



Spitzenverband



## **Echte Arzneimittelinnovationen fördern und die Versorgung stärken**

Positionspapier des GKV-Spitzenverbandes zu  
patentgeschützten Arzneimitteln



## **Impressum**

Herausgeber:

GKV-Spitzenverband

Reinhardtstraße 28

10117 Berlin

Verantwortlich:

Dr. Antje Haas, Abteilung Arznei- und Heilmittel

Michael Weller, Stabsbereich Politik

Gestaltung:

BBGK Berliner Botschaft

Gesellschaft für Kommunikation mbH

Fotonachweis:

links: Pixel-Shot - [stock.adobe.com](https://stock.adobe.com/); rechts: Christin Klose - [stock.adobe.com](https://stock.adobe.com/)

Stand: Juli 2021

Alle Rechte, auch die des auszugsweisen Nachdrucks, vorbehalten.

Der GKV-Spitzenverband ist der Spitzenverband Bund der Krankenkassen nach § 217a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V). Er ist zugleich der Spitzenverband Bund der Pflegekassen nach § 53 SGB XI. Der GKV-Spitzenverband ist eine Körperschaft des öffentlichen Rechts mit Selbstverwaltung. Name, Logo und Reflexstreifen sind geschützte Markenzeichen des GKV-Spitzenverbandes.

---

Wie kaum ein anderer Bereich ist die Arzneimittelentwicklung von besonderer Dynamik geprägt. In kurzen zeitlichen Intervallen eröffnen sich völlig neue Behandlungsmethoden, deren Nutzen Patientinnen und Patienten zugutekommen soll. Neue Arzneimittel wecken große Hoffnungen – insbesondere dann, wenn es sich um neuartige Behandlungsformen für schwerwiegende Erkrankungen handelt. Es ist absehbar, dass sich der Trend zu Zell- und Gentherapien sowie zu einer stärker individualisierten Medizin fortsetzt und zunehmend auch die Versorgung von Patientinnen und Patienten mit Volkskrankheiten erreichen wird.

Aufgrund beschleunigter Verfahren wächst die Anzahl der neuartigen Behandlungen, für die zum Zeitpunkt des Inverkehrbringens noch nicht nachgewiesen ist, ob sie Patientinnen und Patienten wirklich nützen. Trotzdem werden für diese Arzneimittel enorm hohe Preise verlangt. Eine nachhaltige und qualitativ hochwertige Versorgung mit Arzneimitteln ist jedoch nur möglich, wenn sich die Kosten für neue Arzneimittel an nachgewiesenen Behandlungserfolgen orientieren.

### **AMNOG weiterentwickeln**

Zu diesem Zweck wurde in Deutschland mit dem Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) das Verfahren der frühen Nutzenbewertung mit anschließender Preisverhandlung eingeführt. Es hat sich nach mittlerweile zehn Jahren bewährt: AMNOG leistet einen wichtigen Beitrag zur Transparenz und Wissensgenerierung und damit zur Verbesserung der Arzneimittelversorgung. Zugleich konnte es den Kostenanstieg für neue Arzneimittel abdämpfen, unter Erhalt des unmittelbaren Zugangs zu neuen Arzneimitteln. Doch noch immer liegt die Steigerungsrate der Arzneimittelausgaben um mehr als ein Drittel über derjenigen aller Leistungsausgaben der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) – überwiegend aufgrund neuer **Patent-Arzneimittel**.

Insbesondere bei neuartigen Behandlungsformen kommt das AMNOG-Verfahren aber an seine Grenzen. Denn infolge beschleunigter Verfahren stehen die zur Nutzenbewertung notwendigen Daten nicht hinreichend zur Verfügung. Damit ungerechtfertigte Ausgabenzuwächse nicht zur Bedrohung für den in Deutschland gewohnt schnellen und qualitätsvollen Zugang zu neuen Arzneimitteln werden, sind schnellstmöglich kraftvolle Steuerungsmaßnahmen erforderlich.

