



# Zukunft AMNOG

Neue Impulse für  
die Patientenversorgung

# vfa-Handlungsempfehlungen für das AMNOG

Deutschland weist eine lange Geschichte bedeutender pharmazeutischer Entdeckungen und Entwicklungen auf – vom ersten wirksamen Antibiotikum über zwei der ersten direkten oralen Gerinnungshemmer bis hin zum ersten zugelassenen mRNA-Impfstoff gegen COVID-19. Die forschenden Pharma-Unternehmen konnten einen wichtigen Beitrag für die Gesundheit vieler Menschen leisten.

Die gute Versorgung der Bevölkerung mit Arzneimittelinnovationen war bislang eine Stärke des Gesundheitssystems. Dazu hat auch das Verfahren zur Preisregulierung innovativer Medikamente, das „AMNOG“, benannt nach dem Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz von 2010, beigetragen. Es sollte einen stabilen Rahmen für die Innovationstätigkeit und eine schnelle Verfügbarkeit von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen schaffen. Zugleich sollte es den Interessenausgleich durch Verhandlungen zwischen den Kostenträgern und den pharmazeutischen Herstellern garantieren.

Doch diese verlässlichen Rahmenbedingungen schwinden. Inzwischen ist man an einem Scheideweg angekommen: Ohne entschlossene Maßnahmen droht Deutschland den Anschluss an den medizinischen und technologischen Fortschritt und seine Vorreiterrolle in Europa bei der Versorgung mit innovativen Arzneimitteln zu verlieren. Die Daten der europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) und die Daten zu Markteinführungen in Deutschland (Lauer-Taxe) zeigen, dass die Verfügbarkeit neuer Arzneimittel in den letzten knapp zwei Jahren um fast 20 Prozentpunkte gefallen und die Wartezeit auf neue Arzneimittel um mehr als 50 Prozent im Vergleich zu 2011 – 2023 gestiegen ist.

Damit Deutschland seine Rolle als Innovations- und Wirtschaftsmotor im Pharmabereich bewahrt und Patient:innen weiter Zugang zu neuen Wirkstoffen bekommen, sind Reformen unerlässlich. In den Jahren 2025 bis 2030 muss das AMNOG-System in den folgenden Handlungsfeldern zukunftssicher weiterentwickelt werden:



## Versorgungsperspektive stärken

Die frühe Nutzenbewertung des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) muss die Perspektive der Versorgung von Patient:innen in der Bewertungspraxis stärker einbeziehen. Leistet ein Arzneimittel einen besonderen Beitrag zur Abdeckung des Versorgungsbedarfs, so muss in der Preisbildung Flexibilität bestehen, diesen **Versorgungsbedarf zu berücksichtigen**. Für die Stärkung der Patientenversorgung ist zudem eine gute Dateninfrastruktur hilfreich. Der Ausbau solcher Datenquellen schreitet in Deutschland und Europa zwar voran, doch das Potenzial von Versorgungsdaten wird bisher nicht ausreichend genutzt. Das Ziel sollte daher sein, die **Dateninfrastruktur zu verbessern**.

## AMNOG als Standortfaktor begreifen

Das AMNOG muss **verlässliche Rahmenbedingungen sicherstellen**. Diese sind maßgeblich für die internationale Anerkennung des Systems und ein wichtiger Faktor für Standortinvestitionen. Preise für innovative Medikamente werden auf Basis einer Nutzenbewertung verhandelt. Dieses Verhandlungsprinzip wurde allerdings ausgehöhlt und ist gezielt wiederherzustellen. Es bedarf auch Anpassungen an neue Anforderungen. Insbesondere ist das **europäische HTA mit der Nutzenbewertung zu verzahnen** und eine schnelle Verfügbarkeit neuer Arzneimittel sicherzustellen.



## Medizinischem Fortschritt gerecht werden

Das AMNOG-Verfahren muss fit für den medizinischen Fortschritt und für die Patientenversorgung der Zukunft gemacht werden. Es ist daher ein zukunftsfester und planungssicherer Rahmen in der Nutzenbewertung zu schaffen, um **besondere Therapiesituationen zu berücksichtigen**. Zudem müssen gesetzliche Vorgaben ausreichend Gestaltungsspielraum für unterschiedliche **innovative Erstattungsmodelle ermöglichen**, um einen zeitnahen Patientenzugang zu gewährleisten. So wird sichergestellt, dass das AMNOG ein innovationsoffenes System ist, welches zuverlässig eine Versorgung auf hohem Niveau garantiert.





Versorgungsperspektive stärken

Handlungsempfehlung 1

## Versorgungsbedarf berücksichtigen

Viele neue Arzneimittel sind für die Versorgung unverzichtbar und werden innerhalb kurzer Zeit nach der Zulassung zum Therapiestandard. Diese Versorgungsperspektive muss im AMNOG-Verfahren abgebildet werden. Gerade dann, wenn ein Zusatznutzen vom G-BA formal nicht anerkannt wird, bedarf es im Rahmen des Nutzenbewertungsverfahrens einer regelhaften Überprüfung, ob das Arzneimittel einen Versorgungsbedarf abdecken kann. Anschließend muss die notwendige Flexibilität bestehen, diese therapeutische Bedeutsamkeit in der Preisverhandlung angemessen zu berücksichtigen, um die Verfügbarkeit dieser Arzneimittel sicherzustellen.

### Unverzichtbar im Therapiealltag

Die Arzneimittelforschung bringt zahlreiche neue Therapieansätze hervor. Einige Arzneimittel helfen Betroffenen durch neue Wirkprinzipien dort, wo bisherige Behandlungsalternativen unzureichend sind. Andere eröffnen sogar erstmalig eine zugelassene, zielgerichtete Therapiemöglichkeit für Patient:innen. Darüber hinaus können Arzneimittelinnovationen, ob ambulant oder stationär eingesetzt, substanzial zur Entlastung im Gesundheitswesen beitragen, wenn sie beispielsweise Nachsorgeaufwendungen erheblich reduzieren. Aus diesen vielfältigen Gründen etablieren sie sich innerhalb kürzester Zeit zum Therapiestandard und werden unverzichtbar in der Patientenversorgung. Diese klaren patienten- und systemrelevanten Vorteile werden in der frühen Nutzenbewertung allerdings nicht adäquat gewürdigt.

### Versorgungsperspektive nicht abgebildet

Die Beurteilung des Stellenwerts des Arzneimittels in der Versorgung und für Patient:innen kommt in der frühen Nutzenbewertung zu kurz. Bewertet wird nur der medizinische Zusatznutzen eines neuen Arzneimittels gegenüber bestehenden Therapiealternativen anhand von Studienergebnissen aus klinischen (Zulassungs-) Studien. In manchen Konstellationen ergibt sich der Mehrwert des Arzneimittels jedoch (noch) nicht unter den Anforderungen des G-BA aus der vorliegenden Evidenz. Dabei liegen die Gründe häufig nicht im Einflussbereich des Unternehmens und stehen auch nicht in Verbindung mit dem therapeutischen Wert des Wirkstoffs. Ein Grund kann etwa die Seltenheit der Krankheit sein, die die Generierung statistisch signifikanter Ergebnisse erschwert und die Durchführung einer randomisierten kontrollierten Studie (RCT) teilweise unmöglich macht. Zudem können auch rein formale Gründe zur Ablehnung der Evidenz führen, beispielsweise bei einer kurzfristigen Änderung der zweckmäßigen Vergleichstherapie (zVT), bei kleineren Abweichungen vom geforderten Studiendesign oder durch die im internationalen Vergleich eingeschränkte Akzeptanz von Endpunkten im AMNOG.

