

Warum braucht es ein AMNOG 2.0 für Seltene?

Eine Expertenanalyse von change4RARE

ALEXION[®]
AstraZeneca Rare Disease

Eine Initiative der Alexion Pharma Germany GmbH



Auf den Punkt gebracht **4**

Warum braucht es ein AMNOG 2.0 für Seltene?

Co-Autor:innen

Dr. Dr. Saskia Biskup • Prof. Dr. Dr. Christian Dierks

Prof. Dr. Annette Grütters-Kieslich • Tobias Hagedorn

Prof. Dr. Christof von Kalle • Prof. Dr. Michael Schlander

Prof. Dr. Rebecca Schüle

Eine Initiative der Alexion Pharma Germany GmbH

Hinweis: Die Co-Autor:innen wurden organisatorisch und finanziell von
Alexion Pharma Germany GmbH unterstützt.

1. Das Problem

Warum das AMNOG für Seltene strukturell nicht funktioniert

Seltene Erkrankungen gelten oft als medizinische Randerscheinung. Tatsächlich leben in Deutschland aber rund 4 Millionen Menschen mit einer seltenen Erkrankung. Bezieht man Angehörige und das unmittelbare soziale Umfeld mit ein, sind rund 12 Millionen Bürgerinnen und Bürger direkt oder indirekt betroffen.¹

Seltene Erkrankungen sind damit zwar jeweils als einzelne Erkrankung selten – in der Summe jedoch gesellschaftlich hochrelevant und herausfordernd für das Gesundheitssystem.

Das Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) bildet seit 2011 den zentralen Rahmen für die Nutzenbewertung und Preisbildung neuer Arzneimittel in Deutschland. Das Verfahren hat sich für Indikationen mit großen Patientenpopulationen bewährt. Für seltene Erkrankungen jedoch stößt das Verfahren an seine Grenzen.

Der Grund dafür liegt nicht in der mangelnden Qualität einzelner Bewertungen oder in der unzureichenden Umsetzung des Verfahrens, sondern in den grundlegenden Annahmen auf denen das AMNOG beruht. Diese Annahmen betreffen insbesondere die Verfügbarkeit belastbarer Vergleichsdaten, die Eignung klassischer Evidenzstandards, die Existenz zweckmäßiger Vergleichstherapien sowie die zeitliche Logik der Nutzenbewertung. Sie sind für häufige Erkrankungen plausibel, greifen bei seltenen Erkrankungen jedoch systematisch zu kurz.

Seltene Erkrankungen folgen anderen medizinischen, wissenschaftlichen und versorgungsbezogenen Logiken als häufige Indikationen. Die Patientengruppen sind klein, heterogen und häufig genetisch geprägt. Krankheitsverläufe unterscheiden sich stark, valide Vergleichsgruppen fehlen oftmals, und der medizinische Fortschritt lässt oft jahrelang auf sich warten.²

Das AMNOG ist demgegenüber auf eine frühe, einmalige Nutzenbewertung ausgerichtet, die auf vergleichender Evidenz basiert und unmittelbar in eine preisliche Einordnung übersetzt wird. Wo die zugrunde liegenden Annahmen nicht erfüllt werden können, entsteht keine sachgerechte Differenzierung, sondern eine strukturelle Verzerrung. Zusatznutzen wird nicht zwingend widerlegt, kann aber methodisch nicht in der vorgesehenen Form belegt werden – mit unmittelbaren Folgen für Bewertung und Preisbildung.

Das Ergebnis dieser strukturellen Fehlannahmen ist ein paradoxes System: Innovationen für seltene Erkrankungen werden medizinisch benötigt, entwickelt und zugelassen – erreichen die Patientinnen und Patienten jedoch nur unter erschwerten Bedingungen oder gar nicht.^{3, 4} Erkenntnisse aus der Versorgung, Registerdaten und Lernprozesse fließen nur begrenzt in die Bewertung ein. Versorgungslücken entstehen damit nicht trotz, sondern aufgrund des bestehenden Bewertungs- und Preisbildungsrahmens.

Ein AMNOG, das auch für seltene Erkrankungen funktionieren soll, muss diese strukturellen Besonderheiten anerkennen. Der Reformbedarf liegt nicht in punktuellen Annahmen oder Einzelfallkorrekturen, sondern in der Weiterentwicklung der zugrunde liegenden Systemlogik. Genau an diesem Punkt setzt die Diskussion um ein AMNOG 2.0 für seltene Erkrankungen an.



