

## **Ausgangslage: Versorgungssicherheit als Maßstab**

In Deutschland leben rund vier Millionen Menschen mit einer Seltenen Erkrankung. Viele von ihnen haben lange Diagnosewege hinter sich, leben mit schwerwiegenden Krankheitsverläufen und sind auf wenige – teils einzige – verfügbare Therapieoptionen angewiesen. Für über 190 Seltene Erkrankungen stehen heute speziell entwickelte Arzneimittel zur Verfügung; rund ein Drittel davon wurde allein in den vergangenen zehn Jahren zugelassen.<sup>1</sup> Diese Innovationsdynamik ist kein Selbstläufer. Sie setzt planbare, verlässliche Rahmenbedingungen voraus, und genau diese sehen wir durch den vorliegenden Gesetzentwurf in mehreren Punkten gefährdet.

### **1. Dynamischer Herstellerabschlag: Unkalkulierbare Belastung mit Versorgungsfolgen**

Der vorgesehene dynamische Herstellerabschlag (zunächst 10,5 Prozent ab Januar 2027, ab Juli 2027 jährlich neu berechnet) trifft alle Hersteller gleichermaßen, unabhängig von Unternehmensgröße, therapeutischem Bereich oder Versorgungsrealität. Für Unternehmen, die ausschließlich Therapien für Seltene Erkrankungen entwickeln, ist diese Gleichbehandlung strukturell ungerecht: Entwicklungszyklen sind lang, Patientenpopulationen klein, Investitionsrisiken hoch und die Refinanzierung ist nur über lange Zeiträume möglich.

Auch aus Versorgungsperspektive ist die Dynamisierung problematisch. Ein dauerhaft dynamisierter Abschlag, dessen Höhe von der allgemeinen Entwicklung der GKV-Einnahmen abhängt und damit außerhalb des Einflussbereichs der Unternehmen liegt, macht langfristige Forschungs- und Entwicklungsentscheidungen unkalkulierbar. Für Patient:innen mit Seltenen Erkrankungen, für die es oft keine therapeutischen Alternativen gibt, bedeutet das weniger Investitionen in neue Therapien, langsamerer medizinischer Fortschritt, im schlimmsten Fall fehlende Behandlungsoptionen.

Außerdem sind die im Gesetzentwurf vorgesehenen Ausnahmetatbestände (Standortbonus) in ihrer aktuellen Ausgestaltung für Orphan-Drug-Hersteller strukturell nicht erfüllbar. Klinische Studien zu Seltenen Erkrankungen sind aufgrund kleiner Patientenpopulationen zwangsläufig international und multizentrisch organisiert – eine nationale Rekrutierungsquote von 5 % benachteiligt genau jene Unternehmen, die in Deutschland forschen wollen, es aber aufgrund der Erkrankungsstruktur nicht in ausreichendem Umfang können. Gleiches gilt für die Produktionsschwelle. Hochspezialisierte Biologika, Gen- und Zelltherapien werden in globalen Netzwerken hergestellt, weswegen eine kurzfristige Verlagerung nach Deutschland weder technisch noch wirtschaftlich realisierbar ist.

Unsere Forderung: Die Dynamisierung des Herstellerabschlags ist wirtschaftlich nicht tragfähig und sollte gestrichen werden. Gleichzeitig muss der Standortbonus für Orphan-Arzneimittelhersteller realistisch ausgestaltet werden. Erforderlich sind eine Entweder-oder-Regelung bei den Zugangsvoraussetzungen sowie eine Absenkung der Forschungsschwelle für OMPs (*Orphan Medicinal Products*) auf 3 %, damit die Ausnahmeregelung für Unternehmen mit Therapien gegen Seltene Erkrankungen tatsächlich erreichbar wird.

### **2. Preis-Mengen-Regelung und Sonderkündigungsrecht: Rechtsunsicherheit gefährdet Versorgungskontinuität**

Die vorgesehene Preis-Mengen-Regelung mit gesetzlichem Fallback-Mechanismus ab dem dritten Jahr nach Markteinführung sowie das Sonderkündigungsrecht für bestehende AMNOG-Erstattungsbeträge seit November 2022 greifen tief in bestehende Vertrags- und Bewertungsstrukturen ein. Bereits abgeschlossene Vereinbarungen, die das Ergebnis umfangreicher und ressourcenintensiver Verhandlungen sind, könnten außerhalb regulärer Nutzenbewertungszyklen erneut aufgerufen werden. Dies untergräbt die Verlässlichkeit des AMNOG-Rahmens und schafft Planungsunsicherheit für Unternehmen.

