

# ATSE Position zum Entwurf eines GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes

Stand 08. August 2022

## Inhaltsverzeichnis

---

<b>1.</b>	<b>Orphan Drug Regelungen sind ein Erfolg .....</b>	<b>2</b>
<b>2.</b>	<b>GKV-FinStG widerspricht Koalitionsziel seltene Erkrankungen zu bekämpfen .....</b>	<b>2</b>
<b>3.</b>	<b>GKV-FinStG ignoriert die Besonderheiten von Orphan Drugs .....</b>	<b>2</b>
<b>4.</b>	<b>EMA-Bewertung legt Zusatznutzen zugrunde.....</b>	<b>3</b>
<b>5.</b>	<b>Bewertung der einzelnen Regelungen.....</b>	<b>3</b>
<b>6.</b>	<b>Anhang .....</b>	<b>5</b>

Die Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen (ATSE) setzt sich seit Jahren für die Forschung und Entwicklung von Arzneimitteln zur Behandlung von seltenen Erkrankungen, sogenannte Orphan Drugs, ein. Das Ziel der ATSE ist es, die Gesellschaft und die Politik über die Besonderheiten von Orphan Drugs aufzuklären, um damit die Versorgungssituation von Patientinnen und Patienten in Deutschland stetig zu verbessern.

## 1. Orphan Drug Regelungen sind ein Erfolg

Seit der Einführung der **Orphan Drug-Verordnung** ((EG) Nr. 141/2000)<sup>1</sup> in der Europäischen Union (EU) vor rund 20 Jahren haben sich die Bedingungen zur Entwicklung von Orphan Drugs in Europa maßgeblich verbessert. Inzwischen stehen den Patientinnen und Patienten in der EU 138 zugelassene Orphan Drugs und 69 weitere Arzneimittel, deren Orphan Drug-Status verordnungsgemäß nach 10 Jahren bereits abgelaufen ist<sup>2</sup>, zur Behandlung zur Verfügung. In Anbetracht der rund 8.000 seltenen Erkrankungen<sup>3</sup> ist der Forschungsbedarf jedoch noch lange nicht erschöpft und es bedarf dringend weiterhin Forschungsanreize.

Die Regelung des **Arzneimittelneuordnungsgesetzes (AMNOG)**<sup>4</sup> für Orphan Drugs, wonach der Zusatznutzen bis zu einer Umsatzschwelle von 50 Millionen Euro GKV-Umsatz durch die EMA-Zulassung als belegt gilt, hat dazu geführt, dass der Zugang zu Orphan Drugs für Patientinnen und Patienten sowohl in Bezug auf die Anzahl der zur Verfügung stehenden Orphan Drugs (siehe Abbildung 1 im Anhang) als auch auf die Zeit zwischen Marktautorisierung und Verfügbarkeit eines Orphan Drugs (siehe Abbildung 2 im Anhang) in keinem anderen europäischen Land so gut ist wie in Deutschland.

## 2. GKV-FinStG widerspricht Koalitionsziel seltene Erkrankungen zu bekämpfen

In ihrem Koalitionsvertrag hat sich die aktuelle Bundesregierung zum Ziel gesetzt, „ein vorsorgendes, krisenfestes und modernes Gesundheitssystem [aufzubauen], welches [...] seltene [...] Krankheiten bekämpft“<sup>5</sup>. Insbesondere vor diesem Hintergrund ist es überaus verwunderlich, dass der vorliegende Entwurf eines GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes (GKV-FinStG) nicht nur gezielt die Hersteller von patentgeschützten Arzneimitteln adressiert und diesen massive Einschränkungen und Hemmnisse aufbürdet, **sondern unter diesen gerade Orphan Drugs nochmals mehr als jede andere Arzneimittelkategorie belastet**. Wenig beachtet wird, dass die im GKV-FinStG vorgesehenen **Maßnahmen nicht isoliert** nebeneinander stehen, sondern sich **in ihrer negativen Wirkung auf Preis, Gewinne und Umsatz kumulieren** können. Besonders betroffen von dieser Kumulierung sind **Orphan Drugs**. Die **bisherige Förderung von Orphan Drugs würde sich durch das GKV-FinStG in eine Benachteiligung verkehren**. Darüber hinaus darf nicht vergessen werden, dass in den vergangenen Jahren mit dem Nationalen Aktionsplan Seltene Erkrankungen (NAMSE), Translate NAMSE und weiteren Initiativen enorme Ressourcen investiert wurden, um die Versorgung zu verbessern. Mit den nun vorgelegten Sparmaßnahmen aus dem GKV-FinStG lassen sich die Ziele aus dem Koalitionsvertrag nicht erreichen, **vielmehr werden die Erfolge und Investitionen der letzten Jahre in Bezug auf die Versorgung mit Orphan Drugs in Deutschland zurückgedreht, worunter letztendlich die Versorgung von kleinen, vulnerablen Patientengruppen am meisten leiden würde**.