„Die Anforderungen an Evidenzgenerierung sind bei ultra-seltenen Erkrankungen schlicht nicht erfüllbar.“

Prof. Dr. Rebecca Schüle

Leiterin der Sektion für Neurodegenerative Erkrankungen und Bewegungsstörungen, Universitätsklinikum Heidelberg

2. Wo das AMNOG heute falsch steuert

Strukturelle Fehlannahmen im bestehenden Verfahren

Die Herausforderungen des AMNOG bei seltenen Erkrankungen liegen nicht in einzelnen Verfahrensschritten, sondern in grundlegenden Fehlannahmen über Krankheit, Evidenz und Nutzen, die bei häufigen Erkrankungen tragfähig sind, bei Seltenen jedoch systematisch zu Fehlbewertungen führen.

1. Fehlannahme: Seltene Erkrankungen sind wie andere Erkrankungen – nur mit weniger Patient:innen.

Tatsächlich unterscheiden sich seltene (EU-weit definiert als < 5 Betroffene pro 10.000 Menschen)⁵ und ultra-seltene (in der Fachliteratur häufig < 1 Betroffene pro 50.000 Menschen)⁶ Erkrankungen grundlegend von häufigen Erkrankungen: durch genetische Ursachen, unterschiedliche Ausprägung, fehlende Vergleichsgruppen und hochindividuelle Krankheitsverläufe (n=1). Bewertungsmodelle, die auf statistische Vergleichbarkeit ausgelegt sind, greifen hier ins Leere.

2. Fehlannahme: Evidenz muss immer randomisiert, vergleichend und frühzeitig vorliegen.

Bei kleinen Patientengruppen sind randomisierte Studien häufig weder ethisch noch praktisch durchführbar. Dennoch verlangt das Verfahren Evidenz nach Standards, die realistischerweise oft nicht erreicht werden können. Das Ergebnis ist nicht „kein Zusatznutzen“, sondern ein methodisch nicht belegbarer Zusatznutzen – mit unmittelbaren Konsequenzen für die Bewertung.

3. Fehlannahme: Vergleichstherapien sind verfügbar und geeignet.

Bei vielen seltenen Erkrankungen existiert keine zweckmäßige Vergleichstherapie. Dennoch wird auf „Best Supportive Care“, „Watchful Waiting“ oder theoretische Vergleichsgrößen zurückgegriffen, die anschließend als Preisanker dienen. Damit wird Zusatznutzen nicht widerlegt, aber systematisch entwertet.

„Wo es keine wirksame Standardtherapie gibt, ist die Vergleichstherapie im AMNOG oft ein theoretisches Konstrukt – kein medizinischer Maßstab.“

*Prof. Dr. Dr. Christian Dierks
Rechtsanwalt, Managing Partner Dierks+Company*

Was bedeutet „Best Supportive Care“?

Mit *Best Supportive Care* sind unterstützende Maßnahmen wie Symptomlinderung, pflegerische Unterstützung oder allgemeine medizinische Betreuung ohne Behandlung oder Eingriff in die Krankheitsursache gemeint.

Was bedeutet „Watchful Waiting“?

Watchful Waiting beschreibt kontrolliertes Abwarten ohne irgendeine Versorgung, begleitet durch regelmäßige medizinische Beobachtung. Ziel von „Watchful Waiting“ ist es, eine Behandlung erst dann einzuleiten, wenn sich der Krankheitsverlauf relevant verschlechtert.

Bedeutung in der Nutzenbewertung

Bei vielen seltenen Erkrankungen stellen Best Supportive Care und Watchful Waiting die einzigen verfügbaren Handlungsalternativen dar. Beide sind nicht in einer Vergleichssituation zu kurativen Ansätzen, die zu einer Verbesserung von Funktionen, Selbstständigkeit und Lebensqualität führen. Werden sie im AMNOG als "Vergleichstherapie" für die Nutzenbewertung herangezogen, dienen sie zwangsläufig als Preisanker – auch dann, wenn die neuen zur Bewertung anstehenden Therapien erstmals kausal oder krankheitsverändernd wirken können.

Dies ist nicht nur falsch, sondern ein Innovationshemmnis für Patienten und Patientinnen, für die Innovationen erstmals die Hoffnung für eine kurative Therapie beinhalten.

4. Fehlannahme: Nutzen lässt sich zu einem festen Zeitpunkt abschließend bewerten.

Gerade bei genetischen, chronischen oder progredienten Erkrankungen zeigt sich der Nutzen neuer Therapien häufig erst nach Jahren. Das bestehende Verfahren ist jedoch auf eine frühe, einmalige Bewertung ausgelegt. Lernprozesse, Weiterentwicklungen und reale Versorgungserfahrungen finden nur begrenzt Eingang.

