

**Stellungnahme der Vorsitzenden des Gemeinsamen
Bundesausschusses (GBA)**

vom 16.09.2026

zum Pharmadialog - Reform des AMNOG-Prozesses

Zu den vom Bundesministerium für Gesundheit (BMG) in der Sitzung des Pharma- und Medizintechnikdialoges Anfang September 2026 aufgeführten Vorschlägen zur Reform des AMNOG-Prozesses werden folgende Gesichtspunkte aufgegriffen und kommentiert:

1. Rolle des „unmet medical need“ bzw. des medizinischen Bedarfs im AMNOG-Verfahren

Die aktuellen gesetzlichen Vorgaben für die frühe Nutzenbewertung nach § 35a SGB V adressieren den „unmet medical need“ bzw. den medizinischen Bedarf nicht als ein eigenständiges Kriterium für die Bewertung des Zusatznutzens. Grund ist, dass im Gegensatz zu dem überwiegenden Anteil der HTA-Systeme in Europa mit der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V in Deutschland keine sog. 4. Hürde verbunden ist. Im Gegenteil besteht grundsätzlich eine unmittelbare Erstattungsfähigkeit und damit Zugang für Patientinnen und Patienten zu allen neu zugelassenen Arzneimitteln ab dem Zeitpunkt des Inverkehrbringens - verbunden mit einer freien Preisbildung in den ersten 6 Monaten für den pharmazeutischen Unternehmer. Eine im BMG angeregte ergänzende Einbeziehung des medizinischen Bedarfs müsste unter der Maßgabe konzipiert werden, auch weiterhin ein rechtssicheres und für die pharmazeutische Industrie planbares Verfahren sicherzustellen. Zusätzliche unverhältnismäßige bürokratische Aufwände müssen vermieden werden. Vor dem Hintergrund der unmittelbaren Erstattungsfähigkeit für alle neu zugelassenen Arzneimittel ab dem Zeitpunkt des Inverkehrbringens erschöpft sich die Zielsetzung der zusätzlichen Berücksichtigung des medizinischen Bedarfs im Ergebnis auf die Erstattungsbetragsverhandlungen und wird sich damit auf das Preisniveau der Arzneimittel auswirken, mit entsprechenden Kosteneffekten in Bezug auf die Arzneimittelausgaben in der GKV. Einspareffekte, die mit dem GKV-Beitragssatzstabilisierungsgesetz erreicht werden sollten, werden damit konterkariert.

2. Auswirkungen auf den zu erzielenden Bürokratieabbau

Bei Anlegen der im BMG-Konzept aufgeführten Zulassungskriterien fallen > 60 % der Verfahren zur Bewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen in den angedachten Sonderweg, bei dem eine erhöhte Datenunsicherheit in Kauf genommen werden soll. Dies stellt den Charakter des vorgestellten Konzeptes als eine „Ausnahmeregelung“ infrage. Zudem muss es nicht zuletzt vor dem Hintergrund der zwangsläufig damit verbundenen Kostensteigerungen bei den Arzneimittelausgaben kritisch hinterfragt werden. Hinzukommt, dass die vorgesehene zwingende Re-Bewertung nach 3-4 Jahren eine immense Steigerung der Verfahrenszahlen und entsprechende bürokratische Aufwände sowohl bei den pharmazeutischen Unternehmen als auch beim Gemeinsamen Bundesausschuss bedeutet. Die Notwendigkeit zur erneuten „regulären“ Bewertung eines Arzneimittels bei verändertem regulatorischem Status würde zu weiteren Zuwächsen in der Anzahl von Verfahren führen. Das Konzept erscheint daher insgesamt wenig geeignet, das Ziel des Bürokratieabbaus durch eine Reform des AMNOG-Verfahrens zu erreichen.

3. Auswirkungen auf die Planungs- und Rechtssicherheit des Verfahrens

Das vorgeschlagene Konzept erzeugt eine massive Ungleichbehandlung der pharmazeutischen Unternehmen. Es würden unterschiedliche Maßstäbe auf Endpunktebene gelten. Zwischen Verfahren in der gleichen Therapiesituationen würde es in Abhängigkeit des

Zulassungsstatus allein infolge des unterschiedlichen regulatorischen Status der Arzneimittel trotz vergleichbarer Datenlage und therapeutischer Relevanz der Ergebnisse zu unterschiedlichen Bewertungsentscheidungen bzw. Feststellungen zum Zusatznutzen von Arzneimitteln in demselben Anwendungsgebiet kommen. Dies würde nicht nur den Grundsätzen der Nutzenbewertung offensichtlich und eklatant widersprechen, sondern auch für Ärztinnen und Ärzte, Patientinnen und Patienten sowie alle weiteren Beteiligten im Gesundheitswesen, die Ergebnisse der frühen Nutzenbewertung weitergehend berücksichtigen, kaum noch nachvollziehbar sein. Gleichzeitig würde ein pharmazeutischer Unternehmer mit einer aussagekräftigeren Evidenzgrundlage und einer darauf basierend ausgesprochenen regulären Zulassung anhand strengerer Bewertungsmaßstäbe gemessen als ein pharmazeutischer Unternehmer mit weniger aussagekräftigen Studienergebnissen, auf deren Grundlage die EMA zunächst nur eine bedingte Zulassung ausgesprochen hat.

