

# AMNOG-Report 2022

## Schwerpunkt: Orphan Drugs

18. Januar 2022

@ DAK-im-Dialog

**Prof. Dr. Wolfgang Greiner**

Universität Bielefeld

AG 5 – Gesundheitsökonomie und Gesundheitsmanagement

Beiträge zur Gesundheitsökonomie und Versorgungsforschung (Band 38)



Greiner / Batram / Gensorowsky / Witte

**AMNOG-Report 2022.**

Orphan Drugs – Erstattungs- und Versorgungsherausforderungen.

# AMNOG-Report 2022

## Inhalte

Beiträge zur Gesundheitsökonomie und Versorgungsforschung (Band 38)



Greiner / Batram / Gensorowsky / Witte

### AMNOG-Report 2022.

Orphan Drugs – Erstattungs- und Versorgungsherausforderungen.

- Weiterentwicklung des AMNOG-Verfahrens nach der Bundestagswahl
- Zahlen, Daten, Fakten
- Schwerpunkt Orphan Drugs: Erstattungs- und Versorgungsherausforderungen
- AMNOG-Fakten-Check: Vier neue AMNOG-Narrative auf dem Prüfstand

# AMNOG-Report 2022

## Perspektiven nach der Bundestagswahl



“ Das Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes (AMNOG) entwickeln wir weiter. Wir stärken die Möglichkeiten der Krankenkassen zur Begrenzung der Arzneimittelpreise. Der verhandelte Erstattungspreis gilt ab dem siebten Monat nach Markteintritt.

„Genügt“ eine Rückwirkung des Erstattungsbetrages auf Monat 7, also auf den Zeitpunkt des G-BA-Beschlusses? Welcher Effekt kann davon erwartet werden?

# AMNOG-Report 2022

## Rückwirkungsmodelle des Erstattungsbetrages

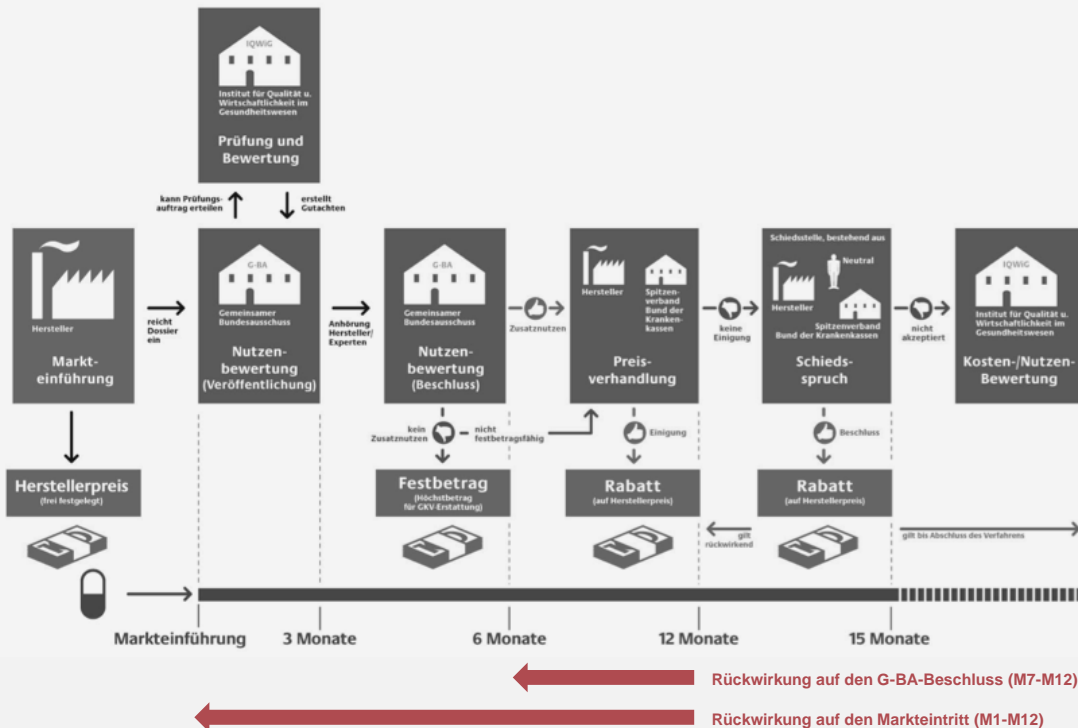
Eine Rückwirkung des Erstattungsbetrages auf den Zeitpunkt des G-BA-Beschlusses generiert in den letzten Jahren jeweils mehr als die Hälfte der möglichen Einsparungen einer Rückwirkung des gesamten ersten Jahres nach Markteinführung.