---

## Arzneimittel mit beschleunigter Zulassung

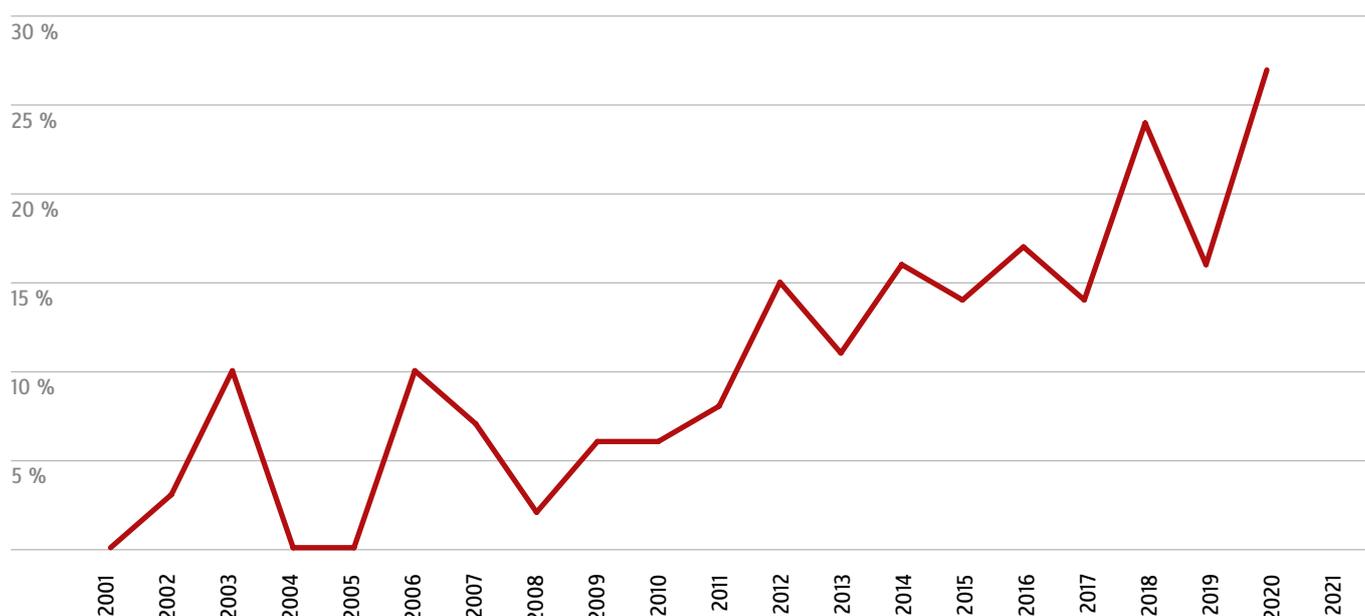
Unter den Begriff der beschleunigten Zulassungen lassen sich bedingte Zulassungen („Conditional Approval“), Zulassungen unter außergewöhnlichen Umständen („Exceptional Circumstances“), Zulassungen für Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan Drugs“) und Zulassungen für Arzneimittel für neuartige Therapien (**ATMP**, „Advanced Therapy Medicinal Products“) fassen. Bei Letzteren handelt es sich um Zell- und Gentherapien, die sich durch ihren neuartigen Wirkmechanismus auszeichnen und oft über eine Einmaltherapie einen Heilungserfolg ermöglichen sollen.

Unter der Voraussetzung eines hohen ungedeckten medizinischen Bedarfs sollen beschleunigte Zulassungen es pharmazeutischen Unternehmen ermöglichen, Arzneimittel bereits dann in Verkehr zu bringen, wenn deren Wirksamkeit und Sicherheit noch nicht ausreichend belegt sind. Die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) will dadurch Patientinnen und Patienten einen früheren Zugang zu diesen Arzneimitteln gewähren. Dabei nimmt sie allerdings in kritikwürdiger Weise bewusst in Kauf, dass möglicherweise schwerwiegende Risiken unentdeckt bleiben oder Patientinnen und Patienten unzureichend wirksame Arzneimittel erhalten.

Seit längerer Zeit können eine Zunahme solcher beschleunigten Zulassungen und damit auch eine stetig steigende Anzahl neuer Arzneimittel mit unzureichender Datenlage beobachtet werden. Die GKV lehnt diese Entwicklung ab. Der beschriebene Trend sollte gebrochen und zugunsten reiferer Zulassungsdaten abgelöst werden. Dieser Handlungsbedarf muss in Richtung der Europäischen Kommission adressiert werden.