In diesen Fällen wird die therapeutische Bedeutung nicht in den G-BA-Beschlüssen abgebildet. Das kann auch therapeutische Solisten treffen, für die es keine Alternative in der Versorgung gibt, oder Arzneimittel, die in der medizinischen Fachöffentlichkeit unbestritten den Therapiestandard definieren. Ergebnisse der Nutzenbewertung eignen sich daher unter keinen Umständen als Therapieempfehlungen, noch spiegeln sie zwingend den Stellenwert eines Arzneimittels aus der Versorgungsperspektive wider.

Für die anschließende Preisverhandlung können die Folgen eines aus formalen Gründen nicht belegten Zusatznutzens gravierend sein. Wurde ein Zusatznutzen nicht anerkannt, soll ein Erstattungsbetrag vereinbart werden, der nicht zu höheren Jahrestherapiekosten führt als die zVT. In vielen Konstellationen muss der Erstattungsbetrag sogar mindestens 10 Prozent unterhalb der zVT liegen, auch wenn diese erst kürzlich auf den Markt gebracht wurde. Eine Berücksichtigung des tatsächlichen Stellenwerts neuer Arzneimittel ist nicht möglich. Dieser starre Verhandlungsrahmen, der die Versorgungsperspektive nicht einbezieht, wirkt sich somit negativ auf die Verfügbarkeit neuer Therapien aus und gefährdet auch die zukünftige Deckung des Versorgungsbedarfs.

### Versorgungsbedarf im AMNOG identifizieren

Die therapeutische Bedeutung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen muss in der Nutzenbewertung besser abgebildet werden. Wenn ein Zusatznutzen eines neuen Arzneimittels nicht belegt werden kann, bedarf es einer stärkeren Berücksichtigung der Versorgungsrelevanz. Der G-BA sollte künftig in seinen Beschlüssen regelhaft feststellen, wenn bei einem nicht belegten Zusatznutzen ein medizinischer Versorgungsbedarf vorliegt, zu dessen Abdeckung das Arzneimittel einen Beitrag leistet. Bei der Feststellung sollte die Expertise aus der Behandlungspraxis und die Patientenperspektive maßgeblich berücksichtigt werden. Dies könnte durch die medizinischen Fachgesellschaften oder Sachverständige mit Erfahrungen aus dem Behandlungsalltag sowie

Patientenvertreter:innen im Rahmen des Stimmabgabeverfahrens eingebracht werden. Auf diese Weise wird eine mögliche Diskrepanz zwischen dem Ergebnis der Nutzenbewertung und den klinischen Erfahrungen bzw. der Versorgungspraxis vermieden.

### Flexibilität in der Verhandlung ermöglichen

Ist in den Beschlüssen der frühen Nutzenbewertung festgestellt worden, dass ein Versorgungsbedarf besteht und ein Arzneimittel einen wichtigen Beitrag zu seiner Abdeckung leistet, so ist die notwendige Flexibilität für die Vereinbarung eines Erstattungsbetrags nach § 130b SGB V zu ermöglichen. Beiden Verhandlungspartnern, dem GKV-Spitzenverband für die Kostenträgerseite und dem pharmazeutischen Unternehmer, würde somit

Freiraum gegeben, für die Versorgung bedeutsame Arzneimittelinnovationen gemeinsam in ihrer Preisverhandlung zu würdigen. In diesen Fällen wäre vorgesehen, dass ein Erstattungsbetrag vereinbart werden darf, der oberhalb der für die jeweilige Konstellation betreffenden Preisgrenzen liegt. Dadurch kann gewährleistet werden, dass der Zugang von Patient:innen zu unverzichtbaren Arzneimitteln offen bleibt. Zugleich wird der Grundsatz, dass sich der Erstattungsbetrag maßgeblich am Ergebnis der Nutzenbewertung orientiert, nicht konterkariert.

#### vfa-Vorschlag:

- In der Nutzenbewertung ist auch der Versorgungsbedarf zu identifizieren.
- Dies ist dann in der Erstattungsbetragsverhandlung zu berücksichtigen.

Reguläre Prüfung des Versorgungsbedarfs durch den G-BA

Zusatznutzen belegt?

nein

Feststellung des G-BA zur Abdeckung des Versorgungsbedarfs?

ja

Flexibler Verhandlungsrahmen



## Handlungsempfehlung 2

# Dateninfrastruktur verbessern

Forschungs- und Versorgungsdaten müssen strukturiert zusammengetragen und nutzbar gemacht werden, um die Versorgungssituation besser abbilden zu können und den Forschungsstandort Deutschland zu stärken. Eine frühzeitige Partizipation verschiedener Akteure beim Ausbau dieser Infrastruktur ist notwendig. Dieses Vorgehen sichert den Zugang von Patient:innen zu Arzneimittelinnovationen und fördert zugleich eine qualitativ hochwertige Versorgung.

## Dateninfrastruktur im Wandel

Der Ausbau der Infrastruktur zur Erhebung, Verarbeitung und Bereitstellung von Daten, die in der Praxis abseits von randomisierten kontrollierten klinischen Studien (RCT) generiert werden, sogenannte Versorgungsdaten, nimmt sowohl in Deutschland als auch auf europäischer Ebene an Fahrt auf. Im Aufbau befindliche oder bereits genutzte Forschungsdateninfrastrukturen sind beispielsweise das Forschungsdatenportal für Gesundheit (FDPG) der Medizininformatik-Initiative (MII), das Forschungsdatenzentrum Gesundheit (FDZ), genomDE sowie eine Vielzahl medizinischer Register, wie das bis Ende 2027 zu konzipierende Register für Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP). Auf europäischer Ebene ist der European Health Data Space (EHDS) die zentrale Initiative, dessen Vorschriften aus der entsprechenden Verordnung schrittweise in den kommenden Jahren Anwendung finden. Ziel ist es auch hier, die Datensilos aufzubrechen und nach **FAIR**-Kriterien (Findable, Accesible, Interoperable, Reusable) zugänglich zu machen.

Im internationalen Vergleich bleibt Deutschland bisher jedoch hinter den Möglichkeiten der Nutzung von Versorgungsdaten zurück. Den gesellschaftlichen Mehrwert eines breiten Zugangs zu diesen Daten zeigen eindrücklich die Auswertungen von Krankenkassendaten aus Israel zu COVID-19-Impfstoffen mit wichtigen Erkenntnissen, beispielsweise zur dritten Impfung.

## Versorgungsdaten bisher ohne Stellenwert im AMNOG

Eine gute Infrastruktur für Versorgungsdaten bietet vielseitige Einsatzmöglichkeiten, die vom Bereich der Forschung und Entwicklung bis hin zur Arzneimittelsicherheit und Versorgungsforschung reichen. Auch die Zulassungsbehörden haben mittlerweile situativ einen pragmatischen Umgang mit Versorgungsdaten gefunden, wenn beispielsweise RCT nicht möglich oder ethisch nicht vertretbar sind. Durch die Dokumentation der systematischen Beobachtung einer Therapie unter Alltagsbedingungen können für die Zulassung erhobene Daten zur Wirksamkeit und Sicher-

heit im Anschluss daran sinnvoll ergänzt werden. Nach dem Markteintritt können Register weitere wichtige Informationen liefern, beispielsweise im Rahmen von Adhärenz-Studien oder um eine mögliche Unterversorgung zu identifizieren.