Bundesministerium für Gesundheit

### Faire Preise für Arzneimittel

Preisgestaltung in der GKV nach dem Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG)



### GKV-Einsparpotentiale aus der Rückwirkung des Erstattungsbetrages

Daten: DAK AMNOG-Report, 2011-2021

	Zeitpunkt der Rückwirkung des Erstattungsbetrages		Anteil der möglichen Einsparungen durch Rückwirkung auf G-BA-Beschluss
	Markteinführung	G-BA-Beschluss	
2016	Ca. 110 Mio. €	Ca. 45 Mio. €	39 %
2017	Ca. 180 Mio. €	Ca. 110 Mio. €	62 %
2018	Ca. 190 Mio. €	Ca. 100 Mio. €	53 %
2019	Ca. 90 Mio. €	Ca. 60 Mio. €	70 %
Ø p.A.*	<b>Ca. 140 Mio. €</b>	<b>Ca. 80 Mio. €</b>	<b>55 %</b>

\* Die berechneten Rückwirkungen berücksichtigen die Höhe des verhandelten oder festgesetzten Erstattungsbetrages abzüglich einer vereinbarten Ablösung des Herstellerabschlages. Hochrechnung auf GKV erfolgt auf Basis von Abrechnungsdaten ambulanter Rezeptausstellungen der DAK-Gesundheit. Eine Unterschätzung ist deshalb möglich. Die Berechnung der durchschnittlich möglichen jährlichen Einsparungen erfolgt auf Basis der Daten der Jahre 2016 bis 2019 um jüngere Verfahrens- und Zulassungstrends adäquat zu erfassen.

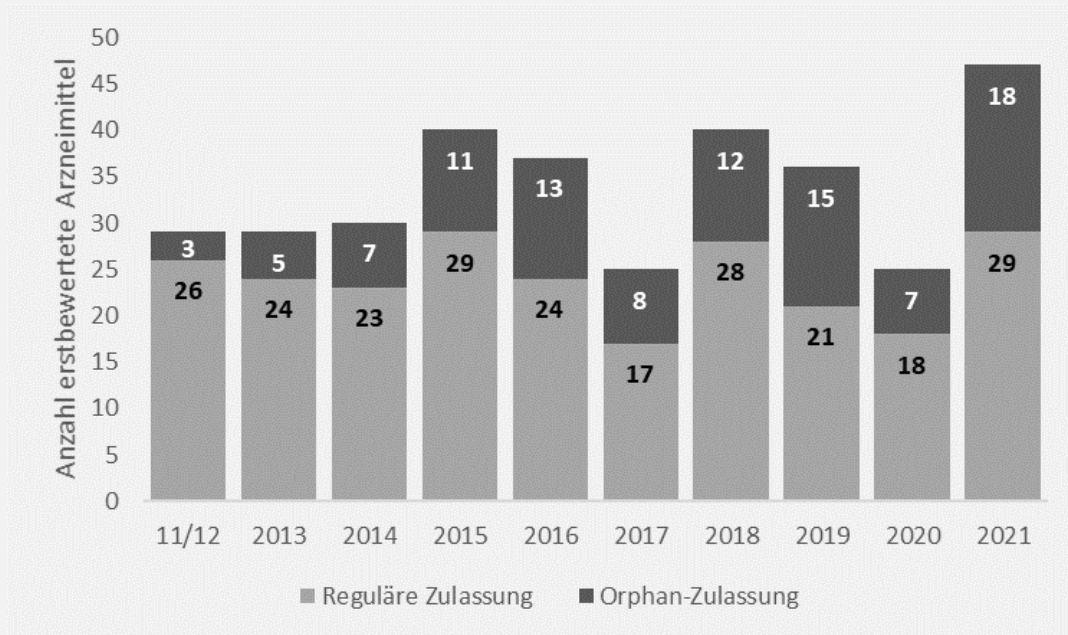
# AMNOG-Report 2022

## Entwicklung des Bewertungs- und Verfahrensspektrums

Der Anteil von Orphan Drugs an allen neu zugelassenen Arzneimitteln ist in den vergangenen Jahren gestiegen. Auch die Re-Evaluationen von eingeschränkten Orphan-Erstbewertungen nehmen zuletzt zu.

