

Stellungnahme zur Evaluation der Auswirkungen des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes (GKV-FinStG)

Über uns

Die Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen (ATSE)¹ 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.

Im Rahmen der Verabschiedung des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes im Herbst 2022 wurde auch ein Evaluationsauftrag an das Bundesministerium für Gesundheit (BMG) gerichtet, um die Folgen dieses Gesetzes, insbesondere auch in Bezug auf die Sparmaßnahmen gegenüber Orphan Drugs, zu bewerten, damit die Versorgung von Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen auch in Zukunft gesichert ist. Der Stichtag für diese Evaluation liegt am 31.12.2023. Im Rahmen des dazu vom BMG initiierten Stellungnahmeverfahrens im August 2023 möchte die ATSE die im Folgenden dargelegten Punkte deutlich machen:

Strukturelle Vernachlässigung von Orphan Drugs durch das GKV-FinStG

Die Fortschritte im Bereich Orphan Drugs waren in den letzten 20 Jahren ermutigend. Gerade deutsche Patientinnen und Patienten profitieren von Orphan Drugs: In den vergangenen Jahren konnte Deutschland einen Spitzenplatz in Europa hinsichtlich der schnellen und umfangreichen Zulassung von Arzneimitteln belegen und somit eine qualitativ hochwertige Gesundheitsversorgung gewährleisten.²

Das Inkrafttreten des GKV-FinStG hat ATSE-Unternehmen gerade deshalb in große Sorge versetzt. Die Maßnahmen führen dazu, dass die Besonderheiten von Orphan Drugs weniger Berücksichtigung im Arzneimittelmarkt-Neuordnungsgesetz (AMNOG) finden. Dies verschlechtert die Rahmenbedingungen und Anreize von Unternehmen, in die Forschung und Entwicklung (F&E) von Orphan Drugs zu investieren bzw. diese in Deutschland oder Europa einzuführen und schadet daher letztlich den Patientinnen und Patienten, die dringend auf Therapien für ihre Erkrankung warten. Die getroffenen Maßnahmen sind umso unverständlicher, weil der medizinische Bedarf in diesem Bereich – trotz der Erfolge der europäischen Orphan Drug Gesetzgebung und der Berücksichtigung der Besonderheiten von Orphan Drugs im AMNOG – noch riesig ist. Noch immer fehlen für 95% der seltenen Erkrankungen wirksame Therapien.³

Äußerst bedauerlich ist, dass ausgerechnet die Versorgung von sehr kleinen, vulnerablen Patientengruppen besonders stark durch das GKV-FinStG betroffen ist, wie z.B. die seltenen

¹ Die ATSE setzt sich aus den folgenden Unternehmen zusammen: Alexion, BioMarin, Bristol Myers Squibb, Chiesi, Takeda, UCB, Vertex.

² Newton, M., Scott, K., Troein, P. (2022). EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2021 Survey. Abgerufen am 07.07.2023, via https://www.efpia.eu/media/676539/efpia-patient-wait-indicator_update-july-2022_final.pdf.

³ European Commission. Horizon. Expanding research into rare diseases. Abgerufen am 30.08.2023, via <https://ec.europa.eu/research-and-innovation/en/horizon-magazine/expanding-research-rare-diseases>.

Erkrankungen. Wenngleich die ATSE-Mitglieder von allen Maßnahmen betroffen sind, soll in dieser Stellungnahme der Fokus insbesondere auf die Folgen der Herabsetzung der Orphan-Drug-Umsatzschwelle auf 30 Millionen Euro und die „Leitplanken“ für die Erstattungsbeitragsverhandlungen liegen.