## 3. GKV-FinStG ignoriert die Besonderheiten von Orphan Drugs

Um unsere Kritik an den Regelungen des GKV-FinStG nachvollziehen zu können, ist es wichtig zu vergegenwärtigen, dass sich Orphan Drugs aufgrund mehrerer Besonderheiten von anderen Arzneimitteln unterscheiden. Um den **Orphan Drug-Status**, der von der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) vergeben wird, zu erhalten, reicht es nicht aus, zu belegen, dass mit dem Arzneimittel eine seltene Erkrankung behandelt werden kann. Es muss sich darüber hinaus um eine lebensbedrohende oder zu einer chronischen Invalidität führende Erkrankung handeln. Der Orphan Drug-Status wird außerdem nur dann gewährt, wenn noch keine zufriedenstellende Behandlungsmethode zugelassen wurde oder das betreffende Arzneimittel gegenüber einem bereits erhältlichen Präparat einen erheblichen Zusatznutzen erwarten lässt.

Zudem unterscheidet sich die **Erhebung klinischer Daten bei Orphan Drugs** zum Teil erheblich von anderen Arzneimitteln, woraus sich oft natürliche Einschränkungen für die Datengenerierung ergeben. So ist aufgrund der geringen Patientenzahlen die Evidenzgenerierung in Form von **Randomized Controlled Trials (RCTs)** bei vielen Orphan Drugs nicht möglich. Bei seltenen Erkrankungen sind die Patientenpopulationen klein, heterogen und oft räumlich weit verteilt, wodurch auch die Beteiligung von genügend Studienzentren häufig erschwert wird. Oftmals sind Kinder betroffen. Bereits die Anreise an weit entfernte Studienzentren stellt für schwer erkrankte Patientinnen und Patienten und ihre Familienmitglieder eine große Hürde dar. Zudem stoßen die Studien für seltene Erkrankungen häufig an ihre Grenzen, da Vergleichsstudien in Indikationen, in denen es keine Alternativtherapien gibt, wenn überhaupt nur gegenüber „Best Supportive Care“ durchgeführt werden können. Des Weiteren können auch ethische Gründe (z.B. wegen der Schwere der Erkrankung und dem Fehlen von Alternativtherapien - s.o.) eine Rolle spielen, weshalb diese Art von Studien kaum möglich sind oder sich nicht genügend Patientinnen und Patienten finden, die freiwillig an einer Studie teilnehmen möchten. Daraus folgt, dass nicht jede Evidenz, die wünschenswert wäre, auch in der Realität gewonnen werden kann. Es ist daher nicht zielführend, im AMNOG-Prozess die gleichen methodischen Maßgaben für Indikationen mit sehr kleinen Patientengruppen bei schweren Erkrankungen zu verlangen, wie dies für größere Patientengruppen (bspw. Herzkrankungen oder Diabetes) der Fall ist. In diesen Fällen sollte eine einarmige Studie mit ggf. indirektem oder historischem Vergleich als höchster Evidenzstandard

anerkannt werden. **Die Besonderheiten bei der Forschung und Entwicklung von Orphan Drugs sollten entsprechend berücksichtigt und nicht bestraft werden.**