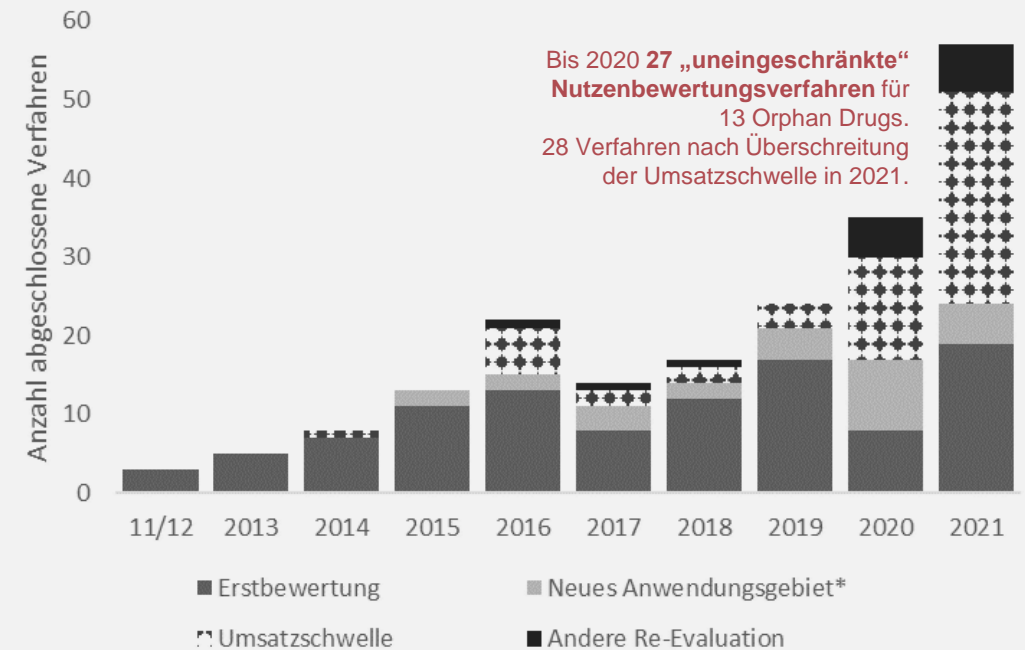
### Anzahl erstbewertete Arzneimittel nach Zulassungsstatus

Daten: DAK AMNOG-Report, 2011-2021



### Art der abgeschlossenen Nutzenbewertungsverfahren für Orphan Drugs

Daten: DAK AMNOG-Report, 2011-2021



\* Uneingeschränkt bewertete neue Anwendungsgebiete werden hier unter der Kategorie „Umsatzschwelle“ geführt.