Seit dem Jahr 2011 haben sich die beschleunigten Zulassungen von 8 Prozent aller EMA-Zulassungen bis zum Jahr 2020 auf einen Anteil von 27 Prozent erhöht (s. **Abbildung 1**). Paradoxe Weise werden aber derzeit gerade für Arzneimittel mit der schwächsten Evidenz die höchsten Preise gefordert. Damit machten Ende 2020 Arzneimittel mit beschleunigter Zulassung bereits knapp 22 Prozent der Ausgaben im AMNOG-Gesamtmarkt aus, obwohl sie nur einen Anteil von 1 Prozent an den Verordnungen in der ambulanten Versorgung haben. Daraus ergibt sich dringender Bedarf für eine Nachjustierung des AMNOG.

Abbildung 1: Anteil der Arzneimittel mit mindestens einer beschleunigten Zulassung an allen durch die EMA beurteilten Arzneimitteln nach Datum der Zulassung



Quelle: Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA)

## Krankheitsbezogene Register verbessern das Wissen zu Arzneimitteln mit mangelnder Datenlage

Für Arzneimittel mit beschleunigter Zulassung reichen die Daten der Zulassung regelmäßig nicht aus, um ihren patientenrelevanten Zusatznutzen in der Nutzenbewertung des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) zu beurteilen. Die Zulassungsentscheidungen werden hier meist anhand unkontrollierter Studien getroffen. Sie haben nicht den Vergleich mit bereits vorhandenen Therapien zum Ziel, obwohl in den meisten Fällen therapeutische Alternativen verfügbar sind. Zudem werden die Studien meist an sehr kleinen Patientenkollektiven durchgeführt und haben keine ausreichende Beobachtungsdauer, um Aussagen über die Nachhaltigkeit der Wirkung und über langfristige Nebenwirkungen treffen zu können. Daher ist es sinnvoll, für diese Arzneimittel Behandlungsergebnisse und Nebenwirkungen in der Routineversorgung regelmäßig mithilfe **anwendungsbegleitender Datenerhebungen** zu erfassen. Durch gesetzliche Regelungen muss allerdings sichergestellt werden, dass Daten zu den Behandlungsergebnissen **ab dem ersten Tag** der Anwendung erhoben werden. Dafür

---

sollen einheitliche **Indikationsregister** unter dem Dach einer nationalen (perspektivisch europäischen) Register-Infrastruktur geschaffen und genutzt werden. Andernfalls verhindert die Zersplitterung in einzelne produktbezogene Register eine gemeinsame vergleichende Datennutzung. Organisation und Inhalte dieser Indikationsregister sind bei unabhängigen Registerbetreibenden beziehungsweise einer übergreifenden, neutralen Registeragentur anzusiedeln. Die Kosten für die Datenerhebung sind von den jeweiligen pharmazeutischen Herstellerunternehmen zu tragen.

### **Bei extremen Datendefiziten kann der G-BA einzelne Anwendungsgebiete eines Arzneimittels zur Verordnung vorgeben (Fokus-Liste)**

In einigen Fällen werden neue Arzneimittel in klinischen Studien nur für einen eng umschriebenen Kreis Erkrankter untersucht, aber für erheblich breitere Bevölkerungsgruppen zugelassen. Somit belegen die vorhandenen Daten nur für einen Teil des zugelassenen Anwendungsgebiets eine Zweckmäßigkeit des Arzneimittels. Für diese Fälle überbreiter Zulassungen ist eine gesetzliche Grundlage notwendig, damit der G-BA in einer **Fokus-Liste** die legitimierte Verordnung eines Arzneimittels für ein bestimmtes Anwendungsgebiet vorgeben kann, bis aussagekräftige Daten zu weiteren Anwendungsgebieten vorliegen. Die Maßnahme zielt auf eine qualitätsgerechte Versorgung. Sie soll lediglich bei besonders auffälligen Erkenntnislücken und bei gleichzeitigem Vorliegen von Therapiealternativen innerhalb eines Anwendungsgebiets zum Einsatz kommen.

Aber nicht nur bei den beschleunigten Zulassungen besteht dringender Handlungsbedarf, um ungerechtfertigte Ausgabenzuwächse einzudämmen. Auch im Patentmarkt mit regulären Zulassungen sind weitere kostensteuernde Maßnahmen zu ergreifen.