5. Fehlannahme: Preisbildung kann schematisch erfolgen.

Die enge Kopplung von Nutzenkategorie und Preisanker führt dazu, dass nach den „Leitplanken“ des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes ein nicht quantifizierbarer und ein geringer Zusatznutzen faktisch einem fehlenden Zusatznutzen gleichgestellt werden. In der Folge werden entsprechende Therapien preislich auf das Niveau theoretischer Vergleichstherapien gedrückt, die für die reale Versorgung der Patientinnen und Patienten keine Rolle spielen. Dieses Vorgehen durchbricht das Prinzip der Proportionalität von Zusatznutzen und Preis. Es verzerrt Anreize und untergräbt Planungssicherheit insbesondere für schrittweise Weiterentwicklungen.

„Die Preisbildung orientiert sich an Konstrukten, nicht an der Versorgungsrealität der Patientinnen und Patienten.“

*Prof. Dr. Dr. Christian Dierks
Rechtsanwalt, Managing Partner Dierks+Company*



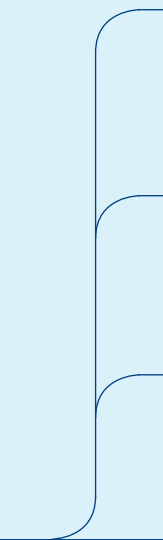
„Wir beurteilen Zusatznutzen, den wir in diesem Moment noch gar nicht erkennen können – bevor wir ihn durch die Versorgung überhaupt sichtbar machen.“

Tobias Hagedorn
Geschäftsführer der DIG PKU e.V.

Diese fünf Fehlannahmen wirken nicht isoliert, sondern greifen ineinander. In ihrer Kombination führen sie dazu, dass das AMNOG bei seltenen Erkrankungen nicht als lernendes Verfahren funktioniert, sondern strukturell an seine Grenzen stößt.

Der Bewertungsrahmen bleibt statisch, obwohl Krankheitsverläufe, Evidenz und Nutzenentwicklung dynamisch sind.

Wenn das AMNOG unverändert bleibt

- 
- 1** Versorgungslücken werden wahrscheinlicher, da Innovationen zwar entwickelt, aber nicht nachhaltig in die Regelversorgung integriert werden.
 - 2** Planungssicherheit für Forschung und Entwicklung in seltenen Indikationen bleibt eingeschränkt, mit Auswirkungen auf den Innovationsstandort.
 - 3** Ungleichheiten in der Versorgung verstärken sich, insbesondere für Patientinnen und Patienten mit komplexen oder ultra-seltenen Erkrankungen.
 - 4** Der im europäischen Vergleich gute Versorgungsstatus bei Orphan Drugs geht schrittweise verloren.

Die zentrale Frage ist nicht, ob das AMNOG für seltene Erkrankungen weiterentwickelt werden muss – sondern ob wir die Folgen eines unveränderten Systems in Kauf nehmen wollen.

Aus diesen strukturellen Grenzen ergeben sich konkrete Anforderungen an die Weiterentwicklung des Verfahrens. Sie betreffen nicht einzelne Stellschrauben, sondern die Grundlogik von Nutzenbewertung und Preisbildung bei seltenen Erkrankungen.

7

Forderungen

**Warum braucht es ein
AMNOG 2.0 für Seltene?**

- 1 Orphan-Regulierung erhalten und erweitern**
- 2 Kostengrenze realistisch gestalten**
- 3 Systemfremde Leitplanken aufheben**
- 4 Preisverhandlungen am tatsächlichen Patientennutzen ausrichten**
- 5 Neue Anwendungsbereiche bündeln**
- 6 Rolle der Zentren für seltene Erkrankungen im AMNOG stärken**
- 7 Real-World-Daten systematisch nutzen**

3. Was jetzt geändert werden muss

Sieben gezielte Reformschritte für ein AMNOG 2.0

Die Analyse zeigt: Das AMNOG scheitert bei seltenen Erkrankungen nicht punktuell, sondern strukturell. Entsprechend braucht es keine Einzellösungen, sondern ein kohärentes Reformpaket. Die folgenden sieben Schritte greifen zentrale Fehlsteuerungen auf und zeigen, wie ein AMNOG 2.0 ausgestaltet werden kann.

1. Orphan-Regulierung erhalten und erweitern

Die Orphan-Regulierung ist kein Privileg, das die Patienten dankbar entgegennehmen sollten, sondern eine notwendige Voraussetzung dafür, dass Therapien für kleine Patientengruppen überhaupt entwickelt werden. An die regulatorischen Erleichterungen der Orphan Drug-Verordnung (EG) Nr. 141/2000 hat der deutsche Gesetzgeber folgerichtig mit einer Erleichterung für den Nutznachweis bis zur 30-Millionen-Kostengrenze zulasten der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) angeknüpft.