Besondere Herausforderungen für Orphan Drugs bei der Nutzenbewertung

Aufgrund der kleinen Patientenpopulationen, der Schwere der Erkrankungen und da Kinder und Jugendliche überproportional von seltenen Erkrankungen betroffen sind, können Orphan Drugs nicht immer die Anforderungen an die Nutzenbewertung, die für häufigere Erkrankungen entwickelt wurden, erfüllen. Diese Besonderheiten berücksichtigen zurecht die European Medicines Agency (EMA) und das AMNOG. Die Absenkung der Umsatzschwelle wurde daher im Gesetzgebungsverfahren aufgrund der möglichen Auswirkungen auf die Patientenversorgung mehrfach kritisiert.

Im Rahmen der Vorgaben für Erstattungsbeiträge („Leitplanken“) für Arzneimittel wie Orphan Drugs, die vom Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) häufig einen „nicht-quantifizierbaren“ Zusatznutzen aufgrund der aus G-BA Sicht methodischen Mängel erhalten, stellen die eingeführten „Leitplanken“ nach Überschreiten der 30-Millionen-Euro-Umsatzgrenze eine immense Herausforderung dar. Im folgenden regulären Nutzenbewertungsverfahren ohne Berücksichtigung der Besonderheiten von Orphan Drugs kann häufig im Sinne der vom G-BA auferlegten Kriterien formal kein Zusatznutzen festgestellt werden. Im Sinne der „Leitplanken“ ist ein Erstattungsbetrag zu vereinbaren, der nicht zu höheren Jahrestherapiekosten führt als die zweckmäßige Vergleichstherapie (zVT), sofern diese patentgeschützt ist oder Unterlagenschutz besitzt. Hierbei wird ignoriert, dass mehrheitlich gar keine zVT existiert und das Orphan Drug die erste wirksame Therapie für die Patientinnen und Patienten ist.⁴ Wenn ein Arzneimittel, dem ein Zusatznutzen zugesprochen wurde, nicht mehr kosten darf als eine bestmögliche unterstützende Pflege der Patientinnen und Patienten, fällt der Erstattungsbetrag unter ein nutzenadäquates Niveau. Auf Grund der genannten Herausforderungen bei der Evidenzgenerierung sind Orphan Drugs von der Ausgestaltung der „Leitplanken“ in besonderem Maße negativ betroffen. Dieser Sachverhalt wird Orphan Drugs zukünftig vermehrt betreffen und gegebenenfalls zu einem Marktaustritt führen.

Die ATSE möchte ausdrücklich darauf hinweisen, dass eine vollständige Evaluation der Auswirkungen des GKV-FinStG im Bereich Orphan Drugs zum aktuellen Zeitpunkt nicht erfolgen kann, da pharmazeutische Unternehmen und die Selbstverwaltung an verbindliche Fristen des Gesetzgebers gebunden sind. Im Evaluationszeitraum von Januar 2023 bis August 2023 kann im Rahmen der gesetzlichen Fristen noch kein Verfahren auf der Grundlage der AMNOG-Änderungen im GKV-FinStG beendet sein. Dies verdeutlicht die untenstehende Abbildung und folgenden Ausführungen:

⁴ Verweis: Analyse von Orphan-Drug-Verfahren in der frühen Nutzenbewertung: RCTs versus best-verfügbare vergleichende Evidenz, siehe: Weiterführende Informationen.

