

mit dem Gesetzentwurf zum **GKV-Beitragssatzstabilisierungsgesetz (BStabG)** stehen weitreichende Änderungen im Arzneimittelmarkt zur Diskussion. Für **Menschen mit Seltene Erkrankungen** ist diese Debatte von besonderer Bedeutung: Viele von ihnen haben lange Diagnosewege hinter sich, leben mit schwerwiegenden Krankheitsverläufen und sind auf wenige, teils einzige verfügbare Therapieoptionen angewiesen. Gerade bei kleinen Patient:innengruppen ist es deshalb entscheidend, dass medizinischer Fortschritt verlässlich in der Versorgung ankommt.

Als eines der wenigen **unabhängigen Biopharmaunternehmen, das sich ausschließlich auf Seltene Erkrankungen konzentriert**, bringt BioMarin eine besondere Perspektive in diese Debatte ein. Unser Fokus liegt auf Patient:innengruppen, für die therapeutische Optionen oft begrenzt sind und bei denen gesetzgeberische Entscheidungen unmittelbare Auswirkungen auf Forschung, Versorgung und Zugang zu innovativen Behandlungen haben können.

Vor diesem Hintergrund möchten wir den aktuellen Gesetzgebungsprozess zum Anlass nehmen, um mit Ihnen in einem **persönlichen Gespräch** in den Austausch zu treten. Gerne möchten wir unsere Einschätzung zu den geplanten Regelungen einbringen und gemeinsam mit Ihnen beleuchten, wie sich sicherstellen lässt, dass notwendige Maßnahmen zur Stabilisierung der GKV nicht zulasten von Menschen mit Seltene Erkrankungen gehen.

In Deutschland leben rund vier Millionen Menschen mit einer Seltene Erkrankung; insgesamt sind mehr als 8.000 Seltene Erkrankungen bekannt. Für über 170 dieser Erkrankungen stehen mittlerweile speziell entwickelte Arzneimittel zur Verfügung – rund ein Drittel davon wurde allein in den vergangenen zehn Jahren zugelassen. Diese **Innovationsdynamik ist jedoch kein Selbstläufer**. Sie setzt planbare Rahmenbedingungen voraus. Genau diese sehen wir durch den vorliegenden Gesetzentwurf in mehreren Punkten gefährdet.

Wir möchten drei Regelungsbereiche ansprechen, die wir besonders kritisch bewerten:

1. **Dynamischer Herstellerabschlag:** Der vorgesehene dynamische Herstellerabschlag – zunächst 10,5 Prozent ab Januar 2027 und ab Juli 2027 jährlich neu berechnet – würde alle Hersteller gleichermaßen treffen, unabhängig von Unternehmensgröße, therapeutischen Bereich oder Versorgungsrealität. Für kleinere und mittelgroße Unternehmen mit ausschließlichem Fokus auf Orphan-Arzneimittel stellt dies eine besondere Belastung dar: Forschungs- und Entwicklungszyklen sind lang, Patient:innenpopulationen klein und Investitionsrisiken hoch. Ein dauerhaft dynamisierter Abschlag ohne Differenzierung schafft zusätzliche wirtschaftliche Unsicherheit und kann die Entwicklung neuer Therapien für genau jene Patient:innengruppen erschweren, für die es ohnehin oft keine Alternativen gibt.
2. **Preis-Mengen-Regelung mit gesetzlichem Auffangmechanismus und Sonderkündigungsrecht:** Die vorgesehene Preis-Mengen-Regelung einschließlich eines gesetzlichen Auffangmechanismus ab dem dritten Jahr nach Markteinführung sowie eines Sonderkündigungsrechts für bestehende AMNOG-Erstattungsbeträge seit November 2022 greift tief in bestehende Vertrags- und Bewertungsstrukturen ein. Bereits umfassend und über einen langen Zeitraum verhandelte Vereinbarungen müssten außerhalb regulärer Neubewertungszyklen erneut aufgerufen werden. Dies würde den administrativen und personellen Aufwand für kleinere und mittelgroße Unternehmen erheblich erhöhen sowie das Risiko einer frühzeitigen Preiserosion verstärken. Für Menschen mit Seltene Erkrankungen bedeutet dies konkret: Sinkende Investitionsbereitschaft in Forschung und Entwicklung gefährdet langfristig den Zugang zu neuen, dringend benötigten Therapien.
3. **Förderung des Wettbewerbs bei patentgeschützten Arzneimitteln:** Die geplante Ausschreibungsmöglichkeit für Krankenkassen bei therapeutisch vergleichbaren patentgeschützten Arzneimitteln ist insbesondere im Bereich der Orphan-Arzneimittel strukturell nur eingeschränkt anschlussfähig. In Märkten mit sehr kleinen Patient:innengruppen, hoher wissenschaftlicher Komplexität und den damit verbundenen erheblichen finanziellen Risiken besteht ohnehin nur begrenzter Wettbewerb, wodurch die Voraussetzung für ein funktionierendes Ausschreibungsmodell grundlegend fehlt. Gravierender noch: Die Regelung schafft Anreize für selektive Rabattverträge mit einzelnen Krankenkassen. Im Ergebnis droht eine Fragmentierung der Versorgung: Menschen mit Seltene Erkrankungen könnten je nach Kassenzugehörigkeit keinen Zugang mehr zur einzigen für sie verfügbaren Therapie haben. Dies widerspricht dem Grundsatz einer gleichwertigen Versorgung und untergräbt die

differenzierte Logik des AMNOG-Systems, das für Orphan-Arzneimittel bewusst auf Nutzenbewertung statt Preiswettbewerb setzt.

Wir begrüßen die vorgesehene Abschaffung der AMNOG-Leitplanken als wichtigen Schritt in die richtige Richtung. Allerdings drohen der dynamische Herstellerabschlag und die Preis-Mengen-Regelung diesen Fortschritt faktisch zu neutralisieren. In der Gesamtschau würden diese Maßnahmen den Zugang zu Orphan-Arzneimitteln einschränken, Innovationsanreize schwächen und damit langfristig genau jene Patient:innen negativ beeinflussen, die auf spezialisierte Therapien angewiesen sind. Dies ist ein Ergebnis, das weder im Sinne der Betroffenen noch im Sinne des Koalitionsvertrags ist, der die Pharmaindustrie ausdrücklich als Leitindustrie positioniert.

Vor diesem Hintergrund würden wir uns sehr freuen, mit Ihnen in einem persönlichen Gespräch über die möglichen Auswirkungen des BStabG auf die Versorgung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen sowie auf die Rahmenbedingungen für Orphan-Arzneimittel zu sprechen.

Terminlich richten wir uns gerne nach Ihnen.