

Versorgung von Menschen mit seltenen onkologischen Erkrankungen: Orphan-Regelung im AMNOG erhalten!

Positionspapier der Initiative Orphan Drugs



Die Onkologie auf dem Weg zur personalisierten Medizin

Der Kampf gegen den Krebs ist eines der zentralen gesundheitspolitischen Ziele in Deutschland und Europa. Doch Krebs ist nicht eine einzelne Erkrankung, sondern ein Sammelbegriff für über 300 verschiedene onkologische Krankheitsbilder, die sich stark voneinander unterscheiden. Dank des medizinisch-technologischen Fortschritts und des Trends der personalisierten Medizin können die Besonderheiten der einzelnen Krebsarten immer präziser diagnostiziert und betroffene Menschen zielgerichtet therapiert werden.

Heute weiß man, dass ca. 20% aller Krebsfälle auf eine seltene Krebserkrankung zurückzuführen sind.¹ Besonders bei den seltenen Formen von Krebs stehen meist nur wenige oder keine Medikamente zur Verfügung und es besteht ein dringender Bedarf an neuen, wirksamen Behandlungsmöglichkeiten.² Um den betroffenen Patientinnen und Patienten zu helfen, werden in der Onkologie immer mehr innovative Therapien zur Behandlung Seltener Erkrankungen, sogenannte Orphan Drugs, erforscht, entwickelt und zugelassen.³ Der Bedarf an effektiven Behandlungsoptionen onkologischer Erkrankungen ist jedoch bei weitem noch nicht gedeckt und neue, innovative Therapien werden – insbesondere bei seltenen Krebserkrankungen – weiterhin dringend benötigt.⁴

Regulatorische Rahmenbedingungen setzen Anreize für Forschung und Entwicklung

Aufgrund kleiner Patientenpopulationen sind die Umsatzerwartungen bei den meisten Orphan Drugs begrenzt und Investitionen in die Entwicklung weniger attraktiv. Zudem herrschen besondere Bedingungen bei der Durchführung klinischer Studien: Die Rekrutierung geeigneter Teilnehmender und die Umsetzung randomisierter kontrollierter Studien sind erschwert.

Die Orphan-Regelung im Rahmen des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes (AMNOG) berücksichtigt diese Herausforderungen. Orphan Drugs müssen sich im Rahmen der frühen Nutzenbewertung nicht mit anderen Arzneimitteln vergleichen, da der Zusatznutzen mit europäischer Zulassung als belegt gilt (§ 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V). Ab einem Jahresumsatz von derzeit 30 Mio. € – bis Dezember 2022 waren es 50 Mio. € – müssen Orphan Drugs einen regulären AMNOG-Prozess absolvieren und vergleichende Daten vorlegen.

Die Orphan-Regelung ist eine Erfolgsgeschichte und ein Pull-Mechanismus für Innovationen: Deutschland hat den umfassendsten und schnellsten Zugang zu Orphan Arzneimitteln in Europa.⁵ Im Schnitt stehen sie den Patientinnen und Patienten in Deutschland bereits 45 Tage nach der Zulassung zur Verfügung – der EU-Durchschnitt liegt bei 548 Tagen.⁶ Würde die Sonderstellung für Orphan Drugs wegfallen, bestünde für eine Mehrheit (57%) ein sehr hohes bis maximales Marktrücknahmerisiko mit verheerenden Folgen für die Patientenversorgung.⁷

¹ Eckert, Annabelle: Diagnose, Therapie, Prognose: Seltene Krebserkrankungen. Esanum, 24.02.2024. URL: <https://www.esanum.de/conferences/rare-disease-day/feeds/today/posts/seltene-krebserkrankungen>

² Deutsche Krebsgesellschaft. Seltene Krebsarten. 26.01.2017, URL: <https://www.krebsgesellschaft.de/onko-internetportal/basis-informationen-krebs/basis-informationen-krebs-allgemeine-informationen/seltene-krebsarten.html>

³ Mackert, Daniela: Orphan Drugs. Wenn Seltenheit auf Wirksamkeit trifft. PZ, 22.12.2023. URL: <https://www.pharmazeutische-zeitung.de/wenn-seltenheit-auf-wirksamkeit-trifft-144289/seite/3/?Hash=1d56fc103c574cccd6311a78c0667535b>

⁴ hib: Entwicklung von Medikamenten gegen seltene Erkrankungen. Heute im Bundestag, hib 758/2024, 06.11.2024. URL: <https://www.bundestag.de/presse/hib/kurzmeldungen-1028328>

⁵ EFPIA: Patients W.A.I.T. Indicator 2023 Survey. Stand: Juni 2024. URL: <https://efpia.eu/media/vtapbere/efpia-patient-wait-indicator-2024.pdf>

⁶ ÄrzteZeitung. G-BA-Chef Hecken: Beim Zugang zu Orphan Drugs und Onkologika ist Deutschland Spitze. 19.04.2024. URL:

<https://www.aerztezeitung.de/Kongresse/G-BA-Chef-Hecken-Beim-Zugang-zu-Orphan-Drugs-und-Onkologika-ist-Deutschland-Spitze-448964.html>

⁷ vfa. Die Bedeutung der Orphan Drug-Regelung im AMNOG für die Patientenversorgung. 06.01.2025. URL: <https://www.vfa.de/de/ärzneimittel-forschung/seltene-erkrankungen/abschaffung-orphan-drug-regelung-amnog>

Viele kleine und mittelgroße Pharma-Unternehmen fokussieren sich auf die Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs

Aufgrund der Rahmenbedingungen durch die Orphan-Regelung in Deutschland, aber auch aufgrund von Anreizen bei der Zulassung auf europäischer Ebene hat sich eine Reihe von kleinen und mittelgroßen biopharmazeutischen Unternehmen auf die Entwicklung von Orphan Drugs spezialisiert.⁸ Derartige spezialisierte Pharmaunternehmen sind für die Hälfte der neu eingeführten Orphan Drugs verantwortlich.⁹ Sie liefern Innovationen dort, wo bislang keine oder nur wenige Behandlungsoptionen für Menschen mit seltenen Erkrankungen bestanden. Außerdem sind sie eine wichtige Ergänzung zu den großen pharmazeutischen Unternehmen im Innovations- und Preiswettbewerb und fördern das Forschungs- und Innovationsgeschehen auch in Bereichen, die für größere Pharmaunternehmen wirtschaftlich nicht attraktiv sind.

Markteingriffe bei der Orphan-Regelung gefährden die Versorgung und versprechen nur geringe Einsparungen

Mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinStG) im November 2022 wurde die Umsatzschwelle, deren Überschreitung der Auslöser für eine Vollbewertung im AMNOG ist, von zuvor 50 Mio. € auf 30 Mio. € herabgesetzt. Eine umfassende Evaluation zu möglichen Auswirkungen dieser Maßnahme auf die Patientenversorgung, wie zum Beispiel Marktrücknahmen oder Nichteinführungen, wurde im Vorfeld nicht durchgeführt und auch aktuell lassen sich diese nur schwer einschätzen. Viele pharmazeutische Unternehmen wurden daher von der Anpassung überrascht und sehen ihr Geschäftsmodell durch die entstehende Unsicherheit gefährdet.

Laut der Evaluation des GKV-FinStG durch das IGES-Institut liegen die Einsparungen durch die Absenkung der Umsatzschwelle im Jahr 2024 bei 8 bis 32 Mio. € und damit deutlich unter der ursprünglichen Zielvorgabe von 100 Mio. Euro pro Jahr.¹⁰ Diese Zahlen verdeutlichen, dass die Anpassung der Orphan-Regelung keine geeignete Maßnahme darstellt, um signifikante Einsparungen für das GKV-System zu erreichen. Vielmehr werden kleinere und mittelgroße Unternehmen überproportional belastet, die sich auf die Entwicklung von Orphan Drugs spezialisiert haben und dadurch entscheidend zur Versorgung mit innovativen Arzneimitteln beitragen.

Für die Versorgung mit innovativen Arzneimitteln sind verlässliche Rahmenbedingungen entscheidend

Unternehmen brauchen langfristige Perspektiven und Planungssicherheit. Kurzfristige Markteingriffe, wie die Absenkung der Umsatzschwelle im GKV-FinStG, gefährden das Geschäftsmodell insbesondere kleinerer, spezialisierter pharmazeutischer Unternehmen und damit langfristig das Angebot an innovativen Arzneimitteln für seltene Erkrankungen und dies speziell in der Onkologie. Vor diesem Hintergrund fordern wir:

1. Keine weiteren, kurzfristigen Eingriffe in die Orphan-Regelung im AMNOG!

Angesichts der Bedeutung von Arzneimitteln für seltene onkologische Erkrankungen für die Versorgung ist vor weiteren Eingriffen in die Rahmenbedingungen für Orphan Drugs abzusehen.

2. Rückkehr zur ursprünglichen Umsatzschwelle von 50 Mio. €!

Um Anreize für Forschung und Entwicklung zu stärken und diese nachhaltig zu sichern, bedarf es der Rückkehr zur ursprünglichen Umsatzschwelle von 50 Mio. €.

⁸ PwC. The economic and societal footprint of the pharmaceutical industry in Europe. 27.06.2019. URL: <https://www.efpia.eu/media/412940/efpia-economic-societal-footprint-industry-presentation-ga-conference-270619.pdf>.

⁹ Eigene Auswertung basierend auf Daten des AMNOG-Monitors. Betrachtungszeitraum: 01.01.2011-17.10.2024. Als spezialisierte pharmazeutische Unternehmen wurden die Hersteller klassifiziert, bei denen mindestens 50% der in Deutschland vertriebenen Produkte den Orphan-Status der EMA (*orphan designation*) besitzen.

¹⁰ BMG. AMNOG-Evaluation. Dezember 2024. URL: <https://www.bundesgesundheitsministerium.de/service/publikationen/details/amnog-evaluation.html>