

Anerkennung von Orphan-Arzneimitteln in der Standortklausel **Eine gezielte Maßnahme zum Schutz von Innovationen bei seltenen** **Erkrankungen**

Warum jetzt gehandelt werden muss

In Deutschland leben schätzungsweise vier Millionen Patientinnen und Patienten mit einer von rund 8.000 seltenen Erkrankungen. Orphan-Arzneimittel (OMPs) stellen für Betroffene häufig die einzige therapeutische Option dar – zugleich werden sie unter grundlegend anderen wissenschaftlichen und wirtschaftlichen Bedingungen entwickelt als Arzneimittel für häufige Erkrankungen. Durch die kleine Patientenpopulation sind Studiengrößen begrenzt und die Möglichkeiten der Evidenzgenerierung strukturell eingeschränkt, was die Entwicklung von OMPs von Natur aus risikoreich und kapitalintensiv macht.

Die geplante Standortklausel bietet eine konkrete Gelegenheit, den Rahmen für den zusätzlichen Herstellerrabatt so zu gestalten, dass er den besonderen Merkmalen von OMPs gerecht wird. Kriterien, die sich an klassischen Maßstäben für klinische Studienaktivität oder inländische Produktion orientieren, tragen der Realität der Entwicklung und Herstellung von Orphan-Arzneimitteln nicht angemessen Rechnung. Die Standortklausel sollte OMPs daher als eigenständige Kategorie anerkennen, die einer spezifischen Betrachtung bedarf. Auf europäischer Ebene profitieren Orphan-Arzneimittel bereits von bestehenden Anreizen so z.B. etwa Marktexklusivität, Protokollunterstützung oder Gebührenermäßigungen im Zulassungsverfahren. Diese Instrumente setzen jedoch an der europäischen Zulassungsebene an und wirken unabhängig von nationalen Erstattungsentscheidungen. Sie adressieren nicht die spezifische wirtschaftliche Wirkung eines zusätzlichen, im Anschluss an Preisverhandlungen erhobenen deutschen Herstellerrabatts. Die Berücksichtigung von OMPs in der Standortklausel ergänzt die bestehenden EU-Anreize daher, anstatt sie zu duplizieren.

Politische Forderung: Orphan-Arzneimittel als eigenständige Ausnahmekategorie anerkennen

Im Rahmen des GKV-BStabG hat sich die Bundesregierung verpflichtet, bis zum 1. Januar 2027 im Wege einer Standortklausel weitere Ausnahmen vom erhöhten Herstellerrabatt (§ 130a Abs. 1b SGB V) zu definieren. Eine eigens eingerichtete ressortübergreifende Expertengruppe soll hierzu Vorschläge erarbeiten, die von den zuständigen Ministerien geprüft werden. Dieser Prozess sollte OMPs gezielt berücksichtigen.

Orphan-Arzneimittel sollten als eigenständige, ausnahmefähige Kategorie beim erhöhten Herstellerrabatt anerkannt werden – unabhängig von Kriterien zur Beteiligung an klinischen Studien oder zur Wirkstoffproduktion in Deutschland.

Die derzeitigen Ausnahmekriterien sind strukturell nicht auf die Realität der OMP-Entwicklung zugeschnitten:

- **Kriterium klinische Studien:** Die Schwelle von 5 % Studienteilnehmenden an deutschen Prüfzentren macht die Anspruchsberechtigung von der geografischen Verteilung einer sehr kleinen, im Einzelfall identifizierbaren Patientengruppe abhängig. Bei seltenen Erkrankungen kann dies unverhältnismäßig volatil wirken: Mitunter entscheidet eine einzelne Patientin oder ein einzelner Patient darüber, ob ein Produkt die Voraussetzungen insgesamt erfüllt. Zudem würdigt eine rein

prozentuale Betrachtung einen substanziellen deutschen Forschungsbeitrag nicht– etwa durch ein Exzellenzzentrum, spezialisierte Prüferinnen und Prüfer oder hochwertige Studiendaten.

- **Herstellungskriterium:** Orphan-Arzneimittel werden häufig in kleinen Chargen im Rahmen hochspezialisierter Herstellungsprozesse produziert. Die Anforderung, wonach Hersteller nachweisen müssen, dass die Wirkstoffproduktion in Deutschland ausreicht, um über drei Jahre mindestens 50 % der anspruchsberechtigten Patientinnen und Patienten zu versorgen, dürfte für OMP-Hersteller besonders herausfordernd sein.

Diese Einschränkungen lassen sich nicht durch punktuelle Anpassungen von Kriterien beheben, die in erster Linie auf Arzneimittel für größere Patientenpopulationen zugeschnitten sind. Die Anerkennung von OMPs als eigenständige Kategorie bietet eine klarere und in sich stimmigere Antwort auf ihre besonderen Entwicklungs- und Herstellungsbedingungen.

Die Orphan-Designation wird im Rahmen eines definierten europäischen Regulierungsrahmens vergeben und kennzeichnet Arzneimittel, die für seltene, schwerwiegende Erkrankungen mit erheblichem ungedecktem medizinischem Bedarf entwickelt werden. Sie bietet damit eine klare und administrativ etablierte Grundlage, auf der OMPs im Rahmen der Standortklausel anerkannt werden könnten. Eine eigenständige Kategorie trägt den besonderen Bedingungen Rechnung, unter denen OMPs erforscht, entwickelt und hergestellt werden, und signalisiert zugleich, dass Deutschland Innovationen bei seltenen Erkrankungen wertschätzt.

Eine verhältnismäßige und klar abgegrenzte Maßnahme

Die Anerkennung von OMPs als eigenständige Kategorie innerhalb der Standortklausel wäre eine gezielte Antwort auf die besonderen Umstände von Forschung, Entwicklung und Herstellung im Bereich seltener Erkrankungen. Sie stellt sicher, dass die Ausnahmekriterien Arzneimittel für sehr kleine Patientenpopulationen nicht unbeabsichtigt ausschließen, und stärkt Deutschlands Anspruch, ein attraktiver Standort für pharmazeutische Innovationen zu bleiben.