



KASSENÄRZTLICHE
BUNDESVEREINIGUNG

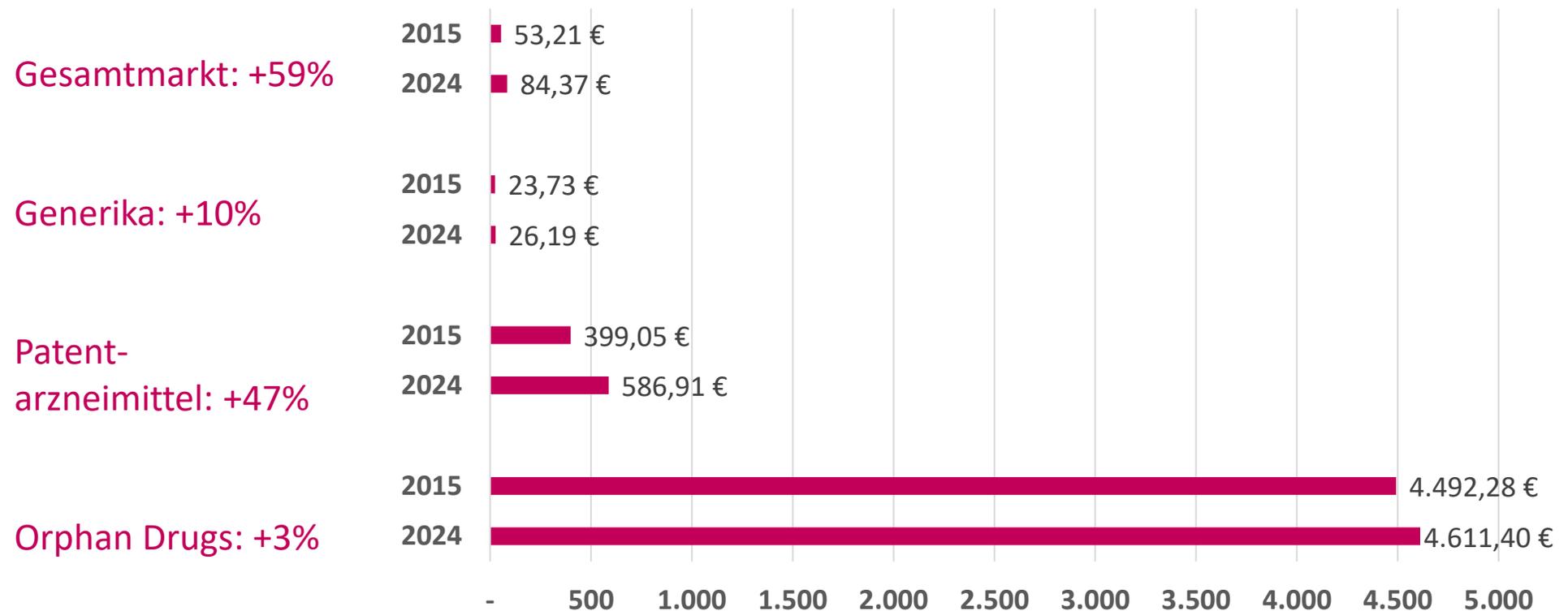
ARZNEIMITTELINNOVATIONEN UND KOSTENDÄMPFUNG: EIN WIDERSPRUCH? DAK-AMNOG-REPORT 2025 ONLINE-VERANSTALTUNG, 13. MAI 2025

DR. SIBYLLE STEINER
MITGLIED DES VORSTANDS



Kostenentwicklung bei Arzneimitteln

Durchschnittlicher Umsatz in Euro je Arzneimittelpackung in Euro 2015 und 2024
 Gesamtmarkt, Generika, Patentarzneimittel und Orphan Drugs (ohne Zubereitungen)



Quelle: Zi, AVD-Portal; Klassifikation nach Insight Health

Herausforderungen für das AMNOG-Verfahren

- › Medizinischer Fortschritt
- › Individualisierte Medizin
- › Kürzere Innovationszyklen
- › „Zusatznutzenfiktion“ bei Orphan Drugs
- › Mangelnde Vergleichbarkeit von „AMNOG-Arzneimitteln“ untereinander (Festlegung zVT)
- › Berücksichtigung der Versorgungsrelevanz und Versorgungsperspektive aus ärztlicher Sicht
- › Kostenwirksamkeit des Verfahrens zunehmend unter Druck
- › Mehraufwand für Ärztinnen und Ärzte durch neue Erhebungsinstrumente