Darüber hinaus ist fraglich, ob das vorgestellte Konzept tatsächlich geeignet ist, um die Planungssicherheit der pharmazeutischen Industrie zu erhöhen. Die qualitative Einordnung von Evidenz bleibt unabhängig von methodisch validen Studienergebnissen mit einer wesentlich höheren Variabilität verbunden und lässt sich im Rahmen der Market Access Strategie kaum antizipieren. Während eine Bewertung der Ergebnisse klinischer Studien im AMNOG-Verfahren in Hinblick auf das Ausmaß und die Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens eines Arzneimittels für die pharmazeutischen Unternehmer weitestgehend absehbar ist, bleibt offen, in welcher Form und Umfang die vom FDZ erhobenen Daten zur Bestätigung patientenrelevanter Endpunkte dienen können zumal die vorläufig relevanten von den relevanten Endpunkten abweichen können und das Verhältnis zueinander im vorgestellten Konzept offen bleibt. Eine Umsetzung und Vorgabe „vorläufig patientenrelevanter Endpunkte“ könnte nicht ohne fundamentalen Eingriff in die dem GBA obliegende Bewertungsentscheidung vollzogen werden. Jedenfalls ist davon auszugehen, dass der FDZ-Datensatz bis auf Weiteres keine geeigneten Daten auch für ein „vereinfachtes“ Bewertungsverfahren im Sinne des BMG-Konzepts enthalten wird, da er derzeit maßgeblich auf Diagnose- und Abrechnungsdaten beruht. Den Nachteil hätten die pharmazeutischen Unternehmen, die somit praktisch im Zuge der obligaten Re-Bewertung auf die Heranziehung einer ungeeigneten Datengrundlage begrenzt würden.

Gleichzeitig bleibt der pharmazeutische Unternehmer wesentlich von der Aufrechterhaltung des besonderen regulatorischen Status für die Inanspruchnahme der Sonderregelung abhängig. Bei einer (zulassungsrechtlich intendierten) Überführung in eine reguläre Zulassung oder bei Entfallen des Orphan Drug Status wären erhebliche bürokratische Aufwände aufgrund der dann erforderlichen erneuten Nutzenbewertungen mit erneuten Preisverhandlungen unter dann potenziell veränderten Umständen mit einer neu bestimmten zweckmäßigen Vergleichstherapie zu befürchten.

Nicht zuletzt begegnen die angedachten Veränderungen der Stellungnahme- und Beteiligungsrechte für einen Teil oder Teilschritt des AMNOG-Verfahrens grundsätzlichen Bedenken. Die „Degradierung der Patientenvertretung“ auf ein Stellungnahmerecht wie auch der Ausschluss der betroffenen pharmazeutischen Unternehmen von Verfahren zur Entscheidungsfindung im GBA greifen in wesentliche und auch verfassungsrechtlich gebotene Strukturprinzipien der Selbstverwaltung ein. Patientenbeteiligung, Einbeziehung von Sachverstand und Betroffenenpartizipation sind durch die Patientenvertretung mit einem umfassenden Mitberatungsrecht einerseits und andererseits durch etablierte Stellungnahmeverfahren in dem existierenden gesetzlichen Rahmen hinreichend sichergestellt und durch die Rechtsprechung anerkannt. Rechtssicherheit und Akzeptanz eines bis dato nachvollziehbaren und transparenten Verfahrens würden infrage gestellt und sind klar abzulehnen.

