



**Gemeinsamer  
Bundesausschuss**

# **Blinde Flecken im AMNOG-Verfahren**

**DAK im Dialog digital: AMNOG-Report 2024**

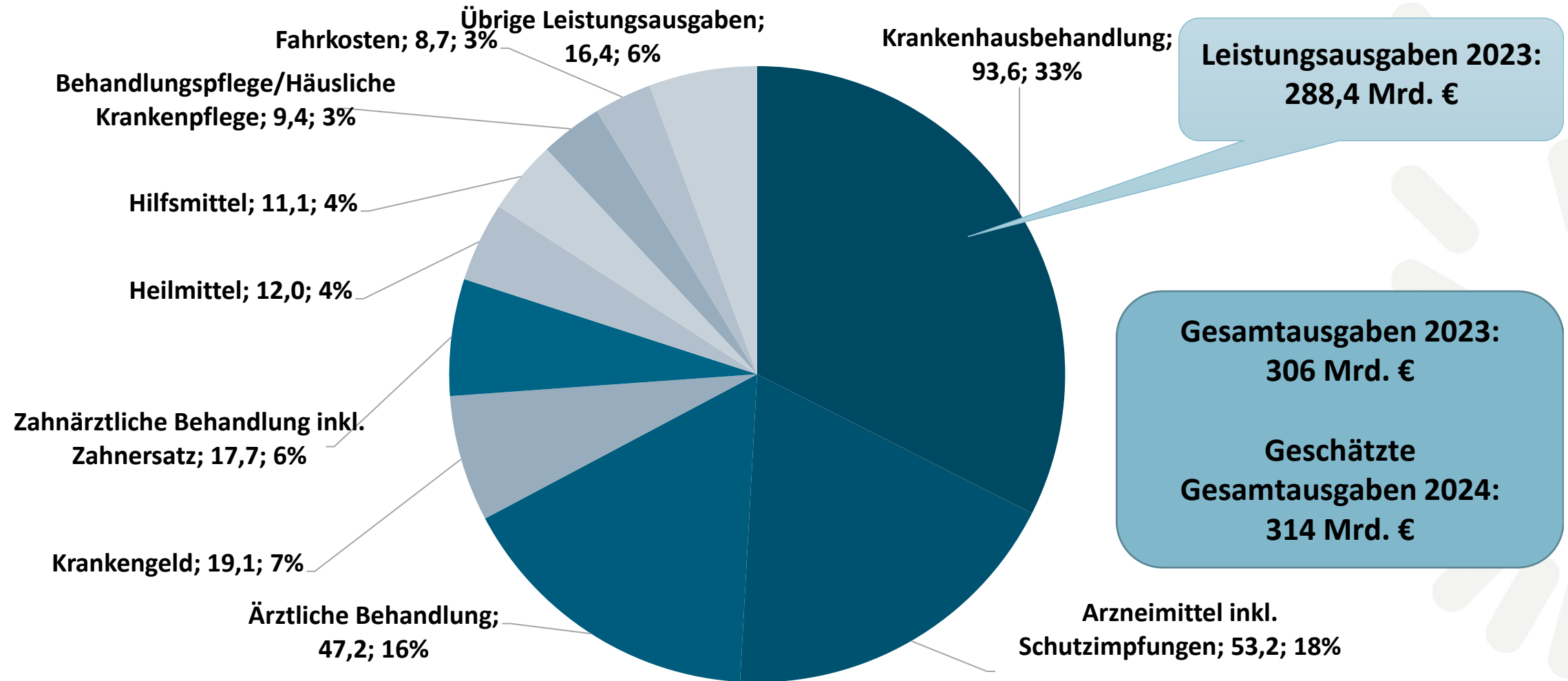
**Berlin | 19. Juli 2024**

**Professor Josef Hecken**

Unparteiischer Vorsitzender des Gemeinsamen Bundesausschusses und  
Vorsitzender des Innovationsausschusses beim G-BA

# GKV-Leistungsausgaben 2023

in Mrd. Euro und anteilig



# Das AMNOG erfüllt seinen Zweck

(N = 839\*, höchste Zusatznutzenkategorie je Verfahren, Stand 07.06.2024)

