

Qualität sichern – Einsparungen heben

Ein Beitrag der GWQ im Vorfeld der Bundestagswahl 2021

September 2021



Übersicht über die Vorschläge der GWQ

| | |
|--|----|
| Executive Summary | 3 |
| Qualitativ hochwertige Arzneimitteltherapie für die Zukunft sichern | 6 |
| 1. Freie Preisbildung in den ersten 12 Monaten nach Zulassung aufheben | 7 |
| 2. ATMP-Preise am Nutzen orientieren | 10 |
| 3. Neuer Preismechanismus für Arzneimittel mit Orphan Drug-Status..... | 12 |
| 4. Neue Preisfindungsstrategien für Kombinationstherapien mit Arzneimitteln..... | 15 |
| 5. Verordnungseinschränkungen durch den G-BA nutzen | 18 |
| 6. Automatischen Austausch von Biologika ermöglichen | 20 |
| 7. Liefersicherheit bei Generikarabattverträgen erhöhen | 21 |
| 8. Nicht-zugelassene Therapieallergene von der Erstattungsfähigkeit ausschließen | 22 |
| 9. Pay-for-Performance mit dem Risikopool koppeln | 24 |
| 10. Verträge nach § 130a Abs. 8a SGB V abschaffen | 25 |



Executive Summary

1. Freie Preisbildung in den ersten 12 Monaten nach Zulassung aufheben

Die freie Preisbildung bei Arzneimitteln im ersten Jahr nach Markteintritt führt regelmäßig zu einer Überzahlung des Nutzens einer Therapie und zu überzogenen Preisen der Hersteller. Der deutlich geringere Verhandlungspreis entfaltet nach einem Jahr in einigen Indikationen (z.B. Hepatitis C) nur noch eine eingeschränkte Wirkung, da ein Gros der Patienten bereits behandelt wurde.

Vorschlag:

- Aufhebung der freien Preisbildung in den ersten 12 Monaten nach Zulassung, d.h. Rückzahlung der Differenz aus freiem Preis und verhandeltem Preis, sobald der mit den Kassen verhandelte Preis feststeht.
- Alternativ zur vollständigen Rückwirkung des Erstattungspreises erfolgt dessen anteilige Rückwirkung in den Fällen, in denen die freie Preisbildung den verhandelten Erstattungspreis um mehr als 15% übersteigt.

2. Preise für Gentherapien / teure Einmaltherapien am Nutzen orientieren

Die nur für eine kleine Patientenzahl genutzten Advanced Therapeutic Medicinal Products (ATMPs) sind vielfach hochpreisige Zell- oder Gentherapien mit Orphan-Drug-Status¹, welche in der Regel als Einmalgabe angewendet werden und verstärkt auf den Markt gelangen.

Vorschläge:

- Aufhebung der freien Preisbildung in den ersten 12 Monaten nach Zulassung für Einmaltherapien (100 % Rückerstattung auf den verhandelten Erstattungsbetrag für Jahr 1).
- Betrachtung längerer Zeiträume abseits eines Jahreszeitraums (wie jetzt im AMNOG vorgesehen), um therapeutische Effekte und Kosten von alternativen Interventionen besser abschätzen zu können.

3. Neuer Preismechanismus für Arzneimittel mit Orphan-Drug-Status

Die Preisfestsetzung bei Orphan Drugs muss aufgrund ihres immer größer werdenden Kostenanteils dringend überarbeitet werden.

Vorschläge:

- Orphan-Umsatzschwelle, ab der eine „echte“ Nutzenbewertung beim G-BA stattfindet, von 50 Mio. Euro auf 20 Mio. Euro reduzieren.
- Systematischer Abschlag bei europäischen Preisen als Preisanker.
- Implementierung eines indikationsübergreifenden Preisbenchmarks für Orphan Drugs.

4. Neue Preisfindungsstrategien für Kombinationstherapien mit Arzneimitteln

Unter Kombinationstherapien versteht man den gleichzeitigen Einsatz von mehreren Arzneimitteln. Kombinationstherapien führen insbesondere in der Onkologie zu einer immensen Kostenerhöhung, ohne dass diesen Kosten ein entsprechender Outcome für den Patienten gegenübersteht.

¹ Orphan Drug: von englisch orphan = „die Waise“ – Arzneimittel gegen seltene Leiden

**Vorschlag:**

- Im Rahmen von hochpreisigen Kombinationstherapien wird ein zusätzlicher Pflichtabschlag eingeführt, um in späten Therapielinien die Gesamtkosten der Therapie zu reduzieren und so ein Gleichgewicht zwischen Kosten und Nutzen herzustellen.

5. Verordnungseinschränkungen durch den G-BA nutzen

Aufgrund weit gefasster Zulassungen werden die im Nutzenbewertungsverfahren für notwendig erachteten Vortherapien häufig nicht ausgeschöpft. Vielmehr werden im Versorgungsalltag im erheblichen Umfang direkt neue kostenintensive Alternativen verordnet.

Vorschläge:

- Anwendung des Instruments der Therapiehinweise bei Arzneimitteln mit breiter Zulassung, bei denen der G-BA einschränkende Konditionen (z.B. Vorbehandlungen) in der Frühen Nutzenbewertung festgestellt hat.
- Klarstellung seitens des Gesetzgebers, dass entsprechende Einschränkungen der Verordnungsfähigkeit durch den G-BA möglich und aufgrund des Wirtschaftlichkeitsgebots nach §§ 2 und 12 SGB V zulässig sind.

6. Automatischen Austausch von Biologika ermöglichen

Um das geschätzte Einsparpotenzial von rd. einer Mrd. Euro im Bereich der Biosimilars zu heben, ist ein automatischer Austausch von Biologicals gegen ihre Biosimilars notwendig. Der Erhalt europäischer Produktionsstandorte soll in den Vergaberichtlinien entsprechend gewürdigt werden müssen.

Vorschläge:

- Automatischer Austausch von Biologicals durch ihre Biosimilars.
- Bei Vertragsvergabe sollte mindestens ein Vertragspartner in der EU produzieren.

7. Liefersicherheit bei Generikarabattverträgen erhöhen

Um Engpässe bei der Lieferfähigkeit zukünftig zu begrenzen, sollten die Krankenkassen zu einer Mehrfachvergabe verpflichtet werden, sofern der Markt dies ermöglicht.

Vorschlag:

- Bei mindestens fünf Generikaherstellern zwingende Vergabe an zumindest zwei Marktteilnehmer (ohne Importeure).

8. Nicht-zugelassene Therapieallergene von der Erstattungsfähigkeit ausschließen

Therapieallergene werden über einen längeren Zeitraum für Allergiker zur spezifischen Immuntherapie verordnet. Immer noch ist die Hälfte der Therapieallergene, die von der Therapieallergene-Verordnung (TAV) seit 2008 betroffen sind, ohne Studienaktivität. Nur ein Präparat hat eine Zulassung erhalten, der Rest befindet sich immer noch im Zulassungsverfahren.

Daher sollte die Erstattungsfähigkeit nach 13 Jahren Übergangsfrist nun enden. Selbstverständlich bleiben seltene Therapieallergene weiterhin ohne Zulassung erstattungsfähig.

**Vorschlag:**

- Ausschluss von der Erstattungsfähigkeit für alle nicht zugelassenen Therapieallergene, die der TAV unterliegen. Umsetzung mit maximal einjähriger Übergangsfrist.

9. Pay-for-Performance mit dem Risikopool koppeln

P4P-Verträge realisieren hohe Rabatte oftmals erst nach Jahren, da in den Verträgen lange Nachbeobachtungszeiträume vereinbart werden und zusätzlich immer etwas Zeit vergeht, bis die benötigten Abrechnungsdaten (ambulante Diagnosen, Krankenhausabrechnungen) auch bei den Kassen vorliegen. Dies führt zu Verzerrungen und Fehlanreizen im Risikopool.

Vorschlag:

- Optimierung des Risikopools, damit langfristige innovative Vertragsmodelle wie P4P-Verträge auch Berücksichtigung finden.

10. Verträge nach § 130a Abs. 8a SGB V abschaffen

Im Bereich Zytostatika und parenterale Ernährung hat das AMVSG 2017 dazu geführt, dass große Einsparungen über Direktverträge mit Apotheken nicht mehr realisiert werden können.

Vorschlag:

- Ersatz des wirkungslosen § 130a Abs. 8a SGB V durch die Möglichkeit, entsprechende Rabattverträge abzuschließen, verbunden mit einem Substitutionsgebot in der Apotheke.



Qualitativ hochwertige Arzneimitteltherapie für die Zukunft sichern

Die GWQ steht für eine qualitativ hochwertige und moderne Arzneimitteltherapie. Daher begrüßt sie den unmittelbaren Zugang der Versicherten zu Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Jeder Patient muss auch weiterhin auf Basis des GKV-Leistungskatalogs die für ihn notwendige und zielgerichtete Therapie erhalten.

Durch Maßnahmen des Gesetzgebers ist es in den vergangenen Jahren gelungen, im Arzneimittelbereich Wirtschaftlichkeitsreserven zu heben und dem verschreibenden Arzt durch die Frühe Nutzenbewertung ein Instrument zu geben, neue Arzneimittel in ihrer Relevanz für die Therapien seiner Patienten einzuschätzen.

