

Die Spreu vom Weizen trennen

Bei Orphan Drugs verfehlt der Gesetzgeber sein Ziel, den Preis eines neuen Arzneimittels an seinem Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie zu bemessen.

Wenn nicht mehr als fünf von 10 000 Menschen betroffen sind, gilt eine Erkrankung in der Europäischen Union als selten. Da es viele verschiedene seltene Erkrankungen gibt, leben der Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE) zufolge allein in Deutschland etwa vier Millionen Menschen mit einer der etwa 8 000 bekannten Seltenen Erkrankungen.

Arzneimittel zur Behandlung einer Seltenen Erkrankung, sogenannte Orphan Drugs, genießen eine Vorzugsbehandlung: Sie müssen in Deutschland zunächst nicht das reguläre Nutzenbewertungsverfahren durchlaufen. Vielmehr wird für diese Wirkstoffe bereits mit der Zulassung auf europäischer Ebene und dem darauffolgenden Marktzugang ein Zusatznutzen als belegt angenommen – unabhängig von der Datenlage. Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA)

Zulassung festgestellte Orphan-Drug-Status etwas über den Zusatznutzen des Arzneimittels aussagt. Denn wenn der Jahresumsatz mit einem solchen Wirkstoff die Schwelle von 30 Millionen Euro übersteigt, wird die reguläre Nutzenbewertung nachgeholt – und dann zeigt sich zwar in etwa der Hälfte der Fälle tatsächlich ein Zusatznutzen gegenüber der Standardtherapie, in der anderen Hälfte der Fälle aber nicht (*Tabelle*). Durch den lediglich qua Gesetz postulierten Zusatznutzen aller neuen Orphan Drugs verfehlt das Gesetz zur frühen Nutzenbewertung hier seinen Zweck, die Spreu vom Weizen zu trennen. Denn in der Hälfte der Fälle haben Ärztinnen und Ärzte womöglich Hoffnungen bei ihren Patientinnen und Patienten geweckt, die später enttäuscht wurden. Und in der anderen Hälfte der Fälle lassen sich die Orphan Drugs, die einen echten Fortschritt darstellen, kaum von denen ohne Zusatznutzen unterscheiden.

Die Fehlsteuerung bei den Orphan Drugs wirkt sich aber nicht nur auf die Patientenversorgung aus, sondern auch auf die Arzneimittelausgaben der gesetzlichen Krankenversicherung. So hat das IQWiG kürzlich eine Preisanalyse vorgelegt, die zeigt: Die reguläre Nutzenbewertung nach Überschreiten der Umsatzgrenze führt bei den meisten Orphan Drugs zu einer spürbaren weiteren Preissenkung für die Versicherungsgemeinschaft. Eine erste Preissenkung gegenüber dem Markteintrittspreis hat der GKV-Spitzenverband mit dem Hersteller in der Regel bereits nach der eingeschränkten Orphan-Bewertung verhandelt. Vereinzelt profitieren die Hersteller aber auch von höheren Preisen, wenn IQWiG und G-BA den neuen Wirkstoff in der regulären Nutzenbewertung positiv bewerten. Beides war mit der Einführung des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes (AMNOG) beabsichtigt – und ist für Orphan Drugs durch den initial vergebenen fiktiven Zusatznutzen zunächst nicht gewährleistet.

Fazit: Sowohl im Sinne der Patientinnen und Patienten als auch im Sinne der Beitragszahlerinnen und -zahler sollten auch Arzneimittel gegen seltene Leiden bereits bei Markteintritt das reguläre Nutzenbewertungsverfahren bei IQWiG und G-BA durchlaufen.

Jens Flintrop, IQWiG

Tabelle

Orphan Drugs in der G-BA-Bewertung

Ausmaß Zusatznutzen	Eingeschränkte Bewertung	Reguläre Nutzenbewertung
Geringerer Nutzen	–	–
Zusatznutzen nicht belegt	–	54 % (22)
Zusatznutzen nicht quantifizierbar	51 % (21)	15 % (6)
Geringer Zusatznutzen	32 % (13)	7 % (3)
Beträchtlicher Zusatznutzen	15 % (6)	22 % (9)
Erheblicher Zusatznutzen	2 % (1)	2 % (1)

Stand bis September 2021

muss also in seiner Bewertung einen Zusatznutzen feststellen. Ist dabei aufgrund unzureichender Daten keine Einordnung in die vorgegebenen Kategorien „gering“, „beträchtlich“ oder „erheblich“ möglich, muss er dem Wirkstoff einen „nicht quantifizierbaren“ Zusatznutzen attestieren, was häufig als „fiktiver“ Zusatznutzen bezeichnet wird. Erst wenn das Arzneimittel einen Jahresumsatz von 30 Millionen Euro überschreitet, erfolgt eine reguläre Nutzenbewertung durch das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) und den G-BA.

Begründet wird das Privileg des fiktiven Zusatznutzens mit der Annahme, dass die Entwicklung von Orphan Drugs sonst insgesamt nicht lukrativ sei, weil die Patientenkollektive und damit der Absatzmarkt der Produkte nach der Zulassung zu klein seien. Allerdings haben in den letzten Jahren mehrere Analysen, unter anderem des IQWiG, Zweifel an der Idee geweckt, dass der bei der europäischen