## Memo:

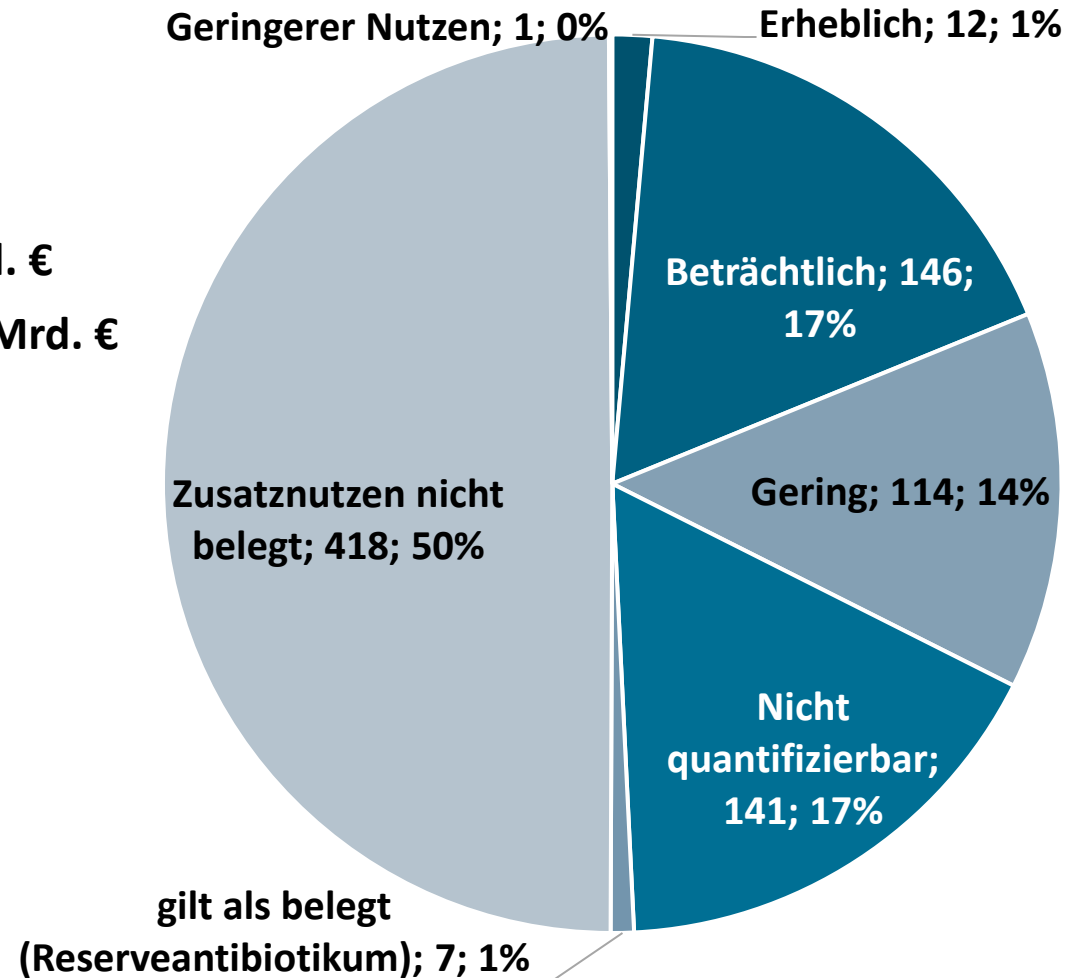
### Einsparungen durch

- AMNOG p.a. → 6,6 Mrd. €
- Festbeträge p.a. → 8,2 Mrd. €
- Rabattverträge p.a. → 5,6 Mrd. €

## Faustformel:

1 Beitragssatzpunkt GKV  $\hat{=}$   
16 Mrd. €

Quelle: Ludwig, WD / Mühlbauer B (2024):  
Arzneiverordnungen 2022 im Überblick, in:  
Ludwig, WD/Mühlbauer, B/Seifert, R (Hrsg.):  
Arzneiverordnungs-Report 2023. Berlin:  
Springer



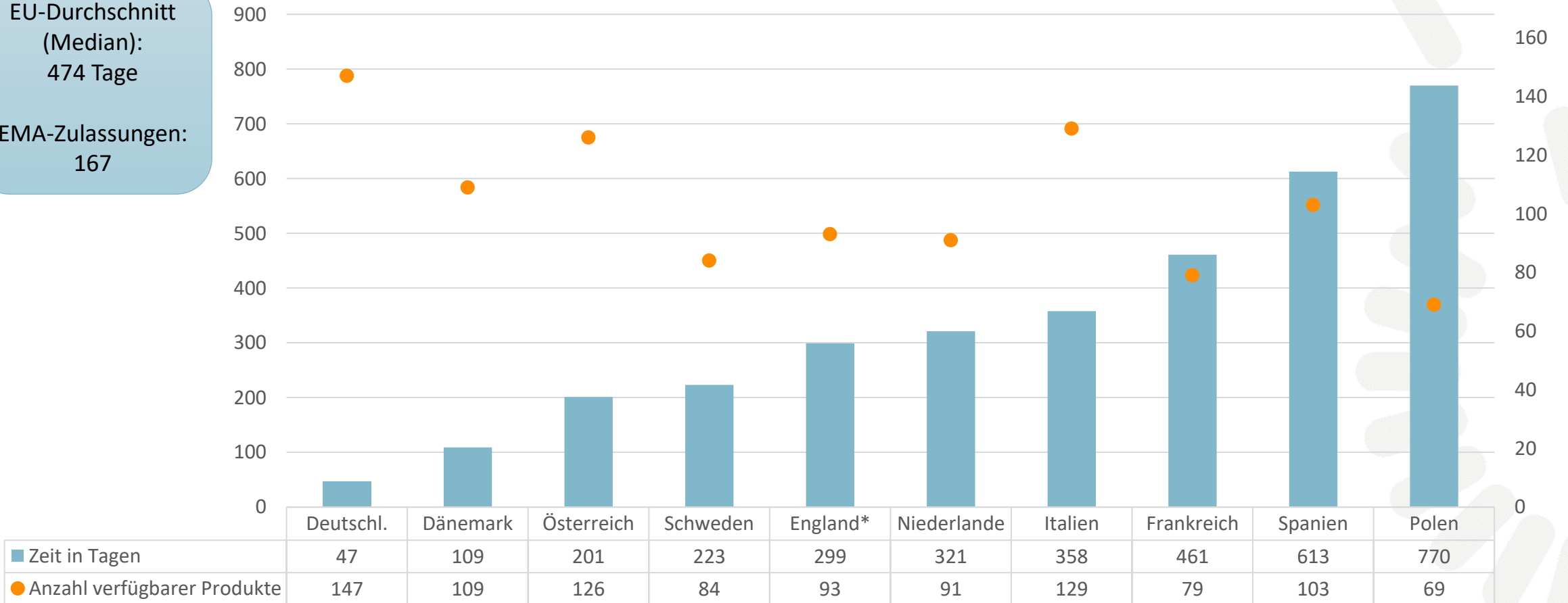
\* bereinigt um aufgehobene Beschlüsse

# Mittlere Zeit bis zur Verfügbarkeit (Median)

(Generation 2019-2022, Stand: 05.01.2024)