Wesentliche und notwendige Aspekte für eine rechtssichere Ausgestaltung zur Berücksichtigung eines „unmet medicinal need“ auf unsicherer Datengrundlage sind im vorgestellten Konzept bisher nur unzureichend abgebildet:

- Unklare Abgrenzung der unterschiedlichen Zulassungskriterien zueinander als Tatbestandsmerkmal für das angedachte Sonderverfahren
- Unklarer Umgang mit Änderungen des regulatorischen Status im Lebenszyklus des Arzneimittels
- Unklares Verhältnis zu dem noch bestehenden Orphan Privileg und unklarer Umgang mit der Re-Bewertung nach Überschreitung der 30 Mio. € Umsatzschwelle
- Unklares Verhältnis der „vorläufig“ patientenrelevanten Endpunkte zu anerkannten patientenrelevanten Endpunkten sowohl in der Erstbewertung als auch der Re-Bewertung
- Unklare Rolle der Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie für die angedachte vergleichende Bewertung
- Unklares Verhältnis der Vorgabe zur Quantifizierung des Zusatznutzens zu den bestehenden Zusatznutzenkategorien und Verzahnung mit einer angedachten neuen Zusatznutzenkategorie

4. Möglicher alternativer Ansatz zur Berücksichtigung des medizinischen Bedarfs bei besonderen Therapiesituationen im AMNOG-Verfahren

Sollte tatsächlich die Notwendigkeit gesehen werden, die Berücksichtigung des medizinischen Bedarfs in bestimmten Fällen in das AMNOG-Verfahren einzubeziehen, wäre hierzu eine ergänzende Feststellung des GBA im Hinblick auf das Potential für einen therapielevanten Zusatznutzen besser geeignet, um Wertungswidersprüche und Ungleichbehandlungen zu vermeiden. So könnte die datenbasierte Nutzenbewertung durch den GBA/das IQWiG durch das Element einer qualitativen Bewertung durch den GBA ergänzt werden, um das mögliche Potential eines Arzneimittels in Bezug auf besondere Therapiesituation und dessen Einordnung in den Versorgungskontext zu adressieren. Für die qualitative Bewertung könnten sowohl alternative Endpunkte als auch indirekte Vergleiche mit erhöhter Unsicherheit einbezogen werden. In der Ausgangslage kommt die ergänzende Feststellung für ein Potential in Bewertungssituationen in Betracht, die auf Basis der bisherigen Regelungen und Bewertungsmaßstäbe in der Regel datenbasiert noch zu keinem Zusatznutzen führen würden. Sofern ausschließlich das Potential für einen therapielevanten Zusatznutzen und kein datenbasierter Zusatznutzen festgestellt werden kann, kann eine erneute Bewertung nach einem festgelegten Zeitraum sinnvoll sein, wobei es dem pharmazeutischen Unternehmer obliegen sollte zu entscheiden, welche Datengrundlage er für diese Re-Bewertung nutzen möchte.

Weitergehende Erläuterungen zum möglichen alternativen Ansatz sind auf S. 9 ff. dieser Stellungnahme enthalten.

Zu den oben aufgeführten Gesichtspunkten im Detail:

1. Rolle des „unmet medical need“ bzw. des medizinischen Bedarfs im AMNOG-Verfahren

Die aktuellen gesetzlichen Vorgaben für die frühe Nutzenbewertung nach § 35a SGB V adressieren den „unmet medical need“ bzw. den medizinischen Bedarf nicht als ein eigenständiges Kriterium für die Bewertung des Zusatznutzens. In anderen HTA-Systemen (z.B. Frankreich, Italien, Spanien), in denen die HTA-Bewertung gleichzeitig auch über die generelle Erstattungsfähigkeit des Arzneimittels entscheidet, finden Kriterien wie der Schweregrad der Erkrankung und das Fehlen von Behandlungsalternativen verschiedentlich Berücksichtigung. Im Gegensatz zu dem überwiegenden Anteil der HTA-Systeme in Europa ist mit der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V in Deutschland jedoch keine sog. 4. Hürde verbunden, sondern es besteht grundsätzlich eine unmittelbare Erstattungsfähigkeit und damit Zugang für Patientinnen und Patienten zu allen neu zugelassenen Arzneimitteln ab dem Zeitpunkt des Inverkehrbringens - verbunden mit einer freien Preisbildung in den ersten 6 Monaten für den pharmazeutischen Unternehmer. Diese Ausgangslage ist bei der Frage, ob und in welcher Form die Berücksichtigung des medizinischen Bedarfs in das AMNOG-Verfahren erforderlich ist, zu bedenken. Da die Dringlichkeit der Bereitstellung neuer Behandlungsalternativen nach der Zulassung insoweit in Deutschland keine vordergründige Rolle spielt, erschöpft sich die angestrebte Berücksichtigung des medizinischen Bedarfs im Ergebnis auf die Frage des Einflusses auf die anschließenden Erstattungsbetragsverhandlungen.