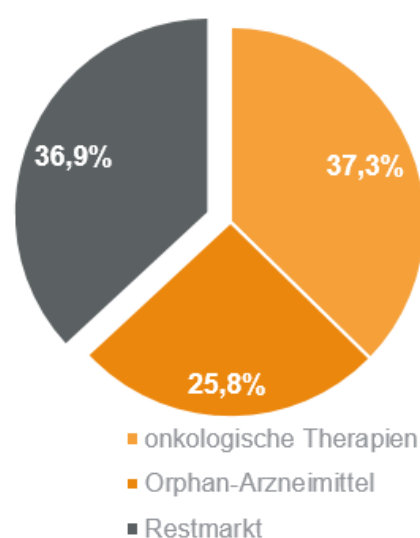
Dennoch: Die Arzneimittelkosten steigen stetig an. Dabei entfallen 50 % der gesamten Arzneimittelausgaben auf immer weniger Versicherte, auch weil Hersteller von neuen Arzneimitteln Preise in nie geahnten Höhen aufrufen. So lagen die Durchschnittskosten für neu eingeführte Arzneimittel im Jahr 2010 bei 40.000 EUR, im Jahr 2019 lagen die durchschnittlichen Kosten für neu eingeführte Arzneimittel bei 150.000 EUR² (!). Gleichzeitig geraten Krankenkassen nicht zuletzt durch die COVID-19-Pandemie unter erheblichen Kostendruck.

Getriggert werden die Ausgaben³ insbesondere durch Steigerungen im Markt der Patentarzneimittel (Zuwachs von ~ 30 % über die letzten 4 Jahre), während die Steigerungen im Markt der stark festbetragsgeregelten Generika nur sehr moderat ausfielen. Die biologischen Arzneimittel (insbesondere Antikörper) wiesen mit + 40 % die stärksten Steigerungsraten auf. Eine Detailanalyse der Ausgabensteigerungen zeigt, dass etwa 2/3 der Ausgabensteigerungen im Jahr 2020 aus dem Bereich der onkologischen Therapien und Arzneimittel mit Orphan-Arzneimittel-Status stammen. Insbesondere in diesen Märkten ist nach Auffassung der GWQ eine konsequente Weiterentwicklung der Preisbildungsmechanismen nötig.

Entwicklung der 3 wichtigsten Märkte



Ursache Ausgabensteigerungen



² Greiner et al. (2020): AMNOG-Report 2020. 10 Jahre AMNOG – Rückblick und Ausblick, S. 239-241.

³ Alle Datenauswertungen beziehen sich auf die Gesamtheit der GWQ-Kundenkassen (14 % Marktanteil in der GKV), sofern nichts anderes benannt ist.



Vor diesem Hintergrund möchte die GWQ mit der vorliegenden Analyse einen Beitrag leisten, Einsparpotenziale im Arzneimittelbereich aufzudecken, um auch in der Zukunft eine moderne, evidenzbasierte und hochwertige Arzneimittetherapie für die Patienten sicherzustellen.

1. Freie Preisbildung in den ersten 12 Monaten nach Zulassung aufheben

Der Gesetzgeber hat mit Einführung der Frühen Nutzenbewertung (AMNOG-Verfahren) weiter nichts an der grundsätzlichen Erstattungsfähigkeit der Arzneimittel ab Tag 1 geändert. In vielen europäischen Ländern ist die Erstattungsfähigkeit erst nach einer Preisverhandlung gegeben. Vielmehr sollte eine Überprüfung des (Mehr)-Nutzens parallel zur direkten Verfügbarkeit des Arzneimittels erfolgen, um den Patienten einen unmittelbaren Zugang zu einer innovativen Therapie zu ermöglichen. Dieser Ansatz wird von der GWQ nach wie vor sehr geschätzt, wie weiterhin unterstützt.

Seinerzeit wurde auch eine freie Preisbildung der pharmazeutischen Unternehmer in den ersten 12 Monaten nach Zulassung eingeführt. Der Gesetzgeber wollte dadurch unternehmerische Risiken für die Hersteller abfedern, die z.B. mit der damaligen Unsicherheit und Unerfahrenheit mit dem Verfahren begründet wurden. Diese Gründe mochten damals nachvollziehbar sein, heute sind sie es nicht mehr. Das Verfahren ist nach mehr als zehn Jahren etabliert, die Hersteller können die Risiken mittlerweile gut einschätzen und einkalkulieren. Schon vor diesem Hintergrund ist diese preisliche Rücksichtnahme obsolet. Es kann der Versicherungsgemeinschaft nicht weiter zugemutet werden, grundsätzlich im ersten Jahr nach Markteinführung zu hohe Preise zu zahlen.

Erschwerend kommt hinzu, dass seit einigen Jahren die freie Preisbildung seitens der Hersteller dafür genutzt wird, deutlich überzogene Preisvorschläge zu stellen. Problematisch ist dabei, dass mit diesen überteuerten Arzneimitteln viele Patienten bereits im ersten Jahr therapiert werden, so dass der nach 12 Monaten mit dem GKV-Spitzenverband verhandelte Preis nur für die Patienten zum Tragen kommt, die neu einer Therapie bedürfen. Ein Beispiel dafür ist der Wirkstoff Sofosbuvir, der im Jahr 2014 in den Markt eingeführt wurde und eine Heilungsoption für eine Hepatitis-C-Infektion darstellt. Der Einführungspreis lag bei rd. 60.000 Euro pro Behandlungszyklus. Bereits im ersten Jahr wurde ein Großteil der Patienten hiermit behandelt. Der deutlich geringere verhandelte Preis kann nur noch für einen Bruchteil der Patienten seine Wirkung entfalten.

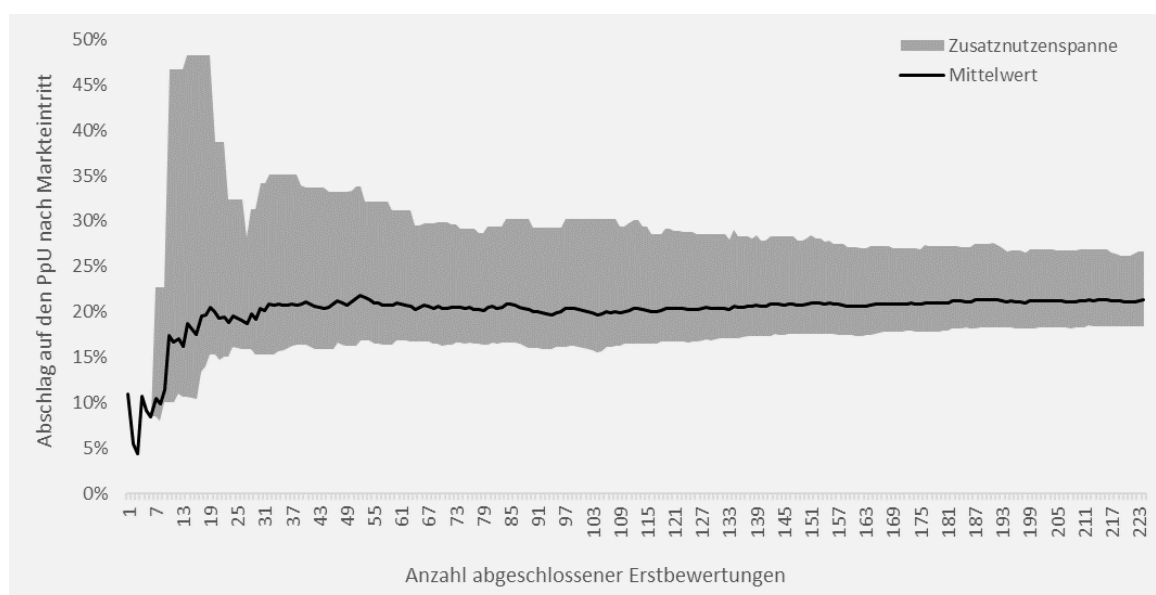
Vorschläge:

- Aufhebung der freien Preisbildung in den ersten 12 Monaten nach Zulassung
 - Sobald der mit den Kassen verhandelte Preis feststeht, erfolgt die Rückzahlung der Differenz aus freiem Preis und verhandeltem Preis ab Tag 1.
 - Die nachträgliche Rückerstattung ist prozessual bereits gelebte Praxis für viele AMNOG-Produkte und somit kein Mehraufwand für die Beteiligten.
 - Die für die Hersteller wichtigen preislichen Ausstrahleffekte auf die Warenkörbe anderer Länder bleiben bestehen, da der Listenpreis weitergeführt wird.