EU-Durchschnitt  
(Median):  
474 Tage

EMA-Zulassungen:  
167



\*Ohne Berücksichtigung von Sonderprogrammen wie Temporary Authorisations bzw. Early Access

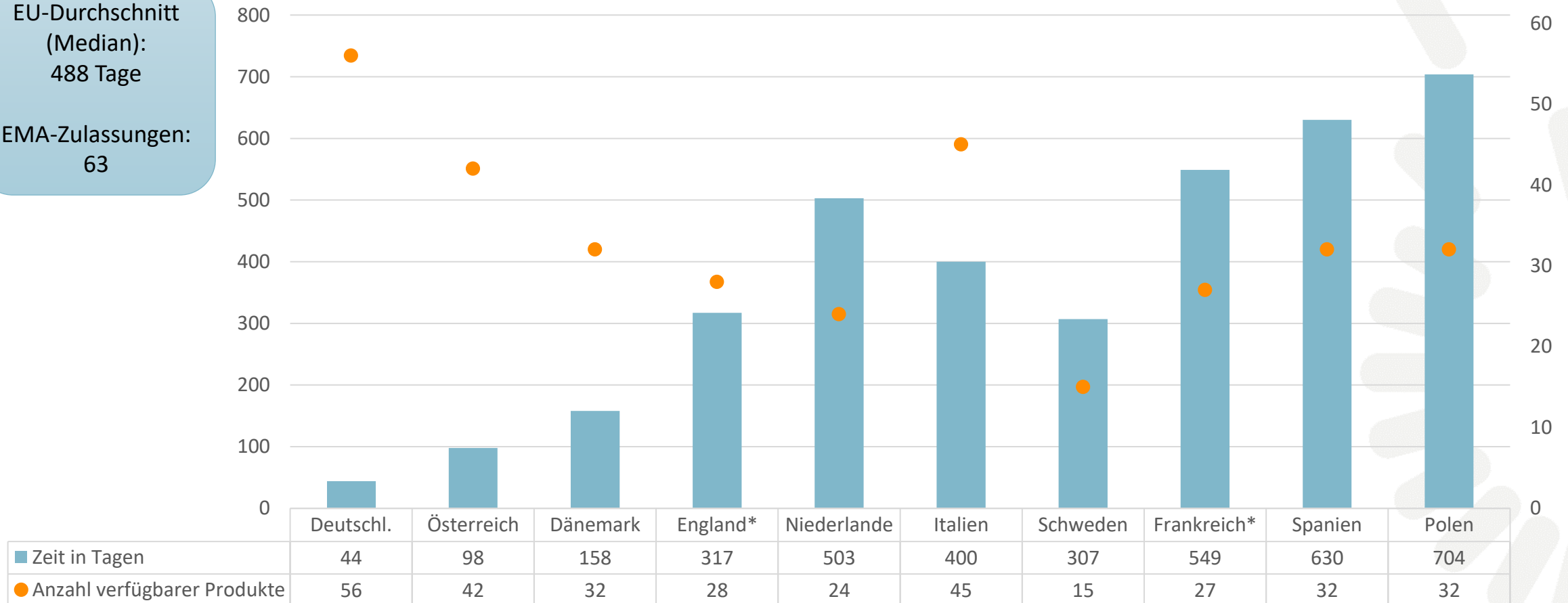
Quelle: Eigene Darstellung nach IQVIA (2024): EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2023 survey

# Mittlere Zeit bis zur Verfügbarkeit (Median) – Orphan Drugs

(Generation 2019-2022, Stand: 05.01.2024)

EU-Durchschnitt  
(Median):  
488 Tage

EMA-Zulassungen:  
63

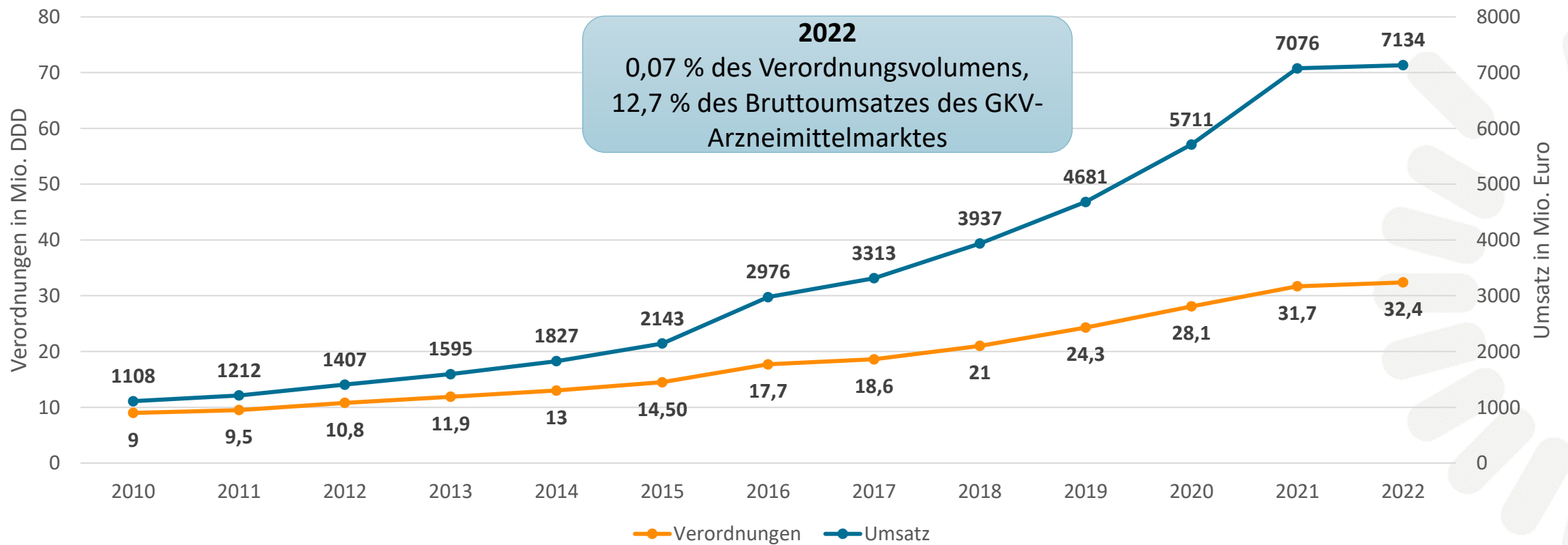


\*Ohne Berücksichtigung von Sonderprogrammen wie Temporary Authorisations bzw. Early Access