Ohne diese Regulierung wären in den letzten 25 Jahren deutlich weniger Therapien für seltene Erkrankungen entwickelt worden. Mit mittlerweile über 260 zugelassenen Orphan Drugs ist die Verordnung eine regelrechte Erfolgsgeschichte. Dank der folgerichtigen deutschen Regulierung ist Deutschland seit jeher europaweiter Spitzenreiter in der Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen. Seine Infrage-

stellung gefährdet daher unmittelbar deren Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen.

Darüber hinaus sollte die Regulierung auf Nicht-Orphan-Arzneimittel mit hohem ungedecktem medizinischem Bedarf ausgeweitet werden, denn dieser Bedarf besteht unabhängig von der formalen Ausweisung als Orphan Drug.

„Wir sind stolz auf zugelassene Therapien – aber es reicht nicht. Wenn wir den Entwicklungsprozess abbrechen, halten wir mit der Wissensgenerierung nicht Schritt. Wir müssen unsere führende Position in Europa bei der Versorgung der Seltenen behalten, nicht abbauen.“

*Tobias Hagedorn
Geschäftsführer der DIG PKU e.V.*



Ein AMNOG 2.0 sollte den ungedeckten medizinischen Bedarf als zentrales Kriterium für Verfahrenslogik und Anreizsetzung verankern und nicht an formalen Kategorien festhalten.

2. Kostengrenze realistisch gestalten

Die starre Kostengrenze von 30 Millionen Euro zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung führt dazu, dass Orphan-Arzneimittel frühzeitig in die regulären Nutzenbewertungslogiken überführt werden – unabhängig von tatsächlicher Verbreitung, Krankheitslast oder Versorgungswirkung. Damit greift das Verfahren auf ein pauschales Steuerungsinstrument zurück, das der besonderen Situation seltener Erkrankungen nicht gerecht wird.

Die Grenze bildet weder den medizinischen Bedarf noch den tatsächlichen Nutzen für Patientinnen und Patienten ab. Sie unterscheidet zudem nicht zwischen Fragen der Finanzierbarkeit und der grundsätzlichen Finanzierungsbereitschaft des Systems. Das untergräbt Planungssicherheit und Investitionsbereitschaft – insbesondere bei Therapien für sehr kleine Patientengruppen oder bei schrittweisen Weiterentwicklungen. Notwendig sind flexible, indikationsbezogene Lösungen.



Ein AMNOG 2.0 sollte starre Kostengrenzen durch flexible, indikationsspezifische Steuerungsansätze ersetzen, die sich am tatsächlichen Versorgungsbedarf orientieren.



„Der Schwellenwert für die volle Nutzenbewertung hat keine fundierte Begründung. Er ist Ausdruck regulatorischer Hilflosigkeit.“

Prof. Dr. Michael Schlander

Gründer und wissenschaftlicher Leiter des Institute for Innovation & Valuation in Health Care (InnoVal-HC)



„Wir bestrafen Orphan-Arzneimittel doppelt: bei der Nutzenbewertung und bei der Preisbildung.“

Prof. Dr. Dr. Christian Dierks

Rechtsanwalt, Managing Partner Dierks+Company

3. Systemfremde Leitplanken aufheben

Produkte mit geringem oder nicht quantifizierbarem Zusatznutzen werden im geltenden Verfahren faktisch solchen ohne nachgewiesenen Zusatznutzen gleichgestellt. In der Folge dürfen sie preislich nicht oberhalb der zweckmäßigen Vergleichstherapie (zVT) liegen – selbst dann, wenn belegte therapeutische Effekte vorliegen.

Diese Regelung durchbricht die systematische Logik des AMNOG. Sie entwertet nachgewiesene Verbesserungen, setzt falsche Anreize und trifft insbesondere Therapien für seltene Erkrankungen, für die es häufig keine adäquaten Vergleichsoptionen gibt. Für häufige Erkrankungen sinnvolle Regelungen des AMNOG können für Menschen mit Seltenen Erkrankungen zu systembedingten Benachteiligungen führen.



Ein AMNOG 2.0 sollte belegte therapeutische Effekte für die Behandlung Seltener Erkrankungen auch dann angemessen berücksichtigen, wenn ihr Zusatznutzen gering oder nicht quantifizierbar ist.