### **Für medizinisch vergleichbare Arzneimittel bestehen Erstattungsoptionen für Krankenkassen**

Aufbauend auf der bundesweit geltenden G-BA-Arzneimittelrichtlinie müssen bessere Vertragsbedingungen für vergleichbare Patentarzneimittel geschaffen werden. Um vorhandene Wirtschaftlichkeitsreserven zu heben, ist es daher sinnvoll, ein abgestuftes System zu wählen: Dabei definiert der G-BA in einem **Vertragskatalog** medizinisch-therapeutisch vergleichbare Arzneimittel. Unter diesen haben die Krankenkassen anschließend die Option, einzelne Arzneimittel für die bevorzugte Versorgung ihrer Versicherten auszuwählen. Damit ist keine Einschränkung des einheitlichen GKV-Leistungsspektrums verbunden. Die Auswahl der Therapieoptionen sowie die Vereinbarung individueller Preisnachlässe können in direkten Verhandlungen zwischen

---

pharmazeutischen Herstellerunternehmen und Krankenkassen bzw. ihren Verbänden oder über Ausschreibungen geregelt werden.

### **Die Nutzenbewertung wird für alle Arzneimittel systematisch aktualisiert, der Erstattungsbetrag dynamisiert**

Während bei den beschleunigten Zulassungen aufgrund der Datenunsicherheit zum Zeitpunkt der Zulassung Maßnahmen ergriffen werden müssen, um schnellstmöglich grundlegende Klarheit über den tatsächlichen Nutzen dieser neuen Arzneimittel zu gewinnen oder auch die Kosten-Nutzen-Wirkung dieser neuen Arzneimittel zu gewinnen, ist dies bei regulär zugelassenen Arzneimitteln anders. Arzneimittel mit einer regulären Zulassung weisen zum Zeitpunkt der Zulassung in der Mehrzahl schon eine relativ gute Datenlage auf. Mit der Zeit vervollständigt sich die Evidenzbasis und reift. Daher besteht bei diesen Arzneimitteln die Notwendigkeit, die Nutzen-Beschlüsse des G-BA aktuell zu halten. Zwar kann der G-BA bereits jetzt Befristungen aussprechen (geschieht in ca. 20 Prozent aller Bewertungen) oder aufgrund neuer wissenschaftlicher Erkenntnisse erneut ein Dossier fordern. Eine systematische Aktualisierung der Nutzenbewertungen ist auf diesem Weg jedoch nicht möglich. Spätestens seit Einführung des elektronischen Arzneimittelinformationssystems dient die G-BA-Nutzenbewertung aber auch als unabhängige **Informationsquelle** für die individuelle, evidenzbasierte Therapieentscheidung seitens der Ärztinnen und Ärzte. Daher sollte verpflichtend anhand der über die Zeit zunehmenden Evidenz eine wiederholte Bewertung für alle Arzneimittel unabhängig vom Zulassungsstatus durch den G-BA erfolgen.

Wird durch neue Studien- oder auch versorgungsnahe Registerdaten ein besserer Zusatznutzen belegt, kann auch der neue Erstattungsbetrag höher ausfallen als der vor-malige Preis. Der Erstattungsbetrag folgt der Evidenz und belohnt Herstellerunternehmen, die aussagekräftige Daten generieren. Damit wird ein effektiver Anreiz gesetzt, eine verlässliche Datenbasis für Patientinnen und Patienten zu schaffen.