Quelle: Eigene Darstellung nach IQVIA (2024): EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2023 survey

# Ausgabenentwicklung bei Orphan Drugs

Verordnungsvolumen (DDD) und Umsatz von Orphan-Arzneimitteln von 2010-2021 einschließlich aller Arzneimittel nach Ablauf der 10-jährigen Marktexklusivität



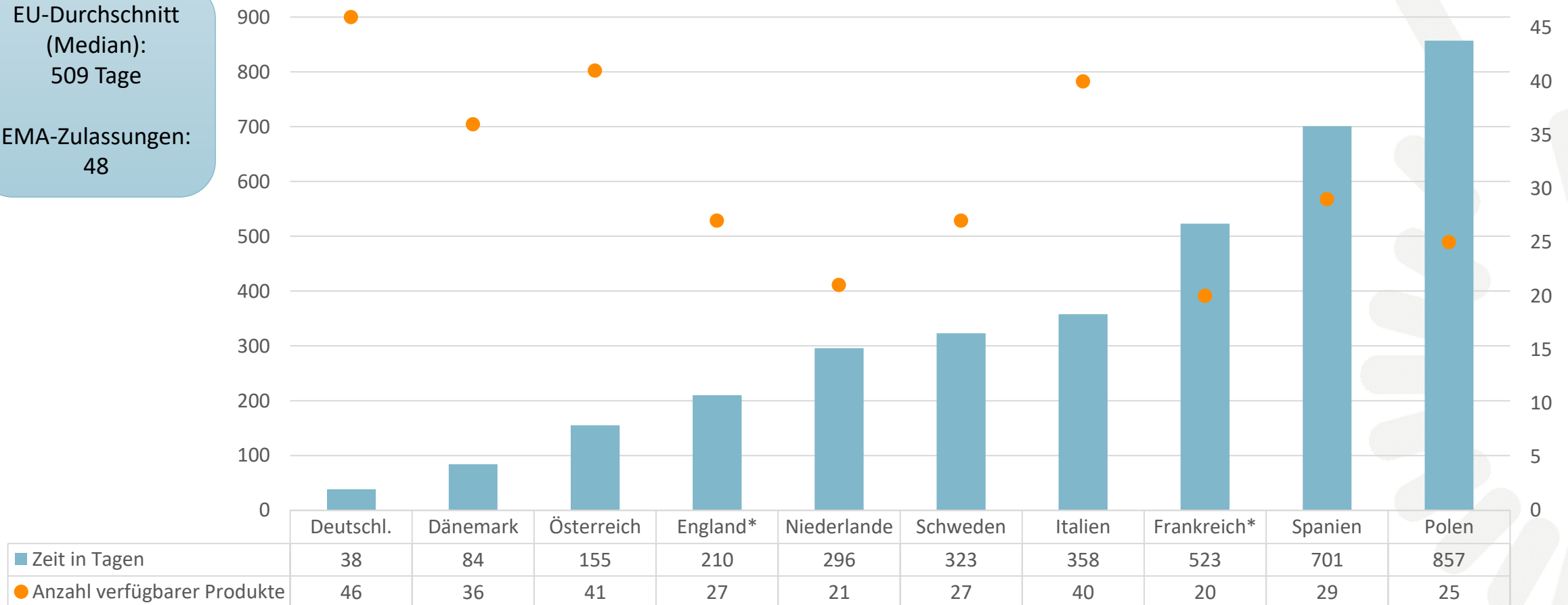
Quelle: Ludwig, WD / Mühlbauer B (2024): Arzneiverordnungen 2022 im Überblick, in: Ludwig, WD/Mühlbauer, B/Seifert, R (Hrsg.): Arzneiverordnungs-Report 2023. Berlin: Springer

# Mittlere Zeit bis zur Verfügbarkeit (Median) – Onkologika

(Generation 2019-2022, Stand: 05.01.2024)

EU-Durchschnitt  
(Median):  
509 Tage

EMA-Zulassungen:  
48



\*Ohne Berücksichtigung von Sonderprogrammen wie Temporary Authorisations bzw. Early Access

Quelle: Eigene Darstellung nach IQVIA (2024): EFPIA Patient W.A.I.T. Indicator 2023 survey