Obwohl es bereits hochwertige medizinische Register, beispielsweise für Krebserkrankungen, gibt, spielen Versorgungsdaten im AMNOG bislang kaum eine Rolle. Dabei könnten sie im Rahmen der Bewertung von Arzneimittelinnovationen wertvolle Erkenntnisse liefern. Der pharmazeutische Unternehmer hat heute schon die Möglichkeit, Registerdaten in der Nutzenbewertung, beispielsweise für externe Kontrollen zu einarmigen klinischen Studien, heranzuziehen, um unter anderem den natürlichen Krankheitsverlauf abzubilden. Aufgrund realitätsferner methodischer Anforderungen werden diese Daten in der Regel jedoch nicht für die Anerkennung eines Zusatznutzens akzeptiert.

## Potenziale für das AMNOG-Verfahren nutzen

Sinnvoll wäre die Berücksichtigung von Versorgungsdaten auch im Rahmen der frühen Nutzenbewertung, beispielsweise bei individuellen Therapieansätzen für kleine Patientengruppen (→ Handlungsempfehlung zu Besonderen Therapiesituationen). In solchen Situationen, aber auch bei einer kurzfristigen Änderung der zweckmäßigen Vergleichstherapie, können indirekte Vergleiche die bestverfügbare Evidenz entsprechend der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung darstellen und sollten zur Bewertung des Zusatznutzens herangezogen werden. Eine entsprechende Anpassung an die Methodik der europäischen Nutzenbewertung kann ein erster Schritt hin zu einem zeitgemäßen Umgang mit indirekten Vergleichen sein. Zudem könnten perspektivisch auch „digitale Zwillinge“, also aus Daten generierte Abbildungen von Menschen, helfen, Vergleichsgruppen in Studien zu simulieren. Darüber hinaus empfiehlt es sich, in frühen Beratungen gemeinsam Wege zur Evidenzgenerierung zu identifizieren, die eine für alle Beteiligten aufwändige anwendungsbegleitende Datenerhebung nach der Zulassung vermeiden.

Nicht zuletzt kann eine gestärkte Dateninfrastruktur auch die Basis für neue Vertragsmodelle liefern (→ Handlungsempfehlung zu Innovative Erstattungsmodelle). Mithilfe qualitativ hochwertiger Register, der Zusammenführung und Systematisierung existierender Routinedaten sowie der Erhebung geeigneter Endpunkte lassen sich zwischen pharmazeutischem Hersteller und GKV-Spitzenverband zu vereinbarende erfolgsabhängige Erstattungsmodelle realisieren. Neben der Sicherstellung der Finanzierung von Arzneimittelinnovationen werden so wertvolle Erkenntnisse aus dem Behandlungsalltag genutzt, die die Patientenversorgung verbessern können.

Vor diesem Hintergrund ist die im Medizinforschungsgesetz (MFG) vorgesehene Konzipierung eines ATMP-Registers bis Ende 2027 grundsätzlich zu begrüßen. Wünschenswert wäre eine frühzeitigere Konzepterstellung unter Einbindung der relevanten medizinischen Fachgesellschaften, der Patientenorganisationen sowie der forschenden Pharmaindustrie.

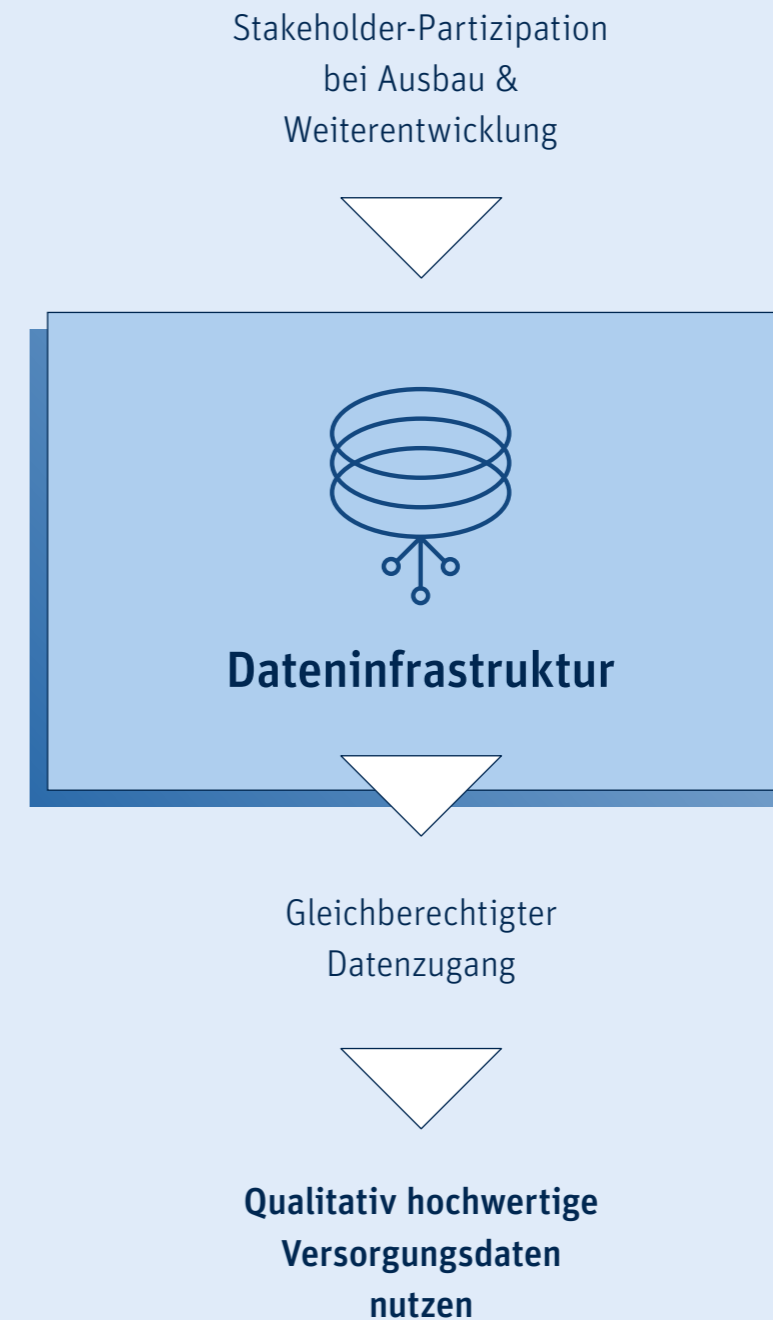
#### Dateninfrastruktur nutzbar machen

Neben der Partizipationsmöglichkeit ist der gleichberechtigte Datenzugang elementar bei der Stärkung der Dateninfrastruktur. Das Daten-nutzungsrecht ist gemäß den Vorgaben des EHDS und der Umsetzung im Gesundheitsdaten-nutzungsgesetz (GDNG) entlang des Nutzungszwecks zu gewährleisten, denn die forschenden Pharmaunternehmen sind wesentlich an der Entwicklung therapeutischer Fortschritte beteiligt. Darüber hinaus ist es notwendig, dass hohe und umsetzbare Qualitätsstandards für die Dateninfrastruktur etabliert werden, denn nur mit einer guten Daten- und Analysequalität können aus den gewonnenen Versorgungsdaten die skizzierten Potenziale genutzt werden.

