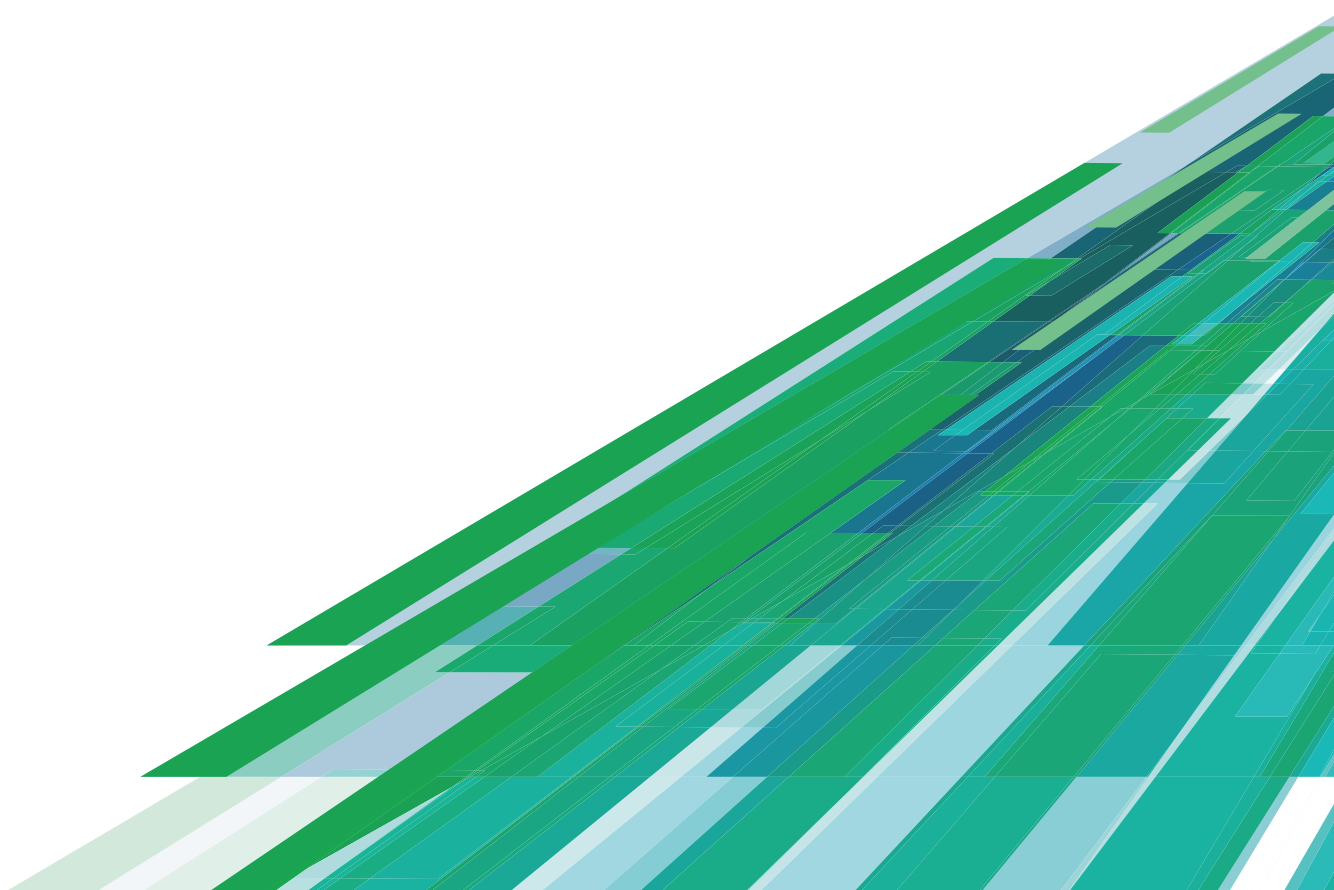


POSITIONSPAPIER

# PERSPEKTIVEN

für die Arzneimittelversorgung



# PERSPEKTIVEN FÜR DIE ARZNEIMITTELVERSORGUNG

Zur langfristigen Sicherung der Versorgungsqualität in Deutschland sollte ein angemessener Regelungsrahmen geschaffen werden, um die Patientinnen und Patienten vor Risiken zu schützen und gleichzeitig den Weg für neue Behandlungsoptionen bestmöglich zu ebnen.

