

Positionierung der Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen (ATSE) zum Kabinettsentwurf eines GKV-Beitragssatzstabilisierungsgesetzes (BStabG)

Ausgangslage

Die Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen (ATSE) erkennt den Handlungsdruck zur Stabilisierung der GKV-Finzen an. Dennoch müssen Maßnahmen **innovationsfreundlich, planungssicher** und **patientenorientiert** ausgestaltet sein. Entscheidend ist ihr konkreter Beitrag zur Versorgungssicherheit; ihr Nutzen muss die Kosten übersteigen.

Die ATSE begrüßt ausdrücklich, dass die Orphan-Drug-Regelung des AMNOG nicht Teil eines auf kurzfristige Einsparmaßnahmen ausgelegten Gesetzesvorhabens ist. Gleichzeitig umfasst das GKV-Beitragssatzstabilisierungsgesetz Maßnahmen, die negative Auswirkungen auf die Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen haben könnten. Im Fokus steht die Maßnahme mit dem potenziell größten Risiko für die Versorgung: die Dynamisierung des Herstellerabschlags.

Dynamisierung des Herstellerabschlags nach § 130a Absatz 1b

Die vorgesehene Dynamisierung des Herstellerabschlags stellt für Hersteller von Orphan Drugs eine nochmals besondere Belastung dar, weil sie die ohnehin außergewöhnlich hohen wirtschaftlichen und regulatorischen Unsicherheiten im Bereich seltener Erkrankungen zusätzlich verstärkt. Die Entwicklung von Orphan Drugs ist selbst im Vergleich zur allgemeinen Arzneimittelforschung durch besonders **lange Entwicklungszyklen**, besonders **hohe Forschungsrisiken**, **kleine Patientengruppen** und **erhebliche Vorabinvestitionen** geprägt, deren Refinanzierung nur über lange Zeiträume möglich ist. Pharmazeutische Unternehmen sind daher im Bereich der Orphan Drugs in noch stärkerem Maße als sonst auch schon auf verlässliche und planbare Rahmenbedingungen angewiesen.

Ein dynamischer Herstellerabschlag führt hingegen dazu, dass die zukünftige finanzielle Belastung nicht mehr kalkulierbar ist, da sie von der allgemeinen Entwicklung der GKV-Einnahmen und GKV-Arzneimittelausgaben abhängt, die außerhalb des Einflussbereichs der Unternehmen liegt. Dies erschwert insbesondere langfristige Forschungs- und Entwicklungsentscheidungen. In der derzeitigen Ausgestaltung drohen zudem zentrale Prinzipien des AMNOG – insbesondere die Kopplung von Preis und nachgewiesenem Zusatznutzen – durch nachgelagerte, nicht nutzenbasierte Abschlagsmechanismen faktisch unterlaufen zu werden. In Kombination mit der von den USA geplanten Preisreferenzierung (Most Favored Nation, MFN) droht eine Abnahme der Verfügbarkeit von Innovationen in Deutschland.

Die im Gesetzentwurf vorgesehenen Ausnahmen für Forschung und Produktion in Deutschland (*min. 5% der Studienteilnehmenden aus Deutschland UND Produktion im Umfang zur Versorgung von min. 50% der Patientinnen und Patienten in Deutschland für drei Jahre*) sind in der aktuellen Form unerfüllbar und berücksichtigen in keiner Form die strukturellen Besonderheiten der Entwicklung von Orphan Drugs.

Forschung zu seltenen Erkrankungen ist aufgrund der kleinen Patientengruppen zwangsläufig **international organisiert**. Klinische Studien können häufig nicht in der gewünschten Größe in Deutschland durchgeführt werden, sondern müssen **multizentrisch** sowie **europaweit oder global** angelegt sein, da die erforderlichen Fallzahlen national nicht erreicht werden können. Die Durchführung größerer Forschungsprogramme in Deutschland ist vielfach praktisch nicht möglich – selbst dann, wenn Unternehmen ausdrücklich in den Standort Deutschland investieren möchten. Eine Anknüpfung von Ausnahmeregelungen an nationale Forschungsanteile benachteiligt damit gerade die Entwicklung von Therapien für seltene Erkrankungen strukturell.

Auch die Produktionsstrukturen vieler Orphan Drugs sind hochgradig international organisiert. Insbesondere Gen- und Zelltherapien oder hochspezialisierte Biologika werden in komplexen globalen Netzwerken

hergestellt, deren Standorte sich aus vorhandener Spezialinfrastruktur, regulatorischen Anforderungen, hochqualifiziertem Fachpersonal und internationalen Lieferketten ergeben. Die Konzentration auf den letzten Prozessschritt ist daher sachlich bereits nicht überzeugend. Eine kurzfristige Verlagerung solcher Produktionsprozesse nach Deutschland ist zudem weder technisch noch wirtschaftlich realisierbar. Nationale Produktionskriterien laufen daher Gefahr, ausgerechnet innovative Orphan-Drug-Hersteller, die vom dynamischen Herstellerrabatt – wie gezeigt – besonders negativ betroffen sind, systematisch von den vorgesehenen Ausnahmeregelungen auszuschließen.