Wie bereits in der Stellungnahme des ehemaligen unparteiischen Vorsitzenden des GBA Prof. Josef Hecken vom 12. Januar 2026 zum Pharma Dialog ausgeführt, kann es spezifische Therapiesituationen geben, in denen die Generierung von aussagekräftiger Evidenz mit besonderen und ggf. unverhältnismäßigen Herausforderungen verbunden sein kann. In diesen Fällen könnte eine zusätzliche Betrachtung des medizinischen Bedarfs der jeweiligen Indikation in der Nutzenbewertung mit entsprechenden Auswirkungen auf die Feststellung zum Vorliegen eines Zusatznutzens eine Flexibilisierung der nachfolgenden Preisverhandlungen ermöglichen. Die Einbeziehung jeglicher qualitativer Entscheidungsfaktoren im AMNOG-Verfahren muss jedoch unter der Maßgabe erfolgen, auch weiterhin ein rechtssicheres und für die pharmazeutische Industrie in seinen Auswirkungen planbares Verfahren sicherzustellen, ohne zusätzlich unverhältnismäßige bürokratische Aufwände zu erzeugen.

2. Auswirkungen auf den zu erzielenden Bürokratieabbau

Das Konzept des BMG sieht vor für Arzneimittel, die eine bedingte Zulassung oder eine Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen erhalten haben, denen ein Orphan Drug Status zugewiesen wurde, die im Rahmen eines beschleunigten Zulassungsverfahrens evaluiert wurden oder durch die EMA in das PRIME-Verfahren eingeordnet wurden, ein neues Sonderverfahren innerhalb der AMNOG-Systematik zu etablieren, bei dem eine Berücksichtigung „vorläufig“ patientenrelevanter Endpunkte sowie der bestverfügbaren Evidenz, sofern diese Grundlage der Zulassung war, für die Nutzenbewertung zwingend vorgeschrieben werden soll.

Die generelle Orientierung an den Zulassungsarten und -verfahren ist als Ausgangspunkt zwar nachvollziehbar, jedoch bilden diese im Ergebnis nicht alleinig Therapiesituationen mit einem hohen medizinischen Bedarf und damit einer besonderen Dringlichkeit für neue Therapiealternativen ab. So ist zwar der medizinische Bedarf die Voraussetzung für die

Erteilung einer bedingten Zulassung, gleichzeitig spiegelt sie eine zum Zeitpunkt der Zulassung noch unzureichende Evidenzgrundlage für eine reguläre Zulassung wider, die regelhaft mit der Auflage zur Vorlage weiterer Evidenz aus vergleichenden RCTs verknüpft wird. Es gibt diverse Beispiele für den nachträglichen Widerruf einer bedingten Zulassung, da die Ergebnisse der einarmigen Zulassungsstudien durch Versorgungsdaten oder im Rahmen von vergleichenden Phase III-Studien nicht bestätigt werden konnten (z.B. Crizanlizumab, Obeticholsäure, Olaratumab u.a.). Mit dem Ziel auch in Zukunft eine qualitativ hochwertige Versorgung sicherzustellen, ist es daher durchaus kritisch zu hinterfragen, wenn das Vorliegen einer nicht aussagekräftigen Evidenzgrundlage zum Zeitpunkt der Zulassung über die gesetzliche Vorgabe zur Akzeptanz höherer Datenunsicherheiten in der Nutzenbewertung incentiviert würde. Auch die Ausweisung des Orphan Drug Status basiert nicht allein auf einem „unmet medical need“, sondern bezieht auch den „significant benefit“ gegenüber bestehenden Therapiealternativen mit ein. So gibt es zahlreiche Orphan Drug Indikationen, für die bereits verschiedene neue - und zumeist auch hochpreisige - Arzneimittel in der Versorgung zur Verfügung stehen. Bei bestehenden Therapiealternativen, die für eine vergleichende klinische Studie infrage kommen, ist die besondere Dringlichkeit für weitere Therapieoptionen fraglich und damit auch die Erforderlichkeit der Akzeptanz höherer Unsicherheiten in der Evidenzgrundlage. In diesen Situationen wird die Zulassung von Arzneimitteln basierend auf einarmiger Evidenz auch von den medizinischen Fachgesellschaften kritisch hinterfragt. Selbst Auswertungen der EMA zeigen, dass > 60 % der erteilten Orphan Drug Stati auf der Erwartung eines „significant benefit“ gegenüber bestehenden Behandlungsoptionen basieren und nicht durch den Umstand eines „no satisfactory method“ in der zu betrachtenden Therapiesituation begründet sind.¹

Bei Betrachtung der Zulassungsentscheidungen in den letzten drei Jahren ergibt sich unter Berücksichtigung der jährlichen Berichte der EMA, dass bei Anlegen der oben genannten Zulassungskriterien > 60 % der Verfahren zur Bewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen betroffen wären (siehe Tabelle in [Anhang I](#)). Dies stellt den Charakter des vorgestellten Konzeptes als eine „Ausnahmeregelung“ infrage; erneute Kostensteigerungen bei den Arzneimittelausgaben sind vor diesem Hintergrund erwartbar. Hinzukommt, dass die vorgesehene zwingende Re-Bewertung nach 3-4 Jahren eine immense Steigerung der Verfahrenszahlen und entsprechende bürokratische Aufwände sowohl bei den pharmazeutischen Unternehmen als auch beim Gemeinsamen Bundesausschuss bedeutet.