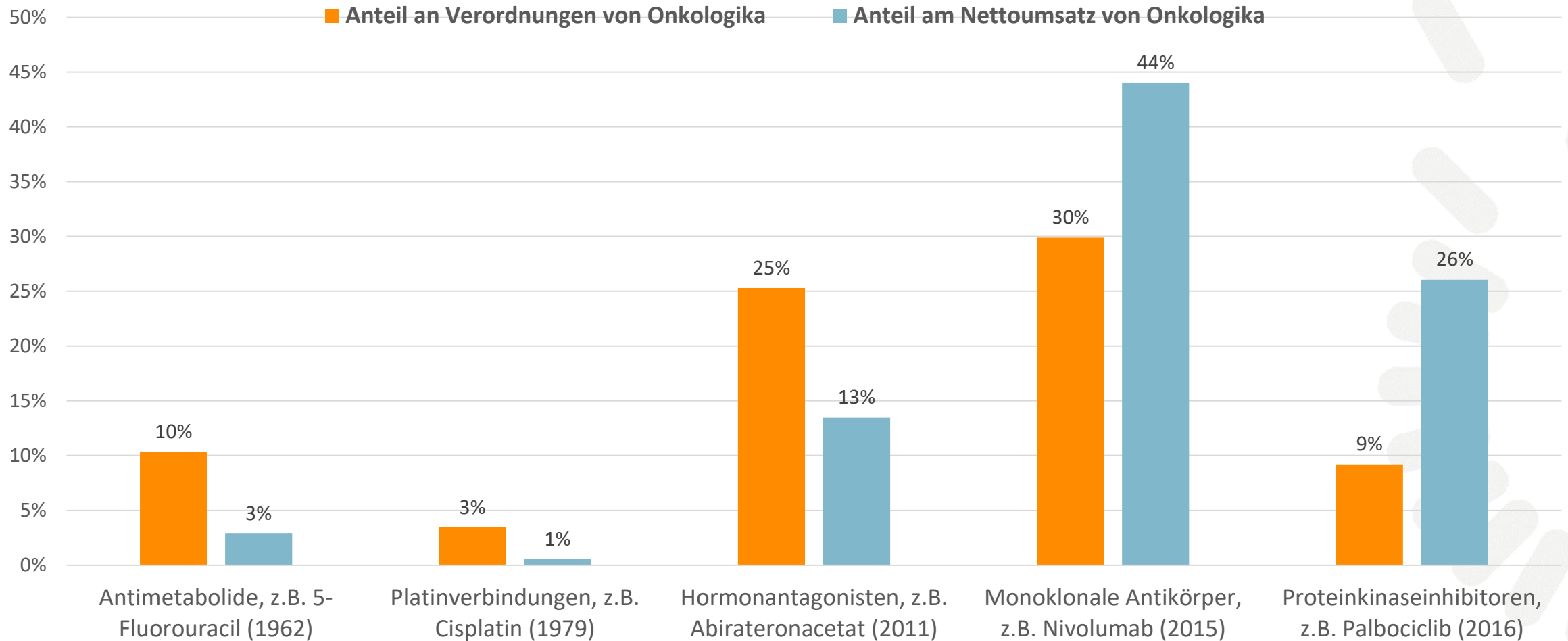
# Ausgabenentwicklung bei Onkologika im Vergleich zum Gesamt-Arzneimittelmarkt

	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022
<b>GKV- Arzneimittelmarkt</b>								
Verordnungen in Mio.	665	668	664	683	690	684	692	726
Nettokosten in Mrd. €	32,8	37,3	38,7	41,4	43,9	46,2	50,3	52,8
<b>Onkologika</b>								
Verordnungen in Mio. (Anteil am GKV-Arzneimittelmarkt)	6,0 (0,8%)	6,3 (0,9%)	7,1 (1,1%)	7,1 (1,1%)	7,5 (1,1%)	8,1 (1,2%)	8,4 (1,2%)	8,7 (1,2%)
Umsatz in Mrd. € (Anteil am GKV-Arzneimittelmarkt)	5 (12,3%)	5,8 (13,9%)	6,5 (16,8%)	7,0 (17,5%)	8,2 (18,7%)	9,5 (20,5%)	10,6 (21,1%)	10,6 (20,1%)

Quelle: Ludwig, WD / Mühlbauer B (2024): Arzneiverordnungen 2022 im Überblick, in: Ludwig, WD/Mühlbauer, B/Seifert, R (Hrsg.): Arzneiverordnungs-Report 2023. Berlin: Springer