2011 hat das Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) erstmals die Nutzenbewertung und darauf basierende Preisverhandlungen von neuen Arzneimitteln eingeführt. Es war von Beginn an als lernendes System angelegt. 10 Jahre später zeigt sich ein drängender Weiterentwicklungsbedarf, denn immer mehr Arzneimittel werden beschleunigt oder unter besonderen Umständen auf Basis geringer Daten zugelassen, was eine Nutzen-Risiko-Abwägung erschwert. Neuerdings kommt es sogar dazu, dass Arzneimittel noch vor der Zulassung bereits in den deutschen Markt drängen. Zugleich werden für neue Therapien immer höhere Preise aufgerufen. Dabei drohen die berechtigten Anforderungen an Patientensicherheit, Qualität und Bezahlbarkeit zunehmend in den Hintergrund zu geraten. Diese dürfen gerade angesichts der großen Hoffnungen, die schwerkranke Patientinnen und Patienten in neue Therapien setzen, nicht vernachlässigt werden.

**IMPRESSUM:**

Herausgeber: AOK-Bundesverband GbR  
KomPart Verlagsgesellschaft mbH & Co. KG,  
Rosenthaler Straße 31, 10178 Berlin  
Redaktion: XXXX  
Creative Director: Sybilla Weidinger

Stand: Oktober 2020

## Mehr Qualität und Sicherheit für Patientinnen und Patienten

Aktuell drängen verstärkt neuartige Therapien in den Markt, bei denen nur geringe Evidenz vorhanden ist, deren Jahrestherapiekosten jedoch die Millionengrenze erreichen oder sie sogar überschreiten.

Im Falle von Zolgensma®, einer Gentherapie zur Behandlung der Spinalen Muskelatrophie, wurde auf eine Anwendung noch vor der europäischen Marktzulassung gedrängt. Mit dem Arzneimittel Spinraza® existierte bereits eine zugelassene Behandlungsmethode als Alternative. Die Anwendung von Zolgensma® in Deutschland musste deshalb über einen Einzelimport beschafft werden und war mit haftungsrechtlichen Risiken für die behandelnden Ärzte verbunden. Die Erfahrungen mit dieser in den USA beschleunigt zugelassenen Gentherapie sind begrenzt. Der G-BA, Ärzte und Kassenverbände befürchteten, dass dieser Fall zur Blaupause für andere Hersteller werden könnte und künftig noch mehr neue Arzneimittel im Vorgriff auf die europäische Zulassung gewinnbringend zum Einsatz kommen könnten und damit die bestehenden Instrumente der Qualitätssicherung untergraben.

Das stellt die behandelnden Ärzte sowie die gesetzlichen Krankenkassen vor ganz neue Herausforderungen.

### Einsatz vor Zulassung nur im Härtefallprogramm

Der Einsatz neuer Therapien noch vor der europäischen Zulassung ist außerhalb von Studien zum Schutz der Patienten auf besondere Einzelfälle begrenzt.

Um Fehlanreize zu vermeiden und der Zulassung nicht vorzugreifen, sollte eine Serie von Anwendungen eines neuen Arzneimittels noch vor der europäischen Zulassung jedoch nur im Rahmen eines Härtefallprogramms erfolgen, bei dem unter Studienbedingungen eine qualitätsgesicherte Anwendung gesichert wird. Dieses ist vom Hersteller verpflichtend aufzulegen. Der Behandlungsverlauf sollte dabei genau dokumentiert werden. Die Kostentragung für die Arzneimitteltherapie muss weiterhin im Verantwortungsbereich des Herstellers verbleiben.