#### 4. EMA-Bewertung legt Zusatznutzen zugrunde

Anders als im Januar 2022 vor allem vom Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) dargestellt<sup>6</sup>, handelt es sich bei der AMNOG-Regelung für Orphan Drugs, wonach der Zusatznutzen bis zu einer Umsatzschwelle von 50 Millionen Euro GKV-Umsatz durch die Zulassung als belegt gilt, **keinesfalls um ein unberechtigtes Privileg**. Sie ist vielmehr sachlich gut begründet. Ein Blick in die entsprechenden EU-Verordnungen (insb. EG 141/2000 & EG 847/2000)<sup>7</sup> zeigt, dass der Gewährung des Orphan Drug-Status durch die EMA eine Bewertung des Zusatznutzens zugrunde liegt.

Tatsächlich durchlaufen Orphan Drugs – im Gegensatz zu den meisten anderen Präparaten – daher sogar mehrere Zusatznutzenbewertungen, nämlich

- (1) die der EMA, die dem Arzneimittel den Orphan Drug-Status erteilt;
- (2) die der „eingeschränkten Zusatznutzenbewertung“ auf Basis der Orphan Drug-Regelung des AMNOGs (durchgeführt durch den G-BA);
- (3) ggf. die der Nutzenbewertung auf Basis einer beauftragten anwendungsbegleitenden Datenerhebung;
- (4) und ggf. die der „vollständigen Zusatznutzenbewertung“ im AMNOG-Prozess im Falle einer Überschreitung der Umsatzschwelle von aktuell 50 Millionen Euro (durchgeführt durch den G-BA und das IQWiG).

Beschäftigt man sich näher mit den **Methoden der Zusatznutzenbewertung**, die den Verfahren bei der EMA (Gewährung des Orphan Drug-Status), dem G-BA (AMNOG-Nutzenbewertung) und dem IQWiG (AMNOG-Dossier-Bewertung) zugrunde liegen, fällt jedoch auf, dass diese in einigen Punkten variieren. Eine Vielzahl von Analysen zeigen, dass verschiedene HTA-Organisationen (NICE, G-BA, IQWiG, etc.) sich ebenfalls in ihren Bewertungen von Arzneimitteln unterscheiden. Daraus wird deutlich, dass die verwendeten Methoden zur Bewertung des Zusatznutzens auf verschiedenen Wertemaßstäben basieren und somit zu unterschiedlichen Ergebnissen führen können. Während die Bewertungsmethodik der EMA bei der Gewährung des Orphan Drug-Status speziell auf die beschriebenen Besonderheiten (Seltenheit, Schwere der Erkrankung, etc.) bei der Evidenzgenerierung abgestimmt sind, verfolgen G-BA und insbesondere das IQWiG einen Methodenansatz des „One-Size-Fits-All“, der kaum Flexibilität vorsieht. Methodische Flexibilität ist angesichts der Schwere und Individualität der seltenen Erkrankungen sowie dem Fehlen von (zufriedenstellenden) Therapiealternativen jedoch dringend notwendig, um eine optimale Versorgung zu gewährleisten und gemäß dem Ansatz der „evidenzbasierten Medizin“ Fehlentscheidungen zu minimieren.<sup>9</sup>

#### 5. Bewertung der einzelnen Regelungen

Vor dem Hintergrund der Besonderheiten von Orphan Drugs und der Klarstellung der Missverständnisse in Bezug auf die Orphan Drug Regelung des AMNOG bewerten wir die einzelnen Maßnahmen des GKV-FinStG, die Arzneimittel gegen seltene Erkrankungen betreffen, wie folgt:

- Laut dem Entwurf eines GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes soll nun die **Umsatzschwelle von 50 Millionen auf 20 Millionen Euro** abgesenkt werden. Wie oben hergeleitet, hätte die Absenkung negative Folgen auf die Patientenversorgung und die Investitionsanreize in der Forschung und Entwicklung für Orphan Drugs. Für eine Vielzahl von Produkten könnten biopharmazeutische Unternehmen, die nie die 50 Millionen Euro Grenze erreicht hätten, ihren Zusatznutzen aufgrund der ungeeigneten AMNOG-Methodik zur Zusatznutzenbewertung mit hoher Wahrscheinlichkeit nicht belegen – trotz Anerkennung eines Zusatznutzen durch die Gewährung des Orphan Drug-Status durch die EMA. In der Folge hätte dies einen negativen Einfluss auf die Ausgangslage in der Preisverhandlung und dementsprechend auf die Anreize zur Erforschung und Vermarktung von Orphan Drugs. Hier muss immer in Betracht gezogen werden, dass diese Arzneimittel 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 einen speziellen **Zwangsabschlag für Kombinationstherapien** vor. Dieser zusätzliche Abschlag soll bei 20 Prozent des Erstattungsbetrages liegen und erhoben werden, wenn zwei neue Wirkstoffe in Kombination eingesetzt werden. **Auch dieser Kombinationsrabatt kann Orphan Drugs zusätzlich belasten**, denn gerade bei seltenen Krebserkrankungen sind Kombinationstherapien oft medizinischer Standard. Allerdings gibt es hier

gar keine Regelungslücke, denn Kombinationstherapien werden im AMNOG bereits heute adäquat berücksichtigt, indem sie nutzenadäquat und wertbasiert bepreist werden. Ein zusätzlicher Kombinationsrabatt wäre eine unnötige und schädliche Doppelregulierung, die Kombinationspräparate willkürlich gegenüber Monotherapien diskriminiert und Anreize zur Erforschung von Kombinationen mindert.

- Der Entwurf enthält eine Vielzahl weiterer neuer **Vorgaben für die Erstattungsbetrags-verhandlung**. So ist beispielsweise u.a. für Arzneimittel, die nach G-BA-Beschluss einen **nicht quantifizierbaren Zusatznutzen** haben, ein Erstattungsbetrag zu vereinbaren, der nicht zu höheren Jahrestherapiekosten führt als die zweckmäßige Vergleichstherapie (zVT), sofern diese patentgeschützt ist oder Unterlagenschutz besitzt. Dieser Vorschlag ist eine Abkehr vom Prinzip des internationalen gesundheitsökonomischen Standards des „Value Based Pricing“, auf dem das AMNOG bislang aufgebaut war. Warum ein Produkt, dem ein Zusatznutzen zugesprochen wurde, nicht mehr Kosten darf, als das Vergleichspräparat leuchtet nicht ein. Der Preis fällt so unter ein nutzenadäquates Niveau. Zudem wird hier vergessen, dass „nicht quantifizierbar“ von geringem bis erheblichem Zusatznutzen alles bedeuten kann. **Orphan Drugs wären von dieser Regelung besonders negativ betroffen**, denn bei diesen ist die Bewertung „nicht quantifizierbarer Zusatznutzen“ das dominierende Bewertungsergebnis im AMNOG. Das liegt eben gerade daran, dass bei diesen die oben beschriebenen Probleme und Zielkonflikte der Evidenzgewinnung besonders ausgeprägt sind und in der AMNOG-Bewertungsmethodik nicht ausreichend berücksichtigt werden. Das heißt, dass kaum ein Orphan Drug noch einen Premiumpreis wird erreichen können.
- Bei der Preisfindung sollen **Arzneimittelverwürfe** von über 20 Prozent aufgrund **unwirtschaftlicher Packungsgrößen** preismindernd berücksichtigt werden. Hersteller haben aus regulatorischen, (produktions-)technischen und praktischen Gründen nicht die Möglichkeit, patientenindividuelle Packungsgrößen anzubieten. Packungsgrößen stellen daher immer ein Kompromiss verschiedener Anforderungen dar. Dadurch lassen sich Verwürfe nie vollständig vermeiden. Auch diese Regelung **belastet Orphan Drugs zusätzlich** und ist unnötig, da die Vertragsparteien bereits den nötigen Spielraum besitzen, um mögliche Arzneimittelverwürfe in der Preisfindung zu berücksichtigen.

