

# AMNOG 2.0 für Orphan Drugs und ATMPs

---

## 1. Hoffnung durch Innovation – Warum Orphan Drugs und ATMPs eine neue Bewertungsperspektive brauchen

### 1.1 Einleitung und Aufbau des Papiers

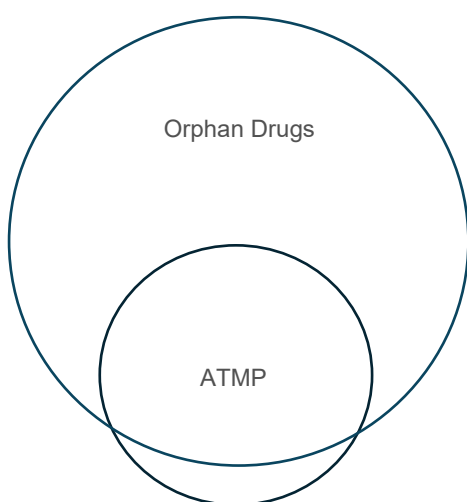
Dieses Positionspapier dient der Analyse der strukturellen und regulatorischen Herausforderungen, denen sich Orphan Drugs und Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) im Rahmen des deutschen AMNOG-Systems gegenübersehen. Ziel ist es, Reformvorschläge zu entwickeln, die medizinischen Fortschritt, Versorgungsgerechtigkeit und wirtschaftliche Tragfähigkeit vereinen.

1. Kapitel 1 führt in die Thematik ein, definiert beide Arzneimittelklassen, grenzt sie von anderen Wirkstoffen ab und zeigt ihre Überschneidungen wie Unterschiede auf.
2. Kapitel 2 untersucht spezifische Schwächen der Nutzenbewertung von Orphan Drugs, insbesondere methodische Hürden, fehlende Vergleichstherapien und eingeschränkten Zugang zu Versorgungsdaten.
3. Kapitel 3 beleuchtet die besonderen Herausforderungen bei der Bewertung von ATMPs, darunter komplexe Herstellungsprozesse, Einmaltherapiecharakter und limitierte Langzeitevidenz.
4. Kapitel 4 identifiziert strukturelle Überschneidungen beider Gruppen und formuliert gemeinsame Reformvorschläge, wie etwa die Anerkennung besonderer Therapiesituationen, die Flexibilisierung methodischer Anforderungen und die stärkere Nutzung von Real-World-Daten.
5. Kapitel 5 analysiert Fehlanreize in der Preisregulierung, darunter innovationshemmende Leitplanken, den pauschalen Kombinationsabschlag und die abgesenkte Umsatzschwelle. Es wird aufgezeigt, wie diese Mechanismen die Markteinführung innovativer Therapien behindern und die Versorgungssicherheit gefährden können.
6. Kapitel 6 diskutiert Reformansätze für die Erstattungsverhandlungen bei ATMPs. Im Mittelpunkt stehen leistungsorientierte Vergütungsmodelle wie Pay for Performance, deren rechtliche, methodische und ethische Rahmenbedingungen sowie deren Implementierung in die Regelversorgung.
7. Kapitel 7 setzt sich kritisch mit den kostenbasierten Preisbildungsmodellen und Interimspreisen auseinander, stellt mit dem Konzept des Fair-Pricing-Calculators einen alternativen, transparenten Orientierungsrahmen vor und begründet, weshalb differenzierte, leistungsorientierte Ansätze der geeignete Weg sind, um Versorgungsrealität, Innovationsförderung und Systemstabilität in Einklang zu bringen.

Der Aufbau des Papiers folgt einer klaren Argumentationslinie. Von der grundlegenden Einordnung der Arzneimittelklassen über die Analyse spezifischer Bewertungs- und Preisbildungsprobleme bis hin zu konkreten, umsetzbaren Reformvorschlägen.

## 1.2 Definition und Zielsetzung

Orphan Drugs und Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) repräsentieren zwei Arzneimittelklassen, die zentrale Herausforderungen an das bestehende System der Nutzenbewertung stellen. Beide Gruppen zielen auf die Behandlung schwerwiegender, bislang unzureichend therapierbarer Erkrankungen ab, unterscheiden sich jedoch in ihrer Klassifikationslogik, regulatorischer Struktur und technologischer Komplexität. Zwar überschneiden sich beide Gruppen derzeit häufig – ein Großteil der ATMPs verfügt aktuell auch über eine Orphan Drug Designation – jedoch ist die Beziehung nicht wechselseitig: Viele Orphan Drugs sind keine ATMPs und es existieren ATMPs ohne Orphan-Status. Dies verdeutlicht, dass beide Gruppen zwar eng miteinander verwandt sind, sich jedoch sowohl vom übrigen Arzneimittelmarkt als auch – in Teilen – voneinander unterscheiden.



**Orphan Drugs** sind Arzneimittel zur Behandlung seltener Erkrankungen, von denen in der Europäischen Union nicht mehr als 5 von 10.000 Personen betroffen sind. Ziel auf europa- und bundespolitischer Ebene ist es, therapeutische Optionen für Patientengruppen zu schaffen, für die bisher keine oder nur unzureichende Behandlungsansätze existieren. Um die mit der Entwicklung dieser Medikamente verbundenen wirtschaftlichen Risiken zu kompensieren, bestehen daher spezifische regulatorische Anreize und wissenschaftliche Unterstützung durch die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA).

**Advanced Therapy Medicinal Products** umfassen innovative biotechnologische Arzneimittel auf Basis von Gen-, Zell- oder Gewebetherapien. Sie zeichnen sich häufig durch einen personalisierten Therapieeinsatz aus und adressieren bislang größtenteils therapieresistente oder therapielose Krankheitsbilder – bis hin zu potenziell kurativen Behandlungsansätzen. Zu den ATMPs zählen insbesondere Gentherapeutika, somatische Zelltherapien sowie biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte. Ihre hochkomplexe Entwicklung und Herstellung erfordern ein hohes Maß an wissenschaftlicher Spezialisierung, regulatorischer Steuerung und logistischer Koordination, insbesondere bei dezentralen, kliniknahen Anwendungen.

### 1.3 Abgrenzung zu anderen Arzneimitteln

Die zentralen Unterschiede zwischen Orphan Drugs, ATMPs und anderen Arzneimitteln umfassen verschiedene Kriterien, darunter Patientengruppen, Entwicklungsaufwand, regulatorische Anforderungen, Marktbedingungen und Kostenstruktur.

Andere Arzneimittel adressieren typischerweise größere, breiter definierte Patientenkollektive mit prävalenten Erkrankungen. Demgegenüber zielen Orphan Drugs auf kleine, klar abgegrenzte Populationen mit seltenen Krankheitsbildern. ATMPs wiederum werden definiert über das Herstellungsverfahren, nicht nach der Größe einer Patientengruppe.