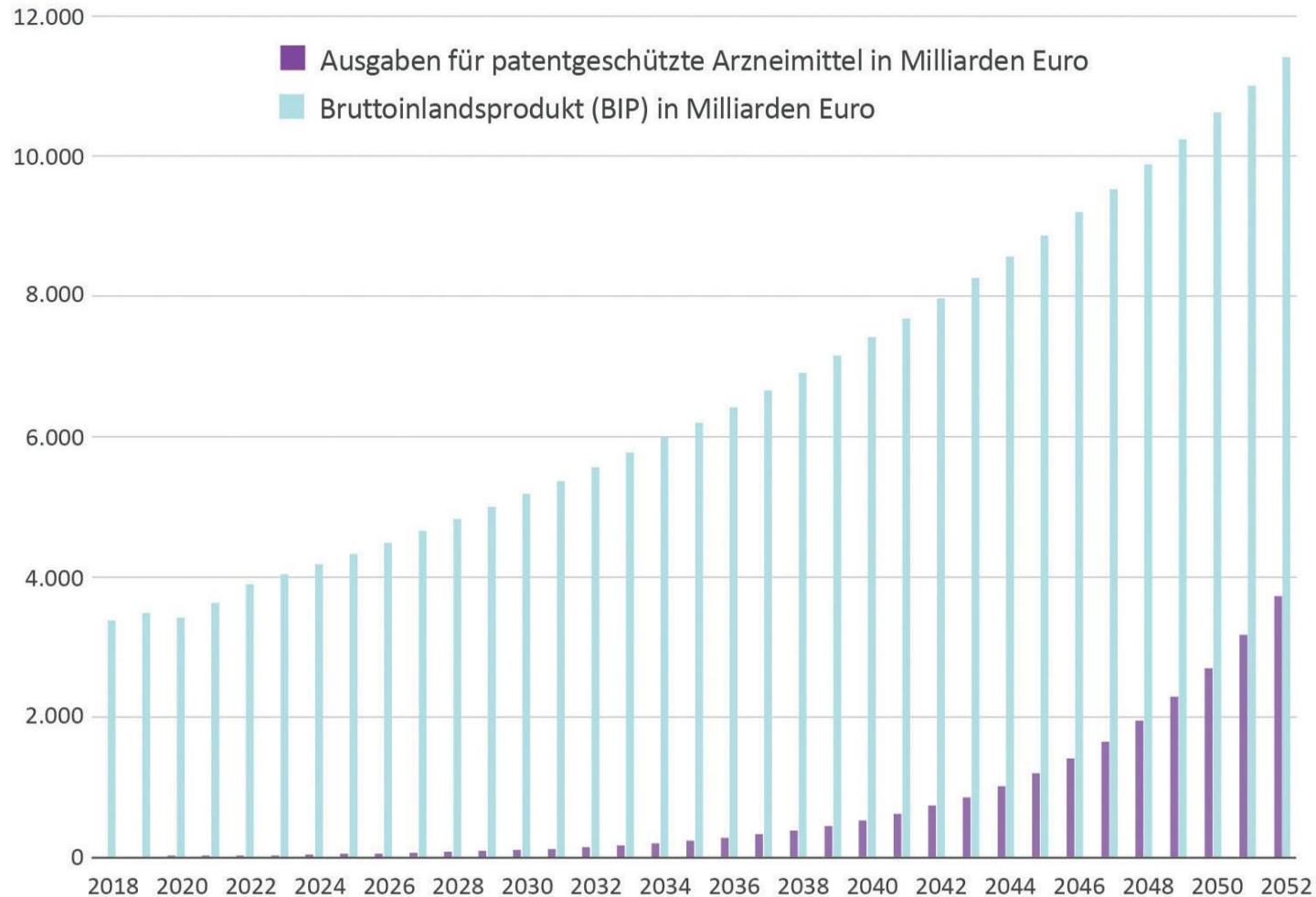
# Ausgewählte onkologische Wirkstoffgruppen



Quelle: Ludwig, WD / Ganser A / Maschmeyer G (2024): Hämatologische Neoplasien und solide Tumore, in: Ludwig, WD/Mühlbauer, B/Seifert, R (Hrsg.): Arzneiverordnungs-Report 2023. Berlin: Springer.

# Simulation der Ausgaben für patentgeschützte Arzneimittel

## im Vergleich zur Entwicklung des BIPs bei unveränderter Kostenentwicklung



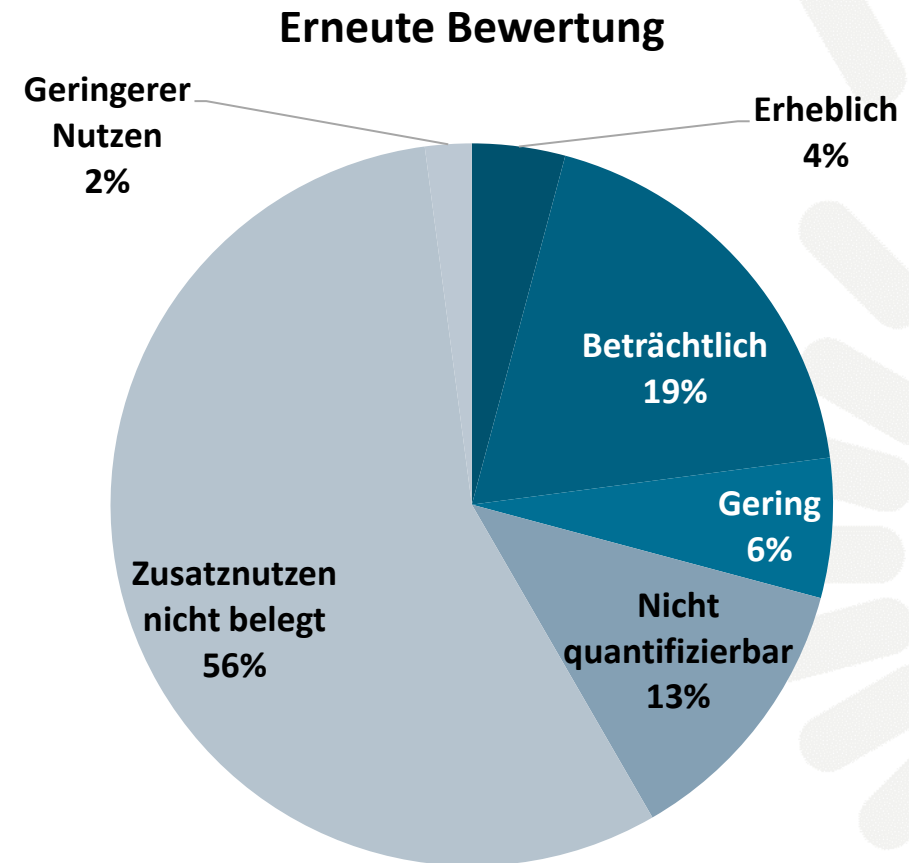
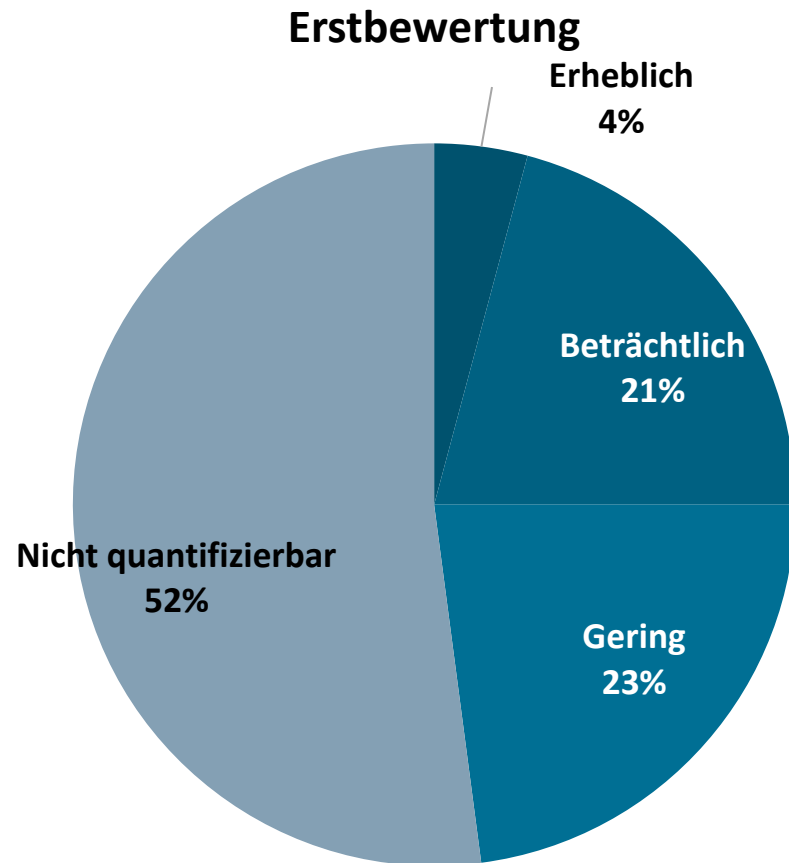
Quelle: [TK](#) nach (Destatis 2023)