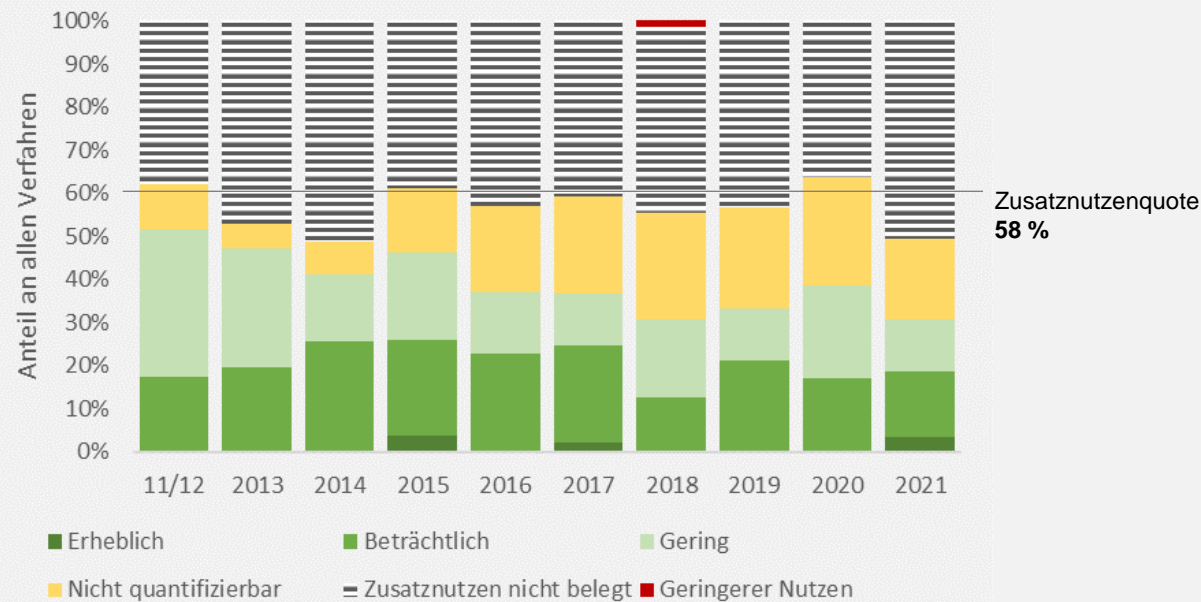
# AMNOG-Report 2022

## Ergebnisse der Nutzenbewertungsverfahren

Der Anteil der Verfahren mit belegtem Zusatznutzen liegt recht konstant bei 58 %. In 19 % aller Verfahren konnte das Ausmaß des Zusatznutzens nicht quantifiziert werden. Dies ist in vier von fünf Fällen auf ein Orphan Drug zurückzuführen. Wenn Orphan Drugs nach Überschreitung der Umsatzschwelle uneingeschränkt bewertet, kann in knapp der Hälfte aller Verfahren kein Zusatznutzen belegt werden.

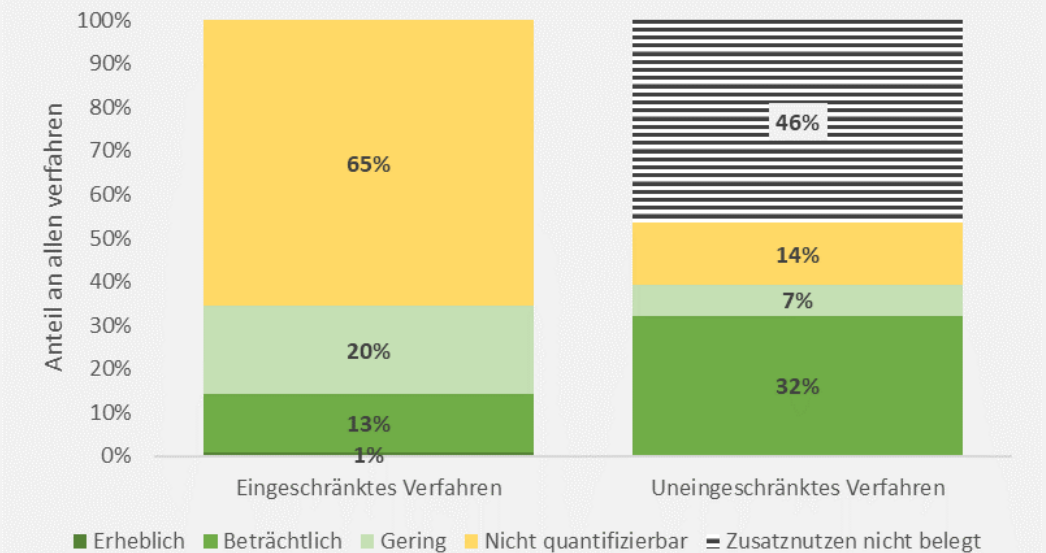
### Zusatznutzen in abgeschlossenen Nutzenbewertungsverfahren (Erst- und Folgebewertungen) des G-BA

Daten: DAK AMNOG-Report, 2011-2021



### Zusatznutzen in abgeschlossenen Nutzenbewertungsverfahren (eingeschränkte und uneingeschränkte Verfahren) von Orphan Drugs