Auch in der Entwicklung und Evidenzgenerierung offenbaren sich diverse Unterschiede. Während andere Arzneimittel auf standardisierten Studienprotokollen mit breiter Datenbasis beruhen, ist die Entwicklung von Orphan Drugs – aufgrund der limitierten Fallzahlen in Kombination mit der Schwere der Erkrankung – mit methodischen Einschränkungen konfrontiert. Bei ATMPs stellen insbesondere der Einmaltherapiecharakter (z. B. bei Gentherapien), potenziell langfristige Wirkungen sowie ethische und praktische Herausforderungen – etwa das Fehlen zumutbarer Placebokontrollen bei invasiven oder irreversiblen Eingriffen – erhebliche Hürden für die klassische Evidenzgenerierung dar. Studien müssen häufig über lange Zeiträume hinweg geplant werden, ohne dass valide Endpunkte etabliert sind. Die Folge ist eine strukturell erschwerte Nutzendokumentation im Rahmen konventioneller Studiendesigns.

Gleichermaßen ergibt sich auf regulatorischer Ebene eine klare Differenzierung. Während andere Arzneimittel sowohl durch nationale als auch durch zentrale Zulassungsverfahren in Verkehr gebracht werden können, ist neben rekombinant hergestellten Arzneimitteln sowie Arzneimitteln gegen bestimmte Erkrankungen wie z.B. HIV für Orphan Drugs und ATMPs eine zentralisierte Zulassung durch die EMA verpflichtend. ATMPs unterliegen darüber hinaus einem zusätzlichen Bewertungsprozess durch das Committee for Advanced Therapies (CAT), welches eine vertiefte wissenschaftliche Auswertung unter Berücksichtigung der spezifischen Charakteristika dieser Produktgruppe vornimmt.

Im Hinblick auf den Marktzugang differenzieren sich die Arzneimittelklassen durch die ihnen jeweils zugewiesenen Anreizstrukturen. Für Orphan Drugs existieren gezielte regulatorische Anreize, wie eine zehnjährige Marktexklusivität, methodisch-wissenschaftliche Unterstützung sowie reduzierte Gebühren im Zulassungsverfahren. Diese Maßnahmen tragen dazu bei, ökonomische Risiken bei Investitionen in der Forschung und Entwicklung für Hersteller zu entschärfen. ATMPs sind zusätzlich durch Mechanismen wie die „Hospital Exemption“ oder zukünftige Registerpflichten gekennzeichnet, wobei bislang eher strukturelle Herausforderungen als finanzielle Anreize im Vordergrund stehen. Andere Arzneimittel unterliegen dem regulären marktwirtschaftlichen Umfeld ohne vergleichbare Fördermechanismen.

### 1.4 Gezielter Vergleich: Orphan Drugs vs. ATMPs

Trotz gewisser Überschneidungen hinsichtlich der Zielsetzung, unterscheiden sich Orphan Drugs und ATMPs in ihrer konzeptionellen und regulatorischen Ausrichtung fundamental.

Während non-ATMP Orphan Drugs auf Basis ihrer Indikation, und damit über die epidemiologische Seltenheit und Schwere einer Erkrankung, definiert werden, erfolgt die Klassifikation von ATMPs primär über das zugrundeliegende therapeutische Wirkprinzip – unabhängig von der Krankheitsprävalenz. Diese systematische Differenz bildet sich auch auf regulatorischer Ebene ab. Zwar unterliegen beide Arzneimittelgruppen der zentralen Zulassung durch die EMA, bei ATMPs ist indes zusätzlich das CAT eingebunden. Für Orphan Drugs gibt es analog das Committee for Orphan Medicinal Products (COMP). Darüber hinaus unterliegen ATMPs seit Anfang 2025 mit dem europäischen Health Technology Assessment (EU-HTA) einem zusätzlichen Bewertungsrahmen, der eine verstärkte Verzahnung mit dem Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) impliziert.

Auch in der Versorgungslogistik bestehen deutliche Unterschiede. Während Orphan Drugs typischerweise zentral produziert werden, erfordert die patientenindividuelle Herstellung vieler ATMPs – insbesondere autologer Zelltherapien – komplexe Strukturen mit entsprechend höheren Anforderungen an Transport, Lagerung und Qualitätssicherung.

Für Orphan Drugs gilt der Zusatznutzen als belegt. In Deutschland ist per Gesetz geregelt, dass ein Zusatznutzen nur bis zu einer Umsatzgrenze von 30 Mio. € vorliegt. Hingegen existieren bislang für ATMPs keine adäquaten Sonderregelungen, sofern sie keinen Orphan Drug-Status besitzen. Schließlich ist zu berücksichtigen, dass Arzneimittel beider Kategorien gleichermaßen zugeordnet werden können – etwa, wenn eine Gentherapie zur Behandlung einer seltenen Erkrankung eingesetzt wird. In solchen Fällen überschneiden sich die regulatorischen und methodischen Herausforderungen, was die Notwendigkeit eines kohärenten, übergreifenden Bewertungsrahmens nochmals unterstreicht.

## **2. Reformbedarf zur Nutzenbewertung von Orphan Drugs: Berücksichtigung besonderer Therapiesituationen und evidenzbasierter Flexibilität**

Das AMNOG-Verfahren ist seit 2011 das zentrale Instrument der frühen Nutzenbewertung und Preisbildung für neue Arzneimittel in Deutschland. Es wurde entwickelt, um Innovation, Evidenzbasierung und Wirtschaftlichkeit in Einklang zu bringen. Während dieses System bei anderen Wirkstoffen gut etabliert ist, offenbaren die Regelungen für hochspezialisierte Arzneimittel wie Orphan Drugs und ATMPs strukturelle Schwächen. Zwar haben Orphan Drugs mit Markteintritt im Bewertungsprozess in Deutschland automatisch einen Zusatznutzen, der aber oftmals nicht quantifiziert wird. Das spiegelt sich in der Bewertungspraxis des G-BA insofern wider, als etablierte Standards wie randomisierte kontrollierte Studien (RCTs) und Vergleiche mit einer zweckmäßigen Vergleichstherapie (zVT) den realen Gegebenheiten dieser Produktgruppen häufig nicht gerecht werden. Daraus ergibt sich ein wachsender Reformbedarf.

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) akzeptiert Abweichungen von der höchsten Evidenzstufe nur in begründeten Ausnahmefällen. Das ist vor allem für die Verfahren wegen Überschreitens der Umsatzschwelle relevant. In der Praxis führt dies dazu, dass selbst wirksame und unter Umständen bereits klinisch etablierte Therapien im Bewertungsverfahren schlechter abschneiden. Auch die Tatsache, dass für viele dieser Erkrankungen keine adäquate Therapieoption existiert, erschwert den Vergleich mit einer zVT und zieht in der Regel „best supportive care“ als Vergleichsmaßstab heran.