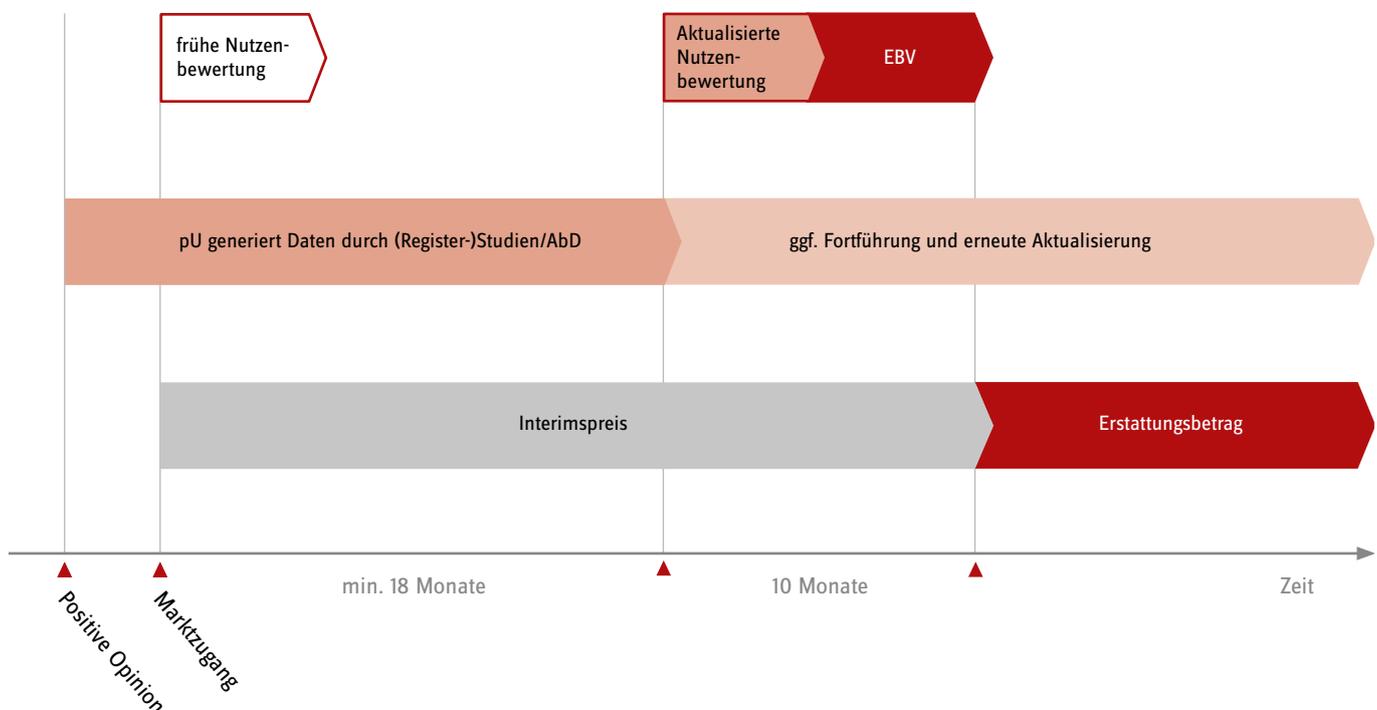
### **Preissteuerung effektiv gestalten. Interimspreis für beschleunigte Zulassungen festsetzen**

Liegen im Fall von beschleunigten Zulassungen keine aussagekräftigen Studiendaten zum (Zusatz-)Nutzen eines Arzneimittels vor, fehlt eine entscheidende Grundlage für die Erstattungsbetragsverhandlungen. Die Verhandlungen sind eher von Erwartungen geprägt als vom Wissen um Heilung. Verschärfend kommt hinzu, dass pharmazeuti-sche Herstellerunternehmen in Deutschland den Einstiegspreis für Patent-Arzneimittel frei bestimmen dürfen. Dies führt dazu, dass der zu erwartende Abschlag in den Verhandlungen als „Preis-puffer“ bereits einkalkuliert wird. Auch durch die zunehmende

Bedeutung von Einmaltherapien steigt die Ausgabenlast im ersten Jahr nach Zulassung rapide an. So erzielte beispielsweise das Gentherapeutikum Zolgensma® in Deutschland schon in den ersten sechs Monaten einen Umsatz von über 50 Mio. Euro. Zudem werden hochpreisige Arzneimittel zunehmend in Kombination mit anderen Arzneimitteln eingesetzt.

Bis fundierte Daten vorliegen, die einen tatsächlichen Zusatznutzen belegen, muss daher ab Marktzugang ein **Interimspreis** gelten (s. **Abbildung 2**). Dieser wird auf Basis der Kosten der zweckmäßigen Vergleichstherapie festgelegt und kann erst durch einen Erstattungsbetrag auf Basis einer aktualisierten Nutzenbewertung abgelöst werden. Im Fall von therapeutischen Solisten müssten alternative Preisbildner geprüft werden.