Das sichert in Zukunft einen breiten Zugang zu innovativen Therapien für Patient:innen und stärkt durch den Erkenntnisgewinn aus Versorgungsdaten die Gesundheitsversorgung und den Forschungsstandort Deutschland.

#### vfa-Vorschlag:

- Der Ausbau einer qualitativ hochwertigen Dateninfrastruktur ist gemeinsam voranzubringen.
- Die Daten sind auch für die forschende pharmazeutische Industrie nutzbar zu machen.





# AMNOG als Standortfaktor begreifen

## Handlungsempfehlung 1

# Verlässliche Rahmenbedingungen sichern

Im Vergleich zu anderen europäischen Ländern hat sich Deutschland bewusst für ein Preisbildungssystem entschieden, das neben einer nachhaltigen Finanzierung vor allem einen frühen Marktzugang von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen sichern soll. Systemfremde Elemente, wie das Verhandlungskorsett der „Leitplanken“, gefährden nun jedoch das Ziel einer guten Patientenversorgung. Sie müssen dringend wieder entfernt werden. Es bedarf zudem mehr Planungssicherheit im AMNOG-Verfahren, um den Innovationsrückstand zu anderen Ländern wie den USA nicht größer werden zu lassen. Verlässliche Rahmenbedingungen sind für einen Innovations- und Produktionsstandort Deutschland essenziell.

### Nutzenbasierte Preisbildung wird unterlaufen

Das Kernprinzip der Preisfindung für innovative Arzneimittel war stets: Ein Preis über der bisherigen Standardtherapie ist gerechtfertigt, wenn der G-BA für die neue Behandlungsmethode einen Zusatznutzen feststellt. Diese Logik ist vom Gesetzgeber mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinStG) durch neue Preisbildungsvorgaben ausgehebelt worden. Maßnahmen, wie die „Leitplanken“, der Zwangsabschlag auf Kombinationen oder die Verpflichtung, mengenbezogene Aspekte in den Erstattungsbetragsverhandlungen zu vereinbaren, haben mit diesem Prinzip der nutzenbasierten Preisbildung des AMNOG gebrochen. Die Komplexität der Regelungen führt dazu, dass diese mitunter gleichzeitig greifen und den Preisdruck auf eine Weise erhöhen, die vom pharmazeutischen Hersteller weder antizipiert noch akzeptiert werden kann. Das setzt die Einführung neuer Arzneimittel und deren dauerhafte Verfügbarkeit aufs Spiel.

### „Leitplanken“ für die Erstattungsbetragsverhandlung

Wichtige patientenrelevante Therapieverbesserungen finden durch die „Leitplanken“ in den Verhandlungen zum Erstattungsbetrag zwischen Hersteller und GKV-Spitzenverband keine Berücksichtigung mehr. Durch das aktuell bestehende sehr enge Verhandlungskorsett wird den Verhandlungspartnern und der Schiedsstelle die Möglichkeit genommen, besondere Therapiesituationen oder ungedeckte Versorgungsbedarfe bei der Preisbildung zu berücksichtigen. In vielen Therapiegebieten, wie bei chronischen Erkrankungen wie Diabetes mellitus Typ 2, HIV, schwerem Asthma, Epilepsie oder bei psychischen Erkrankungen, entfalten die „Leitplanken“ eine verheerende Wirkung. So können einige Arzneimittel gar nicht mehr direkt in den Markt eingeführt werden, da der initial zu erwartende Erstattungsbetrag für die Unternehmen nicht wirtschaftlich tragfähig ist. Eine erste politische Kurskorrektur wurde im Zuge des Medizinforschungsgesetzes (MFG) mit einer zeitlich befristeten Option zur Befreiung von den „Leitplanken“ zwar unternommen. Doch nur durch deren komplette Streichung kann vermieden werden, dass weitere neue Arzneimittel den Patient:innen später oder gar nicht mehr zur Verfügung sehen.

### Zwangsabschlag auf Kombinationstherapien

Auch der pauschale Kombinationsabschlag untergräbt das oben genannte Prinzip einer

nutzenadäquaten Preisfindung. Er verschärft den Preisdruck für viele innovative Medikamente immens und führt zu einer ungerechtfertigten Doppelbelastung. Obwohl Einsatz und Kosten von freien Kombinationen neuer Arzneimittel bereits in der Preisverhandlung der Medikamente berücksichtigt werden, muss nun ein weiterer pauschaler Rabatt in Höhe von 20 Prozent an die gesetzlichen Krankenkassen gezahlt werden. Dabei wird die Definition als Kombinationstherapie ohne medizinische Rationale vorgenommen und die Abwicklung des Rabatts ist auf allen Seiten nur mit übermäßigem bürokratischem Aufwand zu bewerkstelligen. Der Wert von Kombinationstherapien für die Versorgung wird durch dieses Instrument zudem negiert und medizinischer Fortschritt in diesem Bereich dadurch gehemmt.

### Verpflichtende Berücksichtigung von mengenbezogenen Aspekten

Wenn der nutzenadäquat gebildete Erstattungsbetrag durch mengenbezogene Regelungen verändert wird, ist das eine Entwertung der Nutzenbewertung des G-BA und das Ende der nutzenbasierten Preisbildung. Das Referenzieren auf andere bereits durch Mengenaspekte „verwässerte“ Erstattungsbeträge verursacht zudem unerwünschte Kellertreppeneffekte und bringt das Preisgefüge über Indikationsgebiete hinweg aus der Balance.

### Planungssicherheit nimmt ab

Seit Inkrafttreten des AMNOG im Jahr 2011 gab es zahlreiche gesetzliche Änderungen. Nach ersten Anpassungen zu Verfahrensabläufen und zum Geltungsbereich folgten weitere sinnvolle Änderungen beispielsweise bei Kinderarzneimitteln und Reserveantibiotika. Zuletzt vorgenommene Eingriffe durch das GKV-FinStG haben die Vorhersehbarkeit und Planungssicherheit für den Marktzugang von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen jedoch empfindlich eingeschränkt.

### Strategische Anfälligkeiten

Von Beginn an kommt dem GKV-Spitzenverband eine tragende Rolle im gesamten AMNOG-Prozess zu. Als Mitglied des G-BA ist er in den Prozess der Nutzenbewertung unmittelbar involviert und entscheidet mit über die Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie (zVT) und das Bewertungsergebnis. Dies ist anschließend Grundlage der Preisverhandlung, die er selbst führt. Das System wurde mit den neuen „Leitplanken“ so umgebaut, dass die Interessen der Kostenträger mit deutlichem Übergewicht zum Tragen kommen.