Alternativvorschlag zur vollständigen Rückwirkung des Erstattungspreises:

- Die folgende Darstellung zeigt, dass die freie Preiskalkulation in Relation zum objektivierten und am Nutzen orientierten Verhandlungspreis um durchschnittlich 20 % überzeichnet ist. Die Rückwirkung des Erstattungspreises, ob bis zum Tag des Markteintrittes oder alternativ bis zum Tag des Nutzenbewertungsbeschlusses, wurde zwar stetig in den letzten Jahren diskutiert, aber bislang nicht eingeführt. Als hauptsächliches Argument trägt die Industrie stets vor, dass dies mit unkalkulierbaren finanziellen Risiken verbunden sei. Dies wird begründet mit der Unkenntnis des Nutzenbewertungsbeschlusses und der daran sich orientierenden Preisverhandlung. Diese Ungewissheit über den konkreten Erstattungspreis könnte im Extremfall zu einer Unterdeckung führen, mindestens aber wären stets Rückstellungen in unkalkulierbarer Größenordnung zu bilden. Als zusätzlicher industrieseitiger Schutzmechanismus wurde zudem eine sog. „Opt-Out-Option“ eingefügt. Nach nun über 10 Jahren des AMNOG-Prozesses ist dieses Risiko deutlich zu relativieren. Denn durch die gewonnene Evidenz ist das faktische kalkulatorische Risiko deutlich minimiert worden. Anhand der Qualität der Zulassungsstudien sowie der Ergebnisse daraus, einhergehend mit den retrospektiven Verhandlungsergebnissen, ist es der Industrie sehr wohl mittlerweile möglich, hinreichend konkret kalkulieren zu können. Zudem lassen sich durch intensive Nutzung der Frühberatung beim G-BA Risiken mittlerweile deutlich mehr abfedern bezüglich ZVT-Wahl, Anforderungen zu Studiendesign und Subpopulationen etc. als zu Beginn des AMNOG-Prozesses. Dies aufgreifend, schlägt die GWQ folgende – zum komplett rückwirkenden Erstattungspreis – alternative Lösung vor:

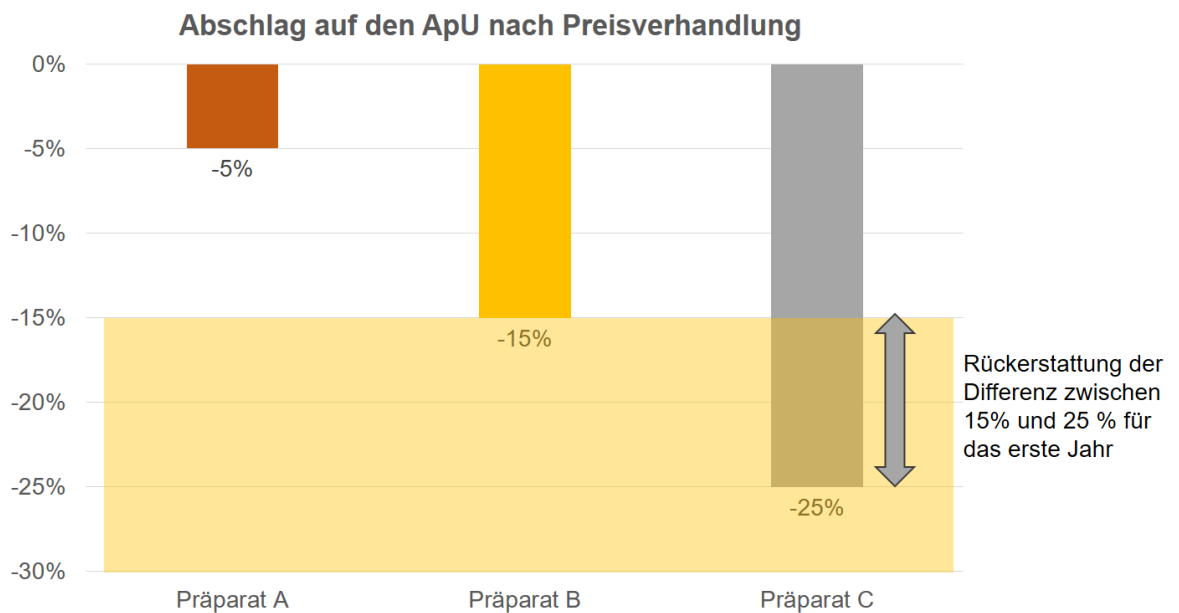
Eine anteilige Rückwirkung des Erstattungspreises erfolgt in den Fällen, in denen die freie Preisbildung den verhandelten Erstattungspreis um mehr als 15% übersteigt. Die Differenz jenseits dieser 15 %-Schwelle zum frei kalkulierten Preis wird rückwirkend bis zum Tag der Markteinführung den Krankenkassen ausgeglichen. Damit ist einerseits gesichert, dass die Industrie auch weiterhin einen Kalkulationsspielraum erhält, aber gleichzeitig die gesetzliche Krankenversicherung vor einem unnötig hohen Kostenrisiko oberhalb der 15 %-Schwelle zum nutzenadjustierten Preis geschützt wird.



Quelle: Greiner et al. (2020): AMNOG-Report 2020. 10 Jahre AMNOG – Rückblick und Ausblick, S. 228



Exemplarisch ist dies in der unteren Abbildung dargestellt. Für Präparat A wird ein Abschlag von 5 % verhandelt, für Präparat B ein Abschlag von 15 % und für Präparat C ein Abschlag von 25 %. Für Präparat A & B würde keine zusätzliche Rückerstattung geltend gemacht. Bei Präparat C muss für das erste Jahr der Betrag rückerstattet werden, der 15 % übersteigt. Die Wahrscheinlichkeit für Rückerstattungen dürfte bei Präparaten ohne Zusatznutzen höher sein als bei Präparaten mit Zusatznutzen, was ordnungspolitisch sicherlich auch gewünscht ist.



Monetärer Effekt der Umsetzung:

- Deutliche Entlastung der Krankenkassen durch realistische, am tatsächlichen Nutzen orientierte Preise für neue therapeutische Alternativen. Der monetäre Vorteil ist insbesondere in einer realistischen zukünftigen Preisfestsetzung für Jahr 1 zu sehen. Erstmals würde es damit für die pharmazeutische Industrie eine Motivation geben, die Preise im ersten Jahr an den Kosten vergleichbarer Arzneimittel zu orientieren.

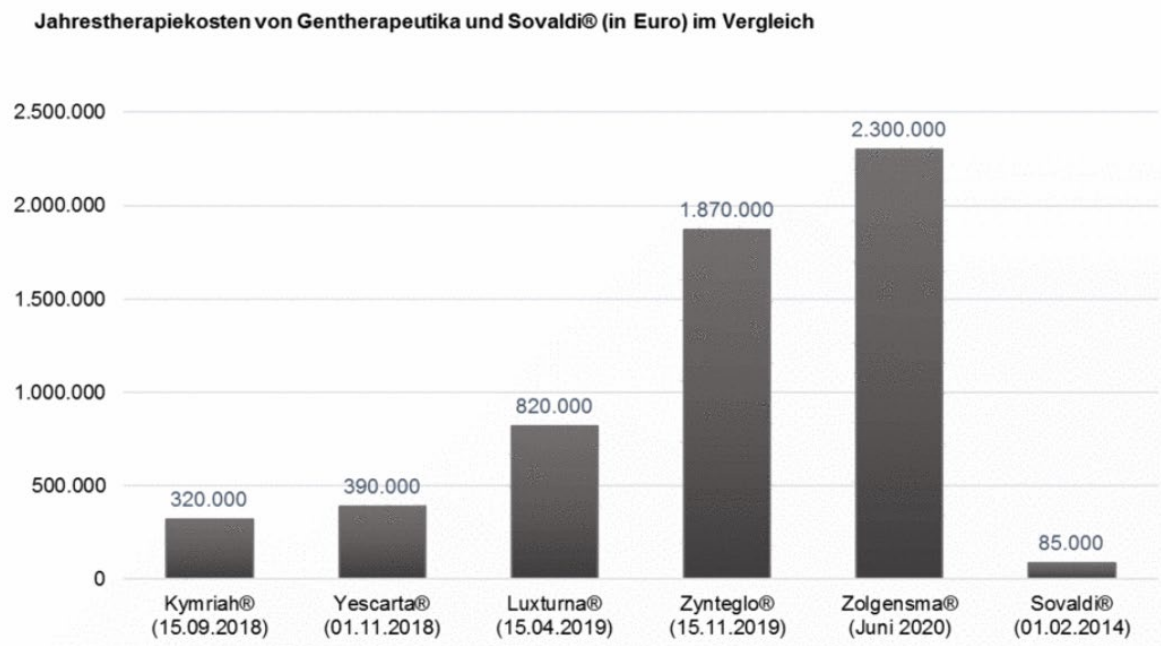
Einfluss auf die Patientenversorgung:

- Kein Einfluss.



2. ATMP-Preise am Nutzen orientieren

Advanced Therapeutic Medicinal Products (ATMPs) sind vielfach Zell- oder Gentherapien, welche in der Regel als Einmalgabe angewendet werden. Die Anzahl der betroffenen Patienten ist oft nicht hoch, daher sind viele Produkte Orphan Drugs. Dennoch belasten die Therapiekosten die gesetzlich Krankenversicherten in besonderem Maße, da sechs- bis siebenstelligen Summen für eine Therapie aufgerufen werden.



Quelle: BKK-Dachverband

Die Einmalgabe kollidiert an mehreren Stellen mit Regulationsmechanismen. So ist bei einer chronischen Therapie das Kostenrisiko für die Krankenkasse insofern niedriger, als bei zu hohen Nebenwirkungen oder einem unzureichenden therapeutischen Effekt die Therapie i.d.R. abgebrochen wird. Mit dem Therapieabbruch „enden“ aber auch die Kosten für die Therapie. Bei Einmaltherapien ist dieser Effekt von vornherein ausgeschlossen. Die Kasse zahlt zu Beginn der Therapie einen hohen, teils sechs- bis siebenstelligen Betrag – eine Kopplung an den therapeutischen Nutzen entfällt aber. Somit vergütet das Solidarsystem im ungünstigsten Fall den vollen Preis für eine Therapie, dessen therapeutisch gewünschter Effekt sich möglicherweise gar nicht einstellt. Die Risikolast trägt somit einseitig und vollständig die Krankenversicherung. Einzelne Kassen (wie auch die GWQ) versuchen dieses Problem über sogenannte Pay-for-Performance-Verträge zu lösen, um insbesondere im ersten Jahr den noch frei bestimmbaren Preis des pharmazeutischen Unternehmers am realen Nutzen zu adjustieren.