Daten: DAK AMNOG-Report, 2011-2020

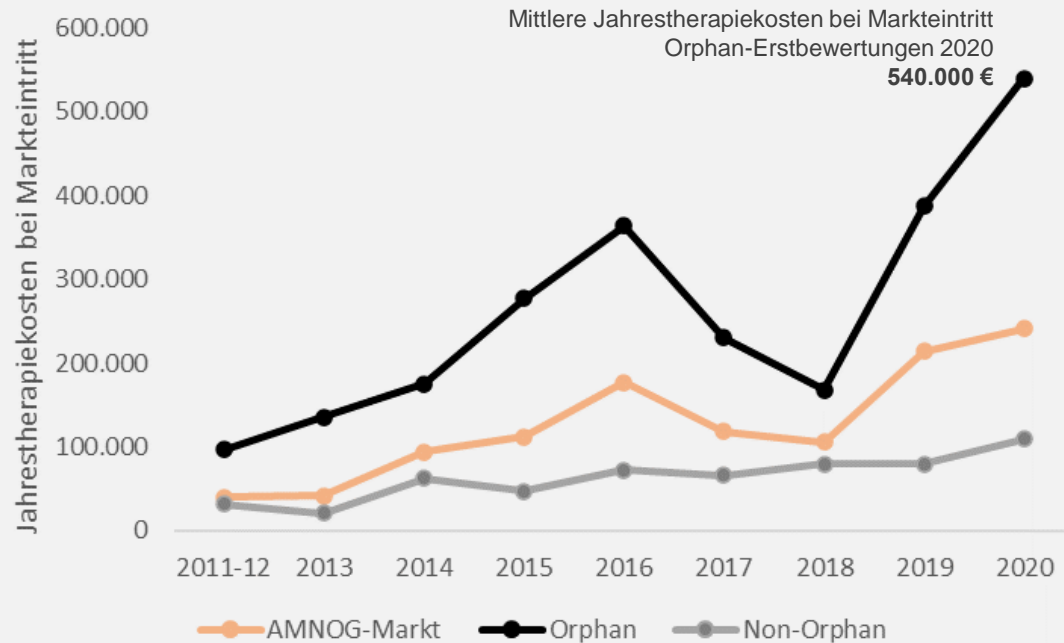


- **Die zunehmende Verfügbarkeit von Orphan Drugs entspricht dem Wunsch nach therapeutischen Innovationen und der Ausweitung des medizinisch Möglichen:**
  - Anteil Orphans an allen Erstbewertungen zwischen 2011-15: 20 %
  - Anteil Orphans an allen Erstbewertungen zwischen 2016-20: 34 %
  
- **Gleichzeitig besteht ein Datenproblem für viele Orphan Drugs:**
  - Anteil Orphans mit nicht quantifizierbarem Zusatznutzen zwischen 2011-15: 46 %
  - Anteil Orphans mit nicht quantifizierbarem Zusatznutzen zwischen 2016-20: 78 %
  - Hinzukommen weitere Herausforderung aus den Zulassungsstudien:
    - › Fehlende Langzeitdaten zum (Zusatz-)Nutzen
    - › Kleine Studienpopulationen

Folgeproblem der mangelnden Daten bei Markteintritt neuer Orphan Drugs: Festlegung „fairer“ Erstattungsbeträge auf Basis steigender Markteintrittspreise / Kosten. Gleichzeitig werden die potenziellen Zielpopulationen in der Tendenz kleiner.