### Verlässlichkeit der zVT

Die zVT ist im AMNOG-Verfahren von zentraler Bedeutung, da der Zusatznutzen neuer Arzneimittel ihr gegenüber nachgewiesen werden muss. Trotz der bestehenden Beratungsmöglichkeit beim G-BA ist die zVT-Vorgabe ein Unsicherheitsfaktor für die betroffenen Unternehmen. Denn sie kann vom G-BA zu jedem Zeitpunkt verändert werden. Besonders problematisch sind solche Änderungen, wenn dadurch klinische Studien der pharmazeutischen Unternehmen für die Nutzenbewertung entwertet werden oder gänzlich unberücksichtigt bleiben – vor allem dann, wenn sie in Übereinstimmung mit einer G-BA-Beratung konzipiert und durchgeführt wurden. Trotz wissenschaftlich hochwertiger Studien wird in solchen Fällen ein Zusatznutzen aus formalen Gründen als nicht belegt erachtet. Hier muss dringend mehr Verlässlichkeit geschaffen werden. Eine zVT sollte in der Nutzenbewertung mindestens ergänzend herangezogen werden, wenn sie übereinstimmend mit der G-BA-Beratung in einer klinischen Studie eingesetzt wurde.

### Innovationsrückstand verschärft sich

Die Situation in Deutschland spielt oftmals auch eine maßgebliche Rolle für die Entscheidung, einen Zulassungsantrag in der EU zu stellen. Die abnehmende Attraktivität Deutschlands als Markteinführungsländ für Innovationen kann zu einer geringeren Attraktivität Europas im Vergleich

zu den USA führen und eine Abkopplung vom medizinischen Fortschritt nach sich ziehen. Knapp jedes vierte Arzneimittel, das in den letzten zehn Jahren in den USA zugelassen wurde, ist aktuell nicht in der EU verfügbar. Darunter sind mindestens 15 Arzneimittel, die laut US-Zulassungsbehörde eine erheblich verbesserte Wirksamkeit im Vergleich zu bereits existierenden Therapien erwarten lassen und somit eine besonders hohe Versorgungsrelevanz aufweisen (vgl. vfa Spotlight Pharmamarket 01/24 Marktzugangsmoitoring).

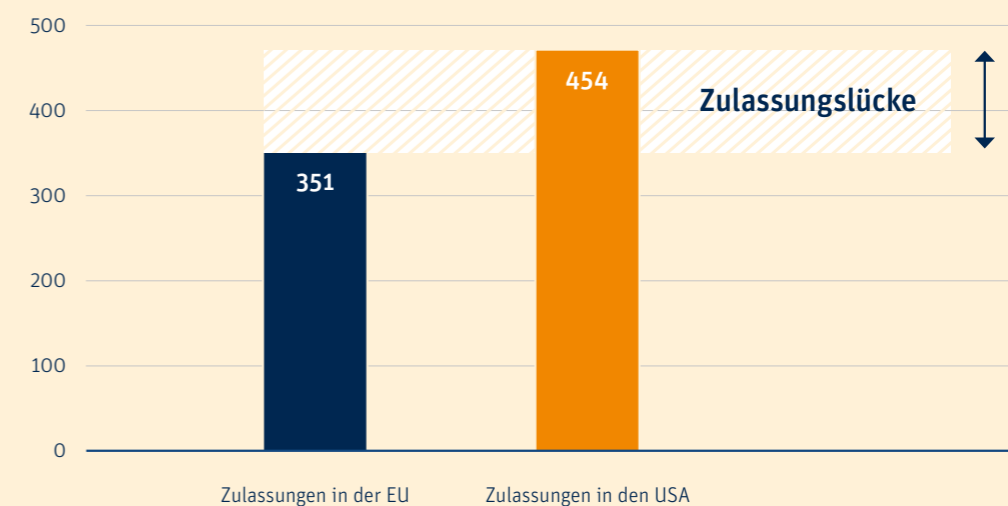
Verschlechtern sich die Rahmenbedingungen hierzulande, zieht das auch Konsequenzen für die Patientenversorgung in der EU insgesamt nach sich. Das unterstreicht die Dringlichkeit, das AMNOG-Verfahren planbar zu gestalten und Anreize für einen weiterhin zügigen Marktzugang zu schaffen, statt gesetzliche Vorgaben mit unüberschaubarer Komplexität einzuführen, die sich allein durch kurzfristige Einsparziele begründen.

### vfa-Vorschlag:

- **Innovationsfeindliche Vorgaben, wie „Leitplanken“ und Kombinationsabschlag, sind abzuschaffen.**
- **Die Rahmenbedingungen der Nutzenbewertung, beispielsweise die Festlegung der zVT, sind verlässlich zu gestalten.**

## Zulassungslücke zwischen EU und USA

Zulassungen neuer Arzneimittel 2014 bis August 2024





## Handlungsempfehlung 2

# Europäisches HTA und Nutzenbewertung verzahnen

Das europäische Health Technology Assessment (EU-HTA) sieht eine Bewertung von neuen Arzneimitteln parallel zur Zulassung vor. Damit sollen europaweit die Verfügbarkeit von neuen Therapien verbessert und die Verfahren effizienter gestaltet werden. Auch im AMNOG, dem deutschen System der Nutzenbewertung, müssen dafür die richtigen Weichen gestellt sein. Es bedarf ergänzender nationaler Regelungen, die eine nahtlose Verbindung zum europäischen Prozess schaffen. Gelingt diese Integration, kann das EU-HTA den Pharmastandort Deutschland und Europa stärken.

## Zukünftige Chancen nutzen

Mit der Entscheidung zur Implementierung einer europäischen Nutzenbewertung zunächst für onkologische Therapeutika und Arzneimittel für neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP) gab es einen grundlegenden neuen Impuls für die Bewertung von Arzneimitteln in Deutschland. Die entsprechende EU-Verordnung regelt die Zusammenarbeit der Mitgliedstaaten bei den klinischen Aspekten des HTA. Für Deutschland bedeutet das: Die klinische Bewertung von Studien erfolgt künftig auf europäischer Ebene. Die Beurteilung des Zusatznutzens und die Preisgestaltung verbleiben weiterhin in der nationalen Zuständigkeit. Konkret müssen die Mitgliedstaaten den europäischen HTA-Bericht bei ihren Entscheidungen angemessen berücksichtigen, dürfen aber bei Bedarf klinische Zusatzanalysen einfordern. Ein verbindlicher Mechanismus regelt die einmalige Einreichung klinischer Daten auf EU-Ebene, die auf nationaler Ebene nicht erneut angefragt und eingereicht werden dürfen.

Durch die effiziente Zusammenarbeit auf EU-Ebene soll die Verfügbarkeit von innovativen Therapien in der EU verbessert, der bürokratische Aufwand verringert und die Planungssicherheit gestärkt werden. Die Schaffung von Synergien auf europäischer Ebene soll Europa als erfolgreichen Pharmastandort und die Wettbewerbsfähigkeit des Sektors stärken. Europa kann die Fragmentierung bei der klinischen Bewertung innovativer Therapien abbauen, ohne dass die nationale Souveränität in Erstattungsfragen beeinträchtigt wird. Um diese Chancen auch für Deutschland zu nutzen, müssen die richtigen Weichen im AMNOG gestellt werden. Erst dadurch können die Prozesse gut verzahnt werden, sodass die schnelle Verfügbarkeit neuer Arzneimittel in Deutschland sowie die unternehmerische Planungssicherheit erhalten bleiben.