Die ATMPs können in der Regel nur stationär in dafür geeigneten Zentren eingesetzt werden. Dies führt zu einem weiteren Problem: Das bisherige DRG-System lässt die finanziellen Mittel für Innovationen nur träge einfließen, so dass die Krankenhäuser die neuen Therapien zwar anwenden dürfen, diese aber nicht über das DRG-System erstattet bekommen. Als Konsequenz erfolgt die Erstattung in Form von Einzelfallentscheidungen der Krankenkassen, da der Gesetzgeber zwar die Anwendung der ATMPs für die Patienten wünscht, aber keinen geregelten Erstattungsmechanismus vorsieht (bis zu dem Zeitpunkt, wo ein NUB implementiert und verhandelt wurde). Hier wurde in der Vergangenheit von Patientenseite des



Öfteren auch in Publikumsmedien versucht, Druck aufzubauen, um die Einzelfallentscheidung im Sinne des Patienten herbeizuführen. Dies ist nicht zielführend und kann vermieden werden. Erschwerend kommt hinzu, dass bei einer neuartigen Therapiealternative für eine Indikation ohne bisherige Behandlungsalternativen die prävalenten Patienten praktisch vollständig im ersten Jahr therapiert werden. Es verbleiben danach die inzidenten Patienten, deren Anzahl sehr gering ist, so dass der Effekt des verhandelten Preises im Wesentlichen ausbleibt.

Als Beispiel sei hier Zolgensma® genannt, das bereits nach wenigen Monaten die 50-Mio.-Grenze für ein Orphan Drug überschritten hat, so dass sich der Wirkstoff nun dem Nutzenverfahren für Nicht-Orphan Drugs stellen muss. Vor dem Hintergrund von 100 Gen- und Zelltherapien in Phase-III- sowie 600 Therapien in Phase-II-Studien ist dringend die grundsätzliche Logik der Preisverhandlungen anzupassen.

Zukünftig müssen auch längere Zeiträume für eine adäquate Bepreisung der Therapien in Betracht gezogen werden, nicht nur die bisher üblichen Jahrestherapiekosten. Hierfür sind Rahmenbedingungen festzulegen, unter welchen Voraussetzungen welche Zeithorizonte in welchem Algorithmus zu berücksichtigen sind.

Vorschläge:

- Aufhebung der freien Preisbildung in den ersten 12 Monaten nach Zulassung für **Einmaltherapien** (100 % Rückerstattung des verhandelten Preises für Jahr 1)
- Betrachtung längerer Zeiträume abseits eines Jahreszeitraums, um therapeutische Effekte besser abschätzen zu können.
- Einführung eines DRG-Mechanismus, um Einzelfallentscheidungen der Krankenkassen zu vermeiden.

Monetäre Effekte der Umsetzung:

- Es ist mit erheblichen Einsparungen zu rechnen, ausgesuchte Beispiele:
 - Im Fall Zynteglo® (Einführungspreis 1,575 Mio. Euro – Erstattungspreis nach Schiedsspruch: 0,63 Mio. Euro) würde die Umsetzung zu Einsparungen von etwa 945.000 Euro pro Patient führen.
 - Luxturna®: Einsparungen von 59.000 Euro pro Auge.
 - Kymriah® und Yescarta®: Einsparungen von 45.000 Euro pro Patient.

Einfluss auf die Patientenversorgung:

- Kein Einfluss.

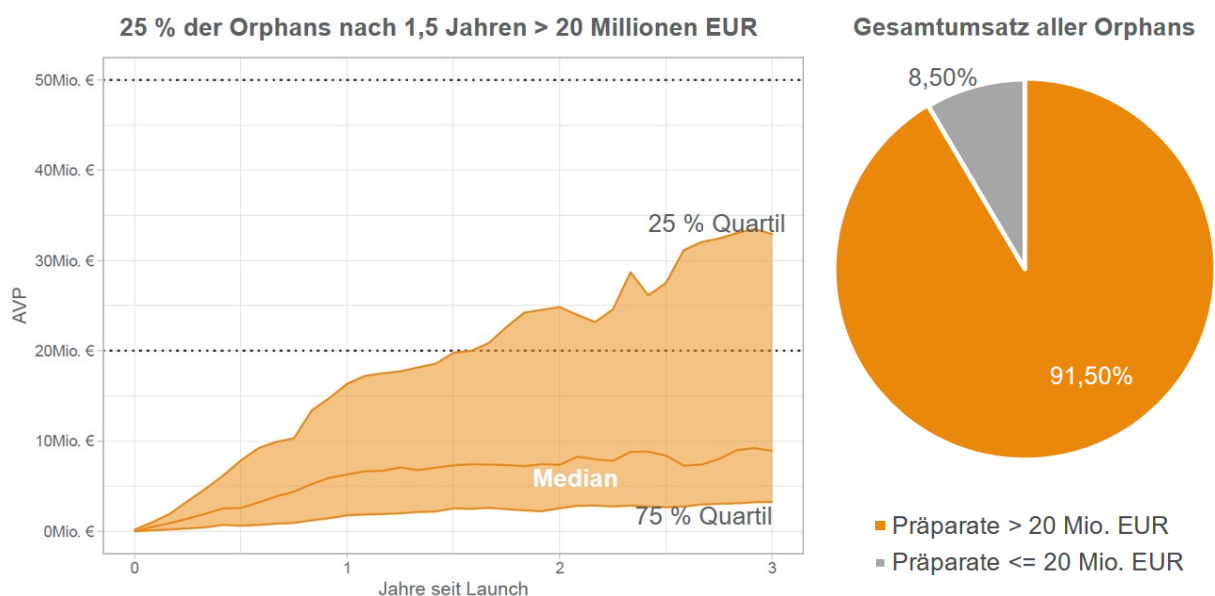


3. Neuer Preismechanismus für Arzneimittel mit Orphan Drug-Status

Für Arzneimittel mit Orphan Drug-Status hat der Gesetzgeber im Verfahren der Frühen Nutzenbewertung einen Sonderweg vorgesehen. Der Zusatznutzen für Orphan Drugs gilt bereits durch die Zulassung dem Grund nach als bewiesen, lediglich die Höhe des Zusatznutzens wird durch den G-BA festgelegt (§ 35a Abs. 1 SGB V). Es erfolgt also kein Vergleich mit einem Komparator, da der Gesetzgeber davon ausgeht, dass gerade die zugrunde liegende seltene Erkrankung das Vorhandensein eines geeigneten Komparators ausschließt. Die Preisfindung in den Preisverhandlungen mit dem GKV-Spitzenverband ist damit ein Problem, da der Komparator-Preis als Preisanker fehlt. Erst bei einer Überschreitung einer Umsatzschwelle von 50 Mio. Euro pro Jahr muss das Produkt die vergleichende Nutzenbewertung durchlaufen.

Selbstverständlich begrüßt die GWQ die schnelle Verfügbarkeit von Therapien für seltene Leiden in Deutschland. Da aber die Preise für Orphan Drugs kontinuierlich ansteigen und mittlerweile 10 % der Arzneimittelausgaben ausmachen, müssen die derzeit nicht ausreichenden Preisfindungsmechanismen im Verfahren der Frühen Nutzenbewertung dringend überarbeitet werden. Denn in naher Zukunft muss mit deutlich mehr Orphan Drugs besonders in der Onkologie gerechnet werden. Die Vielzahl an Orphan Drugs für Patienten mit seltenen Tumorerkrankungen ist dabei insbesondere auf das fortschreitende molekulare Wissen der Tumorbilogie und die verbesserte Diagnostik zurückzuführen, die zu einem besseren Verständnis über die Tumorentstehung sowie über molekulare Tumorcharakteristika geführt haben (Stichwort „stratifizierte Medizin“).

