

## Stellungnahme argenx zum Konzept „AMNOG 2.0“

Der Konzeptentwurf setzt aus unserer Sicht die richtigen Signale: rascher Zugang zu Innovationen in Deutschland für Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen und Erkrankungen mit hohem unmet medical need – und dies weiterhin auf Basis von Evidenz.

Die Diskussion in der 4. Sitzung der AG 3 am 3. September 2026 hat zugleich deutlich gemacht, dass das Konzept an der einen oder anderen Stelle noch Konkretisierung benötigt. In diesem Sinne ist die vorliegende Stellungnahme zu verstehen: als lösungsorientierter Vorschlag.

Das vorgeschlagene zweistufige Konzept ist für uns per se nachvollziehbar. Die folgenden Punkte bedürfen aus unserer Sicht weiterer Klärung:

### **1. Weiterentwicklung des Orphan-Privilegs: Zweistufiges Verfahren statt Umsatzschwelle**

Am Orphan-Privileg (d.h. Zusatznutzen gilt als belegt, keine Festsetzung der zVT) sollte festgehalten werden. Im Rahmen einer Weiterentwicklung des Orphan-Privilegs sollten jedoch neben einer Anpassung der Bewertungsmaßstäbe in Stufe 1 zudem die Umsatzschwelle abgeschafft werden und stattdessen die Stufe 2 des zweistufigen Bewertungsmodells („zeitlich definierte Re-Evaluation“) treten. So gibt es keine Entscheidung zwischen Orphan-Privileg **oder** zweistufigem Verfahren, sondern eine sinnvolle Integration beider Konzepte.

Dies ist konsistent mit der vorgeschlagenen Weiterentwicklung bzw. Anpassung der Methodik an regulatorische Vorgaben im Sinne einer evidenzbasierten Bewertung. Denn an unterschiedliche Therapiesituationen können nicht dieselben methodischen Anforderungen gestellt werden und eine arbiträre monetäre Betrachtung – die 30-Mio.-€-Umsatzschwelle – ist kein geeignetes Instrument für eine Differenzierung.

Ein solches Konzept stellt außerdem sicher, dass **Orphan-Indikationen gleichbehandelt werden und immer das gleiche Verfahren durchlaufen**. So werden Inkonsistenzen hinsichtlich der Bewertung vermieden, die sich bisher ergeben, wenn die gleiche Indikation z.B. im Rahmen der Einführung eines neuen Produkts bewertet wird oder als Zulassungserweiterung nach Überschreitung der Umsatzschwelle.

Für innovative Orphan-Produkte, die bereits die Umsatzschwelle überschritten haben, ist das o.g. Konzept für die Zulassung neuer Anwendungsgebiete ebenfalls anzuwenden; nicht nur neu eingeführte Produkte sollten von dieser Regelung profitieren.

### **2. Hinweise zu Stufe 1**

#### **2.1 Definition der neuen Zusatznutzenkategorie und Vorgaben zur Quantifizierung**

Aus unserer Sicht wäre es notwendig, dem G-BA eine klare Definition der neu einzuführenden Zusatznutzenkategorie an die Hand zu geben; die bisherigen Kategorien zur Abbildung von Unsicherheit reichen nicht aus. Ebenso benötigt der G-BA aus unserer Sicht eine eindeutige Vorgabe zur Methodik, wie eine Quantifizierung unter an regulatorische Behörden angepassten Anforderungen erfolgen kann.

## 2.2 Abstimmung mit den Zulassungsbehörden und Anschlussfähigkeit an EU-HTA

Die Überarbeitung der methodischen Anforderungen sollte in enger Abstimmung mit den Zulassungsbehörden erfolgen und sich anschließend auch in EU-HTA-Verfahren wiederfinden.

Aus globaler Perspektive dürften Unternehmen – vor dem Hintergrund von Ressourcenallokation, steigenden Anforderungen an die Geschwindigkeit von der klinischen Forschung bis zur Marktverfügbarkeit sowie des globalen Wettbewerbs – vermutlich nicht bereit sein, gesonderte Studien allein für europäische HTA-Vorgaben durchzuführen. Wir regen an, dies zu berücksichtigen bei:

- der Auswahl und Akzeptanz des Studiendesigns,
- den Endpunkten,
- der Studienpopulation.

Beispielhaft sollten aus unserer Sicht auch indirekte Vergleiche Berücksichtigung finden, auch wenn sie ggf. mit Unsicherheit behaftet sind.

## 2.3 Versorgungsrealität bei der Auswahl des Therapiestandards

Vergleichende Evidenz gegenüber einem Therapiestandard ist sicherlich nicht in allen, aber doch in einigen Fällen bebringbar. Bei der Auswahl des Therapiestandards sollte die Versorgungsrealität Berücksichtigung finden und unter anderem auch Off-Label-Einsätze einbeziehen. Dies entspricht dem vorgesehenen methodischen Rahmen (*„Der methodische Weg erfolgt als Bewertung gegenüber der Versorgungssituation – der Vergleichsmaßstab bleibt erhalten. Dafür müssen Methoden und Bewertungsansätze angepasst werden.“*).

## 3. Hinweise zu Stufe 2

Wir halten es für wichtig, dass der G-BA gemeinsam mit dem Unternehmen eindeutig und verbindlich klärt und festlegt, welche Daten bzw. Evidenz in einem definierten Zeitraum realistisch beizubringen sind und welche Schlussfolgerungen sich daraus ableiten lassen. Ergänzend drei Anmerkungen:

- **Zeitraum.** Ein Zeitraum von vier Jahren erscheint uns für die Generierung von Evidenz angemessen.
- **Ergebnisoffenheit.** Aus unserer Sicht sollte eindeutig sein, dass der G-BA auch zu dem Ergebnis kommen kann, dass keine hinreichenden Zweifel an dem in Stufe 1 zuerkannten Zusatznutzen bestehen.
- **Einmaligkeit.** Die Re-Evaluation sollte sich auf einmalig nach der Stufe-1-Bewertung beschränken.
- **Rechtliches Gehör.** Der pharmazeutische Unternehmer ist zwingend im Rahmen der Stufe 2 des Bewertungsmodells anzuhören.

Für einen weiteren Austausch stehen wir gerne zur Verfügung.

