

From: [REDACTED]

Sent: Friday, 6 February 2026 09:30

To: [REDACTED]

Cc: [REDACTED]

Subject: Unser Gespräch am 3.2.2026

Sehr geehrte [REDACTED],
sehr geehrter [REDACTED],

herzlichen Dank für die Möglichkeit, unsere Sichtweise im Rahmen des Pharmadialogs im gestrigen Gespräch darzulegen und für den guten Austausch. Wie vereinbart, übersenden wir Ihnen untenstehend zusammengefasst die aus unserer Sicht relevanten Aspekte und beantworten zudem die konkret an uns gerichteten Fragen, soweit möglich. Diese erhält [REDACTED] [REDACTED] zudem gesondert, wie erbeten.

Herausforderung bei der Festlegung der zVT und Methodik des AMNOG:

Die formale Zulassung oder Leitlinienempfehlung eines nicht indikationsspezifisch evidenzbasierten Wirkstoffes ersetzt keine belastbare Evidenz in der spezifischen Zielpopulation, dient aber als zweckmäßige Vergleichstherapie und damit als Preisanker. Dies betrifft unser Produkt Efgartigimod alfa auf Grund des „Pipeline in a Product“-Ansatzes (Vielzahl an Indikationen in einem Produkt) gleich in mehreren Indikationen, in denen Kortikosteroide als zVT herangezogen werden. Dies ist insofern besonders brisant, da jede neue Indikation mit entsprechenden Preisabschlägen nicht isoliert, sondern preislich kumulativ auf das Gesamtprodukt wirkt. Verstärkt wird dies zudem durch Referenzpreispolitik der USA. Daher hat sich argenx bereits zur Verzögerung auf noch unbestimmte Zeit eines Zulassungsantrags einer weiteren Indikation für Efgartigimod alfa entschieden.

Mögliche Lösungen:

- Die Nutzenbewertung sollte die Begründung für das Studiendesign und die Evidenzqualität der zVT stärker berücksichtigen.
- Akzeptanz von placebo-kontrollierten Vergleichen in Fällen, in denen die Vergleichstherapie nicht spezifisch für die Indikation untersucht wurde.
- Betonung des Innovationscharakters des neuen Wirkstoffes im Vergleich zu den bislang angewendeten, zum Teil nicht in klinischen Studien für diese Indikationen untersuchten Wirkstoffen, z.B. in den Tragenden Gründen oder im Rahmen der Preisverhandlung.
- Sicherstellung der Versorgung für Patienten mit hohem ungedecktem medizinischem Bedarf: Verordnungseinschränkung auf Teil-Populationen mit hohem ungedecktem medizinischem Bedarf durch den G-BA.

Beantwortung der im Rahmen der AG3 des Pharmadialogs gestellten Fragen:

Was wären geeignete Grenzwerte für Patientenzahlen und/oder Budget Impact als Voraussetzung zur Durchführung für Bewertungsverfahren von neuen Anwendungsgebieten? Wo wäre der Grenzwert, wenn auf 10/20/30 Prozent der Verfahren verzichtet werden soll? Aus unserer Sicht wäre ein Verzicht auf Verfahren, die unter 50Mio€ indikationsspezifischem Budget Impact liegen ein geeigneter Grenzwert.

Wie kann die Doppelbewertung von Orphan Drugs reduziert werden?

Durch eine erstmalige Orphan Drug Bewertung ab 50Mio€ Umsatzschwelle, nicht wie derzeit gültig direkt nach Inverkehrbringen.

Welchen Nutzen hat die Erstbewertung von Orphan Drugs für die Preisverhandlungen?

Eine Erstbewertung von Orphan Drugs ab 50Mio€ Umsatz, wie oben ausgeführt, wäre eine Weiterentwicklung des Orphan Drug Privilegs um zum Einen Anreize zu schaffen Orphan Drugs zur Verfügung zu stellen und zum Anderen den Aufwand sowohl seitens der Hersteller als auch des G-Bas und GKV-SVs in Grenzen zu halten.

Könnte auf das Verfahren der anwendungsbegleitenden Datenerhebung verzichtet werden?

Ja, denn aus der Erfahrung sind diese durchaus mit einem erheblichen Verzerrungspotential verbunden. Eine mögliche Lösung zur Gleichverteilung eines möglichen Risikos (d.h. einer Unsicherheit in der Aussagekraft von vorgelegten Daten) wäre, verstärkt „Pay for Performance“-Ansätze in Erstattungsbetragsverhandlungen zu integrieren.

Lassen Sie uns gerne wissen, wenn Sie noch weiterführende Information benötigen. Die Situation unseres Unternehmens, das den „Pipeline in a Product“-Ansatz in immunologischen Indikationen mit hohem medizinischen Bedarf konsequent in der klinischen Entwicklung verfolgt, ist sicherlich einzigartig und nicht mit der Situation anderer Unternehmen zu vergleichen.

Wir danken Ihnen erneut für den offenen und konstruktiven Austausch und hoffen, im weiteren Verlauf des Pharmadialogs daran anknüpfen zu können.

Herzliche Grüße

██████████