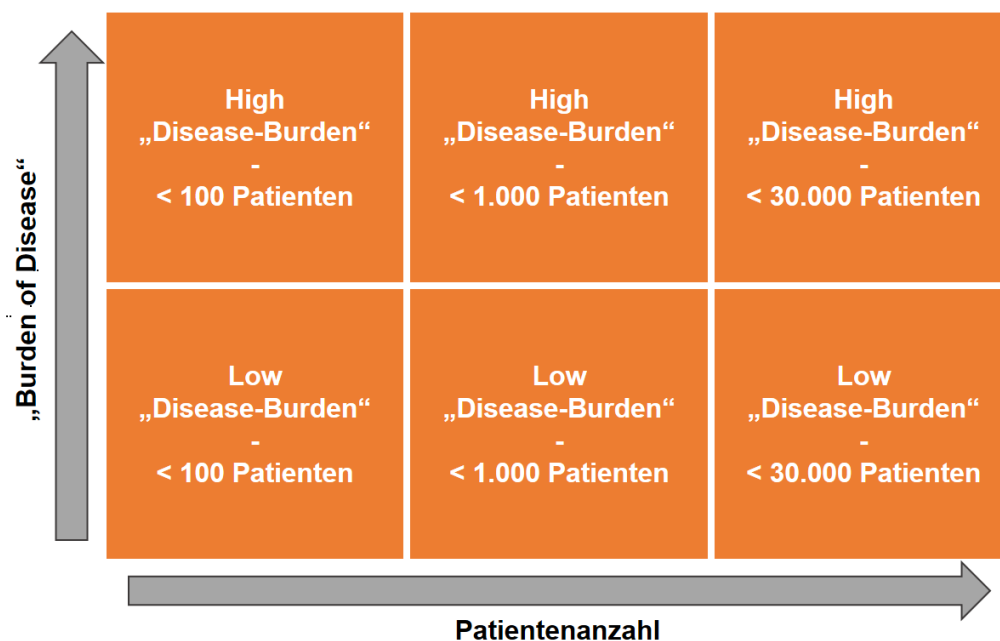
Auswertungen zur Umsatzentwicklung einzelner Orphan-Arzneimittel zeigen, dass etwa 25 % der Präparate nach einem Zeitraum von 1,5 Jahren eine Umsatzschwelle von 20 Mio. EUR / Jahr überschreiten. Im Kalenderjahr 2020 verursachten Orphan-Arzneimittel mit jährlichem Umsatzvolumen > 20 Mio. EUR 91,5 % aller Kosten für Orphans. Es ist daher dringend geboten, die Umsatzschwelle von bisher 50 Mio. EUR pro Jahr (ein mit Einführung des AMNOG eher „gegriffener“ Wert) am realen Kostenimpact der Orphans zu adaptieren und auf 20 Mio. EUR pro Jahr abzusenken.





Mangels anderer Komparatoren kommt den europäischen Preisen in Preisverhandlungen für Orphan-Arzneimittel eine besondere Bedeutung zu, da vergleichbare Arzneimittel in der Regel fehlen. Nach der Rahmenvereinbarung sind die „tatsächlichen Preise“ (§ 6 Abs. 3 RahmenV) in anderen europäischen Ländern zu berücksichtigen. Dies inkludiert auch etwaige Rabatte in anderen Ländern. Die Beibringung dieser tatsächlichen Preise scheint für die pharmazeutischen Hersteller nach eigenem Bekunden schwierig bzw. sogar unmöglich zu sein, daher sind faktisch die offiziellen Listenpreise Ankerpunkt in den Verhandlungen und damit regelhaft zu hoch. Hier sollte automatisch ein definierter Abschlag eingeführt werden (z.B. minus 20 Prozent), um diese Systematik auszugleichen, sofern der Hersteller keine tatsächlichen Preise vorlegt.

Die GWQ schlägt zudem ein innovatives Bewertungssystem für Orphan Drugs vor. Der Markt aller Orphan Drugs soll in insgesamt sechs geeignete Klassen nach Größe der Patientenpopulation und Schweregrad der Erkrankung eingeteilt werden. Jedem Cluster wird das untere Quartil der entsprechenden Jahrestherapiekosten der verschiedenen zugehörigen Orphan-Arzneimittel zugeteilt. Damit hätte man in den Preisverhandlungen einen weiteren Referenzpunkt, der die gleiche Gewichtung wie die europäischen Preise erhalten sollte. Damit gäbe es so etwas wie eine „externe“ Referenzierung bei der Preisbildung für Orphan-Arzneimittel.



Die Clusterfestlegung bzw. die Zuordnung eines Wirkstoffs zu einem entsprechenden Cluster könnte durch den G-BA im Zuge der Nutzenbewertung erfolgen und wäre somit richtigerweise von der Preisverhandlung entkoppelt. Im Beispiel wurden die derzeitigen Orphan-Arzneimittel auf Basis von G-BA-Patientenzahlen zugeordnet. Für die Zuordnung bzgl. der „Disease-Burden“ sollte der G-BA eine entsprechende Definition anhand konkreter Parameter entwickeln (z.B. akut lebensbedrohlich, Therapiealternativen vorhanden, etc.).

**Vorschläge:**

- Orphan-Umsatzschwelle 50 Mio. EUR reduzieren.
 - Diese ist zu hoch und sollte auf 20 Mio. EUR / Jahr gesenkt werden.
- Systematischer Abschlag bei europäischen Preisen als Preisanker.
 - Preise für Orphan Drugs sollten mit einem Abschlag von 20 % belegt werden, sofern der Hersteller keine realen Preise aus europäischen Ländern vorlegen kann.
 - Fixierung der Regelung in § 130b SGB V.
- Implementierung eines indikationsübergreifenden Preisbenchmarks für Orphan Drugs.

Monetärer Effekt der Umsetzung:

- Die Maßnahmen sind dazu geeignet, dass die verhandelten Preise für Orphan-Arzneimittel niedriger ausfallen würden als heute. Binnen drei Jahren ist mit Einsparungen von ca. 10 % der Gesamtausgaben von AMNOG-verhandelten Orphan Drugs zu rechnen (mind. 500 Mio. EUR / Jahr).

Einfluss auf die Patientenversorgung:

- Kein Einfluss, denn Nutzenfiktion und freie Preisbildung im ersten Jahr bleiben bestehen.



4. Neue Preisfindungsstrategien für Kombinationstherapien mit Arzneimitteln

Die Kosten in der Onkologie verzeichnen seit Jahren zweistellige Zuwachsraten. Viele der der GWQ angeschlossenen Krankenkassen geben mittlerweile jeden 5. Euro für Krebsmedikamente aus. Der Entwicklung liegen mehrere Einflussfaktoren zugrunde:

1) **Demographische Entwicklung der Bevölkerung**

Krebs ist nach wie vor eine Erkrankung der älteren Bevölkerung. Durch die demographische Entwicklung steigt das Durchschnittsalter der Bevölkerung, die Generation der „Babyboomer“ ist nun vielfach im Rentenalter und entsprechend steigt auch die Inzidenz der Krebserkrankungen.

2) **Fortschritte in der Therapie**

In vielen Krebsindikationen geht dank des wissenschaftlichen Fortschritts und immer stärker zielgerichteten Therapien der Trend zu einer Chronifizierung der Erkrankung. Dies geht auch einher mit höheren Therapiekosten, weil z.B. mehrere Therapielinien gegeben oder Therapieregime genutzt werden, die sich für eine Langzeittherapie eignen.

3) **Kleine onkologische Populationen durch Gendefekte**

Vielen Krebserkrankungen liegen genetische Defekte zugrunde, die kleine Patientenpopulationen zur Folge haben und folglich als Orphan Diseases gelten. Hieraus resultieren teure Therapieoptionen.

4) **Kombinationstherapien**

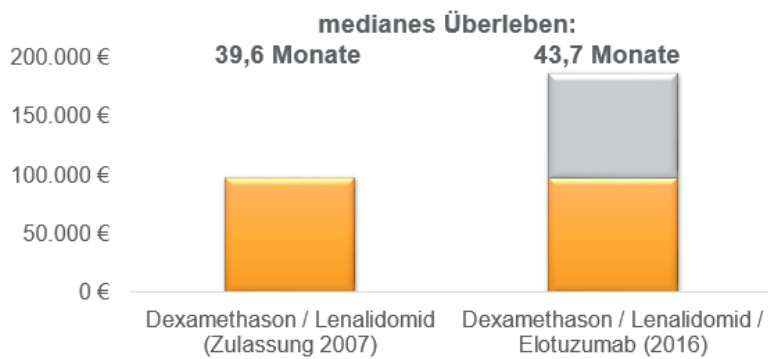
Eine stetig steigende Anzahl von Therapien, insbesondere in der Onkologie, wird in Kombination gegeben. Die Anzahl der Krebstherapien, welche sich in klinischen Studienprogrammen befinden, ist faktisch unüberschaubar hoch. Klassischerweise ersetzen neue Wirkstoffe keine bisherigen, sie werden vielmehr „add on“, also ergänzend zu bestehenden Therapieregimen gegeben.

Die grundsätzliche Problematik der Kombinationstherapien ist auch im G-BA erkannt worden und wurde von Herrn Prof. Hecken wie folgt beschrieben⁴:

„Die Kosten für Kombinationen steigen stärker als die mit der Arzneimitteltherapie einhergehenden patientenrelevanten Vorteile, wie beispielsweise die zusätzliche Überlebensdauer. Vor allem in der Onkologie zeigt sich seit Jahren der Trend, dass neue Wirkstoffe nicht ersetzend, sondern ergänzend angewendet werden. In den hinteren Therapielinien kommen oftmals drei und mehr Wirkstoffe in Kombination zum Einsatz.