„Jeder gewonnene Effekt ist wertvoll. Der Nutzen einer Therapie wird nicht geringer, nur weil weitere Defizite bestehen.“

Prof. Dr. Annette Grüters-Kieslich

Vorstandsvorsitzende der Eva Luise und Horst Köhler Stiftung für Menschen mit Seltene Erkrankungen

4. Preisverhandlungen am tatsächlichen Patientennutzen ausrichten

Preisverhandlungen dürfen sich nicht an theoretischen Vergleichstherapien orientieren, sondern müssen den realen medizinischen Bedarf und den tatsächlichen Versorgungseffekt berücksichtigen.

Insbesondere bei seltenen Erkrankungen greift eine schematische Vergleichslogik zu kurz, da Krankheitsverläufe hochgradig individuell sind und kausal wirksame Therapien häufig nur Teilaspekte einer komplexen Erkrankung adressieren können.

Der Nutzen einer Therapie bemisst sich daher nicht daran, ob sie alle Krankheitsdimensionen gleichzeitig verbessert, sondern daran, ob sie für die betroffenen Menschen einen relevanten klinischen Fortschritt bedeutet – etwa in Funktionalität, Lebensqualität oder Alltagsfähigkeit. Diese Effekte dürfen in der Preisbildung nicht relativiert oder entwertet werden.



Ein AMNOG 2.0 sollte Preisverhandlungen konsequent am patientenrelevanten Nutzen ausrichten und klinisch relevante Fortschritte systematisch honorieren.



**„Mehrfache Bewertungen derselben Substanz
kosten Zeit, Ressourcen – und bringen die
Versorgung nicht voran.“**

Dr. Dr. Saskia Biskup

Geschäftsführerin CeGaT, Leitung der Arbeitsgruppe LRRK2 Modelle
am Hertie Institut für klinische Forschung, Fachärztin

5. Neue Anwendungsbereiche bündeln

Moderne Wirkstoffe erhalten zunehmend nacheinander Zulassungen für weitere Anwendungsgebiete. Die derzeitige Praxis, jeden neuen Anwendungsbereich mit einer separaten Nutzenbewertung und eigenständigen Preisverhandlung zu versehen, führt zu erheblicher Bürokratie, inkonsistenten Bewertungen und mangelnder Planungssicherheit.

Dabei handelt es sich um denselben Wirkstoff mit identischem Wirkmechanismus, dessen therapeutisches Potenzial schrittweise erschlossen wird. Insbesondere bei seltenen Erkrankungen, bei denen Evidenz über die Zeit aufgebaut wird, wirkt diese fragmentierte Nutzenbewertung und Preisverhandlung innovationshemmend. Sie bindet Ressourcen, ohne einen zusätzlichen Nutzen für Patientinnen und Patienten zu schaffen.



Ein AMNOG 2.0 sollte einen konsistenten, wirkstoff-bezogenen Bewertungsrahmen schaffen, der neue Anwendungsbereiche integriert, statt sie isoliert neu zu verhandeln.



change4RARE
Parlamentarische Expertendialog

Warum braucht es ein AMNOG 2.0 für Seltene?

25. November 2025, HELIX HUB Berlin

6. Rolle der Zentren für seltene Erkrankungen im AMNOG stärken

Zentren für seltene Erkrankungen sind die zentralen Knotenpunkte der Versorgung: Hier kommen spezialisierte Diagnostik, Therapieentscheidung, Koordination komplexer Behandlungsverläufe und die Steuerung der Patientenströme zusammen. Gerade bei seltenen und ultra-seltenen Erkrankungen sichern sie, dass Patient:innen zielgerichtet versorgt und neue Therapien verantwortungsvoll eingesetzt werden.

Diese versorgungssteuernde Rolle bleibt im bestehenden AMNOG-Verfahren bislang weitgehend unberücksichtigt. Dabei sind die Zentren diejenigen Akteure, die klinische Erfahrung, individuelle Krankheitsverläufe und den tatsächlichen Einsatz neuer Therapien im Versorgungsalltag zusammenführen und bewerten können. Die systematische Berücksichtigung dieser Real-World-Data würde die Nutzenbewertung stärker an der realen Versorgung ausrichten, ohne die Anforderungen an wissenschaftliche Sorgfalt abzusenken.



Ein AMNOG 2.0 sollte die Rolle der Zentren für seltene Erkrankungen als steuernde und koordinierende Instanzen der Versorgung anerkennen und ihre Expertise strukturell in die Nutzenbewertung einbeziehen.