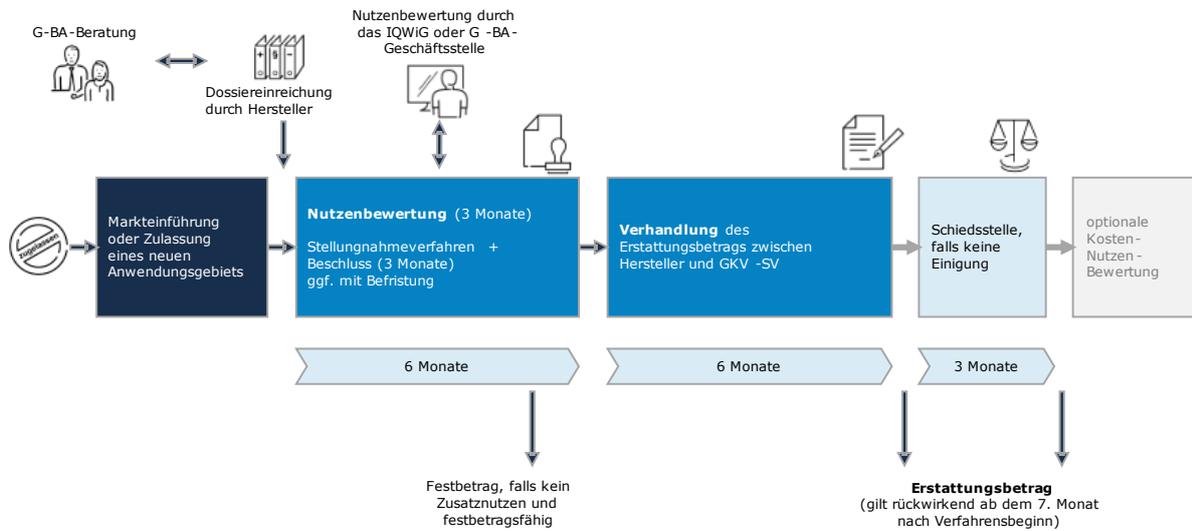


Abbildung 1: Quelle vfa

Die negativen Auswirkungen des GKV-FinStG auf die Patientenversorgung

Das Bundesministerium für Gesundheit ist mit den verbindlichen Fristen des AMNOG-Verfahrens vertraut. Es handelt sich um einen mindestens einjährigen Prozess. Von der Dossier-Einreichung bis zum vereinbarten Erstattungsbetrag bzw. (ggf. notwendigen) Schiedsstellenentscheidung vergehen formal 12-15 Monate. In der Praxis verlängert sich dieser Zeitrahmen regelmäßig. Mit Blick auf die vergangenen acht Monate zeigt sich, dass seit dem Inkrafttreten des GKV-FinStG kein einziges Arzneimittel den vollständigen Prozess durchlaufen haben kann. Nur wenige Orphan Drugs haben einen Nutzenbewertungsbeschluss unter der neuen Rechtslage erhalten. Dabei ist noch nicht berücksichtigt, dass auch der G-BA und die Mitgliedsinstitutionen zusätzliche Zeit benötigen, sich auf die neue Rechtslage einzustellen.

Gleiches gilt für die Reaktionen von pharmazeutischen Unternehmen auf das GKV-FinStG. Erfahrungsgemäß ist das Inverkehrbringen neuer Arzneimittel ein mehr als 10 Jahre geplanter, globaler Prozess. Es stellt die ATSE-Unternehmen dabei vor enorme Herausforderungen, regelmäßig auf kurzfristige Gesetzesänderungen zu reagieren. Mit Blick auf lange Forschungszyklen wirken sich die Reaktionen der Unternehmen mitunter erst Jahre später aus, etwa die Entscheidung, eine bestimmte Studie unter den neuen Rahmenbedingungen nicht zu starten. Laufende Studien können kaum noch adjustiert werden, um auf die veränderten Bedingungen zu reagieren. Es könnte daher in Ausnahmefällen dazu kommen, dass Arzneimittel nicht im deutschen Markt eingeführt werden oder aus der Versorgung zurückgezogen werden. Heute schon absehbare Konsequenzen basieren auf der Antizipation von Folgen des Gesetzes.

Es ist erschreckend, dass solche Folgen bereits heute sichtbar sind. So haben Hersteller bereits vier Produkte in Folge des GKV-FinStG in Deutschland nicht eingeführt. Der vfa hat durch eine Mitgliederbefragung eine Vielzahl weiterer bereits eingetretener negativer Folgen empirisch ermittelt (vgl. dazu ausführlich die Stellungnahme des vfa). Auch die Konferenz der Gesundheitsministerinnen

und -minister sieht in den regulativen Änderungen für Orphan Drugs potenzielle Versorgungsempässe und bittet um eine aufmerksame Beobachtung der Folgeabschätzungen.⁵ Das volle Ausmaß der negativen Folgen des GKV-FinStG auf die Patientenversorgung wird sich jedoch erst mit der Zeit zeigen. Eine kluge Evaluation sollte dies berücksichtigen.