# Anwendungsbegleitende Datenerhebungen (AbD)

---

# Orphan Drugs nach erneuter Bewertung

(Nur mit eingeschränkter Erstbewertung, nach Anwendungsgebieten, n = 48, Stand: 06.06.2024)



# Anwendungsbegleitende Datenerhebungen (AbD)

## Pressemitteilung | Arzneimittel Registerstudie zur Genterapie mit Zolgensma® startet



**Berlin, 1. Februar 2022** – Erfahrungswerte aus der klinischen Praxis mit Zolgensma®, einer Genterapie gegen bestimmte Formen der spinalen Muskelatrophie (SMA) bei Kindern, müssen ab sofort in Registern dokumentiert werden. Ein solches Behandlungsregister für Patientinnen und Patienten mit SMA ist beispielsweise das SMARTCARE-Register. Der pharmazeutische Unternehmer wertet die anonym erfassten Daten regelmäßig aus und übermittelt die Abschlussergebnisse spätestens 2027 an den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA). Mit der Registerstudie startet erstmals eine vom G-BA veranlasste anwendungsbegleitende Datenerhebung. Ziel ist es, für eine erneute Bewertung des Zusatznutzens von Zolgensma® gegenüber der Vergleichstherapie Spinraza® gute Daten zu erhalten.  
[...]

- Vorlage anwendungsbegleitender Datenerhebungen und Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung durch pharmazeutische Unternehmer innerhalb einer angemessenen Frist
- Befugnis zur Versorgung der Versicherten kann auf solche Leistungserbringer beschränkt werden, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken
- Vorgaben des G-BA an die Fragestellung (u.a. Patientenpopulation, Endpunkte, Vergleichstherapie) sowie Art und Dauer der Erhebung und Vorgaben zur Auswertung
- Auch indikationsbezogene Datenerhebungen ohne Randomisierung möglich
- Laufende und geplante Datenerhebungen, insbesondere der Zulassungs- oder Genehmigungsbehörden, sind zu berücksichtigen
- Beratung zu anwendungsbegleitenden Datenerhebungen soll unter Beteiligung des BfArM oder PEI erfolgen
- Vorgaben des G-BA zur Überprüfung, ob und wie die Datenerhebung durchgeführt wird, mindestens alle achtzehn Monate

# Anwendungsbegleitende Datenerhebungen (AbD)

## Beurteilung der Erforderlichkeit

### Mögliche Fragestellungen

#### für die Beurteilung der vorhandenen Evidenz

- Studienprogramm ausreichend?
- Studiendauer ausreichend lang?
- Relevante Patientenpopulation ggf. nicht von Studien umfasst trotz (voraussichtlicher) Zulassung?
- Patientenrelevante Endpunkte noch nicht verfügbar?

#### zur Beurteilung der Angemessenheit und Realisierbarkeit der Datenerhebung

- Rekrutierung → Anzahl der Patienten?
- Verfügbarkeit und Stellenwert von Therapiealternativen?
- Datenerhebungen im Rahmen des Zulassungs-/Genehmigungsverfahrens geplant?
- Bestehen Register?
- Verfügbarkeit retrospektiver Daten?

# Anwendungsbegleitende Datenerhebungen (AbD)

## Umsetzung für Onasemnogen-Abepravovec (Zolgensma®)

Population	Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen (3 Gruppen)
	Patienten die zum Zeitpunkt der Gentherapie älter als 6 Monate bzw. 6 Wochen sind
Intervention	Onasemnogen-Abepravovec
Comparator	Therapie nach ärztlicher Maßgabe unter Berücksichtigung von Nusinersen und Risdiplam
Outcome	z.B. motorische Funktionen, respiratorische Funktionen (Notwendigkeit der dauerhaften Beatmung), Schluck- und Sprachfähigkeit, Notwendigkeit nicht oraler Ernährungsunterstützung
	z.B. Todesfälle, schwerwiegende spezifische unerwünschte Ereignisse (Hepatotoxizität, Thrombozytopenie, Kardiale Ereignisse, Entzündung der Spinalganglionzellen, renale Toxizität, Hydrocephalus)
Register: SMARtCARE als Hauptregister, Dauer: 60 Monate Rekrutierung: ca. 500 Patienten Einbeziehung anderer Quellen (z. B. RESTORE-Register) empfohlen Kombination von "historischen Daten" und prospektiven Daten empfohlen	