### Qualitätsgesicherter Zugang bei eingeschränkter Datenbasis

Die Grundlagen für eine bessere Datenlage bei beschleunigt und unter besonderen Umständen zugelassenen Arzneimitteln wurden mit dem Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) geschaffen. Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) wurde ermächtigt, bei diesen Arzneimitteln für die Nutzenbewertung anwendungsbegleitende Datenerhebungen von den Herstellern einzufordern. Diese Regelung sollte für alle Arzneimittel offenstehen und nicht auf anwendungsbegleitende Datenerhebungen beschränkt bleiben, sondern auch adäquate klinische Studien nach der Zulassung umfassen.

Ebenso wichtig für den Schutz der Patientinnen und Patienten ist es, dass Arzneimittel mit unsicherer Evidenz ausschließlich in qualifizierten und auf das Krankheitsbild spezialisierten Einrichtungen eingesetzt werden und auf Behandlungsfälle mit besonders hohem medizinischem Bedarf begrenzt bleiben. Die Vorgaben für die Einrichtungen und behandelnden Ärzte sollten vom G-BA vor dem Marktzugang festgelegt und benannt werden. Entsprechend den wachsenden Erkenntnissen über den (Zusatz)Nutzen und die Behandlungsrisiken kann der Zugang für weitere Patientengruppen geöffnet werden.

### **Vollumfängliche Nutzenbewertung**

Bislang haben Arzneimittel für seltene Erkrankungen (Orphan Drugs) einen Sonderstatus in der frühen Nutzenbewertung: Erst wenn die Umsatzgrenze von 50 Millionen Euro überschritten ist, wird geprüft, ob tatsächlich ein Zusatznutzen belegbar ist. Dieser Sonderstatus sollte wegfallen, auch wenn künftig zusätzlich zu den ambulanten Ausgaben auch die stationären Umsätze in die Berechnung der Umsatzgrenze einfließen. Es wäre ein echter Gewinn für die Patientensicherheit, wenn zukünftig alle neuen Arzneimittel direkt mit Marktzugang die bewährte vollumfängliche Nutzenbewertung durchlaufen.

### **Instrumente einer fairen und dem Nutzen angemessenen Preisbildung**

Andere europäische Staaten klären für ein neues Arzneimittel mit Marktzugang, ob es ergänzend zu bestehenden Therapien nötig ist, für welche Patientengruppen es eingesetzt werden kann, welche qualitativen Anforderungen die behandelnden Ärzte erfüllen müssen und zu welchen Konditionen eine Kostenübernahme erfolgt. Nur in Deutschland ist das anders. Hier wird jedes Arzneimittel unmittelbar nach der europäischen Zulassung in voller Anwendungsbreite zum vom Hersteller gewünschten Preis von der Gesetzlichen Krankenversicherung erstattet.

Dabei können die Pharmahersteller ihre Preise völlig frei festsetzen. Dies führt dazu, dass die patentgeschützten Arzneimittel in Deutschland mit einem Versorgungsanteil von nur 6,5 Prozent für fast 50 Prozent der Arzneimittelausgaben der GKV (2019: 21 von 43,9 Milliarden Euro) sorgen.

Die Mondpreise beim Markteintritt zeigen auch über das erste Jahr und die Preisverhandlungen hinaus Wirkung, weil die erwarteten Preissenkungen aus den zentralen Verhandlungen vorab eingepreist werden. So kosten selbst Arzneimittel ohne Zusatznutzen inzwischen 70 Prozent mehr als die wirtschaftlichste Vergleichstherapie. Die Ankündigung der

Eine Analyse der Umsätze der Top 22 der globalen börsennotierten Pharmaunternehmen von Ernst und Young zeigt für das Jahr 2018 eine EBIT-Marge (Gewinne gemessen am Ertrag vor Zinsen und Steuern) von 25,6 Prozent. Zum Vergleich: die EBIT-Marge der Automobilhersteller lag in 2018 bei 6,3 Prozent. Der Gesamt-Pharmaumsatz der Top-Unternehmen lag bei rund 461 Milliarden Euro.