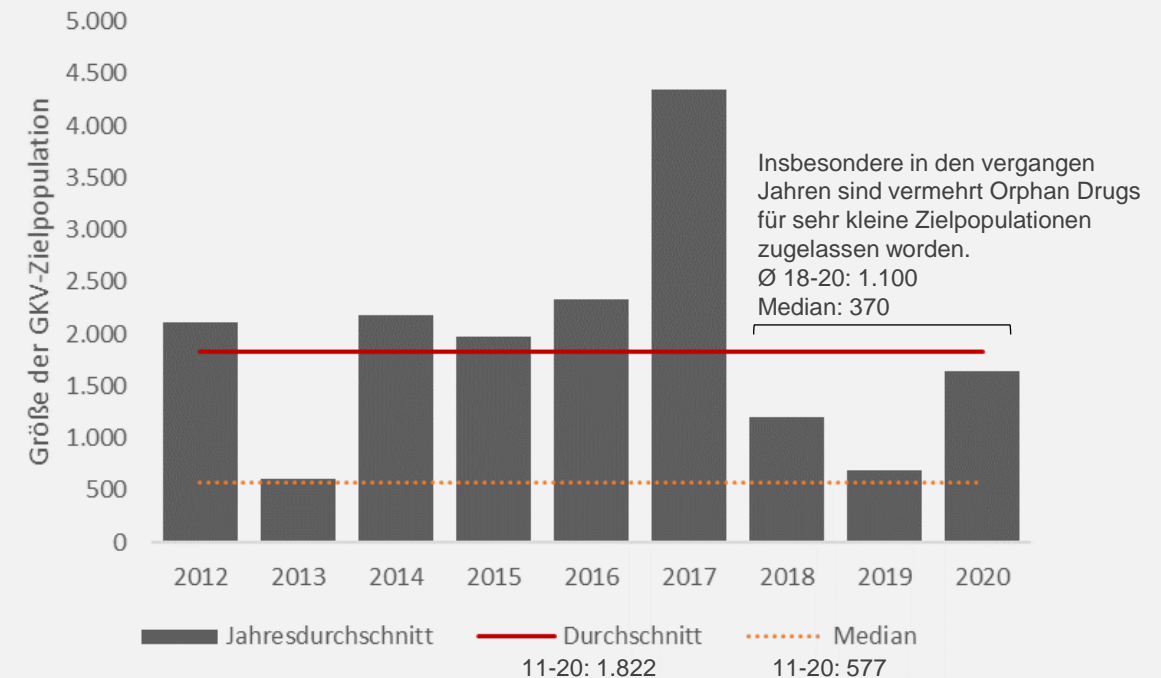
### Jahrestherapiekosten nutzenbewerteter Arzneimittel bei Markteintritt

Daten: DAK AMNOG-Report, 2011-2020



### Größe zugelassener Zielpopulationen von Orphan Drugs

Daten: DAK AMNOG-Report, 2011-2020



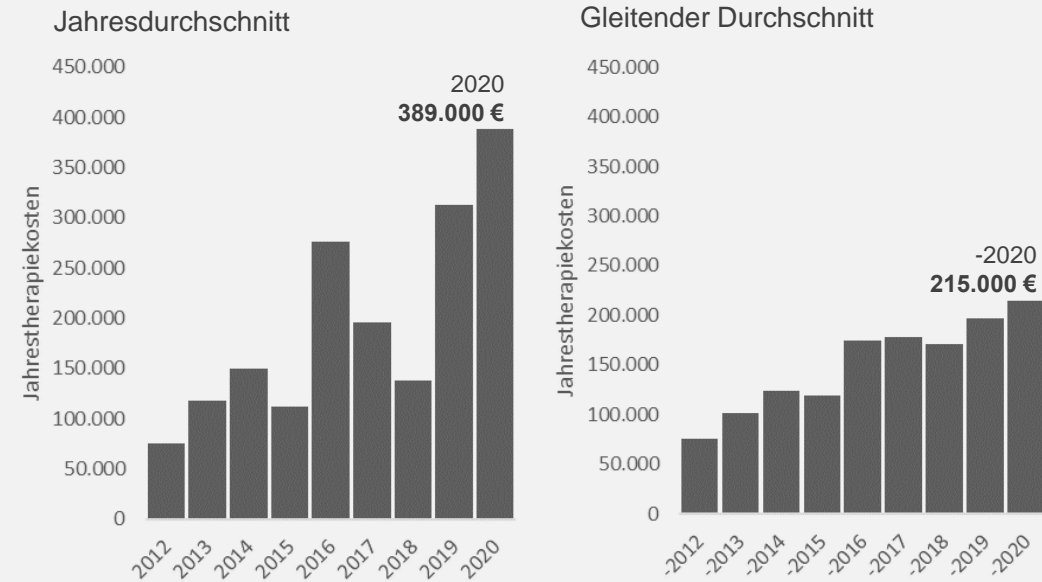


# AMNOG-Report 2022

## Wie reagiert das Preisbildungsverfahren?

- **Preisabschläge auf Orphan Drugs** liegen in den vergangenen zehn Jahren recht stabil bei 20 %.
- Aber: Inzwischen sind auch sechs nutzenbewertete Orphan Drugs in Deutschland **nicht mehr verfügbar**,
- Zwei davon **mit belegtem (quantifizierbarem) Zusatznutzen** in der Erstbewertung.
- 5 dieser Marktrücknahmen erfolgten seit 2019.

