

ARM Positionspapier

Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien umsetzen –

Rahmenbedingungen für den Zugang von Patientinnen und Patienten zeitnah verbessern

Im Koalitionsvertrag 2025 haben CDU, CSU und SPD auf Bundesebene zentrale Weichenstellungen für den Biotechnologie-Standort Deutschland sowie für die Weiterentwicklung des AMNOG vorgenommen.

So enthält der Koalitionsvertrag ein klares Bekenntnis zur Unterstützung der Biotechnologie als Schlüsselindustrie. Dies wird durch die HighTech Agenda der Bundesregierung nochmals unterstrichen. Erforderlich ist aus Sicht der Alliance for Regenerative Medicine (ARM), dass Wirtschafts- und Forschungspolitik mit der Gesundheitspolitik zusammen gedacht wird. Denn der deutsche Forschungs- und Produktionsstandort für Zell- und Gentherapien braucht auch einen starken und verlässlichen Heimatmarkt.

Hinsichtlich der medizinischen Anwendungen wird im Koalitionsvertrag neben der Reduktion von Hürden für die klinische Forschung eine AMNOG-Reform angestrebt, die auch die Leitplanken für die Preisverhandlungen umfassen soll.

Zur Umsetzung des Koalitionsvertrages empfehlen wir, die fundierten Empfehlungen der Nationalen Strategie für gen- und zellbasierte Therapien aus dem Jahr 2024 aufzugreifen.

Internationale Marktlage

Darüber hinaus weisen wir darauf hin, dass eine AMNOG-Reform auch die internationale Marktlage beachten muss. Durch die Executive Order „Delivering Most-Favored-Nation Prescription Drug Pricing to American Patients“ (EO Nr. 14297), unterzeichnet von Präsident Trump am 12. Mai 2025, können Preisentscheidungen in Europa potentiell künftig auch Rückwirkungen auf Preisverhandlungen in den USA haben.

Da die USA für gerade für die Gen- und Zelltherapien ein zentraler Markt sind, besteht die Gefahr, dass zu niedrige Erstattungspreise in Europa dazu führen können, dass internationale Unternehmen mit Rücksicht auf drohende Verschlechterungen im

amerikanischen Markt auf einen frühen Markteintritt in Deutschland und anderen europäischen Ländern verzichten könnten.

Dies wiederum hätte langfristig auch negative Folgen für den Forschungs- und Produktionsstandort Deutschland.

Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien umsetzen

Im Juni 2024 wurde die Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien vorgelegt, die im Auftrag des damaligen Bundesministeriums für Bildung und Forschung im Rahmen eines umfassenden Multistakeholder-Prozesses erarbeitet wurde.

Beteiligt waren Vertreterinnen und Vertreter aus der medizinischen Praxis, der Wissenschaft, der Gesundheitswirtschaft, der Selbstverwaltung, von Behörden und Verbänden. Über Zuständigkeitsgrenzen hinweg wurde der gesamte Prozess von der Forschung über die Regulatorik bis hin zur Einführung in die Versorgung ganzheitlich gedacht.

Dem folgt die Strategie mit dem Leitsatz „Aus Wissen wird Wirkung“. Technologietransfer solle es ermöglichen, „Ergebnisse der biomedizinischen Forschung zum Nutzen von Patient*innen, Wirtschaft und Gesellschaft zu verwenden.“ Dabei sei es essenziell, die gesamte Translationskette im Blick zu haben“. Das sei eine Voraussetzung, um im internationalen Wettbewerb zu bestehen.

Dieser Ansatz spiegelt sich im Ergebnis wider: Die Strategie enthält viele konkrete und vielversprechende Vorschläge, die den Forschungsstandort Deutschland stärken und zugleich den Zugang von Patientinnen und Patienten in Deutschland zu den modernsten Therapien bei schweren Erkrankungen wie z.B. Krebs, seltene Erkrankungen oder Autoimmunerkrankungen zu verbessern.

Jetzt kommt es darauf an, die Strategie auch umzusetzen. Dazu sind Selbstverwaltung und Politik gleichermaßen gefordert.