Reformbedarf des AMNOG-Verfahrens

Aufrechterhaltung des besonderen Status von Orphan Drugs überprüfen

- › Erweiterung der Evidenzgenerierung bei Orphans
- › Aufrechterhaltung Sonderstatus bei Ultra Orphans (first in class - high unmet medical need)

Potenzielle Risiken

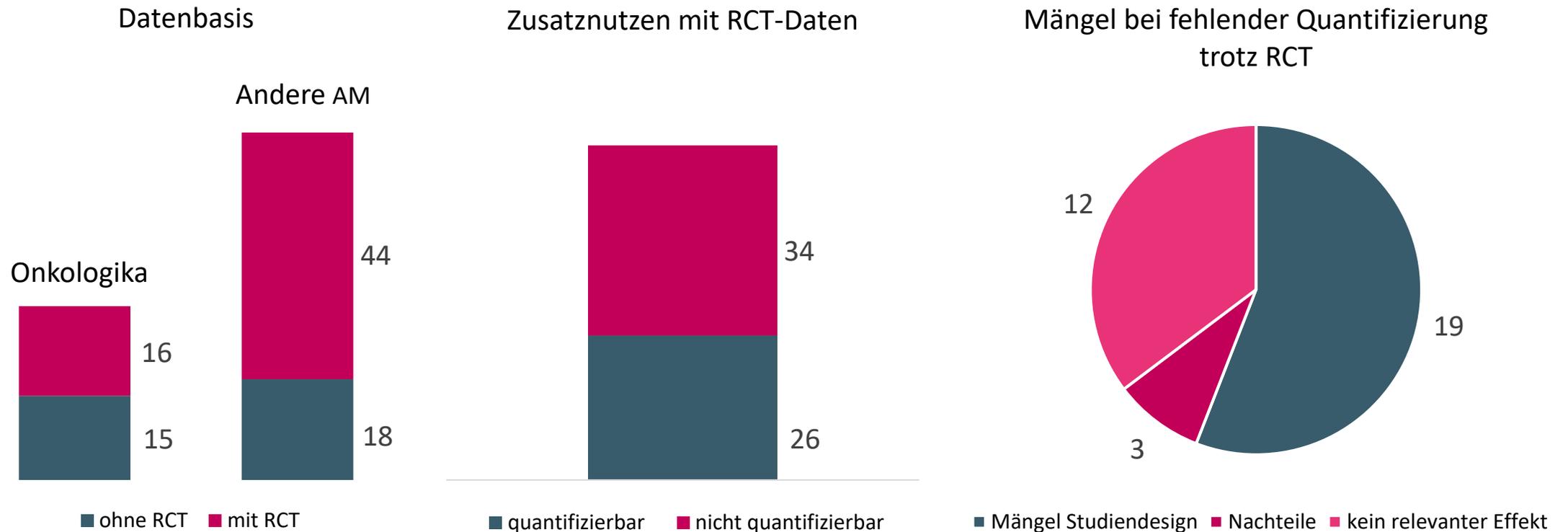
- › Studiendauer und statistische Aussagefähigkeit bei sehr kleinen Patientengruppen
- › Entscheidung einzelner pU gegen Markteinführung in Deutschland
- › Einschränkung von Therapieoptionen für seltene Erkrankungen