Die fehlende Abgrenzung der unterschiedlichen Zulassungskriterien zueinander und der Umgang mit Änderungen des regulatorischen Status im Lebenszyklus des Arzneimittels sind weitere Punkte, die noch ungeklärt scheinen. Denn beschleunigte Zulassungsverfahren und das PRIME-Verfahren münden in Teilen in eine bedingte Zulassung oder eine Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen und die jeweiligen Arzneimittel können wiederum einen Orphan Drug Status erhalten. Gleichzeitig ist die bedingte Zulassung darauf angelegt, in eine reguläre Zulassung nach Einreichung ausstehender Daten aus laufenden klinischen Studien umgewandelt zu werden und der Orphan Status kann beispielsweise bei Zulassung weiterer Anwendungsgebiete aberkannt oder aufgrund strategischer Entscheidungen des pharmazeutischen Unternehmers zurückgenommen werden. Die Notwendigkeit zur erneuten „regulären“ Bewertung eines Arzneimittels allein aufgrund des veränderten regulatorischen Status würde zu weiteren Zuwächsen in der Anzahl von Verfahren führen und wäre zudem noch mit inhaltlichen Wertungswidersprüchen verbunden. Auch die Verzahnung mit dem

¹ Orphan medicines figures 2000 – 2025, letztes Update: 3. März 2026; <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/orphan-designation-overview>

noch bestehenden Orphan Privileg und das Vorgehen nach Überschreitung der 30 Mio. € Umsatzschwelle ist in dem vorgestellten Konzept vollständig offengeblieben.

3. Auswirkungen auf die Planungs- und Rechtssicherheit des Verfahrens

Seitens des BMG wurde in der Sitzung am 3. September 2026 ausgeführt, dass das Ziel des vorgestellten Konzeptes die Verbesserung der Planungssicherheit für die pharmazeutische Industrie sei. Vorweg möchte ich darauf hinweisen, dass das AMNOG-Verfahren in seiner derzeitigen Ausgestaltung aufgrund seiner umfassenden Transparenz von einer hohen Planungssicherheit für die pharmazeutische Industrie geprägt ist. Dabei darf Planungssicherheit jedoch nicht in dem Sinne ausgelegt werden, dass der GBA verpflichtet wird für > 60 % der neu zugelassenen Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen im AMNOG-Verfahren per se das Vorliegen eines Zusatznutzens festzustellen, und zwar unabhängig davon, welchem Evidenzgrad, die durch den pharmazeutischen Unternehmer erhobenen Daten entsprechen. Dies schafft gravierende negative Anreize in Bezug auf die Planung und Aussagekraft von klinischen Studien für die Zulassung und HTA-Bewertung – und schadet letztlich wie bereits beschrieben der Qualität der Arzneimittelversorgung nicht nur in Deutschland.

Das Konzept des BMG sieht vor, dass der primäre Endpunkt der zulassungsbegründenden Studie als „vorläufig“ patientenrelevant anerkannt würde. Dies führt zu erheblichen inhaltlichen Wertungswidersprüchen in der Bewertung von Arzneimitteln, wenn unterschiedliche Maßstäbe auf Endpunktebene zwischen den Verfahren in der gleichen Therapiesituationen in Abhängigkeit des Zulassungsstatus gelten und bei vergleichbarer Datenlage in unterschiedlichen Bewertungsentscheidungen resultieren würden. Dies würde nicht nur den Grundsätzen der Nutzenbewertung widersprechen, sondern auch die Nachvollziehbarkeit der Beschlüsse nachhaltig in Frage stellen. Gleichzeitig führt es zu einer massiven Ungleichbehandlung derjenigen pharmazeutischen Unternehmen, die eine reguläre Zulassung in demselben Anwendungsgebiet aufgrund einer aussagekräftigeren Evidenzgrundlage erhalten.

Unklar bleibt auch wie sich das Verhältnis der „vorläufig“ patientenrelevanten Endpunkte zu solchen als patientenrelevant anerkannten Endpunkten verhalten soll, wenn positive Effekte für beide Arten von Endpunkten vorliegen. Genauso ist unklar geblieben, wie mit den „vorläufig“ patientenrelevanten Endpunkten umzugehen ist, wenn sich der Zulassungsstatus des Arzneimittels verändert. Auch wurde aus dem vorgestellten Konzept nicht klar, ob bei der angedachten Re-Bewertung auf Basis von versorgungsnahen Daten die „vorläufig“ patientenrelevanten Endpunkte betrachtet werden sollen oder auf anerkannte patientenrelevante Endpunkte abgestellt wird.