Die folgenden Maßnahmen sind dabei im Prozess der Einführung von Gen- und Zelltherapien in die Versorgung kurzfristig umsetzbar, bringen relevante Verbesserungen für den Zugang von Patientinnen und Patienten zu diesen transformativen Therapien und unterstützen Hersteller, neue Therapien weiterhin in einer frühen Phase in Deutschland zur Verfügung stellen zu können.

1. Berücksichtigung der bestverfügbaren Evidenz im Rahmen der Zusatznutzenbewertung

In der Strategie heißt es: *„Das therapeutische Paradigma der Einmaltherapie, das in vielen Fällen eine langanhaltende Wirksamkeit bei einer ansonsten dauerhaft zu behandelnden Erkrankung erwarten lässt, erfordert eine Flexibilisierung der notwendigen Evidenzkriterien im Sinne der bestmöglichen Evidenz. Bei einer AMNOG-Nutzenbewertung muss routinemäßig festgestellt werden, ob es unmöglich oder unangemessen ist, Studien der höchsten Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern bzw. ob diese Evidenzstufe eventuell bereits vorliegt. Dabei werden Kriterien verwendet, die die Besonderheiten der Therapiesituationen und Versorgung abbilden, insbesondere den ungedeckten medizinischen Bedarf von Patient*innen, den Schweregrad der Erkrankung und die Größe der Zielpopulation. Im rechtlichen Rahmen der AMNOG-Nutzenbewertung wird in der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) schon anerkannt, dass es Therapiesituationen gibt, in denen es „unmöglich oder unangemessen ist, Studien höchster Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern“. In diesem Falle sind „Nachweise der bestverfügbaren Evidenzstufe einzureichen“. Dies wird jedoch bisher noch nicht konsequent umgesetzt. Die Voraussetzungen für die adäquate Berücksichtigung von besonderen Therapiesituationen sind bereits gegeben und erfordern, dass die eingereichten Studien auch herangezogen werden (müssen). Dies sollte in der AM-NutzenV vom Gesetzgeber klargestellt werden.“*

Als konkrete Lösung schlagen wir vor, dass das Bundesministerium für Gesundheit die AM-NutzenV wie folgt ergänzt:

Ergänze nach §5 Absatz 3 Satz 5 AM-NutzenV („Sofern es unmöglich oder unangemessen ist, Studien höchster Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern, sind Nachweise der best verfügbaren Evidenzstufe einzureichen.“):

„Der Gemeinsame Bundesausschuss hat diese Nachweise der best verfügbaren Evidenzstufe bei der Nutzenbewertung zu berücksichtigen.“

Ergänze in §5 am Ende von Absatz 7 AM-NutzenV: „Bei der Quantifizierung des Zusatznutzens nach Satz 1 ist bei der Feststellung des erheblichen oder beträchtlichen Zusatznutzens eine erhöhte Ergebnisunsicherheit hinzunehmen, wenn zumindest ein Anhaltspunkt für eine solche Quantifizierung besteht, und zudem

- a) ein ungedeckter medizinischer Bedarf vorliegt, insbesondere weil die zweckmäßige Vergleichstherapie gemäß § 6 Absatz 2 Satz 3 lediglich die bestmögliche unterstützende Therapie einschließlich einer symptomatischen oder palliativen Behandlung oder das beobachtende Abwarten ist, und

- b) es sich bei der Indikation um eine lebensbedrohliche oder regelmäßig tödlich verlaufende Erkrankung oder um eine Erkrankung, die zu schwerer Invalidität führt oder einen schweren und chronischen Verlauf hat, handelt.“