Darüber hinaus zeigt sich, dass der spezifische medizinische Bedarf bei seltenen Erkrankungen sowie der hohe Stellenwert dieser Therapien für die klinische Versorgung bislang nicht systematisch in der Nutzenbewertung berücksichtigt wird. Auch der Zugang zu belastbaren Versorgungsdaten – etwa aus Registern – ist derzeit stark eingeschränkt oder gar nicht gegeben, obwohl solche Daten gerade bei kleinen Kollektiven besonders relevant wären. Zudem zeigt sich in den Bewertungsverfahren eine fehlende Akzeptanz solcher Daten.

## **3. Zusätzlicher Reformbedarf zur Nutzenbewertung bei ATMP**

Auch ATMPs stellen die Logik des AMNOG-Verfahrens zunehmend infrage. Die derzeitige Nutzenbewertung ist primär auf Arzneimittel mit kontinuierlicher Anwendung, standardisierten Vergleichstherapien und klassischen Endpunkten ausgelegt. Während im Rahmen der europäischen Zulassung ATMP mit ihren Besonderheiten berücksichtigt werden, ist dies bei der Nutzenbewertung in Deutschland nur eingeschränkt der Fall.

Hinzu kommt, dass die Preisbildung für ATMPs vor besonderen Herausforderungen steht. Hohe Einmalkosten und outcome-bezogene Unsicherheiten erschweren die Festlegung eines angemessenen Erstattungsbetrags. Gleichzeitig fehlt es im bisherigen System an geeigneten Mechanismen zur

Risikoteilung zwischen Herstellern und Kostenträgern. Auch die langfristige Erfassung von Therapieerfolgen über Registerdaten ist bislang methodisch und infrastrukturell nicht ausreichend verankert.

#### **4. Überschneidungen: Reformbedarf mit Relevanz für beide Arzneimittelgruppen**

Obwohl Orphan Drugs und ATMPs grundsätzlich unterschiedliche Klassifikationslogiken aufweisen, überschneiden sich ihre Versorgungsrealitäten in der Praxis häufig – nicht zuletzt deshalb, weil viele ATMPs zugleich den Orphan-Status tragen. Beide Gruppen stehen exemplarisch für Arzneimittel mit hoher medizinischer Relevanz, aber eingeschränkter Evidenzgenerierbarkeit. Die gemeinsamen Herausforderungen im AMNOG-Verfahren verdeutlichen, dass es nicht nur punktueller Anpassungen, sondern einer grundsätzlichen Reform der Bewertungslogik bedarf. Im Zentrum stehen dabei folgende Reformvorschläge:

- Anerkennung besonderer Therapiesituationen: Falls aufgrund methodischer oder ethischer Gründe keine RCTs vorgelegt werden können, sollte ein formales Verfahren etabliert werden, mit dem der G-BA auf Antrag feststellt, ob eine besondere Therapiesituation vorliegt. In solchen Fällen muss die Nutzenbewertung von den regulären Anforderungen abweichen können – insbesondere im Hinblick auf den Verzicht von RCTs und die stärkere Berücksichtigung alternativer Evidenzformen (z. B. einarmige Studien, historische Vergleichsdaten, MAICs, synthetische Kontrollarme, Registerdaten).
- Darüber hinaus sollte die methodische Bewertung von Surrogatparametern flexibilisiert werden. In Situationen, in denen valide Endpunkte wie Gesamtüberleben oder Morbidität aus zeitlichen oder ethischen Gründen nicht messbar sind, muss die Anerkennung von prädiktiv validierten Surrogatendpunkten – etwa Biomarker, molekulare Response Kriterien oder funktionelle Scores – möglich sein. Internationale Zulassungsbehörden wie die EMA oder das britische NICE haben hierfür bereits etablierte Verfahren, auf deren Methodenkataloge zurückgegriffen werden kann.
- Stärkung der Versorgungsrelevanz als Bewertungskriterium: Der tatsächliche Stellenwert eines Arzneimittels in der klinischen Praxis – etwa bei fehlenden Therapiealternativen oder hohem ungedeckten medizinischen Bedarf – sollte systematisch in die Nutzenbewertung einfließen. Arzneimittel, die sich bereits als Therapiestandard etabliert haben, dürfen nicht aufgrund fehlender Evidenz aus formalen Gründen negativ bewertet werden. Die Versorgungsrelevanz bei der Preisbildung sollte explizit berücksichtigt werden, wenn es einen nicht belegten Zusatznutzen gibt.
- Integration von Real-World-Daten: Die Berücksichtigung von Versorgungsdaten – etwa aus Registern oder dem zukünftigen ATMP-Register – muss ausgebaut und methodisch akzeptiert werden. Solche Daten können helfen, Evidenzlücken zu schließen und Therapieeffekte im Versorgungsalltag abzubilden.

#### **5. Fehlanreize im AMNOG: Preisregulierung als Innovationsbarriere bei Orphan Drugs**

##### **5.1 Gefährdung der Versorgung – Abschaffung innovationsfeindlicher Leitplanken**

Ein wesentlicher Hemmschuh für die marktwirtschaftliche Bewertung von Orphan Drugs ist die 2022 im Zuge des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes (GKV-FinStG) eingeführte „Leitplankenregelung“ im Rahmen der Erstattungsbetragsverhandlung nach § 130b SGB V. Dabei gilt Folgendes: Wird für ein Arzneimittel kein Zusatznutzen festgestellt oder gilt der Zusatznutzen als nicht belegt oder nicht

quantifizierbar, ist der Erstattungsbetrag grundsätzlich so zu bemessen, dass keine höheren Jahrestherapiekosten entstehen als für die vom G-BA festgelegte zVT. Wird bei einem Arzneimittel ohne festgestellten Zusatznutzen eine patent- oder unterlagengeschützte Vergleichstherapie herangezogen und ist das Arzneimittel keiner Festbetragsgruppe zugeordnet, sind Jahrestherapiekosten zu vereinbaren, die mindestens zehn Prozent unterhalb der Kosten der Vergleichstherapie liegen. Ist die zVT nicht mehr patent- oder unterlagengeschützt, darf der Erstattungsbetrag die Kosten der Vergleichstherapie nicht überschreiten. Liegt ein geringer oder nicht quantifizierbarer Zusatznutzen vor und ist die Vergleichstherapie patentgeschützt, gilt ebenfalls eine Preisobergrenze in Höhe der Jahrestherapiekosten der Vergleichstherapie. Wird ein patentgeschütztes Arzneimittel, das nicht der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V unterliegt, als Vergleichstherapie herangezogen, ist auf dessen Jahrestherapiekosten ein Abschlag von 15 Prozent anzusetzen.

