

## ATSE Position zum Entwurf eines GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes

Die Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen (ATSE) setzt sich für die Forschung und Entwicklung von Arzneimitteln zur Behandlung von seltenen Erkrankungen, sogenannte Orphan Drugs (ODs), ein. Ziel der ATSE ist es, über die Besonderheiten von ODs aufzuklären, um damit die Versorgungssituation von Patientinnen und Patienten in Deutschland stetig zu verbessern. Anlässlich des Entwurfs eines GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes (GKV-FinStG), bewerten wir die einzelnen Maßnahmen, die Arzneimittel gegen seltene Erkrankungen besonders betreffen, wie folgt:

Laut dem Entwurf soll die Regelung, wonach der Zusatznutzen (ZN) von ODs durch die Zulassung der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) bis zu einer **GKV-Umsatzschwelle von 50 Millionen** als belegt gilt, **auf 20 Millionen Euro herabgesenkt** werden. Eine solche radikale Absenkung hätte erhebliche negative Folgen auf die Patientenversorgung und die Investitionsanreize in der Forschung und Entwicklung für ODs. Denn dadurch könnten eine Vielzahl der biopharmazeutischen Unternehmen, deren ODs nie die 50 Millionen Euro Grenze erreicht hätten, ihren ZN aufgrund der ungeeigneten AMNOG-Methodik zur Zusatznutzenbewertung mit hoher Wahrscheinlichkeit nicht belegen – trotz Anerkennung eines ZN durch die Gewährung des Orphan Drug-Status durch die EMA. Folglich hätte dies einen negativen Einfluss auf die Preisverhandlungen und dementsprechend auf die Anreize zur Erforschung und Vermarktung von ODs, die nur für eine sehr geringe Anzahl von Patientinnen und Patienten entwickelt werden. Gerade für kleinere Anbieter kann dies infolge schlechter Bewertungen zu prohibitiv niedrigen Preisen führen, die aus ökonomischen Gründen einen Marktaustritt erzwingen könnten und zukünftige Forschung verhindern würden.

Der Entwurf sieht außerdem einen weiteren **Zwangsabschlag für Kombinationstherapien** vor, der bei 20% des Erstattungsbetrages liegt und dann erhoben werden soll, wenn zwei neue Wirkstoffe in Kombination eingesetzt werden. Auch dieser Kombinationsrabatt kann ODs zusätzlich belasten, denn gerade bei seltenen Krebserkrankungen sind Kombinationstherapien medizinischer Standard und werden im AMNOG bereits heute adäquat berücksichtigt, indem sie nutzenadäquat und wertbasiert bepreist werden. Ein zusätzlicher Kombinationsrabatt wäre daher eine unnötige und schädliche Doppelregulierung, die Kombinationspräparate willkürlich gegenüber Monotherapien diskriminiert und Anreize zur Erforschung von Kombinationen mindert.

Darüber hinaus enthält der Entwurf eine Vielzahl weiterer **Vorgaben für die Verhandlungen des Erstattungsbetrags**. So ist u.a. für Arzneimittel, die nach G-BA-Beschluss einen **nicht quantifizierbaren ZN** haben, ein Erstattungsbetrag zu vereinbaren, der nicht zu höheren Jahrestherapiekosten führt als die zweckmäßige Vergleichstherapie, sofern diese patentgeschützt ist oder Unterlagenschutz besitzt. Dieser Vorschlag ist eine Abkehr vom Prinzip des „Value Based Pricing“, auf dem das AMNOG bislang aufgebaut war. Zudem wird hier außer Acht gelassen, dass „nicht quantifizierbar“ von „geringem“ bis „erheblichem“ ZN alles bedeuten kann. ODs wären von dieser Regelung besonders negativ betroffen, denn bei diesen ist die Bewertung „nicht quantifizierbarer ZN“ das dominierende Bewertungsergebnis im AMNOG. Das liegt daran, dass bei ODs die Herausforderungen der Evidenzgewinnung besonders ausgeprägt sind und in der AMNOG-Bewertungsmethodik nicht ausreichend berücksichtigt werden. Unterm Strich wird daher kaum ein OD noch einen Premiumpreis erreichen können.

Zudem sollen bei der Preisfindung **Arzneimittelverwürfe** von über 20% aufgrund **unwirtschaftlicher Packungsgrößen** preismindernd berücksichtigt werden. Hersteller haben aus regulatorischen, (produktions-)technischen und praktischen Gründen jedoch nicht die Möglichkeit, patientenindividuelle Packungsgrößen anzubieten. Packungsgrößen stellen daher immer einen Kompromiss verschiedener Anforderungen dar, weshalb sich die Verwürfe nie vollständig vermeiden lassen. Auch diese Regelung belastet ODs zusätzlich und ist obsolet, da die Vertragsparteien bereits den nötigen Spielraum besitzen, um mögliche Arzneimittelverwürfe in der Preisfindung zu berücksichtigen.

Die dargelegten Zusammenhänge zeigen, dass eine Verringerung der AMNOG-Umsatzgrenze und die weiteren geplanten Maßnahmen im vorliegenden Entwurf eines GKV-FinStG (Erhöhung des Herstellerrabatts, Verlängerung des Preismoratoriums, Rückwirkung des Erstattungsbetrags etc.) **ODs kumulativ treffen** würden und somit das **Einbüßen der Vorreiterrolle Deutschlands bei der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit ODs** zur Folge hätten. **Wir bieten uns daher allen Akteuren im Gesundheitswesen als Gesprächspartner an**, um gemeinsam Wege zu finden, die Vorreiterrolle Deutschlands weiter zu erhalten.