7. Real-World-Daten systematisch nutzen

Randomisierte Studien stoßen bei seltenen Erkrankungen häufig an strukturelle Grenzen. Kleine Patientenzahlen, hohe Heterogenität und ethische Fragestellungen machen klassische Studiendesigns oft nur eingeschränkt oder gar nicht realisierbar.

Versorgungs- und Registerdaten sind zwar kein Ersatz für klinische Studien, aber eine unverzichtbare Ergänzung der Evidenzbasis. Sie ermöglichen es, Therapieeffekte, Krankheitsverläufe und patientenrelevante Outcomes unter realen Versorgungsbedingungen sichtbar zu machen. Gerade bei seltenen Erkrankungen entsteht belastbares Wissen häufig erst im Verlauf der Behandlung.

Ein lernendes AMNOG muss diese Realität abbilden und Real-World-Daten systematisch, regelgeleitet und transparent integrieren.



Ein AMNOG 2.0 sollte Real-World-Daten als integralen Bestandteil der Nutzenbewertung verankern und die Nutzenbewertung als lernenden Prozess gestalten.

Diese sieben Reformschritte zeigen:

Ein AMNOG 2.0 für seltene Erkrankungen ist kein Sonderweg, sondern eine notwendige Anpassung an die medizinische Realität. Die Reformschritte können die Voraussetzungen dafür schaffen, dass Innovation nicht am Verfahren scheitert, sondern dort ankommt, wo sie gebraucht wird: bei den Patientinnen und Patienten.



„Real-World-Daten sind kein Nice-to-have, sondern eine Voraussetzung für medizinischen Fortschritt.“

Prof. Dr. Christof von Kalle

Chair für Klinisch Translationale Wissenschaften,

Direktor des Klinischen Studienzentrums,

Berlin Institute of Health (BIH) & Charité – Universitätsmedizin Berlin

4. Fazit

AMNOG 2.0 als Voraussetzung für Versorgungsgerechtigkeit

Seltene Erkrankungen sind kein Randthema. Zwar ist jeweils nur eine kleine Zahl von Menschen erkrankt – in der Summe jedoch sind rund 12 Millionen Bürgerinnen und Bürger in Deutschland als Patient:innen, Angehörige oder Teil des sozialen Umfelds unmittelbar oder mittelbar betroffen. Vor allem aber machen seltene Erkrankungen sichtbar, wo ein Gesundheitssystem an seine Grenzen stößt. Sie sind damit kein Sonderfall, sondern ein Stresstest für die Leistungsfähigkeit des gesamten Systems.

Die Diskussion um ein AMNOG 2.0 für seltene Erkrankungen ist deshalb keine Frage von Privilegien oder Ausnahmen. Sie ist eine Frage der Passgenauigkeit. Ein Verfahren, das für häufige Erkrankungen konzipiert wurde, muss dort weiterentwickelt werden, wo seine Grundannahmen nicht greifen. Andernfalls entstehen Versorgungslücken nicht trotz, sondern wegen bestehender Regulierung.

Ein weiterentwickeltes AMNOG stärkt nicht nur die Versorgung der Menschen mit seltenen Erkrankungen. Es schafft Planungssicherheit für Forschung und Entwicklung, ermöglicht eine differenzierte und lernende Nutzenbewertung und erlaubt einen realitätsnahen Umgang mit Evidenz, Nutzen und Preisbildung. Damit trägt ein AMNOG 2.0 zur Zukunftsfähigkeit des gesamten Gesundheitssystems bei.

Die hier skizzierten Reformschritte zeigen: Der Reformbedarf ist klar benennbar, fachlich fundiert und politisch umsetzbar. Entscheidend ist nun, die strukturellen Besonderheiten seltener Erkrankungen anzuerkennen und daraus die notwendigen regulatorischen Konsequenzen zu ziehen. Die Beschäftigung mit dieser Thematik im Rahmen des Pharmadialogs ist damit nicht nur notwendig, sondern auch dringende Voraussetzung für eine kontinuierliche und qualitätsorientierte angemessene Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen.

Ein AMNOG 2.0 entscheidet darüber, ob medizinischer Fortschritt dort ankommt, wo er gebraucht wird: bei den Patientinnen und Patienten, auch bei denen mit Seltenen Erkrankungen. Für 12 Millionen betroffene Bürgerinnen und Bürger ist diese Entscheidung nicht abstrakt – sie ist eine Frage von Alltag, Teilhabe und Zukunftsperspektiven.

Auf einen Blick

Warum seltene Erkrankungen politische Priorität haben



Seltene Erkrankungen sind einzeln selten – in der Summe sind **12 Millionen Menschen¹** in Deutschland unmittelbar oder mittelbar betroffen.