## Vorfahrt für europäische Bewertungen

EU- und nationale Prozesse müssen effizient aufeinander aufbauen. Um Doppelarbeit und zusätzlichen bürokratischen Aufwand zu reduzieren, müssen die Ergebnisse der europäischen Bewertung im AMNOG konsequent genutzt werden. Deshalb braucht es klare Vorfahrtsregeln für die europäischen Ergebnisse in der Nutzenbewertung durch ein Berücksichtigungsgebot. Ergänzende (unter-)gesetzliche Regelungen sollten eine maßgebliche Verwendung der europäischen Arbeitsergebnisse im nationalen Prozess sicherstellen.

Für mehr Effizienz der HTA-Bewertung sollten die nationalen Anforderungen an Auswertungen und Analysen im AMNOG in Ausrichtung an europäischen Leitlinien auf das notwendige Maß reduziert werden. Die Anforderungen in Deutschland sind derzeit außerordentlich umfangreich, übersteigen bei Weitem das Maß anderer europäischer Systeme und bergen das Risiko nationaler Zusatzanalysen. Deshalb braucht es eine Anpassung, um unnötigen Dokumentationsaufwand zu vermeiden. Änderungen in der G-BA-Verfahrensordnung müssen insbesondere Subgruppen- und bestimmte Arzneimittelsicherheits-Analysen reduzieren.

Für weitere Synergieeffekte der HTA-Bewertung müssen die methodischen Bewertungsgrundsätze besser an den europäischen Rahmen angeglichen werden. Bestimmte nationale Festlegungen stellen einen deutschen Sonderweg gegenüber europäischen Ansätzen dar und bergen das Risiko bleibender Fragmentierung. Deshalb braucht es mehr Flexibilität bezüglich der Berücksichtigung von patientenzentrierten Endpunkten und spezifischen Studiendesigns, wie indirekte Vergleiche, in Orientierung an europäischen HTA-Leitlinien. Hierfür sind ergänzende Regelungen im AMNOG und Anpassungen der IQWiG-Methodik notwendig.

Mit europäischen Vorfahrtsregeln und der Schaffung eines effizienteren Bewertungsrahmens in Ausrichtung an europäischen Vorgaben kann eine insgesamt bürokratieärmere HTA-Bewertung ohne Qualitätsverlust gelingen, die den Pharmastandort Deutschland und Europa stärken kann.

### Stärkung der nationalen Beratungen

Unternehmen sind verpflichtet, zusätzlich zur Einreichung der klinischen Daten auf EU-Ebene Unterlagen vorzulegen, die den nationalen Anforderungen entsprechen. Diese können klinische Zusatzanalysen umfassen, die bei Bedarf als Ergänzung zur europäischen Nutzenbewertung angefordert werden können. Für die nationalen Unterlagen braucht es mehr Planungssicherheit. Deshalb sollten die G-BA-Beratungen gestärkt werden. Hierfür sind ergänzende Regelungen notwendig, welche die Beratung zum nationalen PICO und Zusatzanalysen mit verkürzter Frist und damit schneller ermöglichen.

### Absicherung des schnellen Marktzugangs

Für ein optimales Zusammenspiel von AMNOG und europäischem Bewertungsprozess müssen Verfahrensschritte zeitlich präzise ineinandergreifen. Dies ist gegenwärtig noch nicht gewährleistet. Denn der europäische Bewertungsbericht fehlt zur Vorbereitung der nationalen Unterlagen durch den Hersteller bei einem unmittelbaren Marktzugang mit erteilter Zulassung. Auch fehlt der europäische Bewertungsbericht für die nationalen Bewertungsprozesse des G-BA. Dieser Zeitraum soll regelhaft 40 Tage betragen, in Ausnahmefällen, beispielsweise bei Änderung des Anwendungsgebietes im Rahmen des Zulassungsverfahrens, sogar länger.

Zur Absicherung des schnellen Marktzugangs durch Unternehmen braucht es eine Harmonisierung der Fristen des AMNOG-Verfahrens mit dem europäischen Prozess. Hierfür sind Änderungen in den Prozessvorgaben nötig, die es dem Hersteller ermöglichen, bei schnellem Marktzutritt die nationalen Unterlagen unter Berücksichtigung des europäischen Bewertungsberichts vorzulegen. Damit kann die Erstellung qualitativ hochwertiger nationaler Unterlagen gewährleistet und gleichzeitig die Gefahren eines verzögerten Markteintritts vermieden werden.

#### vfa-Vorschlag:

- Die nahtlose Integration der europäischen und nationalen Prozesse ist voranzutreiben.
- Der Aufwand ist zu reduzieren und Verzögerungen beim Markteintritt sind zu vermeiden.

## Verzahnung von europäischen und nationalen Prozessen





Medizinischem  
Fortschritt  
gerecht werden

Handlungsempfehlung 1

## Besondere Therapiesituationen anerkennen

Der medizinische Fortschritt schreitet stetig voran und in bestimmten Fällen sind randomisierte kontrollierte Studien (RCT) aus praktischen und ethischen Gründen nicht durchführbar. Dies muss auch bei der Bewertung des Zusatznutzens von Arzneimitteln berücksichtigt werden, um die Abkopplung vom wissenschaftlichen Fortschritt in der Arzneimittelentwicklung zu vermeiden. Besondere Therapiesituationen, für die Studien höchster Evidenzstufe unmöglich oder unangemessen sind, bedürfen daher einer Sonderstellung im AMNOG-Verfahren.

## Forschung heißt Wandel

Die Therapieansätze der letzten Jahre sind zunehmend zielgerichteter geworden für eng definierte, häufig kleinere Gruppen von Patient:innen. Der wissenschaftliche Fortschritt wird dadurch zu einer Herausforderung für die Arzneimittelzulassung, denn diese basiert in der Regel auf der Durchführung von RCT. Auch wenn RCT als Goldstandard gelten, ist ihre Durchführung nicht in allen Situationen ethisch vertretbar oder praktisch umsetzbar. Aus diesem Grund werden spezifische Studiendesigns entwickelt und angewandt – so zum Beispiel einarmige Studien ohne Kontrollarm oder mit historischen Kontrollgruppen.

Die Zulassungsbehörden stellen sich seit Jahren dieser Entwicklung. Ob RCT nötig und durchführbar sind oder ob alternative Studienansätze gewählt werden müssen, wird spezifisch für die jeweiligen Zulassungen bewertet. Im Fokus steht dabei eine einzelfallgerechte Abwägung zwischen einer zeitnahen Verfügbarkeit eines wirksamen und sicheren Arzneimittels und einer möglichst hohen Ergebnissicherheit der Studiendaten. Diese Abwägung findet unter anderem unter Berücksichtigung der Art, des Schweregrades und der Seltenheit der Erkrankung sowie des ungedeckten medizinischen Bedarfs statt. Vor allem wenn es bei der Arzneimittelentwicklung frühzeitig Hinweise dafür gibt, dass Patient:innen im besonderen Maße von der neuen Therapie profitieren oder die Dauer für die Erhebung langfristiger Therapieeffekte nicht angemessen erscheint, beispielsweise bei Gentherapien, gibt es einen Bedarf für einen zeitnahen Therapiezugang. Dieser sollte auf der jeweils angemessenen Evidenz, gegebenenfalls auch aus nicht-randomisierten Studien, sowie auf für die Therapiesituation angemessenen Endpunkten basieren.