Abbildung 2: Interimspreis-Modell des GKV-Spitzenverbandes für Arzneimittel mit beschleunigter Zulassung



Legende: EBV = Erstattungsbetragsverhandlung, pU=pharmazeutischer Unternehmer, AbD = Anwendungsbegleitende Datenerhebung

---

Durch das vorgeschlagene **Interimspreis-Modell** werden Preis und Evidenz in ein angemessenes Verhältnis gesetzt. Zudem entstehen Anreize für eine Datenerhebung nach Zulassung, um einen Erstattungsbetrag oberhalb des Interimspreises zu erzielen. Bleiben geeignete Nachweise aus, würde weiterhin der niedrigere Interimspreis gelten. Hierdurch wäre das ursprüngliche Anliegen des Gesetzgebers wiederhergestellt, wonach ein Arzneimittel nur dann mehr als die Vergleichstherapie kosten darf, wenn ein tatsächlicher (Zusatz-)Nutzen für Patientinnen und Patienten belegt wird. Die Versicherungsgemeinschaft würde nicht länger durch Mondpreise überfordert.

### **Rückwirkung des Erstattungsbetrags für Patent-Arzneimittel mit regulärer Zulassung**

Für Arzneimittel mit einer regulären Zulassung können bei der G-BA-Nutzenbewertung in der Regel Aussagen zur Quantifizierung des Zusatznutzens getroffen werden, sodass nutzenangemessene Erstattungsbeträge grundsätzlich auf Basis der bereits vorliegenden Daten vereinbart werden können. Die verhandelten Erstattungsbeträge gelten bislang allerdings erst ab dem zweiten Jahr nach erstmaligem Inverkehrbringen. Im ersten Jahr gilt der selbstgewählte Preis der Unternehmen. Diese Preisfreiheit hat viele Nachteile: Sie zwingt die GKV regelmäßig in eine Überzahlung für das erste Jahr und belastet als präjudizierendes Faktum die Preisbildung in den Erstattungsbetragsverhandlungen. Zukünftig sollte daher der erste Erstattungsbetrag für neue Arzneimittel (mit Ausnahme beschleunigter Zulassungen) rückwirkend zum ersten Tag ihres Inverkehrbringens gelten.

### **Verhandlungen zum Erstattungsbetrag für alle Arzneimittel auf vier Monate konzentrieren**

Der Zeitraum bis zum ersten verhandelten Erstattungsbetrag sollte im Interesse aller Beteiligten möglichst kurzgehalten werden. Dies könnte durch eine Verkürzung der Verhandlungen auf maximal drei Termine in vier Monaten gelingen. Dadurch würde in Zukunft der Erstattungsbetrag bei Arzneimitteln mit regulärer Zulassung bereits ab dem ersten Tag des elften Monats nach Inverkehrbringen bestimmt sein - zwei Monate früher als bisher. Entsprechend würde sich der Nacherstattungszeitraum bei Geltung des Erstattungsbetrags zum ersten Tag des Inverkehrbringens verkürzen. Bei den beschleunigten Zulassungen könnte der Interimspreis entsprechend früher durch den zusatzenorientierten Erstattungsbetrag abgelöst werden.

---

## Der Erstattungsbetrag basiert für alle Arzneimittel stärker auf rationalen Preisbildungskriterien

Der vom G-BA festgestellte Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie ist das zentrale Kriterium für die Höhe des Erstattungsbetrags. Zurzeit fließen daneben die beiden zusätzlichen Kriterien „Tatsächliche Preise des Arzneimittels in anderen europäischen Ländern“ und „Kosten vergleichbarer Arzneimittel“ in die Ermittlung des Erstattungsbetrags ein.

Insbesondere das Kriterium der **„Kosten vergleichbarer Arzneimittel“** hat sich als ungeeignet erwiesen und sollte gestrichen werden. Es bewirkt, dass ein vorhandenes hohes Preisniveau automatisch auf neue Arzneimittel übertragen wird, ohne dass jemals die Gleichwertigkeit des neuen Arzneimittels bewiesen worden wäre. Es befördert zudem die Entkopplung zwischen „teuren“ und „günstigen“ Therapiegebieten und wirkt damit der Gleichbehandlung innovativer Arzneimittel eher entgegen.