Für Orphan Drugs entfalten diese Leitplanken zwar nicht unmittelbar Wirkung, greifen jedoch ab dem Zeitpunkt, zu dem der Jahresumsatz des betreffenden Arzneimittels den Schwellenwert von 30 Mio. Euro überschreitet. Erst dann entfällt die Bewertungssystematik durch den G-BA für Orphan Drugs, und es erfolgt eine vollumfängliche Nutzenbewertung – einschließlich der Anwendung üblicherweise angewandter Evidenzstandards, wie sie auch für andere Arzneimittel gelten. Diese faktische Gleichstellung erkennt jedoch die strukturellen Unterschiede in der Evidenzgenerierung: Orphan Drugs operieren aufgrund seltener Zielpopulationen, ethischer Restriktionen und begrenzter Studienlage regelmäßig unter erschwerten Bedingungen, was die Erbringung belastbarer RCT-Evidenz in vielen Fällen kaum realisierbar macht. Gerade bei seltenen Erkrankungen existiert häufig keine oder nur eine rudimentäre Vergleichstherapie. Die zVT entspricht in solchen Fällen oftmals der „best supportive care“. Die Wertschöpfung durch die erstmalige therapeutische Verfügbarkeit wird in dieser Konstellation systematisch entwertet, da ein quantitativer Zusatznutzen mangels RCT-Evidenz häufig nicht anerkannt wird.

Diese strikte Preislogik konterkariert das ursprüngliche Ziel des AMNOG, nämlich eine nutzenbasierte Preisbildung unter Berücksichtigung des medizinischen Fortschritts. Gerade bei Arzneimitteln mit hohem medizinischem Bedarf und limitierter Evidenzbasis – wie es typischerweise bei Orphan Drugs der Fall ist – bedarf es eines flexiblen, kontextsensiblen Rahmens. Falls es bei Orphan Drugs zur Anwendung von Leitplanken kommt, erzeugen sie nicht nur massive wirtschaftliche Unsicherheit für Hersteller, sondern gefährden durch innovationsfeindliche Anreizstrukturen die Markteinführung und Versorgung der Patient:innen.

Daher fordern zahlreiche Fachgesellschaften und Branchenakteure die vollständige Abschaffung der „Leitplanken“. Nur durch die Rückkehr zu einer echten nutzenbasierten Verhandlungspraxis lässt sich der Zugang zu dringend benötigten Therapien aufrechterhalten. Diese Maßnahme wäre zugleich ein starkes Signal für den Forschungsstandort Deutschland und für die regulatorische Kohärenz in Bezug auf die europäische Orphan Drug-Verordnung.

## 5.2 Kombinationsabschlag als Innovationshemmnis – Notwendigkeit zur Abschaffung

Ein gravierender Systemfehler im aktuellen AMNOG-Verfahren stellt der im GKV-FinStG eingeführte pauschale Kombinationsabschlag dar. Demnach wird ein Preisabschlag von bis zu 20 Prozent auf den Erstattungsbetrag eines neuen Arzneimittels wirksam, wenn dieses im Rahmen einer Kombinationstherapie mit einem weiteren Wirkstoff angewendet wird, für den kein erheblicher oder beträchtlicher Zusatznutzen festgestellt wurde.

Kommt es im Rahmen der AMNOG Bewertung zu einem statistischen Fehler zweiter Art ( $\beta$ -Fehler) – also der fälschlichen Annahme, dass kein erheblicher Zusatznutzen vorliegt, obwohl dieser tatsächlich besteht – greift der Kombinationsabschlag auch bei eigentlich hochinnovativen Therapien. In diesen Fällen führt die Rabattsystematik dazu, dass selbst klinisch hochrelevante Kombinationstherapien in ihrer wirtschaftlichen Bewertung systematisch unter den Kosten bereits etablierter Monotherapien liegen

können, obwohl der neue Wirkstoff die Hauptwirkung innerhalb der Kombination trägt. Diese mechanistische Rabattsystematik führt dazu, dass selbst hochinnovative Kombinationstherapien mit nachgewiesenem Zusatznutzen in ihrer wirtschaftlichen Bewertung systematisch unter den Kosten bereits etablierter Monotherapien liegen können. Der daraus resultierende wirtschaftliche Druck ist insbesondere für forschende pharmazeutische Unternehmen, die in kleinteilige Indikationen oder komplexe Wirkstoffkombinationen investieren, ein erheblicher Standortnachteil.

Aufgrund der Komplexität und Seltenheit der adressierten Erkrankungen werden Orphan Drugs häufig in Kombination mit unterstützenden Therapien oder symptomlindernden Substanzen verabreicht. In vielen Fällen stellen Orphan Drugs dabei die erste und einzige kausale Therapieoption dar, während die Begleitmedikation nur eine ergänzende supportive Funktion erfüllt. Der pauschale Abschlag reduziert dennoch den Erstattungsbetrag des innovativen Wirkstoffs, unabhängig davon, ob dieser die Hauptwirkung der Therapie trägt.

Diese Mechanik ist gleich in mehrfacher Hinsicht problematisch:

- Versorgungsrealität verfehlt: In der klinischen Praxis sind Kombinationstherapien bei seltenen Erkrankungen häufig nicht nur unvermeidlich, sondern medizinisch sinnvoll. Der regulatorische Automatismus ignoriert die Rolle des neuen Arzneimittels innerhalb der Kombination und reduziert pauschal dessen Vergütung.
- Preisdruck auf kleinen Märkten: Orphan Drugs operieren auf kleinen Patientenpopulationen mit geringen Stückzahlen. Jeder prozentuale Abschlag hat daher überproportionale Auswirkungen auf die Wirtschaftlichkeit. Das unterminiert insbesondere jene Wirkstoffe, die durch jahrelange Forschung für Nischenindikationen entwickelt wurden.
- Gefahr des Marktaustritts/Gefahr des ausbleibenden Markteintritts: In Kombination mit weiteren regulativen Instrumenten – wie der Absenkung der Umsatzschwelle für Orphan Drugs oder der Leitplankenregelung – kann der Kombinationsabschlag in vielen Fällen zu einer wirtschaftlich nicht tragfähigen Marktsituation führen. Die kumulative Wirkung der bestehenden Regulierungsinstrumente kann dazu führen, dass Hersteller auf eine Markteinführung in Deutschland verzichten oder bereits eingeführte Produkte vom Markt nehmen, wenn eine wirtschaftlich tragfähige Rentabilität ausbleibt.
- Konterkarierung europäischer Förderlogik: Die europäische Orphan Drug-Verordnung (EG Nr. 141/2000) verfolgt das Ziel, Forschungsanreize für bislang unterversorgte Erkrankungen zu schaffen. Der Kombinationsabschlag läuft diesem Ansatz vollumfänglich entgegen und entwertet den Orphan-Status, sobald der Wirkstoff mit einer weiteren Therapie kombiniert wird. Dies geschieht unabhängig von seiner Alleinstellung und medizinischen Bedeutung.