Notwendigkeit einer kontinuierlichen Evaluation

Insbesondere die Absenkung der Umsatzschwelle für Orphan Drugs von 50 auf 30 Millionen Euro kann noch nicht bewertet werden: Der G-BA hat erst am 1.7.2023 angefangen, die Orphan Drugs, die bereits im Markt verfügbar sind und die neue Umsatzschwelle überschritten haben, aufzurufen.⁶ Das letzte dieser Arzneimittel wird am 2.1.2024 mit dem Nutzenbewertungsverfahren starten. Formal endet der Prozess somit erst Anfang 2025. Vor diesem Hintergrund kann keine sachgerechte Bewertung im September 2023 erfolgen.

Die ATSE fordert daher, dass das Bundesministerium für Gesundheit - über den in § 130b Abs. 11 SGB V vorgesehenen Evaluationsrahmen hinaus - die Folgen des GKV-FinStG aufmerksam beobachtet. Zumindest eine zweite Evaluation Ende 2024 wäre dringend erforderlich. Dies gilt insbesondere für die Folgen des GKV-FinStG für Orphan Drugs, ist aber auch für die übrigen Maßnahmen anzuregen, da dort ähnliche Probleme gelagert sind. Sinnvoll wäre es, die Evaluation zu verstetigen und unbegrenzt einmal jährlich durchzuführen.

Mehr Forschungssicherheit und -anreize für die pharmazeutische Industrie

Die Versorgung von Patientinnen und Patienten mit Orphan Drugs bewegt sich aktuell und in Zukunft in einem Spannungsfeld: Orphan Drugs sind Gegenstand zahlreicher Regulierungen sowohl national durch das GKV-FinStG als auch auf EU-Ebene wie durch das EU-HTA und das EU-Pharma-Paket. In der Gesamtschau führen diese anstehenden Änderungen zu enormen Unsicherheiten für die F&E von Orphan Drugs mit unbekanntem Auswirkungen auf die Versorgung.

Die Orphan Drug-Verordnung ((EG) Nr. 141/2000) stellt seit über 20 Jahren klar: „Patienten mit seltenen Leiden müssen dasselbe Recht auf gute Behandlung haben wie andere Patienten. Daher müssen Erforschung, Entwicklung und Inverkehrbringen geeigneter Arzneimittel durch die pharmazeutische Industrie gefördert werden.“⁷

Es sollte daher weiter Ziel sein, die Forschungsanreize zu verbessern und mehr Behandlungsoptionen für Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen verfügbar zu machen, statt diese für kurzfristige und nicht nachhaltige Sparmaßnahmen zu riskieren. Hierfür steht die ATSE als Gesprächspartnerin jederzeit zur Verfügung.

⁵ Beschluss der Gesundheitsministerkonferenz vom 30.01.2023. Abgerufen am 30.08.2023, via <https://www.gmkonline.de/Beschluesse.html?id=1342&jahr=2023>.

⁶ Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über die vorläufige Aussetzung von Verfahren der Nutzenbewertung von Arzneimittel nach § 35a Absatz 1 Satz 13 SGB V „Orphan Drugs über 30 Millionen Euro“ vom 2. Februar 2023.

⁷ Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden.

Weiterführende Informationen:

- [Therapiekosten von Orphan Drugs vor und nach Einführung des AMNOG](#)
- [Analyse von Orphan-Drug-Verfahren in der frühen Nutzenbewertung: RCTs versus best-verfügbare vergleichende Evidenz](#)

Kontakt:

ATSE-Sekretariat
RPP Deutschland GmbH
Dorotheenstraße 37, 10117 Berlin
atse@seltene-erkrankungen.com
+49 (0) 30 84 71 20 420