## Webfehler im AMNOG-Verfahren

Eine Anpassung im Umgang mit nicht-randomisierten Daten im AMNOG-Verfahren ist noch nicht erfolgt. Der rechtliche Rahmen der AMNOG-Nutzenbewertung erkennt in der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) allerdings an, dass es Therapiesituationen gibt,

in denen es „unmöglich oder unangemessen ist, Studien höchster Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern“. In diesem Falle sind „Nachweise der best verfügbaren Evidenzstufe einzureichen“. Ebenso soll laut AM-NutzenV die Bewertung „auf der Grundlage der verfügbaren Evidenz“ erfolgen, wenn „valide Daten zu patientenrelevanten Endpunkten noch nicht vorliegen“.

Diese Regelung läuft jedoch in der Bewertungspraxis ins Leere, da die Möglichkeit sowie die Angemessenheit von klinischen Studien höchster Evidenzstufe (also RCT) nicht systematisch anhand von Kriterien geprüft wird und die eingereichte Evidenz niedrigerer Stufen bzw. die verfügbaren Studienergebnisse regelhaft als ungeeignet eingestuft werden. Auch bei der Quantifizierung des Zusatznutzens werden relevante Kriterien, wie beispielsweise die Häufigkeit der Erkrankung oder die Verfügbarkeit von Therapiealternativen, nicht regelhaft überprüft. Die Besonderheiten von Therapiesituationen werden damit insgesamt nicht adäquat berücksichtigt.

Dies ist ein Webfehler im AMNOG seit seinem Inkrafttreten im Jahr 2011. Die Folgen werden zunehmend deutlich: Der therapeutische Zusatznutzen wird in besonderen Therapiesituationen nicht entsprechend gewürdigt, sodass bei den betroffenen Therapien kein angemessener Erstattungsbetrag vereinbart werden kann. Dies wirkt sich negativ auf die Verfügbarkeit und den Einsatz neuer Therapien, wie Gentherapien, in der Versorgung aus.

## Anforderung der höchsten Evidenzstufe ist zu prüfen

Im Rahmen der AMNOG-Nutzenbewertung muss auf Antrag des pharmazeutischen Unternehmens vom G-BA festgestellt werden, ob es unmöglich oder unangemessen ist, Studien der höchsten Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern bzw. ob die höchstmögliche Evidenzstufe bereits vorliegt. Die Feststellung des G-BA kann unter Einbindung der Zulassungsbehörden sowie der wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften stattfinden. Damit können die Erwägungen der Zulassungsbehörden und die Versorgungs-

praxis gewürdigt und berücksichtigt werden. Die Prüfkriterien sollen die Besonderheiten der Therapiesituationen abbilden, so zum Beispiel den Schweregrad oder die Häufigkeit der Erkrankung sowie die Verfügbarkeit von adäquaten Therapiealternativen und damit den ungedeckten medizinischen Bedarf.

## Sonderstellung in der Bewertung

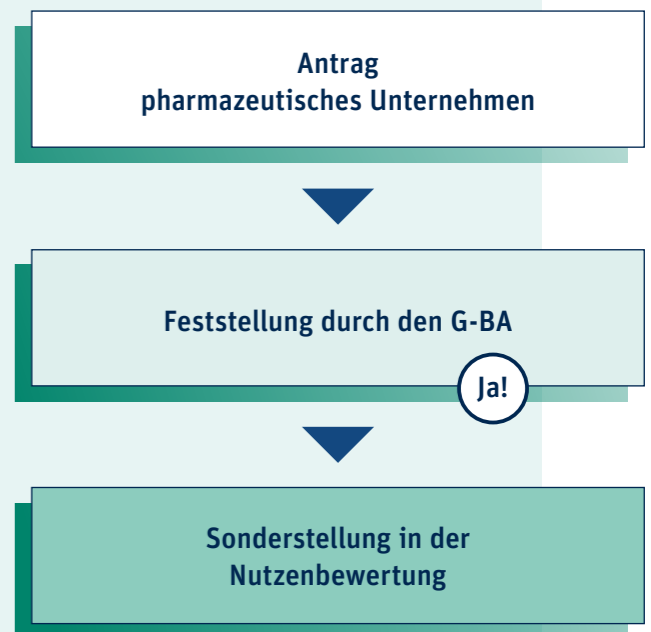
Ergibt sich im Rahmen der Feststellung, dass es unmöglich oder unangemessen ist, Studien höchster Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern, wird eine Sonderstellung in der Nutzenbewertung eingeräumt: Es sind Nachweise der bestverfügbaren Evidenzstufe einzureichen und bei der Bewertung heranzuziehen. Neben den Studien bezieht sich dies ebenso auf die Ergebnisse der für die besondere Therapiesituation angemessenen Endpunkte.

Bei der Bewertung und Quantifizierung des Zusatznutzens sollten, neben dem Schweregrad der Erkrankung, insbesondere die Häufigkeit der Erkrankung sowie die Verfügbarkeit von zielgerichteten Therapiealternativen in der jeweiligen Versorgungssituation regelhaft als zusätzliche Kriterien berücksichtigt werden.

## vfa-Vorschlag:

- Der G-BA prüft, ob eine besondere Therapiesituation vorliegt.
- In diesen Fällen wird die bestverfügbare Evidenz in der Nutzenbewertung herangezogen.

Ist es „unmöglich oder unangemessen, Studien höchster Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern“?





## Handlungsempfehlung 2

# Innovative Erstattungsmodelle ermöglichen

In besonderen Therapiesituationen kann zum Zulassungszeitpunkt eines Arzneimittels eine begründbar limitierte Evidenz vorliegen. Erfolgsabhängige Erstattungsmodelle, sogenannte „Pay-for-Performance“-Ansätze, können im Einzelfall helfen, dieser begründbaren Unsicherheit bei höherpreisigen Therapien zu begegnen und Patient:innen einen schnellen Zugang zu diesen Therapien zu ermöglichen. Für die Umsetzung ist eine Weiterentwicklung des gesetzlichen Rahmens und der Datengrundlagen erforderlich.



## Fehlende Umsetzung

Innovative Erstattungsmodelle spielen in Deutschland bislang keine große Rolle und sind im Rahmen der zentralen AMNOG-Preisverhandlungen mit dem GKV-Spitzenverband nur schwer umsetzbar. Vereinzelt wurden zwar innovative Vergütungsmodelle auf kollektiver Ebene vereinbart. Diese bilden jedoch nur einen Bruchteil der Möglichkeiten ab, einen dem Einzelfall angemessenen Vertrag zu vereinbaren. Oftmals fehlt es an Voraussetzungen, etwa an geeigneten Datengrundlagen und einer adäquaten Abbildung solcher Erstattungsmodelle im morbiditätsorientierten Risikostrukturausgleich („Morbi-RSA“). Solche Modelle sind in der ersten AMNOG-Dekade am ehesten in Einzelverträgen für das erste Jahr nach Markteinführung zwischen einzelnen Krankenkassen und pharmazeutischem Hersteller vereinbart worden. Sobald der dann zentral vereinbarte Erstattungsbetrag vorliegt, bestehen allerdings kaum Anreize, an den dezentral geschlossenen Vereinbarungen festzuhalten oder gar neue zu schließen.