Orphan Drugs im Jahr 2024: die 20 umsatzstärksten

Wirkstoff	Arzneimittel	Anzahl Packungen	Umsatz in Mio. €	Umsatz je Packung in €
Tafamidis	Vyndaqel®	36.181	458,8	12.681
Ivacaftor, Tezacaftor und Elexacaftor	Kaftrio®	35.719	385,6	10.797
Daratumumab	Darzalex®	59.472	342,6	5.761
Ibrutinib	Imbruvica®	64.019	321,3	5.020
Ivacaftor	Kalydeco®	24.640	200,7	8.144
Nintedanib	Ofev®	68.478	182,7	2.668
Olaparib	Lynparza®	39.136	176,4	4.507
Venetoclax	Venclyxto®	46.879	172,0	3.669
Nilotinib	Tasigna®	16.409	110,9	6.756
Efgartigimod alfa	Vyvgart®	6.628	87,3	13.169
Burosumab	Crysvita®	13.659	76,9	5.630
Lanadelumab	Takhzyro®	1.553	72,0	46.367
Romiplostim	Nplate®	27.407	68,1	2.483
Vosoritid	Voxzogo®	10.402	67,1	6.448
Asfotase alfa	Strensiq®	1.687	65,0	38.546
Pomalidomid	Imnovid®	7.603	64,7	8.513
Migalastat	Galafold®	2.686	50,4	18.774
Vutrisiran	Amvuttra®	586	48,7	83.059
Niraparib	Zejula®	9.292	47,5	5.108
Summe		472.436	2.998,6	6.347
Anteil am Gesamtmarkt		0,0617%	4,64%	

Ergebnisse der Nutzenbewertungen von Orphan Drugs

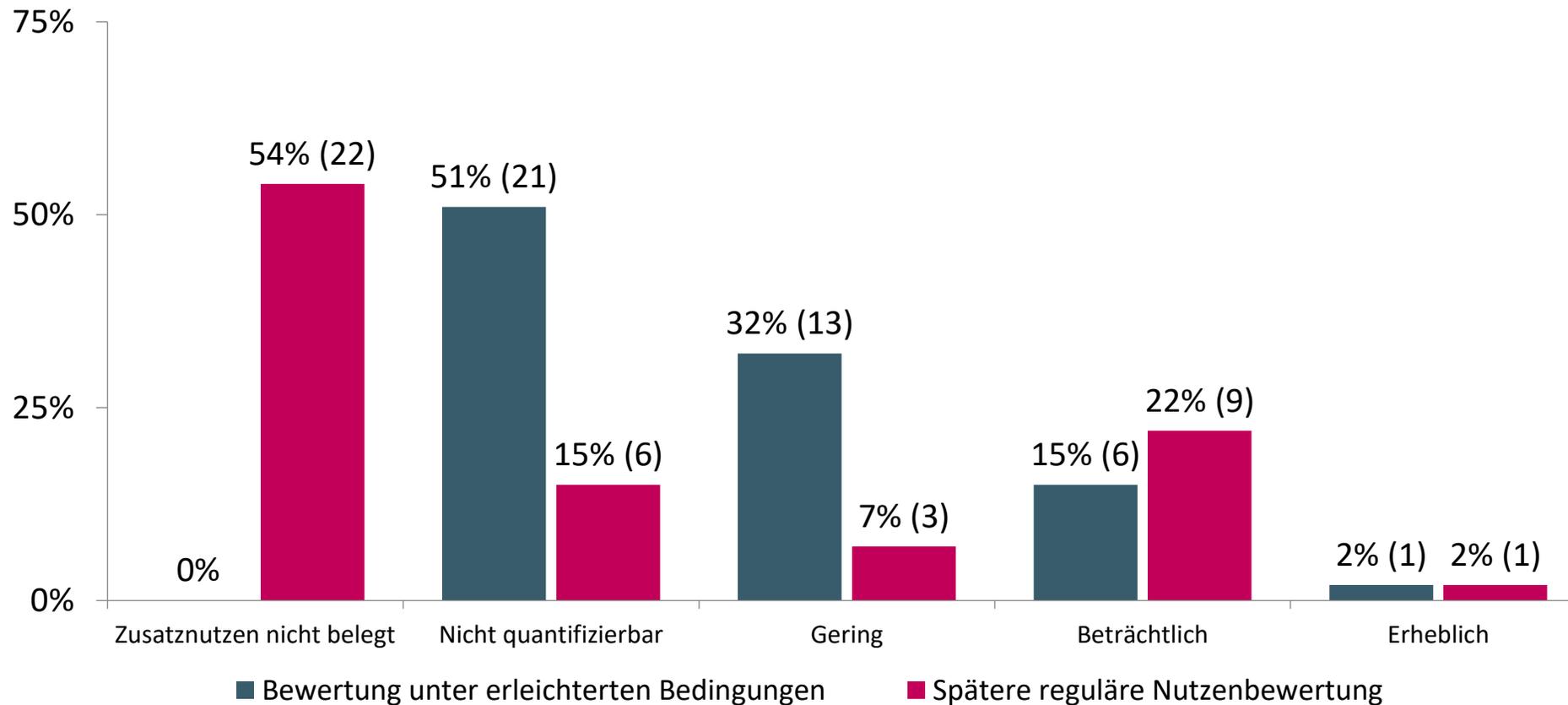
Bewertungen unter erleichterten Bedingungen von 2020 bis 2024 (Verfahrenseinleitung)