Bei unserer Bewertung sehen wir dann beispielsweise, dass die Verlängerung des Überlebens um 20 Prozent höher liegt, bei einer Verdopplung der Kosten. Daher muss eine gesetzliche Regelung gefunden werden, die den Aufpreis eines neuen Wirkstoffs, der nur als Ergänzung zu einer bestehenden Kombination wirkt, beschränkt.“

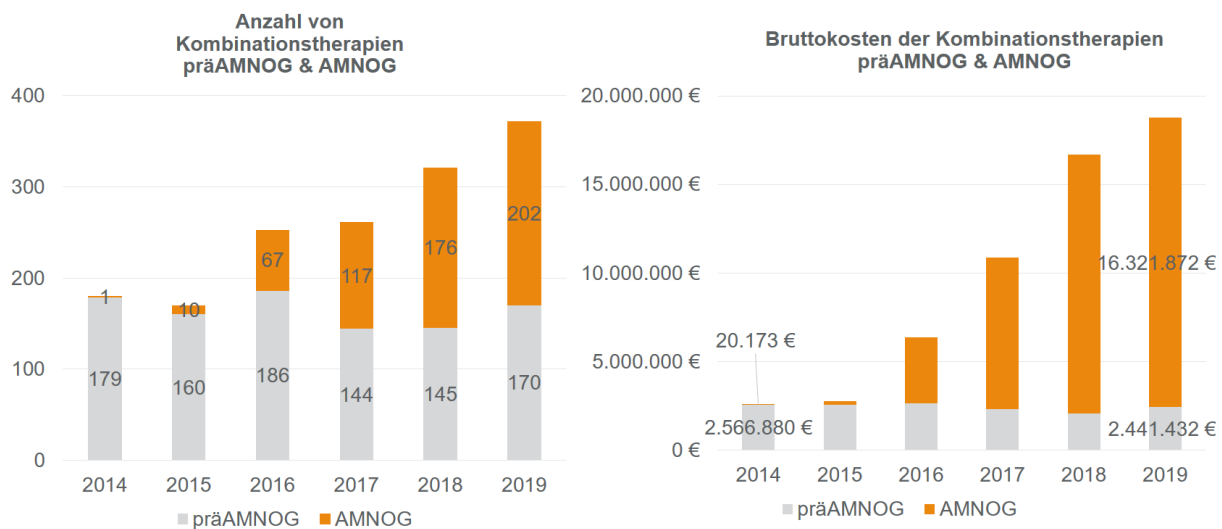
⁴ www.aerzteblatt.de/nachrichten/120632/AMNOG-Hier-ist-sehr-Vieles-richtig-gelaufen



Ein konkretes Beispiel ist die Kombination aus Elotuzumab, Lenalidomid und Dexamethason zur Behandlung des Multiplen Myeloms. Die ursprüngliche Kombination erreichte ein medianes Überleben von 39,6 Monaten, die zusätzliche Gabe von Elotuzumab führt zu einem

zusätzlichen Gewinn von etwa 4 Monaten (ca. + 10 %). Der Preis für die neue Tripeltherapie liegt jedoch fast doppelt so hoch wie die ursprüngliche Kombination (ca. + 100 %). Hier liegt zwischen dem Zusatznutzen der Therapie und den Zusatzkosten für die GKV ein offensichtliches Missverhältnis vor.

Die konkreten Auswirkungen des immer intensiveren Einsatzes von Kombinationstherapien sind gut an der oben genannten, relativ kleinen Indikation Multiples Myelom nachzuvollziehen. Analysen der Jahre 2014-2019⁵ zeigen bei gleichbleibender Prävalenz einen Anstieg der Patienten, die mit neuen Kombinationen (mindestens ein Kombinationspartner wurde im AMNOG bewertet) behandelt werden. Die Anzahl der Patienten unter „präAMNOG“-Therapie bleibt etwa gleich, die Anzahl der Patienten unter AMNOG-Kombinationstherapie steigt faktisch von 0 (bzw. „1“) auf über 200 Patienten innerhalb weniger Jahre. Der Anteil von Patienten, die insgesamt mit Kombinationstherapien therapiert werden, steigt damit innerhalb von 5 Jahren um mehr als das Doppelte.



Einerseits steigt die Zahl der behandelten Patienten an. Andererseits führen die Kombinationen mit den neuen Arzneimitteln dazu, dass sich die Kosten pro Therapie vervielfachen. So eindrucksvoll der Anstieg bei den Patientenzahlen ist, so dramatisch sind die dazugehörigen Auswirkungen auf Kostenseite. Die Patienten unter AMNOG-Kombinationen führen zur Vervielfachung der Kosten um das Siebenfache in wenigen Jahren. Dieser Kostenzuwachs ist vollständig den AMNOG-Kombinationen zuzuschreiben. Das Multiple Myelom ist eine Indikation mit geringen Fallzahlen. Es ist davon auszugehen, dass es

⁵ Analyse der GWQ



analoge Entwicklungen in weiteren Krebsindikationen gibt und weiter geben wird.

Bereits heute werden für Krebstherapien rund 10 Mrd. Euro ausgegeben. Steigt die Bedeutung von Kombinationstherapien in weiteren Krebsindikationen an, könnte die finanzielle Belastung für die GKV als systemgefährdend angesehen werden.

Bisher berücksichtigt die Frühe Nutzenbewertung diese Problematik nicht, da sie bei Einführung des AMNOG-Verfahrens noch keine Rolle gespielt hat. Vielmehr ist die Problematik im System der Nutzenbewertung begründet: Jedes neue Arzneimittel wird gegenüber einem Komparator als Vergleichstherapie bewertet. Bei einem Zusatznutzen übersteigt das neue Produkt den Preis des Komparators teilweise erheblich. Es findet keine Betrachtung der Gesamtherapiekosten statt. Damit steigt in Kombinationstherapien von Arzneimittel zu Arzneimittel der Preis erheblich, ohne dass der Nutzen bzw. der Outcome für den Patienten im gleichen Maße mitsteigt.

Hier muss im Sinne eines „lernenden Systems“ nachjustiert werden, z.B. indem das jetzige System der Preisverhandlungen fortgeführt wird, aber in Abhängigkeit von der Anzahl der Kombinationspartner und den daraus resultierenden Kosten der Therapie zusätzliche gesetzliche Pflichtrabatte eingeführt werden, sofern der Kombinationspartner ein oder mehrere patentgeschützte Präparate sind. Auf diese Präparate könnte beispielsweise ein zusätzlicher Rabatt in Höhe von 25 % erhoben werden. Der „Kombinationsabschlag“ wird nicht öffentlich gemacht, sondern im Rahmen von Rückerstattungen von den Kassen geltend gemacht. Der Abschlag wird nicht in den Preisverhandlungen berücksichtigt.

Vorschlag:

- Im Rahmen von hochpreisigen Kombinationstherapien wird ein zusätzlicher Pflichtabschlag eingeführt, um in späten Therapielinien die Gesamtkosten der Therapie zu reduzieren und so ein Gleichgewicht zwischen Kosten und Nutzen herzustellen.

Monetärer Effekt der Umsetzung:

- Bremsung der Ausgabensteigerungen im Bereich der Kombinationsarzneimittel. Die Einsparungen dürften bereits ab dem Jahr 2025 bei mehr als 1 Mrd. EUR liegen.

Einfluss auf die Patientenversorgung:

- Kein Einfluss.



5. Verordnungseinschränkungen durch den G-BA nutzen

Die europäische Zulassungsbehörde erteilt in der Regel relativ „breite“ Zulassungen für neue Arzneimittel, damit möglichst viele Patienten von einer neuen Therapie profitieren können. Einige neue hochpreisige Therapien weisen nur in wenigen Subpopulationen und/oder späteren Therapielinien einen Zusatznutzen auf bzw. sind nach § 2 und § 12 SGB V nur wirtschaftlich, wenn existierende Alternativen ausgeschöpft sind. Die Zulassung sieht solche Einschränkungen jedoch nicht vor.

GWQ-Analysen zeigen, dass die im Nutzenverfahren beschriebenen notwendigen Vortherapien nicht ausgeschöpft werden. Als Beispiel dienen hier CGRP-Antikörper, die als Prophylaxe gegen Migräne zugelassen sind und Jahrestherapiekosten von ca. 4.500 Euro pro Patient entstehen lassen. Laut übereinstimmender Zulassung können diese Präparate (Aimovig®, Ajovy®, Emgality®) „zur Migräneprophylaxe bei Erwachsenen mit mindestens 4 Migränetagen pro Monat“ eingesetzt werden. In der Nutzenbewertung konnte lediglich für einen Bruchteil der Patienten (kein Ansprechen bei 4-5 Vortherapien) ein Zusatznutzen

| Fragestellung | Indikation | Zweckmäßige Vergleichstherapie ^a | Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens |
|---|--|---|--|
| erwachsene Patientinnen und Patienten mit mindestens 4 Migränetagen pro Monat | | | |
| 1 | unbehandelte Patientinnen und Patienten sowie Patientinnen und Patienten, die auf mindestens 1 prophylaktische Medikation nur unzureichend angesprochen oder diese nicht vertragen haben oder diese für sie nicht geeignet sind | Metoprolol oder Propranolol oder Flunarizin oder Topiramate oder Amitriptylin, jeweils unter Berücksichtigung der Zulassung und der Vortherapie | Zusatznutzen nicht belegt |
| 2 | Patientinnen und Patienten, die auf folgende Therapien (Wirkstoffklassen) nicht ansprechen, diese für sie nicht geeignet sind oder sie diese nicht vertragen: Metoprolol, Propranolol, Flunarizin, Topiramate, Amitriptylin ^b | Valproinsäure ^c oder Clostridium botulinum Toxin Typ A ^d | Zusatznutzen nicht belegt |
| 3 | Patientinnen und Patienten, die auf keine der folgenden Therapien (Wirkstoffklassen) ansprechen, diese für sie nicht geeignet sind oder sie diese nicht vertragen: Metoprolol, Propranolol, Flunarizin, Topiramate, Amitriptylin, Valproinsäure ^c oder Clostridium botulinum Toxin Typ A ^d | BSC ^e | Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen |

festgestellt werden. Entsprechend dieser Nutzenbewertung empfiehlt die Deutsche Gesellschaft für Schmerzmedizin „vier bis fünf unterschiedliche Wirkstoffklassen in der Vortherapie, bevor eine Behandlung mit CGRP-Inhibitoren in Erwägung gezogen werden sollte.“ Die entsprechenden generischen Vergleichstherapien liegen im Bereich von 100 Euro Jahrestherapiekosten (bis auf Botox).