Angesichts der skizzierten Auswirkungen ist eine Abschaffung der Regelung im AMNOG-System dringend geboten, um den besonderen Anforderungen innovativer Arzneimittel gerecht zu werden. Der bestehende, pauschale Kombinationsabschlag untergräbt dadurch die wirtschaftliche Tragfähigkeit und Innovationsanreize bei hochspezialisierten Therapien. Entsprechende Korrekturen werden im laufenden Pharmadialog diskutiert.

### **5.3 Unschärfe der Umsatzschwelle – Notwendigkeit klarer Definition und Rücknahme der Absenkung**

Ein weiterer Fehlanreiz im AMNOG-System ergibt sich aus der Absenkung der Umsatzschwelle für Orphan Drugs im Rahmen des GKV-FinStG von 50 Mio. € auf 30. Mio. €. Diese Schwelle markiert den Punkt, ab dem ein Orphan Drug der üblichen Nutzenbewertung unterzogen wird – mit der Folge, dass der über die Zulassung zugesprochene Zusatznutzen entfällt und die volle Dossierpflicht inklusive zVT greift. Dabei handelt es sich um eine rein rechtliche Fiktion, die sachlich nicht automatisch bedeutet,

dass tatsächlich kein Zusatznutzen vorliegt. Eine Umsatzschwelle widerspricht an sich der Tatsache, dass dem Orphan Drug-Status eine Zusatznutzenprüfung auf europäischer Ebene zugrunde liegt.

Gerade für Arzneimittel, die bei Markteinführung nur sehr kleine Zielpopulationen adressieren, aber im späteren Versorgungsalltag breiter eingesetzt werden (z.B. durch neue Indikationen oder altersunabhängige Zulassungen), führt diese Regelung zu massiver Planungsunsicherheit für die Industrie. Genau dieser Mechanismus wird durch die reduzierte Umsatzschwelle konterkariert. Zwar lässt sich der Zeitpunkt des Erreichens der 30-Millionen-Euro-Umsatzschwelle in der Regel gut prognostizieren. Die eigentliche Problematik liegt jedoch darin, dass mit Überschreiten dieser Grenze die vollen Evidenzanforderungen des AMNOG greifen, inklusive einer IQWiG-Bewertung. Anforderungen, die für viele Orphan Drugs aufgrund kleiner Patientenkollektive und methodischer Einschränkungen nicht oder nur mit erheblichem Aufwand zu erfüllen sind. Die Folge ist häufig keine sachgerechte Abbildung des tatsächlichen klinischen Nutzens.

Besonders problematisch ist in diesem Zusammenhang die gesetzliche Ausgestaltung der Umsatzschwelle, die gemäß § 35a Abs. 1 S. 12 SGB V auf Basis der Apothekenverkaufspreise einschließlich Umsatzsteuer bemessen wird. Diese Bruttobetrachtung berücksichtigt weder den tatsächlich verhandelten Erstattungsbetrag nach § 130b SGB V noch bestehende Abschläge und Rabattvereinbarungen. Dadurch kann die Umsatzschwelle bereits erreicht werden, obwohl die realen Nettoerlöse des pharmazeutischen Unternehmers deutlich darunter liegen. Insbesondere für Orphan Drugs führt dies zu zusätzlicher Planungsunsicherheit.

Gerade für Unternehmen mit schrittweisem Marktzugang, mehreren Indikationen oder komplexer Rabattstruktur ist dadurch kaum kalkulierbar, wann die Schwelle formal überschritten wird – mit potenziell massiven Konsequenzen für die Nutzenbewertung. In der Folge entsteht eine faktische Innovationsbremse: Hersteller könnten gezwungen sein, die Vermarktung vorsorglich einzuschränken oder auf den deutschen Markt ganz zu verzichten, um regulatorischen Folgekosten zu entgehen. Dies konterkariert nicht nur das Ziel der Orphan-Drug-Verordnung, sondern auch die AMNOG-Grundidee einer evidenzbasierten Nutzenbewertung und Preisbildung.

Die Umsatzschwelle sollte daher mindestens wieder auf das frühere Niveau von 50 Mio. € angehoben werden. Darüber hinaus bedarf es einer kritischen Überprüfung der zugrunde gelegten Umsatzlogik, um eine bessere Abbildung realer Erlösstrukturen und eine höhere Planbarkeit für Hersteller zu gewährleisten.

## **6. Reform der Erstattungsverhandlungen für ATMPs: Etablierung erfolgsabhängiger Modelle**

Bei ATMPs werden leistungsbezogene Erstattungsmodelle thematisiert. Pay-for-Performance (P4P) verfolgt dabei den Anspruch, medizinische Innovationen nicht pauschal, sondern entsprechend ihrer tatsächlichen Wirksamkeit im Versorgungsalltag zu vergüten. Dies erscheint insbesondere dort sinnvoll, wo klassische Evidenzgenerierung methodisch oder ethisch nicht umsetzbar ist und sich der klinische Nutzen erst post hoc über Real-World-Daten (RWD) evaluieren lässt.

Aus ökonomischer Sicht liegt die zentrale Stärke des P4P-Modells in der potenziellen Risikoteilung zwischen pharmazeutischem Unternehmer und Kostenträger. Durch Rückzahlungs- oder Ratenzahlungsmodelle kann eine frühzeitige Markteinführung ermöglicht werden, ohne dass ein vollständiges evidenzbasiertes Nutzenprofil bereits vorliegt. Für das solidarisch finanzierte Gesundheitssystem bedeutet dies eine potenzielle Effizienzsteigerung, sofern die Therapie bei definierten Endpunkten tatsächlich klinischen Mehrwert generiert. Obwohl der gesetzliche Rahmen prinzipiell Raum für innovative Vergütungsformen lässt, werden erfolgsabhängige Vertragsmodelle bislang nur vereinzelt genutzt. In Deutschland beschränken sich bestehende P4P-Verträge

überwiegend auf selektivvertragliche Lösungen einzelner Krankenkassen; in den zentralen AMNOG-Verhandlungen mit dem GKV-Spitzenverband spielen sie bislang keine systematische Rolle.