## Bestehende Herausforderungen

Das System der Preisbildung und Erstattung im AMNOG ist nur eingeschränkt auf Therapien mit begründbar limitierter Evidenz oder Einmaltherapien mit langanhaltender Wirksamkeit zugeschnitten. Eine ihrem medizinischen Nutzen angemessene Preisbildung ist nicht sichergestellt. Besonders bei kleinen Patientenkollektiven, die keine randomisierte kontrollierte Studie (RCT) erlauben, äußern Krankenkassen Bedenken, ob der gewünschte Therapieeffekt eintritt. So lassen Gen- und Zelltherapien bei oftmals nur einmaliger Anwendung eine langanhaltende Wirksamkeit erwarten, doch fehlen bei ihrer Markteinführung häufig klinische Daten über die tatsächliche Wirksamkeitsdauer.

Grundsätzlich kann der Therapieerfolg sowohl bei Dauertherapien als auch bei Einmaltherapien von Fall zu Fall unterschiedlich sein. Eine Dauertherapie ließe sich im Bedarfsfall anpassen oder absetzen und verursacht dann zumindest durch das jeweilige Arzneimittel keine weiteren Kosten. Bei Einmaltherapien ist das nicht möglich. Daher werden erfolgsabhängige Erstattungsmodelle derzeit vor allem bei Einmaltherapien diskutiert. Allerdings erfordert die Umsetzung bestimmte Voraussetzungen wie messbare Erfolgsparameter und einen angemessenen Verwaltungsaufwand.

## Weiterentwicklung des gesetzlichen Rahmens

Vor diesem Hintergrund sollte der gesetzliche Rahmen über das traditionelle Normengerüst hinaus, welches das Sozialgesetzbuch derzeit für die Preisbildung vorsieht (insb. § 130b SGB V), erweitert werden. Gesetzgeberische Vorgaben müssen ausreichend Gestaltungsspielraum für verschiedene Vertragsmodelle garantieren und einen zeitnahen Patientenzugang weiterhin gewährleisten. Die Vereinbarung erfolgsabhängiger und auch ratenbasierter Erstattungsmodelle soll künftig in geeigneten Einzelfällen auch für die zentrale AMNOG-Preisverhandlung zwischen pharmazeutischem Hersteller und dem GKV-Spitzenverband explizit möglich sein.

Die Vereinbarung geeigneter Erfolgsparameter spielt bei erfolgsabhängigen Erstattungsmodellen eine zentrale Rolle. Die Vertragspartner müssen sich auf Kriterien verständigen, die messbar sind, und die entsprechenden Datengrundlagen, Datenauswertungen, Datenweitergaben und Bereitstellungsfristen vertraglich vereinbaren. Eine gesetzliche Definition von Erfolgskriterien ist nicht zielführend, da diese immer im Einzelfall auf ihre Eignung zu prüfen sind und im Rahmen der Erstattungsbetragsverhandlungen zwischen pharmazeutischem Hersteller und dem GKV-Spitzenverband zu definieren sind. Für die Erfolgsmessung können beispielsweise auch Parameter sinnvoll berücksichtigt werden, die sich digital erfassen lassen, beispielsweise über Wearables.

## Notwendige Rahmenbedingungen

### Anpassungen im Finanzausgleichssystem der gesetzlichen Krankenkassen

Die derzeitige Ausgestaltung des „Morbi-RSA“ macht Rückerstattungsmodelle für Krankenkassen finanziell attraktiver. Der Schwellenwert des sogenannten Risikopools, ab dem darüberliegende Leistungsausgaben durch teilweisen Ist-Kostenausgleich refinanziert werden, wird bei Rückerstattungsmodellen einmalig, bei Ratenzahlungen hingegen mehrmals angewendet. Das Bundesamt für Soziale Sicherung (BAS) hat sich diesem Anpassungsbedarf bereits im März 2022 in einem Sondergutachten gewidmet und einen umsetzungsreifen Vorschlag erarbeitet. Bei Ratenzahlungsverträgen sollen die zweite Rate und alle folgenden Ratenzahlungen entsprechend

dem Zeitpunkt der Zahlungswirksamkeit erfasst werden. Der Schwellenwert wird so nur einmal angewandt und Ratenzahlungsmodelle hinsichtlich ihrer finanziellen Attraktivität mit Einmalzahlungen gleichgesetzt.

#### **Datengrundlagen und gleichberechtigter Datenzugang**

Mit dem Aufbau des Forschungsdatenzentrums Gesundheit (FDZ) beim Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) ergeben sich durch die Nutzung von Gesundheitsdaten auch für erfolgsabhängige Vergütungsoptionen neue Perspektiven. Verfügbare Abrechnungsdaten aus dem ambulanten und stationären Bereich, wie EBM-Ziffern, DRGs und OPS sowie perspektivisch Daten der elektronischen Patientenakte (ePA) und die Möglichkeit zur Verknüpfung dieser Daten mit Daten der klinischen Krebsregister schaffen neue

Grundlagen, die vorher für die Verhandlung mit dem GKV-Spitzenverband nicht zugänglich waren. Die wichtigste Änderung besteht vermutlich in den langen Datenhorizonten, wodurch längerfristige Behandlungen oder mehrjährige Behandlungserfolge über viele Jahre abgebildet werden können. Um das Potenzial dieser Datenquellen bestmöglich auszuschöpfen, müssen breite Analysemöglichkeiten über einen gleichberechtigten Zugang auch für die pharmazeutische Industrie gewährleistet sein.

#### **vfa-Vorschlag:**

- **Innovative Erstattungsmodelle können gemeinsam verhandelt werden.**
- **Hierfür soll der gesetzliche Rahmen ausreichend Flexibilität in der Ausgestaltung sicherstellen.**

#### **Der Gestaltungsvorschlag zielt auf die Normierung einer erfolgsabhängigen Vergütungsoption ab, die im Rahmen der Verhandlung jeweils flexibel ausgestaltet werden kann:**

- GKV-Spitzenverband und pharmazeutischer Hersteller entscheiden gemeinsam, für welche Arzneimittel sie eine erfolgsabhängige Vergütung im Rahmen von § 130b SGB V vereinbaren wollen.
- Maßgebliches Preisbildungskriterium kann der tatsächliche Therapieerfolg sein.
- Die Vergütung kann beispielsweise als Einmalzahlung, durch Ratenzahlungen oder auch durch jährlich angepasste Zahlungen erfolgen. Weitere Ansätze für eine erfolgsangemessene Vergütung sind möglich.
- Eine jährliche Vergütung wird direkt zwischen der einzelnen Krankenkasse und dem pharmazeutischen Unternehmer abgerechnet. Weitere Kostenträger können an der neuen Regelungsoption teilhaben.
- Die Vereinbarung ist ebenfalls schiedsfähig.
- Eine Anpassung der Datenmeldung in Preisverzeichnisse beispielsweise bei Ratenzahlungen ist nicht erforderlich. Die konkreten Details der Vergütungsoption können zwischen den Vertragspartnern vertraulich bleiben.
- Die gesetzlichen Implikationen bei Überschreitung der Orphan-Umsatzschwelle oder bei Beauftragung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung finden keine Anwendung.

#### **Impressum**

**Herausgeber:** vfa, Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V. · Hausvogteiplatz 13 · 10117 Berlin  
**Illustration:** Adrian Bauer · **Gestaltung:** Gerald Geffert

**Stand:** November 2024