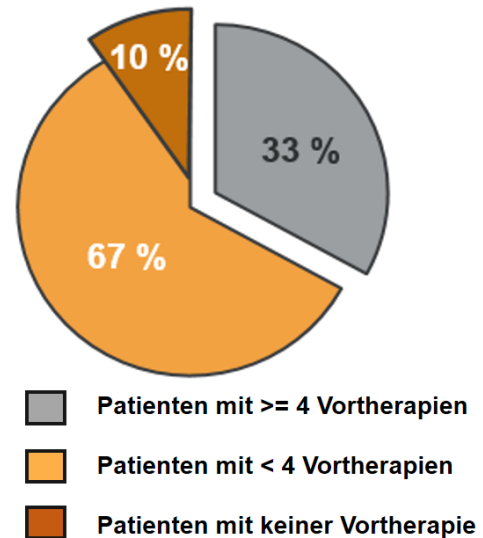
Realität jedoch ist, dass im Gegensatz zur Nutzenbewertung die Zulassung für die CGRP-Inhibitoren in Deutschland deutlich weiter gefasst ist und diese potenziell schon viel früher eingesetzt werden dürfen (s. Abb. GWQ-Auswertung). Dies geschieht auch im Versorgungsalltag im erheblichen Umfang. So erhalten 67 % der Patienten, die Migräneantikörper bekommen haben, eben keine vier Vortherapien und werden damit nicht entsprechend der Leitlinie behandelt⁶. Jeder zehnte Patient ist sogar unbehandelt und erhält entsprechend gar keine Vortherapie! In solchen Fallkonstellationen wäre es dringend

⁶ Analyse der GWQ (Beobachtungszeit vor erstmaliger CGRP-Gabe: mind. 4 Jahre)

angezeigt, die Verordnungsfähigkeit innovativer Therapien auf die Indikationsbereiche / Therapielinien / Subpopulationen zu beschränken, wo es keine weiteren Therapieoptionen gibt und/oder ein Zusatznutzen nachgewiesen worden ist.

Hier entstehen unnötige Kosten für die Krankenkassen, aber auch unnötige Risiken für die Patienten. Zwar sieht das Arzt-Informationssystem vor, dem Arzt die Ergebnisse der Nutzenbewertung an die Hand zu geben, Einfluss auf die Verschreibungspraxis hat dies bisher nicht gezeigt.

In diesen Fällen sollte zukünftig verstärkt auf das Instrument der Therapiehinweise (Anlage IV der Arzneimittelrichtlinie) durch den G-BA zurückgegriffen werden, der diese parallel zu dem Ergebnis der Nutzenbewertung aussprechen könnte. In Ergänzung sollte in § 92 Abs. 2 SGB V eine entsprechende Klarstellung formuliert werden, dass der G-BA bei Unwirtschaftlichkeit ohne weitere Bedingungen die Verordnungsfähigkeit einschränken kann. Bisher nutzt der G-BA diese gesetzliche Möglichkeit nicht aktiv⁷.



Vorschläge:

- Anwendung des Instruments der Therapiehinweise bei Arzneimitteln mit breiter Zulassung, bei denen der G-BA einschränkende Konditionen (z.B. Vorbehandlungen) in der Frühen Nutzenbewertung festgestellt hat.
- Klarstellung seitens des Gesetzgebers, dass entsprechende Einschränkungen der Verordnungsfähigkeit durch den G-BA möglich und aufgrund des Wirtschaftlichkeitsgebots nach §§ 2 und 12 SGB V angezeigt sind.

Monetärer Effekt der Umsetzung:

- Erhebliche Einsparungen möglich, allein bei den genannten Migräneantikörpern ca. 50 Mio. Euro pro Jahr in der GKV.

Einfluss auf die Patientenversorgung:

Positiv, da Patienten sichere bzw. risikoärmere / erprobte Therapieoptionen erhalten.

⁷ Alleinige Ausnahme bei der Einschränkung der Erstattungsfähigkeit der PCSK-9-Inhibitoren Repatha® & Praluent® im Jahr 2016



6. Automatischen Austausch von Biologika ermöglichen

Ab August 2022 soll ein automatischer Austausch von biologischen Arzneimitteln in der Apotheke analog der Logik im generikafähigen Markt stattfinden. Selektivvertraglich wird der Markt der biologischen Arzneimittel heute vorwiegend über so genannte Open-House-Verträge erschlossen. Dies bedeutet, dass jeder Anbieter, der über eine vorgegebene „Rabattthürde“ springt, dem Vertrag beitreten kann. Denn anders als bei Ausschreibungen im Generikamarkt kann man keinem Gewinner eine Absatzmenge zusagen, da heute die Abgabe der biologischen Arzneimittel bzw. der dazugehörigen Biosimilars allein durch die Verordnung des Arztes determiniert wird.

Zahlen aus 2019 zeigen, dass auch mehrere Jahre nach Markteinführung von biosimilaren Alternativen fast 50 % der Verordnungen über alle verfügbaren biologischen Arzneimittel mit biosimilaren Nachahmerprodukten immer noch auf das jeweilige Original ausgestellt werden. Daraus resultiert ein potenzielles Einsparpotential für die GKV von deutlich über 1 Mrd. Euro. Aus Sicht der GWQ ist es daher folgerichtig, durch eine „Scharfschaltung“ der Austauschregeln und damit einhergehender Belebung des Selektivvertragswettbewerbs diese Einsparungen zu heben, ohne dass es hier zu einer Beeinträchtigung der Versorgungssicherheit kommt.

Um eine mögliche unerwünschte Verlagerung von Produktionsstätten in Nicht-EU-Länder bei zukünftigen Ausschreibungen für biologische Arzneimittel zu verhindern, sollte vorgegeben werden, dass mindestens einer der Vertragspartner in der EU produzieren muss. Eine Sicherung der Lieferfähigkeit durch langfristige Produktion dieser wichtigen Wirkstoffe erhöht die Versorgungssicherheit für die Patienten in Deutschland und Europa.

Vorschläge:

- Der automatische Austausch von Biologicals durch Biosimilars muss umgesetzt werden.
- Um unerwünschter Verlagerung von Produktionskapazitäten in Nicht-EU-Länder vorzubeugen, soll bei der Vergabe von Verträgen mindestens ein Vertragspartner in der EU produzieren.

Monetärer Effekt der Umsetzung:

- Hebung von Wirtschaftlichkeitspotenzialen und langfristige Sicherung der Produktionskapazitäten in Europa.

Einfluss auf die Patientenversorgung:

- Langfristige Sicherstellung der Versorgung.



7. Liefersicherheit bei Generikarabattverträgen erhöhen

In den letzten Jahren wurden die Rabattverträge für Generika oft in Verbindung mit der Liefersicherheit und dem Produktionsstandort Deutschland/Europa gebracht. Fakt ist: Aufgrund globaler Konzentrierungsprozesse werden viele Wirkstoffe nur noch in wenigen Produktionsstätten (manchmal sogar nur einer) hergestellt. Das gilt für Wirkstoffe mit Rabattverträgen in der deutschen GKV genauso wie für Wirkstoffe ohne Rabattverträge. Mangelnde oder ausfallende Lieferfähigkeiten bei Rabattpräparaten können verschiedene Ursachen haben:

- Aufgrund von Verunreinigungen oder Sicherheitsbedenken kommt es zu einem Rückruf des gesamten Wirkstoffs bzw. aller Präparate mit dem Wirkstoff.
- Logistische Probleme im Land des Herstellers oder in einer relevanten Fabrik führen zu Nachschubproblemen.
- Exklusivpartner von Krankenkassen sind nicht mehr lieferfähig, andere Generikaunternehmen sind dann gezwungen, diesen Ausfall aus dem Stand auszugleichen. In der Folge sind dann die Patienten aller Krankenkassen betroffen.

Um die Gefahr von Lieferengpässen zu vermeiden, gibt es verschiedene Ansatzpunkte, die von den Krankenkassen beeinflusst werden können. Bei Ausschreibungen sollte grundsätzlich eine erhöhte Lagerkapazität gefordert werden. Vor allem aber sollte der Gesetzgeber Krankenkassen verpflichten, bei z.B. mindestens fünf Marktteilnehmern (ohne Importeure) eine Mehrfachvergabe mit mindestens zwei pharmazeutischen Unternehmen zu fordern. Dies würde die Liefersicherheit dauerhaft erhöhen.

Vorschläge:

- Bei mindestens fünf Generikaherstellern zwingende Vergabe an zumindest zwei Marktteilnehmer.

Monetäre Effekte der Umsetzung:

- Gesamtlieferfähigkeit in der GKV wird erhöht mit entsprechender Erhöhung der realisierten Einsparungen durch umfangreiche Bedienung der Rabattverträge.

Einfluss auf die Patientenversorgung:

- Höhere Wahrscheinlichkeit, durchgehend das Vertragsprodukt zu erhalten und damit Verbesserung der Therapieadhärenz.