2. Konkretisierung der nutzenbasierten Preisbildung

In der Strategie heißt es: „Insbesondere unter Berücksichtigung der methodischen Besonderheiten für GCT stellen die im Rahmen des Gesetzliche Krankenversicherung-Finanzstabilisierungsgesetzes eingeführten Preisbildungsregeln, die sogenannten „Leitplanken“, ein Risiko hinsichtlich der Verfügbarkeit von GCT für die Patient*innen in Deutschland dar. Der Erstattungsbetrag für Arzneimittel mit nicht-quantifizierbarem oder geringem Zusatznutzen darf in bestimmten Konstellationen das Kostenniveau der wirtschaftlichsten zweckmäßigen Vergleichstherapie nicht überschreiten, obwohl in beiden Fällen (gering und nicht-quantifizierbar) ein relevanter Zusatznutzen für Patient*innen vom G-BA festgestellt werden konnte. Ein nicht-quantifizierbarer Zusatznutzen bedeutet, dass dieser gering, beträchtlich oder erheblich sein kann. Der Wert dieser Therapien wird aufgrund der bisherigen Nichtanerkennung der bestverfügbaren Evidenz in der besonderen Therapiesituation nicht angemessen widergespiegelt. Deshalb sollte(n) die gesetzlichen „Leitplanken“ zu den Preisverhandlungen in § 130b SGB V zurückgenommen werden und insbesondere aus § 130b Absatz 3 SGB V die Bestimmung zum nicht-quantifizierbaren und geringen Zusatznutzen entfernt werden. Hier müssen GKV-Spitzenverband und pharmazeutischer Unternehmer wieder die Freiheit erhalten, einen angemessenen Preis zu finden. In diesem Zusammenhang sollte die sukzessive erfolgte Relativierung der Zusatznutzenkategorie „nicht-quantifizierbar“, die aktuell fälschlicherweise als geringste Kategorie interpretiert wird, durch erläuternde Formulierungen in der Verfahrensordnung auf die ursprüngliche Bedeutung zurückgeführt werden.

Zusammenfassend empfehlen wir dem Gesetzgeber, die gesetzlichen „Leitplanken“, sowohl bezüglich des geringen als auch des nicht-quantifizierbaren Zusatznutzens zu entfernen. Dadurch würden die Verhandlungspartner wieder den Spielraum bekommen, den sie brauchen, um therapeutische Verbesserungen anzuerkennen und die jeweilige Marktsituation zu berücksichtigen. Die Maxime, einen quantifizierbaren Zusatznutzen darzulegen, bleibt davon unberührt.“

Es ist ein Schritt in die richtige Richtung, dass mit dem Medizinforschungsgesetz die Leitplanken für drei Jahre außer Kraft gesetzt sind, wenn die relevanten klinischen Prüfungen mindestens 5% Prüfungsteilnehmende aus Deutschland umfassen, und die Ausnahme von den Leitplanken dauerhaft erfolgt, sofern bestimmte Bedingungen hinsichtlich der Forschung in Deutschland erfüllt werden. Dies ist ein erster Schritt, um die negativen Forschungs- und Versorgungsanreize des GKV-Finanzstabilisierungs-

gesetzes abzumildern und zugleich einen Anreiz für mehr Forschungsaktivitäten in Deutschland zu setzen.

Dennoch ist eine strukturelle Lösung erforderlich - insbesondere für die Frage des nicht-quantifizierbaren Zusatznutzens. Wenn es nicht nur um den Forschungsstandort Deutschland geht, sondern auch um den schnellen Zugang deutscher Patientinnen und Patienten zu neuen Gentherapien, dann ist zu berücksichtigen, dass diese Therapien im Bereich seltener Erkrankungen teilweise von kleineren Biotech-Unternehmen für sehr kleine Patientenpopulationen entwickelt werden. Diese Unternehmen werden Probleme haben, die Anforderungen des Medizinforschungsgesetzes hinsichtlich der Forschung in Deutschland zu erfüllen. Für diese Unternehmen stellt sich dann weiterhin die kritische Frage, ob sie unter den Bedingungen der Leitplanken das Medikament frühzeitig in Deutschland auf den Markt bringen.

Als konkrete Lösung schlagen wir vor:

In §130b Absatz 3 SGB V ist zumindest der „nicht-quantifizierbare Zusatznutzen“ zu streichen.

Stand: Oktober 2025

Alliance for Regenerative Medicine
Paolo Morgese
Rond-point Schuman 2-4
B-1040 Bruxelles
pmorgese@alliancerm.org