An die Stelle der „Kosten vergleichbarer Arzneimittel“ sollte stattdessen die Berücksichtigung der **tatsächlichen Forschungs- und Entwicklungskosten** als Kriterium des Erstattungsbetrags treten. Hierfür wäre ein geeignetes manipulationsfreies Nachweisverfahren gesetzlich vorzugeben. Darin wäre klarzustellen, dass öffentliche Forschungs- und Fördergelder und jegliche Subvention wie auch Querfinanzierung transparent zu machen sind, um bei der Bestimmung der tatsächlichen Forschungs- und Entwicklungskosten Berücksichtigung zu finden. Zudem wäre eine Abgrenzung zu Marketing-Aufwendungen vorzunehmen.

Auch das Kriterium der **„Tatsächlichen Preise des Arzneimittels in anderen europäischen Ländern“** führt in der Praxis zu Problemen. Denn pharmazeutische Herstellerunternehmen lehnen es weitgehend ab, diese zu offenbaren. Stattdessen übermitteln sie Schaufenster-Preise, die (zum Teil vertrauliche) Rabatte in anderen europäischen Ländern verschleiern. Dieses Vorgehen hat zur Folge, dass der deutsche Preis weiterhin oberhalb des tatsächlichen europäischen Preisgefüges bleibt. Um dieses Kriterium für die Erstattungsbetragsverhandlungen wirksam umzusetzen, ist daher eine Sanktion für zweifelhafte Angaben der Herstellerunternehmen einzuführen. Bei Hinweisen auf tatsächlich niedrigere Preise in anderen Ländern wird für das Kriterium insgesamt ein Abschlag auf den niedrigsten zweifelsfreien EU-Preis angesetzt.

---

## Gesamtvolumen der Arzneimittelausgaben begrenzen

Bei weiterer Verschärfung der Finanzsituation der GKV werden die vorgeschlagenen Preissteuerungsansätze von Patent-Arzneimitteln je nach Zulassungsstatus wirksam durch eine kollektive Begrenzung der Arzneimittel-Ausgaben ergänzt. Administrativ sehr effizient kann diese Maßnahme dazu beitragen, die Finanzierbarkeit der GKV auch langfristig sicherzustellen, ohne dass Patientinnen und Patienten auf medizinisch gebotene Behandlungen verzichten müssen. Ausgabenbegrenzungen sind grundsätzlich auf verschiedenen Ebenen denkbar: Einerseits kann dies als Obergrenze für die mittleren Jahreskosten **einer** Therapie ausgestaltet werden. Daneben sind Ausgabenbegrenzungen auch auf der Ebene einer **Gruppe von Arzneimitteln** vorstellbar. Eine gleichförmige Belastung aller pharmazeutischen Herstellerunternehmen ließe sich schließlich durch eine Grenze für das **Gesamtausgaben**-Volumen umsetzen. Würde die zuvor festgelegte Ausgabenbegrenzung überschritten, müssten einzelne pharmazeutische Herstellerunternehmen entsprechend ihrem Anteil am gesamten GKV-Umsatz eine Rückerstattung leisten. Infolge der engen Beziehung zwischen Zusatznutzen und Erstattungsbetrag wäre weiterhin gewährleistet, dass Arzneimittel mit höherem Zusatznutzen auch höhere Umsätze erwirtschaften können.

## Fazit: Innovation und Qualität zusammendenken

Die aktuellen Fortschritte in der Medizin bieten große Chancen für Patientinnen und Patienten und unsere Gesellschaft als Ganzes. Zugleich muss sichergestellt werden, dass neue Therapien auch unter Beweis stellen, dass sie wirklich innovativ sind. Die Solidargemeinschaft darf nicht durch Ausgaben belastet werden, die Patientinnen und Patienten keinen tatsächlichen (Zusatz-)Nutzen bringen. Die Gesetzesreformen der letzten Jahre und die Corona-Krise reißen bereits tiefe Löcher in die Finanzen der gesetzlichen Krankenkassen. Spätestens zu Beginn der neuen Legislaturperiode sind daher mutige Schritte notwendig, um die Bewertung und Preisbildung neuer Arzneimittel in Deutschland im Sinne einer qualitätsvollen und innovationsoffenen Versorgung der Patientinnen und Patienten zukunftsfest zu machen.