Seltene
Erkrankungen
sind kein
Randthema –

sie sind ein
Gradmesser für
Versorgungs-
gerechtigkeit

AMNOG

Das bestehende AMNOG ist auf häufig auftretende Erkrankungen zugeschnitten und greift bei seltenen Erkrankungen **systematisch zu kurz**.



Die daraus entstehenden **Probleme sind strukturell**, nicht das Ergebnis einzelner Fehlentscheidungen.



Fehlsteuerungen im AMNOG führen dazu, dass **medizinischer Fortschritt** Patientinnen und Patienten **nicht erreicht**.



Seltene Erkrankungen sind ein Stresstest – Lösungen dafür stärken das **gesamte Gesundheitssystem**.

AMNOG 2.0

Die sieben zentralen Reformschritte

- 1 Ungedeckten medizinischen Bedarf neben klinischer Wirksamkeit zum zentralen Kriterium machen
- 2 Starre Kostengrenzen durch indikations-spezifische Steuerung ersetzen
- 3 Proportionalität zwischen Nutzen und Preis wiederherstellen
- 4 Preisverhandlungen am patientenrelevanten Nutzen ausrichten
- 5 Wirkstoffbezogene statt fragmentierte Bewertungen ermöglichen
- 6 Zentren für seltene Erkrankungen systematisch einbinden
- 7 Real-World-Daten als integralen Bestandteil der Nutzenbewertung nutzen

Ein AMNOG 2.0 ist keine Sonderregelung, sondern eine notwendige Weiterentwicklung des bestehenden Systems.

Ihr Engagement für die Seltenen

Seltene Erkrankungen stellen besondere Anforderungen an das Gesundheitssystem – medizinisch, regulatorisch und politisch. Die vorliegenden Analysen und Reformvorschläge zeigen: Der Handlungsbedarf ist klar benennbar und strukturell begründet.

Mit der Reihe **„Auf den Punkt gebracht“** schafft change4RARE einen Raum für den gezielten Austausch mit Entscheidungsträger:innen im deutschen Gesundheitswesen. Ziel ist es, Reformbedarfe nicht abstrakt zu diskutieren, sondern gemeinsam konkrete Lösungsansätze weiterzuentwickeln und in den politischen Prozess einzubringen.

Diese Expertenanalyse versteht sich als Einladung, die Weiterentwicklung des AMNOG für seltene Erkrankungen aktiv mitzugestalten: durch fachliche Rückmeldung, politische Positionierung und den Dialog über tragfähige nächste Schritte.

Versorgungsgerechtigkeit für Menschen mit seltenen Erkrankungen entsteht nicht von selbst.

Sie ist das Ergebnis bewusster politischer Entscheidungen.

4



Warum braucht es ein AMNOG 2.0 für Seltene?

Eine Expertenanalyse von change4RARE

ALEXION

AltraZentica Rare Diseases

Eine Initiative der Alexion Pharma Germany GmbH

Auf den Punkt gebracht.



PDF
herunterladen

change4rare.com/punkt4

Auf den Punkt gebracht 3

Welche Infrastruktur brauchen wir für eine bessere Versorgung der Seltenen?



PDF
herunterladen
[change4rare.com/
punkt3](https://change4rare.com/punkt3)



Auf den Punkt gebracht 2

Wieso ist das EU-Pharmapaket so relevant für die Seltenen?



PDF
herunterladen
change4rare.com/punkt2



Auf den Punkt gebracht 1

Was soll die Politik in dieser Legislaturperiode für die Seltenen bewegen?



PDF
herunterladen
change4rare.com/punkt1



Über Alexion

Alexion, AstraZeneca Rare Disease, ist der Unternehmensbereich von AstraZeneca, der auf seltene Erkrankungen spezialisiert ist und 2021 durch die Übernahme von Alexion Pharmaceuticals, Inc. entstand.

Seit über 30 Jahren ist Alexion führend auf dem Gebiet seltener Erkrankungen und verfolgt das Ziel, betroffenen Patientinnen und Patienten sowie ihren Familien durch die Entdeckung, Entwicklung und Bereitstellung lebensverändernder Therapien zu helfen. Der Fokus der Forschung liegt auf neuartigen Molekülen und Zielstrukturen, insbesondere in der Komplementkaskade. Die Entwicklungsaktivitäten konzentrieren sich auf die Bereiche

Hämatologie, Nephrologie, Neurologie, Stoffwechselerkrankungen, Kardiologie und Ophthalmologie.