Der AMNOG-Report 2025 weist in diesem Zusammenhang darauf hin, dass neue Arzneimittel – insbesondere ATMPs – meist nicht in bestehende Therapiepfade eingebettet sind, sondern zusätzlich zur Standardversorgung eingesetzt werden. Daraus resultieren strukturelle Ausgabensteigerungen, die im gegenwertigen Preismechanismus nicht sachgerecht abgebildet werden. Das unterstreicht die Notwendigkeit, Vergütungsmodelle zu etablieren, die dem individuellen Therapieerfolg Rechnung tragen und gleichzeitig zur Systemstabilität beitragen.

Überdies erlaubt das Modell eine differenzierte Preisbildung, die sich dynamisch an den Versorgungsrealitäten orientiert – vorausgesetzt, relevante Erfolgskriterien sind valide messbar, vertraglich fixiert und operationalisierbar.

Methodisch jedoch sind P4P-Modelle keineswegs unproblematisch. Der Aufwand für datenschutzkonforme, interoperable und belastbare Outcome-Messungen ist erheblich. Unterschiedliche Datenquellen wie beispielsweise Register, elektronische Patientenakten und anwendungsbegleitende Erhebungen sind bislang nicht flächendeckend nutzbar, die Datenhoheit bleibt fragmentiert, und die Interpretierbarkeit vieler RWD-Ergebnisse ist durch Komorbiditäten, Behandlungswechsel oder Selektionsverzerrungen erschwert. Insbesondere bei kleinen therapeutischen Effektgrößen oder schwer standardisierbaren Endpunkten besteht ein hohes Risiko methodischer Unschärfe. Zwar wird häufig auf Registerdaten verwiesen, jedoch bleiben die konkreten Voraussetzungen für eine funktionierende Datennutzung – etwa im Rahmen des European Health Data Space (EHDS), einer harmonisierenden elektronischen Patientenakte (EHR) und verbindlicher Interoperabilitätsstandards – oftmals vage. Ohne eine belastbare und einheitlich zugängliche Dateninfrastruktur lassen sich weder P4P-Modelle noch registergestützte Evidenzlösungen verlässlich implementieren. Hier sind klare politische Weichenstellungen erforderlich, die Finanzierung, Governance und einen tragfähigen Rechtsrahmen gleichermaßen adressieren.

Eine sinnvolle und verantwortungsvolle Ausgestaltung leistungsbezogener Vergütungsmodelle kann insbesondere durch die Einbindung ärztlicher Aufsicht gewährleistet werden. P4P unter medizinischer Verantwortung bedeutet, dass der Behandlungserfolg nicht rein administrativ oder algorithmisch beurteilt wird, sondern unter Berücksichtigung klinischer Erfahrung und patientenindividueller Kontextfaktoren erfolgt. Ärzt:innen übernehmen hierbei die Validierung der Ergebnisse, berücksichtigen Komorbiditäten, Therapieverläufe und Begleitinterventionen und stellen so sicher, dass der tatsächliche Therapieerfolg differenziert und sachgerecht erfasst wird. Dieser Modellansatz reduziert zugleich – etwa durch die gezielte Auswahl leichter behandelbarer Fälle – das Risiko von Fehlanreizen und stärkt die ethische Tragfähigkeit des Instruments. Zudem kann P4P nur in enger Abstimmung mit den medizinischen Fachgesellschaften entwickelt werden; ein strukturierter Dialog mit der Ärzteschaft ist erforderlich, um deren fachlichen Buy-In zu sichern und die Modelle praxistauglich sowie versorgungspolitisch akzeptabel auszugestalten. In diesem Sinne stellt P4P eine besonders geeignete Form dar, um Ergebnisorientierung mit Versorgungsrealität, Patientenschutz und klinischer Expertise zu verbinden.

Ethisch und regulativ ist dennoch eine klare Grenzziehung erforderlich. P4P darf nicht zum Einfallstor für indirekte Rationierung oder selektive Versorgung werden. Die Gefahr besteht insbesondere dann, wenn Patientengruppen mit hoher klinischer Unsicherheit – etwa ältere oder multimorbide Personen – ausgeschlossen werden, um das ökonomische Risiko zu minimieren. Darüber hinaus stellt sich die Frage, inwieweit eine auf ökonomischer Performance basierende Vergütungslogik mit normativen Grundprinzipien der GKV – wie der Chancengleichheit und bedarfsgerechten Versorgung – vereinbar ist.

Gleichwohl kann P4P in definierten Kontexten praktikabel und versorgungspolitisch tragfähig sein. Dabei kommt dem Design der Verträge eine zentrale Rolle zu: Erfolgsparameter müssen patientenrelevant, medizinisch eindeutig und praktisch messbar sein. Zudem sollte eine sektorübergreifende Dateninfrastruktur geschaffen werden, die retrospektive Evaluation ebenso ermöglicht wie prospektive Steuerung.

Für ATMPs bieten sich hier insbesondere drei Modellansätze an:

- Outcome-based Agreements: Der volle Erstattungsbetrag wird nur dann gezahlt, wenn definierte klinische Zielkriterien erreicht werden (z. B. Remission, Überlebenszeit, funktionelle Wiederherstellung).
- Ratenzahlungen: Die Kostenerstattung erfolgt in mehreren Tranchen über einen definierten Zeitraum, abhängig vom Fortbestehen des Therapieeffekts.
- Kombinierte Modelle mit Rückerstattungsmechanismus: Bei ausbleibendem oder nur teilweisem Therapieerfolg erfolgt eine anteilige Rückzahlung oder eine Erstattungskorrektur.

Diese Modelle mindern finanzielle Unsicherheiten auf Seiten der Kostenträger und eröffnen gleichzeitig frühen Zugang zu hochpreisigen, innovativen Therapien für Patient:innen mit dringendem medizinischem Bedarf. Die Umsetzung solcher P4P-Modelle erfordert jedoch geeignete gesetzliche Rahmenbedingungen. Der § 130b SGB V sieht bislang keine explizite Öffnung für erfolgsabhängige oder gestufte Preismodelle vor. Vielmehr ist der dort verankerte Mechanismus auf die einmalige Vereinbarung eines festen Erstattungsbetrags nach Abschluss der frühen Nutzenbewertung ausgerichtet und damit nicht ausreichend flexibel, um solche Modelle in der Regelversorgung abzubilden.

Für die Umsetzung leistungsbezogener Vergütungsmodelle ist eine valide Datenbasis zwingende Voraussetzung. Derzeitige Datenstrukturen sind nur eingeschränkt geeignet, um individualisierte Therapieerfolge valide, datenschutzkonform und sektorenübergreifend zu erfassen. Ein möglicher Ansatz besteht darin, Patient:innen im Rahmen eines verbindlichen Behandlungsvertrages, verbunden mit einer zeitlich begrenzten Zustimmung zur Nutzung ihrer Versorgungsdaten, aktiv in die Erfolgsmessung einzubinden.