**Jahrestherapiekosten von Orphan Drugs mit verhandeltem Erstattungsbetrag**  
Daten: DAK AMNOG-Report, 2011-2020



# AMNOG-Report 2022

## „Uneingeschränkte Nutzenbewertung“ bei Markteintritt ?

- + Möglicher positiver Effekt: Mehr Wissen für faire Preisbildung?
- + Möglicher positiver Effekt: Mehr Wissen bei Verordnungsentscheidungen durch Ärztinnen und Ärzte?
- Möglicher negativer Effekt: Erhöhtes Risiko für Marktrücknahmen?
- Möglicher negativer Effekt: Bei Marktrücknahme Import aus dem Ausland und „unregulierte“ selektive Erstattung?

### Vorschlag einer Einschränkung:

Weiterhin Zusatznutzenprivileg bei Orphan Drugs mit sehr kleiner Zielpopulation (z.B. <100 Patienten)



Zehn Jahre nach Inkrafttreten des Gesetzes zur frühen Nutzenbewertung ist es Zeit, **das Privileg des Zusatznutzens für Orphan Drugs abzuschaffen**. Auch Arzneimittel gegen seltene Leiden sollten bei Markteintritt eine **reguläre frühe Nutzenbewertung** gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie durchlaufen.

*IQWiG-Leiter Jürgen Windeler zum »fiktiven Zusatznutzen« der Orphan Drugs  
1'2022*

[https://www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite\\_58496.html](https://www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite_58496.html)

Lösungsoption	Umsetzungsherausforderung
Rückwirkender Erstattungsbetrag	Ja, ggf. Anreizproblem
Offenlegung von Forschungs- und Entwicklungskosten	Ja, ggf. Daten- und Definitionsproblem
Vertrauliche Preise	Ja, ggf. Transparenzbegehren
Interimspreis	Ja, ggf. Anreizproblem
Kosten-Nutzen-Analysen	Ja, ggf. Datenproblem
Flexiblere P4P-Verträge mit flexiblen Zahlmodelle (inkl. Anpassung Risikopool des Morbi-RSA)	Nein, zeitnahe Umsetzung wünschenswert
Klarstellung zum Preisbewertungshorizont von Einmaltherapien	Ja, ggf. Definitionsproblem

- 2020 mit vergleichsweise **wenig Neuzugängen**, aber vielen Zweitbewertungen. In 2021 wieder neuer Verfahrenshöchststand.
- Steigende Anzahl der Verfahren bei den Orphan Drugs bei **stark ansteigenden Preisen** / Therapiekosten.
- **Keine "einfachen" Lösungen** für die Festlegung der Erstattungspreise bei Orphan Drugs.
- Verbesserte Umsetzungsmöglichkeiten von **Pay-for-Performance-Verträgen** wären ggf. vergleichsweise einfach zu realisieren (Datenverfügbarkeit, Risikopool).
- Auch **vertrauliche Abschlüsse** für extrem hochpreisige Therapien können Marktverfügbarkeit in Konstellationen mit kleiner Zielpopulation sicherstellen.
- "Zusatznutzen-Privileg" auf **sehr seltene ("ultra rare") Krankheiten** bzw. Orphan Drugs begrenzen?

## Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit!

**Prof. Dr. Wolfgang Greiner und das Team des AMNOG-Reports**

Den AMNOG-Report 2022 finden Sie zum Download [hier](#).

Universität Bielefeld

Fakultät für Gesundheitswissenschaften

Gesundheitsökonomie und Gesundheitsmanagement

Postfach 10 01 31

D – 33501 Bielefeld