Weiterhin sieht das Konzept des BMG eine verpflichtende Bewertung der jeweils bestverfügbaren Evidenz vor, sofern diese Grundlage der Zulassung ist. Diese Bewertung soll entsprechend der Erläuterungen des BMG dann vergleichend erfolgen und auch qualitative Betrachtungen einarmiger Daten oder nicht adjustierter indirekter Vergleiche beinhalten. Dabei soll das Ergebnis zwingend eine Quantifizierung des Zusatznutzens darstellen. Offengeblieben ist, ob diese vergleichende Bewertung gegenüber einer festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie durchgeführt werden soll.

Generell ist anzumerken, dass jegliche vergleichende, qualitative Einordnung von nicht direkt-vergleichender Evidenz gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie zwangsläufig mit einer entsprechenden Vorlageverpflichtung, z.B. zu indirekten Vergleichen, zu verknüpfen ist. Zudem ergäbe sich aus der Vorgabe der vergleichenden Bewertung folgerichtig, dass der GBA bei seiner Bewertung auch bei Vorgabe der zwingenden Quantifizierung des Zusatznutzens

die Möglichkeit der Feststellung eines nicht belegten Zusatznutzens haben müsste. Andernfalls ergäben sich jenseits der Frage der Patientenrelevanz in Abhängigkeit der konkreten Studieneffekte und etwaiger methodischer Unsicherheiten bei der Endpunkterhebung wiederum gravierende Wertungswidersprüche zwischen den Nutzenbewertungsverfahren insgesamt.

Jedenfalls ist festzustellen, dass eine qualitative Einordnung der vorgelegten bestverfügbaren Evidenz weder unmittelbar den bestehenden Zusatznutzenkategorien zugeordnet noch auf Ebene der Preisverhandlungen entsprechend honoriert werden kann, wie es derzeit für einen datenbasiert festgestellten Zusatznutzen der Fall ist. Ansonsten würde das Prinzip einer nutzenbasierten Preisbildung im AMNOG-Verfahren auf der Grundlage konsistenter Bewertungsentscheidungen im Vergleich der verschiedenen zu bewertenden Wirkstoffe vollständig ausgehöhlt. Daher bleibt auch unklar, wie die Vorgabe der durchzuführenden Quantifizierung des Zusatznutzens gemeint ist, sofern für die qualitative Einordnung entsprechend des BMG eine eigene Zusatznutzenkategorie „unter erhöhter Ergebnisunsicherheit“ vorgesehen ist. Auch die angedachte Re-Bewertung anhand von versorgungsnahen Daten darf nicht zur Folge haben, dass ein auf Basis „vorläufig“ patientenrelevanter Endpunkte postulierter Zusatznutzen bei Akzeptanz erhöhter Unsicherheiten einer bestehenden Zusatznutzenkategorie zuzuordnen wäre. Die Betrachtung versorgungsnaher Daten im Rahmen der Zusatznutzenbewertung kann eine reguläre Nutzenbewertung nicht ersetzen und muss sich angesichts der oben dargestellten Risiken im Hinblick auf Wertungswidersprüche und Ungleichbehandlungen im Verfahren hiervon abgrenzen.

Diesbezüglich bleibt festzustellen, dass das vorgestellte Konzept jedenfalls nicht geeignet ist eine weitergehende Planungssicherheit für die pharmazeutische Industrie zu bieten. Selbst bei Vorgabe zu berücksichtigender Kriterien für die Durchführung der qualitativen Einordnung der bestverfügbaren Evidenz lässt sich diese im Rahmen der Market Access Strategie kaum antizipieren. Auch Änderungen des regulatorischen Status des Arzneimittels sind aufgrund der Abhängigkeit zur EMA-Entscheidung schwierig zu antizipieren mit ihren Folgen für das Nutzenbewertungsverfahren und die sich daraus ergebenden Auswirkungen auf den Erstattungspreis potenziell massiv.