Finanzstabilität der GKV braucht faire, verursachungsgeregelte Beiträge

Die Stabilisierung der GKV-Finzen ist eine gemeinsame Aufgabe. Sie kann auf Dauer nur durch effizienzsteigernde Strukturreformen gelingen. Die Diskussion blendet jedoch aus, dass die Arzneimittelhersteller – und damit auch die Anbieter von Orphan Drugs – bereits heute einen überproportionalen Beitrag leisten. Die Eingriffstiefe im Arzneimittelsektor geht dabei über vergleichbare Maßnahmen in anderen Leistungsbereichen hinaus. Der Sparbeitrag lag 2025 bei 29 Mrd. €¹. Beim GKV-FinStG von 2023 hat die pharmazeutische Industrie fast 80% der Einsparungen der Leistungserbringer und Krankenkassen tragen müssen. Im Kontext des GKV-Beitragssatzstabilisierungsgesetzes zeigt sich bereits im Jahr 2027 eine strukturelle Schieflage: Während die Gesamtbelastung für Leistungserbringer und Krankenkassen 11,2 Mrd. € beträgt, entfällt auf die forschende Pharmaindustrie – laut der Gesetzesbegründung – mit 0,9 Mrd. € ein Anteil von 7,9% – obwohl der Patentmarkt lediglich rund 7,2% der GKV-Gesamtausgaben (Patentarzneimittel ohne MwSt. und Vertriebsmargen) ausmacht.

Doch der Blick auf das Jahr 2030 offenbart eine dramatische Verschiebung: Die Einsparungen im Patentmarkt steigen auf 6,2 Mrd. € und machen damit 21,6% der Gesamteinsparungen von 28,7 Mrd. € aller Leistungserbringer und Krankenkassen aus – obwohl sich der Kostenanteil des Patentmarkts an den GKV-Gesamtausgaben nicht annähernd in gleichem Maße verändern wird. Die Pharmaindustrie wird damit weit über ihren tatsächlichen Kostenanteil hinaus herangezogen.

Dies steht in direktem Widerspruch zu dem von Bundesgesundheitsministerin Nina Warken selbst formulierten Grundsatz, wonach jeder Akteur gemäß seiner Kostenverursachung zur Finanzierung beitragen soll. Gemessen an diesem Maßstab sind die Arzneimittelhersteller nicht Verursacher der GKV-Finanzierungsprobleme – sondern werden vielmehr überproportional in Haftung genommen.

Neben der wirtschaftlichen Belastung der Hersteller ist auch die Verordnungssicherheit für Ärztinnen und Ärzte zu berücksichtigen. Praxis- bzw. Therapiebesonderheiten sind gerade im Bereich seltener Erkrankungen ein wichtiges Instrument, um medizinisch begründete Verordnungen spezialisierter Therapien vor Regressunsicherheit zu schützen. Der Gesetzgeber sollte deshalb sicherstellen, dass bereits vereinbarte Praxis-/Therapiebesonderheiten Bestandsschutz genießen und auch künftig in begründeten Fällen entsprechende Regelungen für Orphan Drugs und hochspezialisierte Therapien möglich bleiben.

Deutschland als Wirtschaftsstandort mit einer innovativen pharmazeutischen Industrie kann es sich nicht leisten, diesen Sektor zu bestrafen und auszubremsen. Gerade mit Blick auf die aggressive Zollpolitik der USA und einer Preisreferenzierung durch das Most-Favored-Nation (MFN) brauchen Deutschland und Europa Rahmenbedingungen, die Innovationen fördern und eine langfristig gute Arzneimittelversorgung sicherstellen. Maßnahmen müssen daher differenziert, fair sowie planbar ausgestaltet sein und dürfen Innovationen nicht gefährden, insbesondere in einer Schlüsselindustrie wie der Pharma- und MedTech-Branche. Ziel muss es sein, finanzielle Stabilität, Innovationsfähigkeit und eine hochwertige Versorgung von Patientinnen und Patienten – insbesondere mit seltenen Erkrankungen – in Einklang zu bringen.

¹ Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V. (vfa). Der Arzneimittelmarkt in Zahlen. Abgerufen unter: <https://www.vfa.de/de/gesundheit-versorgung/arzneimittelmarkt/arzneimittelmarkt-in-zahlen>