Wie gezeigt, ist jede dieser Maßnahmen schon für sich problematisch und birgt die Gefahr, die Patientenversorgung zu verschlechtern und Investitionsanreize zu vermindern. **Völlig unzumutbar werden diese Regelungen dadurch, dass sich die oben genannten Maßnahmen – zusätzlich zur geplanten Erhöhung des Herstellerrabatts, der Verlängerung des Preismoratoriums (bei einer Inflation von 7-8% leistet die forschende Industrie allein dadurch einen „Solidarbeitrag“ von rund 1,5 Milliarden Euro) und der Rückwirkung des Erstattungsbetrags – unkoordiniert kumulieren können. Die bisherige Förderung von Orphan Drugs würde sich durch die Kumulierung der Maßnahmen, die nicht nur, aber besonders häufig und stark bei Orphan Drugs auftritt, in eine Benachteiligung verkehren.**

Gerade vor dem Hintergrund des sogenannten unmet medical need (ungedeckter medizinischer Bedarf) hätte dies verheerende Folgen für die Betroffenen, da für den Großteil der seltenen Erkrankungen noch keine oder keine zufriedenstellende Behandlung zur Verfügung steht. **Die Vorreiterrolle Deutschlands beim Zugang zu Orphan Drugs in Europa steht auf dem Spiel.**

Darüber hinaus hat sich die Bundesregierung in ihrem Koalitionsvertrag das Ziel gesetzt, den **Forschungs- und Innovationsstandort** Deutschland - vor allem im pharmazeutischen Bereich - zu stärken. Dafür ist es wichtig, Innovationsanreize zu erhalten. Eine Absenkung der Umsatzschwelle sowie die weiteren Maßnahmen im AMNOG würde dieses positive Umfeld negativ beeinflussen. Das kann auch Auswirkungen auf Patientinnen und Patienten haben, für die es bisher keine Therapien gibt. Denn, bei nicht wenigen Orphan Drug-Herstellern handelt es sich um innovative, mittelständische Unternehmen, deren Innovationskraft durch solche Maßnahmen erheblich geschwächt würde. Im Jahr 2020 hatten beispielsweise die Hälfte aller Orphan Drug-Hersteller in Europa nur einen einzigen Wirkstoff auf dem Markt.<sup>10</sup>

Das GKV-FinStG dient der kurzfristigen Sicherung der Finanzierung der GKV im Jahr 2023. Bei der Reform des AMNOG und der Absenkung der Umsatzschwelle handelt es sich um Strukturreformen, die erst in einigen Jahren finanzwirksam werden könnten. Diese Regelungen gehören daher systematisch nicht ins GKV-FinStG. Auch andere Strukturreformen (z.B. Krankenhausreform) wurden ausgenommen. Strukturreformen zeichnen sich durch eine hohe Komplexität aus. Die Reform des AMNOG und der Absenkung der Umsatzschwelle sollten daher aus dem GKV-FinStG in ein eigenständiges Gesetzgebungsverfahren ausgelagert werden, um die Themen in der ausreichenden Tiefe diskutieren zu können.

**Die dargelegten Zusammenhänge zeigen, dass eine Verringerung der AMNOG-Umsatzgrenze und die weiteren geplanten Maßnahmen im vorliegenden Entwurf eines GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes das Einbüßen der Vorreiterrolle Deutschlands bei der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit Orphan Drugs 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.**

## 6. Anhang

### Orphan rate of availability (2017-2020)

The **rate of availability**, measured by the number of medicines available to patients in European countries as of 1<sup>st</sup> January 2022. For most countries this is the point at which the product gains access to the reimbursement list<sup>1</sup>, including products with limited availability.