Hinzukommt, dass auch die Nutzung versorgungsnaher Daten nicht geeignet erscheint, die Planungssicherheit der pharmazeutischen Unternehmen zu erhöhen. Es ist davon auszugehen, dass der Datensatz des FDZ bis auf Weiteres keine geeigneten Daten auch für ein „vereinfachtes“ Bewertungsverfahren im Sinne des BMG-Konzepts enthalten wird, da er derzeit maßgeblich auf Diagnose- und Abrechnungsdaten beruht. So finden sich keinerlei Endpunktdefinitionen in Abhängigkeit der zu betrachtenden Indikation in dem Datensatz und die Untersuchung klinischer Effekte ist derzeit nicht möglich. Dies wird sich auch durch die demnächst anstehende Verzahnung des FDZ mit der ePA vorerst nicht ändern. Darüber hinaus soll die angedachte Sonderregelung des BMG besondere Therapiesituationen adressieren, welche häufig sehr seltene Erkrankungen betreffen und für die voraussichtlich keine differenzierten Diagnosecodes verfügbar sind, um die relevante Patientengruppe sachgerecht zu erfassen. Wie bereits in verschiedenen Stellungnahmen u.a. zum geplanten Medizinregistergesetz ausgeführt, muss der Ausgangspunkt der Nutzung versorgungsnaher Daten zuallererst die Eignung des zu betrachtenden Datensatzes für die zu beantwortende Fragestellung sein. Es ist nicht möglich die Fragestellung in Abhängigkeit der vorhandenen Daten anzupassen, was auch nicht durch die Etablierung neuer Methoden für die qualitative Einordnung dieser Daten geheilt werden kann.

4. Möglicher alternativer Ansatz zur Berücksichtigung des medizinischen Bedarfs bei besonderen Therapiesituationen im AMNOG-Verfahren

Aus meiner Sicht sollte sich die angedachte Reform des AMNOG-Verfahrens an folgenden Grundpfeilern orientieren:

- Vermeidung der Erhöhung der Komplexität des Verfahrens durch gleiche Grundvoraussetzungen für alle oder zumindest den überwiegenden Anteil der zu bewertenden Wirkstoffe
- Bürokratieabbau durch Verzicht auf Verfahren ohne relevanten Erkenntnisgewinn durch die Durchführung einer Nutzenbewertung
- Sicherstellung eines Verfahrens, welches gerichtsfest ist und die langfristige Preisregulierung im patentgeschützten Arzneimittelmarkt ermöglicht, ohne den Zugang für die Patientinnen und Patienten einzuschränken
- Beibehaltung des Erhalts der Transparenz und Nachvollziehbarkeit des Verfahrens als relevante Informationsgrundlage in der Versorgung einerseits sowie im Sinne der Planungssicherheit für die pharmazeutische Industrie andererseits

Unter Berücksichtigung dieser Grundpfeiler zeigen die oben dargestellten Problemstellungen die wesentlichen Schwierigkeiten und Unstimmigkeiten in dem vom BMG vorgestellten Konzept auf. Daher sollte in einem ersten Schritt evaluiert werden, ob nicht die initial diskutierten möglichen Änderungen in Bezug auf den Verzicht auf Nutzenbewertungen bei Diagnostika und PIP-Zulassungen, Verfahrensreduktionen durch die Umgestaltung des Orphan Drug Privilegs und ggf. eine Festlegung zur deskriptiven Darstellung der zulassungsbegründenden Evidenz die notwendigen Zielsetzungen einer AMNOG-Reform bereits erreichen können. Zu diesen Aspekten liegen Ihnen bereits Stellungnahmen des ehemaligen unparteiischen Vorsitzenden Prof. Josef Hecken vor.

Sollte weiterhin die Notwendigkeit gesehen werden, die Berücksichtigung des medizinischen Bedarfs in bestimmten Fällen in das AMNOG-Verfahren einzubeziehen, erscheint dies nur sinnvoll als Ersatz für das Orphan Privileg. Verschiedene Sonderwege nebeneinander bestehen zu lassen, erhöht die Komplexität des Verfahrens deutlich und führt in der Folge zu Rechts- und Planungsunsicherheiten aufgrund unklarer Regelungskreise bei gleichem Tatbestandsmerkmal.

In Bezug auf eine Berücksichtigung des medizinischen Bedarfs erscheint folgender Ansatz besser geeignet, Wertungswidersprüche und Ungleichbehandlungen zu reduzieren und dabei auch den notwendigen bürokratischen Aufwand auf ein sinnvolles Maß einzugrenzen:

Für spezifische Therapiesituationen, bei denen ein erhöhter medizinischer Bedarf für die Behandlung der Patientinnen und Patienten bestehen kann, prüft der GBA ergänzend zur Bewertung des datenbasierten Zusatznutzens, ob bezogen auf den nationalen Versorgungskontext ein Potential für einen therapielevanten Zusatznutzen besteht. Als Aufgreifkriterien bieten sich unter Berücksichtigung der Zulassungsdefinition ein beschleunigtes Zulassungsverfahren, die Einbeziehung in das PRIME-Verfahren oder die Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen an. Für die beschleunigten Zulassungsverfahren und die Einbeziehung in das PRIME-Verfahren stellt eine medizinische Versorgungslücke ein relevantes Kriterium dar. Bei Zulassungen unter außergewöhnlichen Umständen kann im ersten Zugriff ebenso von einer besonderen Therapiesituation ausgegangen werden, bei der höherwertige Evidenz absehbar nicht generiert werden kann. Sofern auch Orphan-Arzneimittel einbezogen werden sollen, sollte dies auf diejenigen Arzneimittel beschränkt werden für die „no satisfactory method“ im Sinne von Art. 3 Nummer