# Stand bisher eingeleiteter AbD-Verfahren

	Einleitung	Konzepterstellung (IQWiG)	Forderung	Versorgungsbeschränkung	Überprüfung SAP/SP	Start AbD	Überprüfungen AbD	Erneute NB
Onasemnogen abeparvovec [spinale Muskelatrophie]	✓	✓	✓ 04.02.2021	✓	✓	01.02.2022	1. Zwischenanalyse: 06.06.2024	2027
Brexucabtagen Autoleucel [Mantelzelllymphom]	✓	✓	✓ 21.07.2022	✓	✓	21.08.2023	Statusbericht: 26.03.2024	2028
Risdiplam [Spinale Muskelatrophie]	✓	✓	✓ 21.07.2022	(✓) gilt ab Start AbD	laufend			
Valoctocogen Roxaparvovec [Hämophilie A]	✓	✓	✓ 02.02.2023	(✓) gilt ab Start AbD	laufend			2029
Etranacogene Dezaparvovec [Hämophilie B]	✓	✓	✓ 12.05.2023	(✓) gilt ab Start AbD	laufend			
Exagamglogen Autotemcel [Sichelzellerkrankheit]	✓	✓	✓	(✓) gilt ab Start AbD	Markteinführung ausstehend			
Fidanacogen Elaparvovec [Hämophilie B]	✓	✓	✓	(✓) gilt ab Start AbD	Zulassung ausstehend			
Talquetamab [Multiples Myelom]	✓	✓	laufend	laufend				
Epcoritamab [rezidiertes oder refraktäres folliculäres Lymphom]	✓	✓	laufend	laufend				
Odronextamab (rezidiertes oder refraktäres folliculäres Lymphom)	✓	✓	laufend	laufend				
Odronextamab (rezidiertes oder refraktäres diffus großzelliges B-Zell-Lymphom)	✓	✓	laufend	laufend				
Marstacimab [Hämophilie A und B]	✓	Frist: 1. August 2024						



# Herausforderungen bei der Umsetzung von AbD

- Beginn der AbD verzögert → bürokratischer Aufwand für Studiengenehmigung und erforderliche Anpassungen des Registers
- Nicht ausreichende Abstimmung zwischen pharmazeutischen Unternehmen mit AbD im gleichen Register → unterschiedliche vertragliche Absprachen und Ansprüche mehrerer pharmazeutischer Unternehmer für Register schwierig
- Neue vertragliche Modelle erforderlich, um Daten der Kontrollgruppe für mehrere AbD im gleichen Register nutzbar zu machen
- Anpassungen an Anforderungen der AbD für bestehende Register herausfordernd (z.B. ergänzende Zusatzmodule aufgrund bereits etablierter Software nicht immer möglich), Unabhängigkeit der wissenschaftlichen Register darf nicht gefährdet werden

# Weiterentwicklung

## Vorschläge des G-BA 1/2

### § 35a Absatz 3b Satz 15 bis 18 SGB V (neu)

*„Der Gemeinsame Bundesausschuss kann Registerbetreiber im Hinblick auf den Aufbau und die Entwicklung von geeigneten Strukturen für die Erfassung von Daten in Indikationsgebieten unterstützen, in denen die Durchführung anwendungsbegleitender Datenerhebungen aufgrund unzureichender oder fehlender vergleichender Daten zum Zwecke der Nutzenbewertung potentiell durchgeführt werden kann. Dabei kann der G-BA insbesondere zum Registeraufbau und zur Entwicklung von Strukturen für die versorgungsnahе Datenerhebung zu patientenrelevanten Endpunkten und zur relevanten Patientenpopulation beraten. Er arbeitet hierbei mit den zuständigen Zulassungsbehörden und einschlägigen wissenschaftlichen Fachgesellschaften zusammen. Eine finanzielle Beteiligung am Registerbetrieb sowie die Förderung von anwendungsbegleitenden Datenerhebungen nach den Sätzen 1 bis 14 ist ausgeschlossen. Das Nähere zu den Anforderungen der Beratungen und zur Unterstützung beim Registeraufbau regelt der G-BA in seiner Verfahrensordnung.“*

# Weiterentwicklung

## Vorschläge des G-BA 2/2

### § 92 Absatz 2b SGB V (neu)

*„Zur Weiterentwicklung der Richtlinien [über die Verordnung von Arznei-, Verband-, Heil- und Hilfsmitteln, Krankenhausbehandlung, häuslicher Krankenpflege, Soziotherapie und außerklinischer Intensivpflege sowie zur Anwendung von Arzneimitteln für neuartige Therapien im Sinne von § 4 Absatz 9 des Arzneimittelgesetzes] besteht Anspruch auf frühe wissenschaftliche Beratung zur Verbesserung der Evidenzlage in Bezug auf die in die Arzneimittelversorgung einbezogenen Produkte. Der Beratungsanspruch beinhaltet indikationsbezogen administrative, methodische und fachliche Fragestellungen, die bereits vor formaler Einleitung eines Zulassungsverfahrens im Vorfeld der Studienplanung von erheblicher Relevanz sind. Hierzu hat der G-BA eine Beratungsstelle einzurichten, die bei methodischen Fragestellungen das IQWiG hinzuziehen kann. Ausgenommen sind Beratungen, auf die ein anderweitiger Anspruch nach diesem Gesetz besteht. Die Beratung ist gebührenpflichtig.“*



**Gemeinsamer  
Bundesausschuss**