Quelle: <https://www.g-ba.de/>

Ergebnisse der Nutzenbewertungen von Orphan Drugs

Orphan Drugs mit Überschreitung der Umsatzschwelle (50 Mio. Euro) von 2011 bis 2021



Quelle: IQWiG (<https://www.iqwig.de/projekte/ga21-01.html>)

Reformbedarf des AMNOG-Verfahrens

Rolle und Bedeutung der zweckmäßigen Vergleichstherapie (zVT)

- › Grundsatz: Dynamische Definition muss möglich sein.
 - › Berücksichtigung von Innovationen
 - › Anpassung der zVT, um aktuellen Therapiestandard abzubilden
 - Bsp. Finerenon (Kerendia®) bei Niereninsuffizienz
- ➡ Führt potenziell zu einer schlechteren Bewertbarkeit der Evidenz.

versus

- › Beibehalten etablierter zVT
- › Bewertbare Evidenzgrundlage und Vergleichbarkeit von Arzneimitteln untereinander
- › Berücksichtigung der tatsächlichen Versorgungslage bei in der Praxis etablierten Therapien (auch ggf. unter Berücksichtigung OLU)

Reformbedarf des AMNOG-Verfahrens

Stärkere Berücksichtigung der Versorgungsrelevanz u. -perspektive

- › Einbeziehung klinisch relevanter Endpunkte
 - › Bsp. Sparsentan (Filspari®) zur Behandlung von Immunglobulin A-Nephropathie
 - derzeit keine Einbeziehung von Laborparametern ohne direkten Symptombefund

Reformbedarf des AMNOG-Verfahrens

Verbesserung der Datenqualität

- › Anwendungsbegleitende Datenerhebungen (AbD) haben Erwartungen nicht erfüllt
 - › Aufwand-Nutzen-Verhältnis
 - › lange Verfahrensdauern

- › Alternative: qualitativ hochwertige Dateninfrastruktur
 - › Registerbasierte RCTs (randomisierte kontrollierte klinische Studien)
 - › Indikationsregister mit Versorgungsdaten
 - Bisherige Beschränkungen etablierter Register u.a.:
 - Keine ausreichende Erhebung patientenrelevanter Endpunkte u. unerwünschter Ereignisse
 - Vollständigkeit der Daten nicht gewährleistet
 - › Aber: Kein Direktzugriff auf Daten aus PVS und kein zusätzlicher Dokumentationsaufwand, der knappe Zeit für die Versorgung von Patientinnen und Patienten raubt!

Fazit

- › Evidenz-basierter Zugang zu neuen Arzneimitteln erhalten
- › Auch für seltene Leiden muss es zukünftig (evidenzbasierte) Therapieoptionen geben
- › Rolle der Selbstverwaltung stärken: bewährte kooperative Arbeitsteilung
- › Akzeptanz der AMNOG-Bewertungen erhöhen bei gleichzeitiger Vermeidung zusätzlicher Dokumentationspflichten
- › EU-HTA: Weitere Verzahnung mit dem bestehenden AMNOG-Verfahren

➡ Das AMNOG muss praxistauglicher werden!

Zukunftsperspektive

- › Unterstützung durch KI
 - › Analyse von Studiendaten
 - › Erkennen von Risiken
 - › Identifikation unerwarteter Wechsel- u. Nebenwirkungen (AMTS-relevante Aspekte)

**DEUTSCHLAND MUSS
#PRAXENLAND BLEIBEN**

Praxenland.de