1 Buchstabe b) 1. Alternative der VO (EC) 141/2000 für die Vergabe des Orphan Drug Status festgestellt wurde.

Für alle Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen wird weiterhin die datenbasierte Nutzenbewertung durch den GBA/das IQWiG unter Berücksichtigung der Standards der evidenzbasierten Medizin und der methodischen Gleichbehandlung der Verfahren in Bezug auf die Akzeptanz von Endpunkten und Studien durchgeführt. Ergänzend dazu kann für die oben adressierten spezifischen Therapiesituationen eine qualitative Prüfung der Daten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie durch den GBA erfolgen. In diesem Zusammenhang können alternative Endpunkte und indirekte Vergleiche herangezogen werden (mit ggf. einer höheren Akzeptanzschwelle von Unsicherheiten u.a. bei indirekten Vergleichen, einer uneindeutigen Patientenrelevanz von Endpunkten oder Validität von Surrogatendpunkten). Klinische Einschätzungen des Arzneimittels durch die medizinischen Fachkreise zum Stellenwert in der Versorgung können einfließen. Die Vorgehensweise bei der qualitativen Betrachtung regelt der GBA in seiner Verfahrensordnung. Die ergänzende Feststellung für das Vorliegen eines Potentials kommt nur dann in Betracht, wenn datenbasiert kein Zusatznutzen festgestellt wird. Ergibt sich für ein Arzneimittel, dass ein Zusatznutzen nicht belegt ist, aber das Potential für eine bedeutende Verbesserung der Therapie für Patientinnen und Patienten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie besteht, stellt der GBA ein Potential für einen therapielevanten Zusatznutzen fest. In diesen Fällen sollte eine erneute Bewertung nach einem festgelegten Zeitraum vorgesehen werden. Die Re-Bewertung sollte auf Basis einer vom pharmazeutischen Unternehmer frei wählbaren Datengrundlage erfolgen. Davon unabhängig sollte es dem pharmazeutischen Unternehmer weiterhin freistehen - bei entsprechender Datenlage - einen Antrag auf Neubewertung wegen neuer wissenschaftlicher Kenntnisse für den Nachweis eines datenbasierten Zusatznutzens stellen zu können. Die initiale Feststellung eines Potentials für einen Zusatznutzen und/oder das Ergebnis der Re-Bewertung sollte mit Maßgaben für die Preisverhandlungen verbunden werden, die auf eine angemessene Preisgestaltung im Verhältnis der Feststellungen zum Zusatznutzen abzielen und sachangemessen unterscheiden zwischen „ein Zusatznutzen ist nicht nachgewiesen“, „Potential für einen therapielevanten Zusatznutzen“ und „ein Zusatznutzen ist differenziert nach Ausmaß und Wahrscheinlichkeit datenbasiert nachgewiesen“.

Dr. Sonja Optendrenk
Unparteiische Vorsitzende des GBA

Anhang I: Anzahl der Verfahren, die unter die Tatbestandsvoraussetzungen des angedachten Sonderverfahrens nach Zulassungskriterien fallen²

Zulassungsart/-verfahren	2023	2024	2025
Alle Zulassungen mit neuen Wirkstoffen	39	46	38
Davon:			
Orphan Drug	17	14	16
Bedingte Zulassungen	8	8	8
Zulassungen unter außergewöhnlichen Umständen	1	5	3
PRIME-Verfahren	3	6	4
Beschleunigte Zulassungsverfahren	3	3	3
Prozentualer Anteil der Verfahren zu neuen Wirkstoffen ¹	26/39 (66,6 %) – 32/39 (82,1 %)	27/46 (58,7 %) – 36/46 (78,3 %)	27/38 (71,1 %) – 34/38 (89,5 %)
¹ Die untere Spanne des prozentualen Anteils ergibt aus dem Anteil der Verfahren zu Orphan Drugs, bedingten Zulassungen und Zulassungen unter außergewöhnlichen Umständen im Verhältnis zu der Gesamtzahl der Verfahren zu neuen Wirkstoffen. Die obere Spanne ergibt sich durch die zusätzliche Hinzunahme der PRIME-Verfahren und beschleunigten Zulassungsverfahren.			

² EMA annual report 2023, 2024 und 2025; Annex 10: CHMP opinions on initial evaluations and extensions of therapeutic indication; <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/annual-reports-work-programmes>