3-662-62168-4.



3.4. Der Pharmastandort Deutschland in Europa

Die medizinische Versorgung, insbesondere seltener Erkrankungen, hat im 21. Jahrhundert sowohl eine nationale als auch eine europäische Dimension, die sich gegenseitig ergänzen und in hohem Maße beeinflussen. Bereits im Dezember 1999 verabschiedete die Europäische Union die Verordnung (EG) Nr. 141/2000¹⁴ zu Arzneimitteln für seltene Leiden (orphan medicinal products, OMP). Diese dient seither als ein einheitlicher Rahmen für die Ausweisung von Arzneimitteln zur Therapie von sE. Im Rahmen dessen wurden in der EU seit dem Jahr 2000 insgesamt 183 Medikamente gegen sE zugelassen (Stand Februar 2021).¹⁵ Dieser, aus Sicht der ATSE überaus überzeugende und zuverlässige Mechanismus, steht vonseiten der Europäischen Union aktuell zur Disposition und soll überarbeitet werden. So sollen beispielsweise die Kriterien für die Ausweisungen von Medikamenten zur Therapie seltener Erkrankungen neu festgelegt werden. Auch die Anreizsysteme, die einem neu auf den Markt kommenden Medikament ein 10-jähriges Exklusivrecht gewähren, könnten modifiziert werden.

Die ATSE befürwortet eine solche Überprüfung einer über 20 Jahre alten Richtlinie grundsätzlich, sofern die bisher geltenden Standards und damit einhergehend erreichten Errungenschaften insbesondere in der Versorgung der Betroffenen in Deutschland nicht aufgeweicht oder gar verschlechtert werden.¹⁶ Die in Deutschland geltenden Bestimmungen haben sich als überaus praktikabel und zuverlässig erwiesen. Eine Verwässerung hätte entsprechend fatale Folgen für den hiesigen Forschungs- und Entwicklungsstandort. Dies kann weder im Interesse der Politik noch der Pharmaindustrie und erst recht nicht im Interesse der Betroffenen sein. Im Gegenteil, es bedarf vielmehr einer Intensivierung des Anreizsystems für die Erforschung von sE und die Entwicklung entsprechender Therapien. Nach wie vor sind zu viele sE nicht richtig erforscht und nicht therapierbar, was für die Verlängerung der Lebensdauer und die Verbesserung der Lebensqualität der Betroffenen jedoch zwingend notwendig wäre.

Bei der Erforschung und Entwicklung neuer Orphan Drugs steht eine Fokussierung auf solche Therapien im Raum, die nur den größten medizinischen Bedarf innerhalb der seltenen Erkrankungen abdecken. Dies hält die ATSE ebenfalls für wenig zielführend. Diese Herangehensweise bürgt die Gefahr, dass vermeintlich „weniger relevante“ Orphan Drugs in den Hintergrund geraten oder gar vernachlässigt werden, indem sie nicht in einem Maße erforscht werden, wie es ggf. aktuell der Fall ist. Dabei gilt es zu beachten, dass der Begriff des ungedeckten medizinischen Bedarfs nicht mit dem Fehlen eines pharmazeutischen Produkts gleichgesetzt werden darf. Mit anderen Worten: Es ist notwendig, kontinuierlich in Forschung und Entwicklung zu investieren, um sowohl neue als auch weitere Behandlungsmöglichkeiten für eine Krankheit zu entwickeln.

Ein Beispiel: das Multiple Myelom (MM). Die Behandlungsmöglichkeiten vor den frühen 2000er Jahren waren begrenzt, aber mit der Verwendung von Thalidomid zur Behandlung von MM im Jahr 1997 und seiner anschließenden Zulassung durch die U.S. Food and Drug Administration (FDA) im Jahr 2006 begann eine Ära neuer Arzneimittelzulassungen. Nach der rasanten Entwicklung der Behandlungsmöglichkeiten in den frühen 2000er Jahren hat sich die primäre Herausforderung bei der Behandlung des MM von den begrenzten Behandlungsmöglichkeiten zu der Herausforderung verschoben, aus den vielen verfügbaren Optionen die optimalen Kombinationen zu finden. Eine Heilung ist noch nicht möglich, aber die dramatischen Steigerungen bei den Behandlungsmöglichkeiten und der Überlebenszeit der Patientinnen und Patienten stellen einen eindeutigen Erfolg dar. Dies wäre nicht möglich gewesen, wenn die Anreize nach der Bereitstellung der ersten Behandlung eingeschränkt worden wären.