Diese Unsicherheit hat unmittelbare Versorgungseffekte: Wenn Unternehmen nicht mehr darauf vertrauen können, dass geschlossene Verträge Bestand haben, gefährdet dies die Bereitschaft, neue Therapien für Seltene Erkrankungen in Deutschland einzuführen und langfristig verfügbar zu halten.

---

<sup>1</sup> vfa 2026, <https://www.vfa.de/de/forschung-entwicklung/seltene-erkrankungen-orphan-drugs/ein-medikament-ist-nicht-genug>

Hinzu kommt, dass volumenbasierte Preismodelle für Arzneimittel mit strukturell kleinen Patientenpopulationen grundsätzlich ungeeignet sind. Sie können zu Ergebnissen führen, die der tatsächlichen Versorgungsrealität nicht gerecht werden, weil die zugrundeliegende Preislogik eine Nachfragedynamik voraussetzt, die im Bereich Seltener Erkrankungen strukturell nicht existiert.

Besonders ausgeprägt ist dieses Problem bei nicht-onkologischen-OMPs. In der Onkologie bestehen mitunter größere Patientenpopulationen und ein breiteres Spektrum an Therapiealternativen, das zumindest eine eingeschränkte Vergleichbarkeit ermöglicht. Bei nicht-onkologischen-OMPs hingegen sind die betroffenen Gruppen noch kleiner, die Erkrankungen noch seltener und die verfügbaren Behandlungsoptionen noch begrenzter. Volumenbasierte Preismechanismen greifen hier strukturell ins Leere und können die Versorgungssituation dieser Patient:innen nachhaltig verschlechtern.

Unsere Forderung: Nicht-onkologische-OMPs sollten vom gesetzlichen Fallback-Mechanismus ausgenommen werden. Das Sonderkündigungsrecht sollte vollständig gestrichen werden, da rückwirkende Eingriffe in abgeschlossene Vereinbarungen einen schädlichen Präzedenzfall für die Verlässlichkeit des AMNOG-Rahmens setzen.

### **3. Wettbewerb bei patentgeschützten Arzneimitteln: Fragmentierung der Versorgung verhindern**

Die geplante Ausschreibungsmöglichkeit für Krankenkassen bei therapeutisch vergleichbaren patentgeschützten Arzneimitteln ist im Bereich der Orphan-Arzneimittel strukturell nicht anschlussfähig. In Märkten mit sehr kleinen Patientenpopulationen und hoher wissenschaftlicher Komplexität fehlt die Grundvoraussetzung für ein funktionierendes Ausschreibungsmodell – echter Wettbewerb.

Gravierender ist die drohende Versorgungskonsequenz: Selektive Rabattverträge mit einzelnen Krankenkassen können dazu führen, dass Menschen mit Seltenen Erkrankungen je nach Kassenzugehörigkeit keinen Zugang mehr zur einzigen für sie verfügbaren Therapie haben. Eine solche Fragmentierung der Versorgung widerspricht dem Grundsatz gleichwertiger Behandlung und untergräbt die differenzierte Logik des AMNOG-Systems, das für Orphan-Arzneimittel bewusst auf Nutzenbewertung statt Preiswettbewerb setzt.

Unsere Forderung: Jeder Ausschreibungsmechanismus muss strikt auf therapeutische Bereiche mit echter, klinisch validierter Substituierbarkeit begrenzt bleiben. Nicht-onkologische-OMPs müssen ausdrücklich ausgenommen werden – sowohl im aktuellen Anwendungsbereich als auch bei jeder künftigen Ausweitung.

### **Fazit: Finanzstabilität und Versorgungssicherheit müssen vereinbar sein**

Die Stabilisierung der GKV-Finzen ist eine gemeinsame Aufgabe. BioMarin erkennt diesen Handlungsdruck ausdrücklich an. Gleichzeitig muss gelten: Maßnahmen zur Kostendämpfung dürfen nicht zulasten jener Patient:innen gehen, die auf spezialisierte Therapien ohne Alternative angewiesen sind. Das BStabG droht in seiner aktuellen Fassung, Innovationsanreize zu schwächen, Versorgungssicherheit zu gefährden und den Zugang zu Orphan-Arzneimitteln zu fragmentieren. Dies wäre weder im Sinne der Betroffenen noch im Sinne des Koalitionsvertrags, der die Pharmaindustrie ausdrücklich als Leitindustrie positioniert. Wir stehen für einen konstruktiven Dialog zur Verfügung und sind bereit, gemeinsam mit den politischen Entscheidungsträger:innen an Lösungen zu arbeiten, die Finanzstabilität, Innovationsfähigkeit und eine hochwertige Versorgung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen in Einklang bringen.