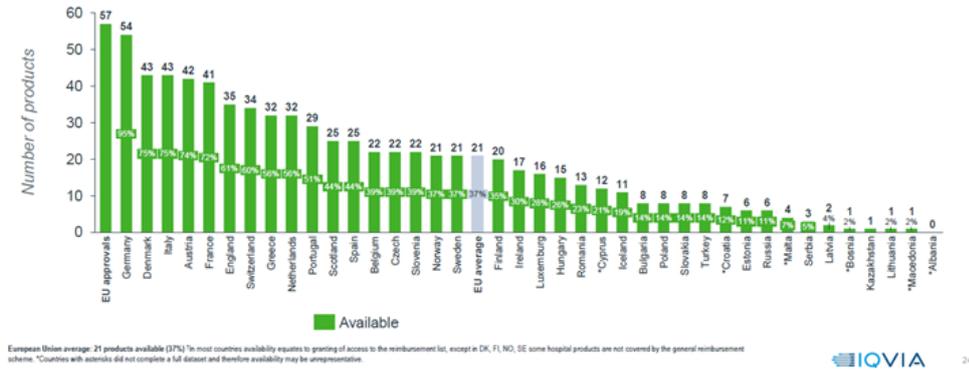


Abbildung 1: EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2021 Survey (April 2022)<sup>11</sup>

### Orphan time to availability (2017-2020)

The **time to availability** is the days between marketing authorisation and the date of availability to patients in European countries (for most this is the point at which products gain access to the reimbursement list<sup>1</sup>). The marketing authorisation date is the date of central EU authorisation in most countries, except for countries shown in italics where local authorisation dates have been used. Data is correct to 1<sup>st</sup> January 2022.

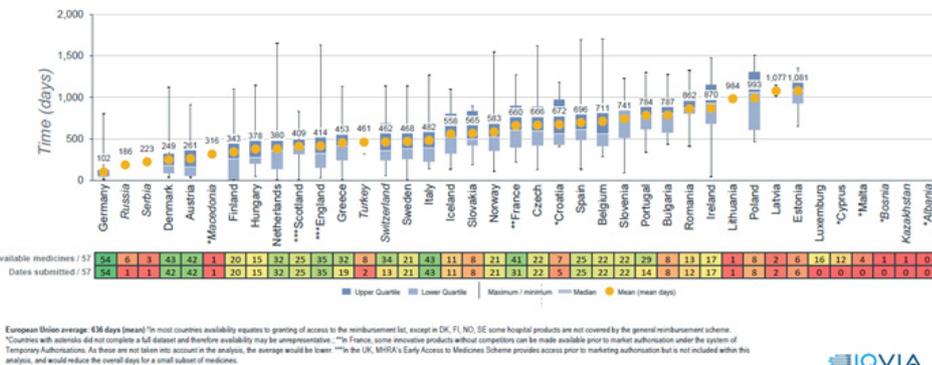


Abbildung 2: EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2021 Survey (April 2022)<sup>12</sup>