Die aktuelle Ausgestaltung des Risikostrukturausgleichs (RSA) stellt eine zentrale Hürde für die Umsetzung von Pay-for-Performance-Verträgen dar. Insbesondere der im § 268 SGB V verankerte Risikopool führt zu Fehlanreizen, da Rückzahlungsmodelle im RSA besser berücksichtigt werden als Annuitätenmodelle und Krankenkassen dadurch sogenannte Windfallgewinne erzielen können. Zugleich zwingt die gegenwärtige Systematik die Kassen dazu, hohe Therapiekosten kurzfristig zu finanzieren, auch wenn sich der Behandlungserfolg erst über mehrere Jahre hinweg einstellt. Um eine Gleichbehandlung unterschiedlicher Zahlungsmodelle sicherzustellen und die Praxistauglichkeit solcher Systeme zu erhöhen, sind sowohl eine Anpassung der Risikostrukturausgleichs-Verordnung (§ 7 RSAV) als auch die Umsetzung des vom Bundesamt für Soziale Sicherung vorgeschlagenen P4P-Ausgleichsverfahrens erforderlich. Eine Reform des RSA im Hinblick auf nachhaltige Wirkungsnachweise und indikationsspezifische Risikoausgleiche würde die finanzielle Planbarkeit verbessern und die Integration von leistungsorientierten Vergütungsmodellen in die Regelversorgung erleichtern.

Schließlich bedarf es gesetzlicher Klarstellungen im Rahmen des § 130b SGB V. Hierbei muss eindeutig definiert sein, unter welchen Bedingungen erfolgsabhängige Zahlungen und vertragsgebundene Outcome-Messungen als Vergütungsinstrumente anerkannt werden können.

Aus gesundheitspolitischer Sicht ist eine solche optionale Preisbildung nicht nur eine ökonomische Notwendigkeit, sondern auch ein entscheidender Baustein für die Nachhaltigkeit des Versorgungssystems, um den Innovationszyklus bei ATMPs aufrechtzuerhalten und gleichzeitig

Haushaltsrealitäten Rechnung zu tragen. Damit dieser Ansatz nachhaltig wirken kann, bedarf es jedoch klarer regulatorischer Rahmenbedingungen, strukturell verankerter Datentransparenz und einer ethisch vertretbaren Patientenselektion. Nur unter diesen Voraussetzungen kann P4P seinem Anspruch gerecht werden, therapeutische Innovationen im Dienste der Patientenversorgung fair, transparent, differenziert und leistungsorientiert zu honorieren.

## **7. Positionierung gegen kostenbasierte Preisbildung und Interimspreise im Kontext innovativer Arzneimittel**

Vor dem Hintergrund wachsender Unsicherheiten in der Nutzenbewertung innovativer Arzneimittel gewinnen Fragen zur „fairen“ und zukunftsgerichteten Preisbildung zunehmend an politischer Relevanz. In der gesundheitspolitischen Debatte werden dabei Modelle diskutiert, die auf der Offenlegung interner Kostenstrukturen basieren – insbesondere in Form sogenannter Kostenpreise. Derartige Modelle erscheinen auf den ersten Blick nachvollziehbar, da sie eine betriebswirtschaftlich basierte Preisermittlung versprechen. Aus gesundheitspolitischer Perspektive jedoch sind sie im Kontext hochinnovativer Arzneimittelgruppen – insbesondere bei Orphan Drugs und ATMPs – mit erheblichen systemischen Risiken verbunden.

Ein häufig diskutierter alternativer Ansatz zur Preissetzung ist das Konzept des „Fair-Pricing-Calculators“. Solche Modelle zielen darauf ab, Arzneimittelpreise auf scheinbar transparente und nachvollziehbare Weise zu bestimmen, indem sie verschiedene Parameter – wie Forschungs- und Entwicklungskosten, Herstellungs- und Vertriebsausgaben, Innovationsgrad sowie potenziellen therapeutischen Zusatznutzen – systematisch berücksichtigen. Ziel ist es, einen Preis zu ermitteln, der einerseits wirtschaftlich tragfähig ist und Innovationsanreize für forschende Unternehmen aufrechterhält, andererseits aber auch die Finanzierbarkeit für das solidarisch organisierte Gesundheitssystem sicherstellt. Derartige Instrumente werden von Befürwortern vor allem als methodischer Orientierungsrahmen verstanden, weil sie eine strukturierte, datenbasierte Grundlage für Preisverhandlungen versprechen und so zu mehr Transparenz und Akzeptanz im Preisfindungsprozess beitragen könnten. Diese Methodik suggeriert Objektivität, ignoriert jedoch zentrale gesundheitsökonomische Realitäten. Erstens basiert die Berechnung nicht auf dem tatsächlichen Versorgungswert eines Arzneimittels, sondern auf rückblickenden unternehmensspezifischen Inputfaktoren, die stark von betriebsindividuellen Strukturen abhängen. Eine solche Kostenorientierung entkoppelt die Preisbildung systematisch vom Patientennutzen, was dem Prinzip einer Nutzenbewertung grundlegend widerspricht. Zudem sind besonders bei hochinnovativen Arzneimitteln die Aufwendungen in den Bereichen Forschung und Entwicklung schwer kalkulierbar, risikobehaftet und durch hohe Opportunitätskosten geprägt – eine rein kostengeleitete Betrachtung unterminiert daher die Investitionslogik evidenzgenerierender pharmazeutischer Entwicklung. Zuletzt besteht in der Praxis ein hohes Risiko asymmetrischer Informationsverteilung zugunsten staatlicher Stellen, wodurch wirtschaftliche Unsicherheit aufseiten der Hersteller zunimmt und innovationsfeindliche Signale in den Markt gesendet werden.

Interimspreise, also temporär festgelegte Erstattungsbeträge bis zur endgültigen Nutzenbewertung, stellen eine weitere Fehlanreizstruktur dar. Auch wenn sie formal der Versorgungssicherung dienen, erzeugen sie in der Praxis erhebliche Planungsunsicherheit. Für Arzneimittel mit initialer strukturell bedingter Evidenzlücke – etwa bei „Breakthrough Therapies“ oder Einmalbehandlungen mit Langzeiteffekt – kann ein zu niedrig angesetzter Interimspreis eine Markteinführung faktisch verhindern. Zudem droht durch Rückwirkungsmechanismen (Clawback, Preiskorrektur) ein Verlust an Verlässlichkeit in vertraglichen Konstellationen, was langfristig innovationshemmend wirkt.