USA, Deutschland ebenso wie viele andere Länder als Referenzpreisland für Arzneimittel nutzen zu wollen, wird die Preise in Deutschland zusätzlich in die Höhe treiben.

### **„Pay for performance“ ist keine Lösung für GKV-Erstattungsbeträge**

Zur Lösung der stetig steigenden Preisspirale wird von pharmazeutischen Unternehmen immer wieder eine Preisgestaltung vorgeschlagen, die sich an klinischen Endpunkten orientiert. Besser bekannt ist dieses Modell unter dem Begriff „pay for performance“. Ein solcher, ergebnisorientierter Erstattungsbetrag ist jedoch keine Lösung. Im Gegenteil: Diese Art der Preisgestaltung kaschiert – ebenso wie Ratenzahlungen über einen Zeitraum oder ein nachgelagerter Rabatt – lediglich die Mondpreise und führt zu intransparenten Arzneimittelkosten. Solche Modelle sind ebenso wie vertrauliche Erstattungsbeträge deshalb abzulehnen. Konzeption, Umsetzung und Abrechnung dieser komplexen Vereinbarungen erfordern ein aufwändiges, individuelles Monitoring und erhöhen den Umsetzungsaufwand erheblich. Um das Problem der Mondpreise in den Griff zu bekommen, müssen stattdessen die Rahmenbedingungen des Marktzugangs und der Preisbildung für neue Arzneimittel für den deutschen Markt angepasst werden.

### **Rückwirkung und Interimspreis für einen fairen Ausgleich**

Der verhandelte Erstattungsbetrag, bei dem Preis und Nutzen in einem sinnvollen Verhältnis zueinanderstehen, greift erst nach 12 Monaten – und damit viel zu spät. Deshalb sollte der verhandelte Erstattungspreis rückwirkend zum ersten Tag bzw. ab Zulassungserweiterung gelten und das Preisbildungsverfahren beschleunigt, d.h. auf üblicherweise drei Monate gekürzt werden.

Um eine Fehljustierung durch einen frei gesetzten Preis des Herstellers zu vermeiden, sollte vor der ersten Nutzenbewertung ein Interimspreis für neue Arzneimittel festgelegt werden, der zunächst bis zur Bestimmung des ersten verhandelten Erstattungsbetrags für die GKV angewendet wird. Dieser könnte aus den durchschnittlichen Kosten der zweckmäßigen Vergleichstherapie beziehungsweise Therapiekosten abgeleitet werden. Der Interimspreis kann eine Überzahlung in der Markteintrittsphase verhindern.

Durch die Kombination von Rückwirkung und Interimspreis entsteht ein fairer Ausgleich sowohl für die GKV als auch für den pharmazeutischen Hersteller. Im Falle eines beträchtlichen Zusatznutzens erhält der Hersteller im Nachgang rückwirkend ein zusätzliches Umsatzplus, in Fällen ohne Zusatznutzen jedoch nicht.

## Europäische Kooperation stärken

Ein wichtiger Faktor der Erstattungsbetragsverhandlungen ist auch der jeweilige Abgabepreis in anderen europäischen Ländern. Von dort ist jedoch oft nur der Listenpreis bekannt. Gleiches gilt für die europäischen Preise vergleichbarer Arzneimittel, welche für die Verhandlungen zu Arzneimitteln mit Zusatznutzen in den deutschen Verhandlungen berücksichtigt werden. Durch eine verstärkte Kooperation mit anderen europäischen Ländern könnte mehr Transparenz über die tatsächlichen Abgabepreise geschaffen werden. Hierfür bedarf es einer klaren rechtlichen Regelung über die Möglichkeit und Ausgestaltung des Austauschs auf europäischer Ebene. Erst dann sollten die Abgabepreise sowohl für das Arzneimittel als auch für die vergleichbaren Arzneimittel aus anderen europäischen Ländern in das deutsche Verfahren eingehen.