- <sup>1</sup>Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden. Abgerufen am 18.03.2022, via <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/?uri=celex%3A32000R0141>
- <sup>2</sup>Verband der forschenden Pharma-Unternehmen (2021): Zugelassene Orphan Drugs. Abgerufen am 08.08.2022, via <https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/datenbanken-zu-arzneimitteln/orphan-drugs-list>
- <sup>3</sup>Verband der Universitätsklinik (o.D.): Seltene Erkrankungen. Zahlen und Fakten. Abgerufen am 18.03.2022, via <https://www.uniklinika.de/themen-die-bewegen/seltene-erkrankungen-waisen-der-medizin/seltene-erkrankungen-in-zahlen-fakten/>
- <sup>4</sup>Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung (Arzneimittelneuordnungsgesetz – AMNOG). Abgerufen am 18.03.2022, via [https://www.bgbl.de/xaver/bgbl/start.xav?startbk=Bundesanzeiger\\_BGBl&bk=Bundesanzeiger\\_BGBl&start=//\\*\[@attr\\_id=%27bgbl110s2262.pdf%27\]#\\_\\_bgbl\\_\\_%2F%2F\\*%5B%40attr\\_id%3D%27bgbl110s2262.pdf%27%5D\\_\\_1647623530705](https://www.bgbl.de/xaver/bgbl/start.xav?startbk=Bundesanzeiger_BGBl&bk=Bundesanzeiger_BGBl&start=//*[@attr_id=%27bgbl110s2262.pdf%27]#__bgbl__%2F%2F*%5B%40attr_id%3D%27bgbl110s2262.pdf%27%5D__1647623530705)
- <sup>5</sup> Bundesregierung (2021). Mehr Fortschritt wagen. Bündnis für Freiheit, Gerechtigkeit und Nachhaltigkeit. Abgerufen am 06.04.2022, via <https://www.bundesregierung.de/resource/blob/974430/1990812/04221173eef9a6720059cc353d759a2b/2021-12-10-koav2021-data.pdf?download=1><sup>6</sup>
- <sup>7</sup> IQWiG (2022, 12. Januar). Orphan Drugs: Privileg des „fiktiven“ Zusatznutzens nicht gerechtfertigt. Abgerufen am 18.03.2022, via [https://www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite\\_\\_58496.html](https://www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite__58496.html)
- <sup>8</sup> Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden. Abgerufen am 18.03.2022, via <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/?uri=celex%3A32000R0141>
- <sup>9</sup> Schaefer R., Schlander M. (2018). Is the National Institute for Health and Care Excellence (NICE) in England more 'innovation-friendly' than the Federal Joint Committee (G-BA) in Germany? In: Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research, <https://doi.org/10.1080/1473716720191559732>. Fischer K. E., Heisser T., Stargardt T. (2016). Health benefit assessment of pharmaceuticals: An international comparison of decisions from Germany, England, Scotland and Australia, in: Health Policy. 2016 Oct;120(10):1115-1122. doi: 10.1016/j.healthpol.2016.08.001. Epub 2016 Aug 9 Ruof J. et al. (2017). Sind G-BA Beschlüsse für die Versorgungssteuerung geeignet? Analyse der Widersprüche von Leitlinienempfehlungen und G-BA Beschlüssen zur frühen Nutzenbewertung am Beispiel der Onkologie, Im Auftrag vom Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa), 22.07.2017, Hrsg. Health Econ. Aufgesucht am 26.03.2018. <https://www.vfa.de/de/wirtschaft-politik/artikel-wirtschaft-politik/unterschiedliche-perspektiveleitlinienempfehlungen-und-g-ba-beschluesse-kommen-zu-verschiedenen-ergebnissen.html>. Häussler B., Höer A., de Millas C. (2018). Arzneimittel-Atlas 2017 – Der Arzneimittelverbrauch in der GKV, Berlin. Cassel D., Ulrich V. (2021), BPI AMNOG-Daten 2021.
- <sup>10</sup> „Evidenzbasierte Medizin umfasst Werkzeuge und Strategien, die vor Fehlentscheidungen und falschen Erwartungen schützen sollen. Eine Fehlentscheidung kann in diesem Zusammenhang bedeuten, dass nützliche Interventionen nicht oder erst verspätet in die Versorgung kommen oder dass nutzlose oder gar schädliche Interventionen weite Verbreitung finden.“ IQWiG (2022), Allgemeine Methoden 6.1 vom 24.01.2022, S. 5. Ausführlich zur Notwendigkeit einer flexiblen Bewertungsmethodik vgl. Jäcker A. (2020), Das AMNOG-Dilemma der Frühen Nutzenbewertung – Ökonomische Überlegungen zu strittigen Methodenfragen, in: RPG – Recht und Politik im Gesundheitswesen, Band 26, Heft 2, 2020, S. 39-52.
- IGES (2022, 28. Februar). Tag der seltenen Erkrankungen: Innovationstreiber Orphan Drugs verändern Struktur der Pharmaindustrie. Abgerufen am 18.03.2022, via [https://www.iges.com/presse/2022/tag-der-seltenen-erkrankungen/index\\_\\_ger.html](https://www.iges.com/presse/2022/tag-der-seltenen-erkrankungen/index__ger.html)
- <sup>11</sup> Newton, M., Scott, K., Troein, P. (2022). EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2021 Survey. Abgerufen am 11.04.2022, via <https://www.efpia.eu/media/636821/efpia-patients-wait-indicator-final.pdf>
- <sup>12</sup> Newton, M., Scott, K., Troein, P. (2022). EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2021 Survey. Abgerufen am 11.04.2022, via <https://www.efpia.eu/media/636821/efpia-patients-wait-indicator-final.pdf>