Zusätzlich wird diskutiert, Interimspreise verpflichtend an den Kosten der zVT auszurichten. Eine solche Maßnahme birgt jedoch erhebliche Risiken: Der Vergleichspreis – insbesondere, wenn er auf veralteten Therapien basiert – kann als psychologischer Anker fungieren und die nachgelagerte Preisverhandlung

systematisch verzerren. Darüber hinaus besteht die Gefahr, dass ein initial zu niedrig angesetzter Preis zu einem europaweiten Preisdruck führt, da internationale Referenzsysteme an den deutschen Preis anknüpfen. In Folge könnte die prioritäre Markteinführung innovativer Therapien in Deutschland unattraktiv werden.

Die Einführung von Kostenpreis- oder Interimsmodellen im AMNOG-System würde somit die jetzige nutzenbasierte Preisbildung aushebeln und die Dynamik der forschungsintensiven Arzneimittelentwicklung empfindlich stören. Im Gegensatz dazu bietet eine differenzierte leistungsorientierte Preisbildung – etwa über Pay-For-Performance-Mechanismen oder gestufte Bewertungsverfahren mit Real-World-Data-Komponenten – einen anschlussfähigen und versorgungsintegrierbaren Ansatz, um Unsicherheiten zu adressieren, ohne die Versorgungs- und Innovationsanreize zu untergraben.

Aus Sicht einer zukunftsorientierten Gesundheitspolitik ist daher festzuhalten: Die Implementierung kostenbasierter oder interimistisch bestimmter Preise für hochinnovative Arzneimittel unterläuft die Prinzipien der Evidenzgenerierung, des medizinischen Fortschritts und der gerechten Versorgungsfinanzierung. Die Nutzenbewertung und Erstattungslogik in Deutschland sollte sich weiterhin am medizinischen Mehrwert für Patient:innen orientieren, nicht an vergangenheitsorientierten Kostendaten.

## Quellen

Bundesministerium für Gesundheit (2019): Empfehlungen für ein modernes Vergütungssystem in der ambulanten ärztlichen Versorgung.

[https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3\\_Downloads/K/KOMV/Bericht\\_der\\_Honorarkommission\\_KOMV\\_-\\_Dezember\\_2019.pdf](https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/K/KOMV/Bericht_der_Honorarkommission_KOMV_-_Dezember_2019.pdf)

EMA (2022) Committee for Advanced Therapies (CAT) Rules of Procedure.

[https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/committee-advanced-therapies-cat-rules-procedure\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/committee-advanced-therapies-cat-rules-procedure_en.pdf)

EMA (2018) Rare diseases, orphan medicines Getting the facts straight.

[https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/rare-diseases-orphan-medicines-getting-facts-straight\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/rare-diseases-orphan-medicines-getting-facts-straight_en.pdf)

Greiner Prof. Dr. W, Witte Dr. J, Gensorowsky Dr. D (2025): AMNOG-Report Innovationsförderung und Kostendämpfung: Ein Widerspruch?

<https://caas.content.dak.de/caas/v1/media/133706/data/bcf5f69e2d06f6dd713b91989d792c5d/amnog-report-2025-ebook.pdf>

IGES (2024): AMNOG-Evaluation Evaluation über die Auswirkungen der Änderungen der §§ 35a und 130b und der Neuregelung des § 130e durch das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz vom 7. November 2022 auf die Versorgung mit Arzneimitteln.

[https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/5\\_Publikationen/Gesundheit/Abschlussberichte/Evaluationsbericht\\_IGES\\_20241206\\_barrierefrei.pdf](https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/5_Publikationen/Gesundheit/Abschlussberichte/Evaluationsbericht_IGES_20241206_barrierefrei.pdf)

IQWiG (2022) Orphan Drugs: Privileg des „fiktiven“ Zusatznutzens nicht gerechtfertigt.

[https://www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite\\_58496.html](https://www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite_58496.html)

Manders E. A., van den Berg S., de Visser S. J., Hollak, C. E. M. (2025). Drug pricing models, no 'one-size-fits-all' approach: A systematic review and critical evaluation of pricing models in an evolving pharmaceutical landscape. The European Journal of Health Economics, 26(5), S. 683–696

[https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC12126323/pdf/10198\\_2024\\_Article\\_1731.pdf](https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC12126323/pdf/10198_2024_Article_1731.pdf)

Navlin Daily (2023): BMS Will Not Launch Opdualag in Germany, Cites G-BA Issues.

<https://www.navlindaily.com/article/16172/bms-will-not-launch-opdualag-in-germany-cites-g-ba-issues>

Pharma Fakten (2025): SVR-Gutachten: Das Ende der Planbarkeit. <https://pharma-fakten.de/news/svr-gutachten-das-ende-der-planbarkeit/>

Pharmainitiative Bayern (o.J.): Position: Schlüsselindustrie Biopharma.

<https://www.lobbyregister.bundestag.de/media/88/7a/379438/Stellungnahme-Gutachten-SG2412030037.pdf>

Pharmainitiative Bayern (2024): Pressemitteilung: Die Entwicklung von Therapien für seltene Erkrankungen braucht die richtigen Impulse. <https://www.pharmainitiative-bayern.de/2024/07/26/die-entwicklung-von-therapien-fuer-seltene-erkrankungen-braucht-die-richtigen-impulse/>

Positionspapier Japan 2025 (White Paper Servier Deutschland).

Vfa (2025): Fachdiskussion „Pay-for-Performance umsetzen“. <https://www.pa-gesundheit.de/TT-Server/Programm-Spotlight-AMNOG-Pay-for-Performance-am-29.04.2025.pdf>

Vfa (2025): „Pay-for-Performance“ im AMNOG. Wie die Umsetzung gelingen kann. (Impulspapier) [file:///C:/Users/GO54\\_DE1/Downloads/pay-for-performance-amnog%20\(1\).pdf](file:///C:/Users/GO54_DE1/Downloads/pay-for-performance-amnog%20(1).pdf)

Vfa (2025): „Pay-for-Performance“ im AMNOG. Wie die Umsetzung gelingen kann.

<https://www.vfa.de/de/gesundheitsversorgung/amnog/pay-for-performance-amnog>

Vfa (2023): Statement Evaluation of the Impact of the SHI Financial Stabilization Act on Patient Access to Medicines and on Germany as a Business Location.

[file:///C:/Users/GO54\\_DE1/Downloads/statement-evaluation-shi-financial-stabilization-act-gkvfinstg.pdf](file:///C:/Users/GO54_DE1/Downloads/statement-evaluation-shi-financial-stabilization-act-gkvfinstg.pdf)

Vfa (2024): Zukunft AMNOG Neue Impulse für die Patientenversorgung.

<https://www.vfa.de/de/gesundheit-versorgung/amnog/zukunft-amnog-neue-impulse-fuer-die-patientenversorgung>