Alexion hat seinen Hauptsitz in Boston (Massachusetts, USA) und ist mit Niederlassungen weltweit vertreten. Patientinnen und Patienten werden in mehr als 70 Ländern betreut. Die deutsche Niederlassung hat ihren Sitz in München.

Als Unternehmen im Bereich seltener Erkrankungen versteht Alexion es als Verantwortung, sich über die Entwicklung von Therapien hinaus aktiv in den gesundheitspolitischen Dialog einzubringen und zur Weiterentwicklung einer passgenauen Versorgung beizutragen.

Mehr unter: www.alexion.de

change4RARE **Wissen verbinden, Perspektiven schaffen**

change4RARE ist eine Initiative, die sich für die Verbesserung der Diagnostik und Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen einsetzt. Ziel ist es, Wissen zu bündeln, Perspektiven zusammenzuführen und den Dialog zwischen den relevanten Akteuren im Gesundheitswesen zu fördern.

change4RARE bringt Expertinnen und Experten aus Patientenorganisationen, Medizin, Gesundheitspolitik, Gesundheitsökonomie, Ethik und Recht sowie aus dem Versorgungsalltag und der Selbstverwaltung zusammen. Im Mittelpunkt steht der Austausch unterschiedlicher Perspektiven, um tragfähige und umsetzbare Lösungsansätze für eine bessere Versorgung zu entwickeln.

Erfahren Sie mehr über die Initiative auf:

www.change4rare.com

Co-Autor:innen



**Dr. Dr.
Saskia Biskup**

Geschäftsführerin CeGaT,
Leitung der Arbeitsgruppe
Hertie Institut für klinische
Forschung, Fachärztin



**Prof. Dr. Dr.
Christian Dierks**

Rechtsanwalt, Managing Partner
Dierks+Company



**Prof. Dr. Annette
Grütters-Kieslich**

Vorstandsvorsitzende der Eva
Luise und Horst Köhler Stiftung
für Menschen mit Seltene
Erkrankungen



**Tobias S.
Hagedorn**

Geschäftsführer
DIG PKU e.V.



**Prof. Dr. Christof
von Kalle**

Chair für Klinisch Translationale
Wissenschaften, Direktor des
Klinischen Studienzentrums, Berlin
Institute of Health (BIH) & Charité –
Universitätsmedizin Berlin



**Prof. Dr. Michael
Schlander**

Gründer und wissenschaftlicher
Leiter des Institute for Innovation &
Valuation in Health Care (InnoVal-HC)



**Prof. Dr.
Rebecca Schüle**

Leiterin der Sektion für
Neurodegenerative Erkrankungen und
Bewegungsstörungen,
Universitätsklinikum Heidelberg

Quellenverzeichnis

¹ Bundesministerium für Gesundheit, Seltene Erkrankungen – Gesundheitsgefahren, <https://www.bundesgesundheitsministerium.de/themen/praevention/gesundheitsgefahren/seltene-erkrankungen.html>

² Schlander et al., Incremental cost per quality-adjusted life year gained? The need for alternative methods to evaluate medical interventions for ultra-rare disorders, J. Comp. Eff. Res. (2014) 3(4), 399–422, 403.]

³ Brown et al., Impact of changes in regulatory framework on approval of medicines for rare diseases and applicability to market access policies, Front. Med., 02 April 2025, Sec. Regulatory Science Volume 12 - 2025
<https://doi.org/10.3389/fmed.2025.1474087>

⁴ HTA123 How to Preserve Patient Access in Germany: A Performance Analysis of Products That Are No Longer Available on the German Market, Schoppmeyer, L et al. Value in Health, Volume 27, Issue 12, S377

⁵ Europäische Kommission, Public Health,
https://health.ec.europa.eu/medicinal-products/orphan-medicinal-products_en

⁶ Lombardo S, Seedat F, Elliman D, Marshall J. Policy-making and implementation for newborn bloodspot screening: challenges and opportunities in Europe. Lancet Reg Health Eur. 2023;30:100633
[https://www.thelancet.com/journals/lanepi/article/PIIS2666-7762\(23\)00133-3/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/lanepi/article/PIIS2666-7762(23)00133-3/fulltext)

Impressum



Alexion Pharma Germany GmbH
Landsberger Straße 300
80687 München

Telefon: +49 (0) 89 45 70 91 300
Telefax: +49 (0) 89 51 51 87 21
E-Mail: alexion.germany@alexion.com

Redaktion und inhaltliche Verantwortung: Alexion Pharma Germany GmbH
Gestaltung: Dierks+Company Consulting GmbH

März 2026

Copyright: Alexion Pharma Germany GmbH

DE/NP/0107

4

Auf den Punkt
gebracht



www.change4rare.com