8. Nicht-zugelassene Therapieallergene von der Erstattungsfähigkeit ausschließen

Allergene sind Substanzen, die beim Menschen zu Überempfindlichkeitsreaktionen (allergischen Reaktionen) führen können. Zur Behandlung einer Allergie („Hyposensibilisierung“) sind sogenannte Therapieallergene vorgesehen. Für diese ist in Deutschland das Paul-Ehrlich-Institut (PEI) zuständig. Bis zum Jahr 2008 gab es eine Vielzahl von Therapieallergenen ohne Zulassung oder in Form von Individualrezepturen auf dem Markt. Im Jahr 2008 wurde die Therapieallergene-Verordnung (TAV) verabschiedet. Diese sollte seinerzeit dafür sorgen, dass nicht von heute auf morgen eine Vielzahl von Therapiealternativen vom Markt gehen mussten, da es andernfalls nicht genug zugelassene Alternativen gegeben hätte. Viele Unternehmen haben sich seitdem auf den Weg gemacht und ihre alten Präparate einer regulären Zulassung unterworfen bzw. direkt neue Produkte zugelassen. Andere Unternehmen sind bis dato daran gescheitert, ihre Produkte regulär zuzulassen, da bereits Dosisfindungsstudien, in denen zum Teil schon deutlich höhere Dosierungen genutzt wurden als in den auf dem Markt befindlichen Produkten, keine Wirksamkeit zeigen konnten.

Eine dritte Gruppe von Unternehmen hat nie begonnen, Zulassungsstudien zu starten. Eine aktuelle Publikation deutscher Allergologen⁸ kommt auf Basis einer systematischen Literaturrecherche zu folgendem Fazit:

- 33 Präparate sind von der TAV betroffen.
- 17 Präparate (51,5 %) haben bis 2021 – immerhin 13 Jahre nach Inkrafttreten der TAV – keine Studienaktivität gestartet.
- 1 Präparat hat zwei Studien durchgeführt und ist mittlerweile zugelassen.
- 15 Präparate befinden sich formal im Zulassungsprozess – hier werden Phase-II- (Dosisfindungsstudien) und Phase-III-Studien durchgeführt. Ein Großteil der Studien ist beendet, aber nicht publiziert. Die Dosisfindungsstudien zeigten in vielen Fällen, dass selbst 3 bis 5-fach höhere Dosierungen als die Dosierung, welche derzeit in den im Markt befindlichen Präparaten verwendet wird, nicht wirksam waren. In diesen Fällen wurde also faktisch nicht nur „keine Wirksamkeit“ nachgewiesen, sondern sogar die Unwirksamkeit der derzeit nicht zugelassenen und erstatteten Präparate bewiesen.
- Kein Präparat befindet sich unmittelbar vor Zulassung.

Leider wurde das Ende der TAV in den letzten Jahren immer wieder verlängert. Die GWQ-Kassen haben im Jahr 2020 etwa 17 Mio. Euro für nicht zugelassene Therapieallergene gezahlt.

Mittlerweile gibt es in den Rahmenvorgaben nach § 84 Abs. 1 SGB V auf Bundesebene die Vorgabe, bei Neustart einer Therapie nur noch zugelassene Alternativen zu verordnen. Entsprechende Regelungen wurden in fast allen KV-Regionen übernommen. Dies ist auch ohne Probleme möglich, da bei den wichtigen Hauptallergenen Gräser, Bäume und Milben eine ausreichend große Anzahl von zugelassenen Alternativen zur Verfügung steht. Es ist daher im Sinne einer evidenzbasierten Medizin angezeigt, dass der Gesetzgeber Patienten vor nicht zugelassenen Präparaten ohne Nachweis einer Wirksamkeit endlich schützt. Unabhängig davon stellt sich die dringende Frage, inwieweit Patienten heute bei Verordnung eines nicht zugelassenen Präparates transparent aufgeklärt werden und ob etwaige Schäden

⁸ Horn et al.: „Klinische Nachzulassungsstudien im Rahmen der TAV – eine systematische Recherche“; Z. Evid. Fortbild. Qual. Gesundh.wesen (ZEFQ) 160 (2021) 11 - 20



dem Haftungsrisiko des Arztes unterliegen.

Zur Klarstellung: Seltene Therapieallergene sind von der TAV ausgenommen und bleiben daher auch ohne Zulassung erstattungsfähig. Dieser Status soll so auch erhalten bleiben.

Vorschlag:

- Ausschluss von der Erstattungsfähigkeit für alle nicht zugelassenen Therapieallergene, die der TAV unterliegen. Umsetzung mit maximal einjähriger Übergangsfrist.

Monetäre Effekte der Umsetzung:

- Wegfall der Beschaffungskosten der Apotheken (fallen nur bei nicht zugelassenen Alternativen an).
- Vermeidung von Doppelbehandlungen, wenn eine nicht-zugelassene Erstbehandlung unwirksam war.

Einfluss auf die Patientenversorgung:

- Verbesserung der Qualität der Versorgung, da nur noch Therapien zur Verfügung stehen, die einen nachgewiesenen Nutzen haben.



9. Pay-for-Performance mit dem Risikopool koppeln

Im Rahmen von ATMPs haben sich Rabattverträge bewährt, die auch eine Pay-for-Performance-Komponente (P4P) enthalten. Damit kann oft die Unsicherheit bzgl. der Wirksamkeit im realen Versorgungsalltag der hochpreisigen Therapien adressiert werden. Die Abrechnung dieser Verträge kann mit zum Teil großem Zeitverzug stattfinden. Dies liegt zum einen an weiteren Datenquellen, die zusätzlich analysiert werden müssen, z.B. Diagnosedaten aus dem Krankenhaus oder dem ambulanten Bereich, welche mit einem wesentlich größeren Zeitverzug erst bei den Kassen eingehen. Zum anderen ist bei den P4P-Modellen in der Regel kein Quartalsbezug hinterlegt, sondern die Betrachtungszeiträume gehen über mehrere Jahre. Seit dem Jahr 2020 gibt es einen Risikopool, der Therapiekosten von mehr als 100.000 Euro/Jahr zu 80 % ausgleicht. Um die selektivvertragliche Option der P4P-Verträge und den Risikopool zu harmonisieren, muss sichergestellt werden, dass ggf. nach Jahren realisierte zum Teil auch sehr hohe Rabatte eben dann auch zu einem relevanten Anteil (Rabatt minus 100.000 Euro x 80 %) in den Risikopool zurückfließen. Ohne eine solche Regelung würden P4P-Verträge zukünftig in diesem Segment obsolet und der Solidargemeinschaft würde ein wirksames Instrument entzogen.

Vorschlag:

- Optimierung des Risikopools, damit innovative Vertragsmodelle wie P4P-Verträge auch langfristig Berücksichtigung finden.

Monetärer Effekt der Umsetzung:

- P4P-Verträge tragen auch zukünftig für die Solidargemeinschaft und Einzelkasse zu Einsparungen bei.

Einfluss auf die Patientenversorgung:

- Kein Einfluss.



10. Verträge nach § 130a Abs. 8a SGB V abschaffen

Die GWQ hatte im Jahr 2016 zusammen mit der DAK Verträge nach § 129 Abs. 5 Satz 3 SGB V ausgeschrieben. In über 300 Regionalstellen konnten Zytostatika-herstellende Apotheken als Vertragspartner gefunden werden, die dann exklusiv die jeweiligen onkologischen Arztpraxen in der Region belieferten. Die Verträge liefen reibungslos und führten zu einer Regionalisierung der Versorgung, während zuvor etwa 15 % der Zytostatika-Zubereitungen 100 km und zum Teil deutlich mehr durch Deutschland transportiert wurden. Die Einsparungen durch diese Verträge für die gesamte GKV beliefen sich auf etwa 750 Mio. Euro/Jahr.

Die Verträge wurden im Jahr 2017 im AMVSG untersagt. Kompensatorisch wurde der § 130a Abs. 8a SGB V geschaffen, der den Landesverbänden der Kassen gemeinsam und einheitlich die Möglichkeit einräumt, Rabattverträge über Zytostatika-Rezepturen zu schließen. Nur unter diesen Bedingungen und mit einem separat eingerichteten Meldeverfahren für diese Verträge findet ein Austausch in der Apotheke zum Rabattvertragspartner der Kassen statt. Die GWQ hat seinerzeit in politischen Stellungnahmen darauf hingewiesen, dass die angedachte monetäre Kompensation nicht realisierbar sein wird. Dies hat sich bewahrheitet, denn es gibt bis heute keinen Vertrag nach § 130a Abs. 8a SGB V. Versuche hierzu sind gescheitert.

Bis auf einen Verlust von 750 Mio. Euro Einsparpotenzial hat die kompensatorische Regelung nichts gebracht und ist verzichtbar. Vielmehr sollte ein Abschluss von Rabattverträgen für parenterale Zubereitungen sowie ein verpflichtender Austausch in der Apotheke hin zum Rabattvertragspartner in den § 130a Abs. 8 SGB V wieder aufgenommen werden.

Vorschlag:

- Ersatz des wirkungslosen § 130a Abs. 8a SGB V durch die Möglichkeit, Rabattverträge für parenterale Zubereitung abzuschließen, verbunden mit einem verpflichtenden Austausch in der Apotheke hin zum Rabattvertragspartner.

Monetärer Effekt der Umsetzung:

- Generierung von Einsparungen in Höhe von mind. 500 Mio. Euro/Jahr.

Einfluss auf die Patientenversorgung:

- Kein Einfluss.