Darüber hinaus kann im Einzelfall vor allem bei Arzneimitteln für seltene Erkrankungen – eine Beteiligung der deutschen GKV an einer bestehenden länderübergreifenden europäischen Zusammenarbeit zur Verhandlung eines gemeinsamen Erstattungsbetrags, beispielsweise der BeNeLuxAI-Initiative, sinnvoll sein. Gemeinsame Verhandlungen verbessern das Wissen aller Beteiligten um den Nutzen einer Therapie und könnten so die Verhandlungsposition der Kostenträger der einzelnen Länder stärken. Insbesondere, wenn untereinander Transparenz über Rabatte und Erstattungsbeträge hergestellt wird. Daher sollte eine entsprechende Option für die GKV-Verhandlungen gesetzlich ermöglicht werden, bei der ein transparenter Erstattungsbetrag erhalten bleibt.

## Effizienzreserven in der Versorgung mit neuen Arzneimitteln

Mit der Streichung der Option zur Bildung einer Festbetragsgruppe für patentgeschützte Arzneimittel fehlt außerhalb der Erstattungsbetragsverhandlungen ein wettbewerblicher Anreiz. Um ihn zu kompensieren, ist ein Abschlag auf den Zweitanbieter einer Wirkstoffgruppe sinnvoll, wenn dieses Präparat keinen Zusatznutzen gegenüber dem ersten Präparat derselben Wirkstoffgruppe aufweist. Dies wird in Österreich bereits praktiziert.

Darüber hinaus könnte der G-BA wirkstoffgruppenbezogen die Erstattungspflicht außerhalb von Standardtherapien freistellen, so dass bei vergleichbaren Arzneimitteln für entsprechende Wirkstoffgruppen nach definierten Anwendungsgebieten ein krankenkassenindividuelles Portfolio außerhalb eines verpflichtenden, einheitlichen Basiskatalogs angeboten werden kann. Dabei sollten auch nicht vertragsgebundene Arzneimittel in besonders gelagerten Anwendungsfällen weiterhin für alle Patientinnen und Patienten verfügbar bleiben.



Bei Kymriah® und Yescarta®, zwei neuen Gentherapeutika in der Onkologie, hat sich Belgien nur für eines der beiden Produkte entschieden.

### **Gesetzesgrundlage für unterjährig zugelassene Arzneimittel in der stationären Anwendung**

Werden hochpreisige, stationär eingesetzte Arzneimittel unterjährig zugelassen, gibt es keine Gesetzesgrundlage, die deren Vergütung regelt. Nach geltendem Recht ist eine zusätzliche Vergütung für diese Arzneimittel nicht vorgesehen. Die Vergütung wird deshalb nach der Logik des DRG-Systems erst im Folgejahr vereinbart. Das ist für die Krankenhäuser problematisch, weil diese Arzneimittel dann nur auf Basis von Einzelfallvergütungen erstattet werden können. Besser geeignet wären zwei- oder dreiseitige Übergangsverträge zwischen den Krankenkassen, dem pharmazeutischen Hersteller und zugelassenen spezialisierten Krankenhäusern, die erst enden, wenn ein Entgelt für eine neue Untersuchungs- und Behandlungsmethode vereinbart wird oder die Kosten im DRG-System über Fallpauschalen sachgerecht vergütet werden.

### **Weiterentwicklung notwendig**

Die aktuellen Herausforderungen in der Arzneimittelversorgung mit neuartigen Therapien zeigen, dass die gesetzlichen Grundlagen angepasst werden müssen. Schon zur Einführung des AMNOG im Jahr 2011 war klar, dass es sich um ein lernendes System handeln wird. Angesichts neuer Herausforderungen ist es an der Zeit, neue Perspektiven für eine zukunftsweisende bestmögliche Arzneimittelversorgung zu entwickeln. Dabei müssen Qualitätssicherung und Patientensicherheit wieder stärker in den Vordergrund rücken und die Instrumente einer fairen Preisbildung nachgebessert werden.

[www.aok-bv.de](http://www.aok-bv.de)

