

Weltweit gibt es 6.000 bis 8.000 seltene Erkrankungen. Allein in Deutschland sind 4 Millionen Menschen von einer dieser Krankheiten betroffen. Im internationalen Vergleich belegt Deutschland in puncto Zugang und Verfügbarkeit von Arzneimitteln gegen seltene Erkrankungen (Orphan Drugs) seit Jahren den Spitzenplatz. 95 Prozent aller europäisch zugelassenen Orphan Drugs sind für Patientinnen und Patienten in der Bundesrepublik verfügbar. Dieses großartige Ergebnis beruht auf einem effektiven Zusammenspiel von Wissenschaft, Patientenorganisationen, Ärzteschaft sowie forschenden Arzneimittelherstellern. Sie ist aber auch eine direkte Folge der förderlichen politischen Rahmenbedingungen der letzten Jahrzehnte.

Die Entwicklung und Herstellung von Orphan Drugs dienen einem gesellschaftlich und politisch gewünschten Ziel, nämlich die medizinische Versorgung kleiner vulnerabler Patientengruppen zu verbessern. Um Forschung und Entwicklung in diesem Bereich, trotz marktwirtschaftlicher Risiken, zu fördern, müssen Orphan Drugs nicht das vollständige Nutzenbewertungsverfahren durchlaufen – ein Alleinstellungsmerkmal Deutschlands in der Europäischen Union. Ihr Zusatznutzen gilt auf Basis der europäischen Zulassung als belegt. Auf Grundlage einer zusätzlichen Nutzenquantifizierung des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) finden dann – wie bei allen anderen Medikamenten – die Erstattungsbetragsverhandlungen mit dem GKV-Spitzenverband statt. Diese speziellen AMNOG-Vorgaben galten bis Ende 2022 bis zu einer Umsatzschwelle von 50 Millionen Euro. Überschritt ein Präparat innerhalb von zwölf Monaten diese Schwelle, wurde eine reguläre vollständige Nutzenbewertung plus erneute Erstattungsbetragsverhandlung durchgeführt. Bedauerlicherweise kam es mit der Verabschiedung des GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinStG) Ende 2022 zu problematischen Veränderungen der notwendigen förderlichen Regulatorik.

Mit dem Gesetz wurde diese Schwelle auf 30 Millionen Euro herabgesetzt, ein Schritt, der das AMNOG für viele Orphan Drugs zu einer unüberwindbaren Hürde macht. Die Generierung von Daten ist bei seltenen Erkrankungen grundsätzlich eine große Herausforderung und nicht mit herkömmlichen Arzneimitteln zu vergleichen. Die Bewertungsmethodik im AMNOG ist auf häufigere Krankheiten mit größeren Datenmengen ausgerichtet. Viele Orphan Drugs, auch solche, die bereits in der Versorgung angekommen sind, laufen mit der Absenkung der Schwellengrenze Gefahr, in der regulären Nutzenbewertung ihren Zusatznutzen gemäß der strikten G-BA-Kriterien für Non-Orphan Produkte nicht belegen zu können und somit keine angemessene Ausgangslage mehr für faire Preisverhandlungen zu haben. Für die Hersteller entfällt so wirtschaftliche Sicherheit – die Reform wirkt faktisch bei den Zielkonflikten, wo in Zukunft geforscht (u.a. Indikationserweiterungen bspw. für Kinder etc.) und investiert werden soll, als Investitions- und Forschungsbremse. Das kann nicht das Ziel der Bundesregierung sein.

Jede Veränderung sollte darauf abzielen, Innovationen zu fördern und von langem Leid betroffenen Patientinnen und Patienten einen möglichst schnellen Zugang zu neuen wirksamen Behandlungsoptionen zu ermöglichen. Diese Zielstellung wurde bedauerlicherweise aufgrund des vorherrschenden finanziellen Konsolidierungsdrucks der letzten Jahre und der Notwendigkeit kurzfristiger Einsparungen in der GKV hinten angestellt, ohne die mittel- bis langfristigen Folgeschäden für das System und den Zugang zu innovativen Arzneimitteln für seltene Erkrankungen ausreichend mitzudenken.

Es muss jetzt darüber diskutiert werden, wie weitere Verwerfungen verhindert werden. Um das gesundheitspolitische Ziel zu erreichen, Therapien auch für die verbleibenden 95% der seltenen Erkrankungen zu entwickeln, für die es heute noch keine Behandlungsoption gibt, sind förderliche regulatorische, wirtschaftliche und wissenschaftliche Rahmenbedingungen entscheidend. Dazu gehören auch Anreize für Unternehmen.

Die Ampelkoalition formulierte im Koalitionsvertrag 2021 den Anspruch „Fortschrittskoalition“ zu sein, Innovationen und Investitionen in Deutschland anzuregen und ein vorsorgendes, krisenfestes und modernes Gesundheitssystem aufzubauen. Zentraler Punkt in diesem Zusammenhang war es, auch die Potenziale der Biotechnologie stärker zu nutzen und zu fördern. Neben dem Kampf gegen Volkskrankheiten sollte so auch explizit die Versorgung der Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen abgesichert werden. Die mit dem GKV-FinStG verbundenen Verschlechterungen stehen diesem Zielbild diametral entgegen. Weitere würden die Orphan-Forschung und Versorgung nachhaltig schädigen. Aktuelle Vorhaben der Europäischen Kommission – besonders das EU-Pharmapaket und die Umsetzung der EU-Nutzenbewertung (EU-HTA) – enthalten erneut hochproblematische regulatorische und methodische Einengungen, die weitere Probleme für den Bereich der Orphan Drugs nach sich ziehen werden.

Es muss auf eine realistische und förderliche Gestaltung der Regulatorik geachtet werden, um die Versorgung nicht weiter zu gefährden und tatsächliche Verbesserungen und Fortschritte zu erreichen.

Kontakt: Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG

Stephanie Schultz, Leiterin Public Affairs, Potsdamer Straße 125, 10783 Berlin, Mobil: 0151 1708 8354,
E-Mail: stephanie.schultz@takeda.com