Weitere Beispiele sind die Behandlung der chronischen myeloischen Leukämie, der Mukoviszidose oder der pulmonalen Hypertonie.

Kurz gesagt: Dass ein OMP zur Behandlung einer bestimmten sE zur Verfügung steht, bedeutet nicht per se, dass es in diesem Bereich keinen ungedeckten medizinischen Bedarf mehr gibt. Anreize bleiben in diesem Zusammenhang essentiell, wenn Patientinnen und Patienten von therapeutischen Fortschritten profitieren sollen.

Letztendlich haben die Betroffenen darunter zu leiden, denen keine adäquate Therapie angeboten werden kann. Aus Sicht der ATSE kann eine solche Verschlechterung der Versorgungslage nicht der richtige Ansatz für die Überarbeitung der Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden sein. Vielmehr bedarf es einer Ergänzung zum aktuellen Forschungsförderungssystem. So könnten die bisher bestehenden Förderstrukturen beibehalten und um Zusatzförderungen für „besonders relevante“ Therapien ergänzt werden.

Forderungen der ATSE:

→ **Beibehaltung deutscher Standards in der Versorgungssicherung trotz europäischer Anpassungen im Rahmen der Orphan-Drug-Verordnung.**

¹⁴ Siehe Fußnote 1.

¹⁵ vfa. Die forschenden Pharma-Unternehmen (24.02.2021) Erfolgsgeschichte der Orphan Drugs. Abgerufen am 14.05.2021, von <https://www.vfa.de/de/presse/pressemitteilungen/pm-004-2021-erfolgsgeschichte-der-orphan-drugs.html>.

¹⁶ Siehe hierzu: Positionspapier der ATSE zu den „Anpassungen der Orphan Drug Regularien“ aus dem Jahr 2021.

4. Fazit

Im Rahmen dieses Forderungskataloges hat die Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen (ATSE) die für sie zentralen Themen und Kernforderungen im Vorfeld der Bundestagswahlen im September 2021 aufgezeigt. Dabei wurde deutlich, dass in den kommenden Monaten und Jahren viele wegweisende Entscheidungen in Bezug auf die Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen getroffen werden könnten. Auf nationaler Ebene gilt es, das AMNOG in der aktuellen Fassung weitgehend zu bewahren. Darüber hinaus bedarf es einer Anpassung des GSAV zumindest im Punkt der Zwangssubstitution in den Apotheken. Auf europäischer Ebene hingegen sind es die Orphan-Drug-Verordnungen, die vor einer Novellierung stehen. Für die ATSE ist dabei ganz klar: In den vergangenen Jahrzehnten konnte sie im Bereich der Versorgung von seltenen Erkrankungen viel bewegen und den Betroffenen entsprechend helfen, mit ihrer Erkrankung besser und länger zu leben. Die bestehenden Regelungen sind überaus zielführend und haben den Nachweis ihrer Praxistauglichkeit erbracht. Neue Regelungen bzw. gesetzliche Anpassungen und Neuausrichtungen müssen daher wohl überlegt sein und einen konkreten Mehrwert im Sinne einer Versorgungssicherheit der Betroffenen gewährleisten. Es darf keinesfalls eine Verwässerung von Anreizsystemen für die Forschung an und Entwicklung von neuen Therapien zur Behandlung von seltenen Erkrankungen geben. Vielmehr fordert die ATSE bei jedweder Anpassung, dass diese auf ihre langfristigen Folgen überprüft wird und keinesfalls hinter bereits bestehende Regularien zurückfallen darf. Sollte dies gelingen, kann auch in Zukunft, in enger Kooperation mit Politik, Industrie, Ärzteschaft, Kostenträgern und Patientenvertretungen, eine erfolgreiche Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen in Deutschland gewährleistet werden.