



Die Bedeutung der Orphan Drug-Regelung im AMNOG für die Patientenversorgung

Eine Bewertung anhand einer retrospektiven Simulation

Einführung & Fragestellung

Orphan Drugs (ODs) sind Arzneimittel zur Behandlung lebensbedrohlicher oder zu chronischer Invalidität führender seltener Erkrankungen, für die es keine oder nur ungenügende Therapieoptionen gibt. Ihre Entwicklung ist herausfordernd, da das Wissen über die Erkrankungen oft begrenzt ist und nur wenige Patienten für die Durchführung von klinischen Studien zur Verfügung stehen. Deshalb wird die Entwicklung von ODs durch die EU-Verordnung 141/2000 gefördert.

Aufbauend auf dieser EU-Förderung gilt in Deutschland für ODs im Rahmen des AMNOG eine spezielle Schutzregelung (OD-Regelung), welche die Preisbildung und somit den Marktzugang erleichtert. Für ODs gilt bis zur Überschreitung einer Umsatzschwelle von 30 Millionen € im Jahr der Zusatznutzen mit Zulassung als belegt.

Angesichts der forschungspolitisch angestrebten Zunahme von OD-Therapien in der Versorgung und

der damit verbundenen Arzneimittelausgaben entstehen wiederkehrende gesundheitspolitische Debatten über die Abschaffung oder Einschränkung der OD-Regelung (Staeck, 2022; GKV Spitzenverband, 2022). Mit den bekannten Herausforderungen in der klinischen Entwicklung im OD-Bereich ergeben sich dadurch Risiken für die Nutzenbewertung, Preisgestaltung und das potenzielle Bestehen im Markt. Jegliche Einschränkung der OD-Regelung muss daher sorgfältig bezüglich ihrer Auswirkung auf die potenzielle Marktverfügbarkeit dieser Arzneimittel geprüft werden.

Diese Studie untersucht das Risiko von Marktrücknahmen bei einer hypothetischen Abschaffung der OD-Regelung, durch eine Analyse der Konsequenzen für die Nutzenbewertung und der entsprechenden preislichen Implikationen, insbesondere mit Blick auf die wirtschaftliche Auskömmlichkeit.



[simon-kucher.com](https://www.simon-kucher.com)

SIMON 
KUCHER
Unlocking better growth

Methodik der Studie

Die retrospektive Simulation umfasst Verfahren zur Markteinführung von 76 ODs, deren Nutzenbewertungen zwischen 2017 und 2023 abgeschlossen wurden. Für diese ODs wurde die hypothetische Nutzenbewertung und das einhergehende Preispotenzial ohne OD-Regelung simuliert.

Anschließend wurde der Abschlag auf den tatsächlich unter OD-Regelung verhandelten Erstattungsbetrag herangezogen, um die wirtschaftliche Auskömmlichkeit ohne OD-Regelung zu analysieren. Basierend auf diesem simulierten Abschlag erfolgte die Einordnung des Risikos der Marktrücknahme.

(i) „Maximales“ Risiko der Marktrücknahme wg. generischen Preisniveaus

Der durchschnittliche Preisabschlag bei Generikaeintritt beträgt -73% auf den vor Patentablauf gültigen Preis (Pro Generika e.V., 2022). Muss ein OD nach Markteinführung einen noch größeren Abschlag auf den unter OD-Regelung verhandelten Preis hinnehmen, ist mit an Sicherheit grenzender Wahrscheinlichkeit von einer Marktrücknahme des OD auszugehen.

(ii) „Sehr hohes“ Risiko der Marktrücknahme wg. zusätzlichen Abschlags in noch nie gesehener Höhe

Der höchste jemals gesehene Abschlag für ein OD bei erstmaliger Neuverhandlung ohne OD-Regelung entspricht -42%. Muss ein OD nach Markteinführung einen noch größeren Abschlag auf den unter OD-Regelung verhandelten Preis hinnehmen, ist von einem sehr hohen Risiko der Marktrücknahme auszugehen.

(iii) „Individuelles“ Risiko der Marktrücknahme wg. zusätzlichen Abschlags in bereits gesehener Höhe

Jeder zusätzliche Abschlag auf den unter OD-Regelung verhandelten Preis birgt ein mögliches Marktrücknahmerisiko. Es wurden bereits Abschläge bis zu -42% gesehen. Bis zu diesem Abschlag ist von einem individuellen Marktrücknahmerisiko auszugehen, welches jedoch bereits in Abhängigkeit der Fallkonstellation die Marktverfügbarkeit gefährden kann.

(iv) „Geringes“ Risiko der Marktrücknahme wg. keines zusätzlichen Abschlags

Muss ein OD ohne OD-Regelung keinen weiteren Abschlag auf den unter OD-Regelung verhandelten Preis (zu dem es zu dem Zeitpunkt verfügbar war) nehmen, so ist von einem geringen Marktrücknahmerisiko auszugehen.

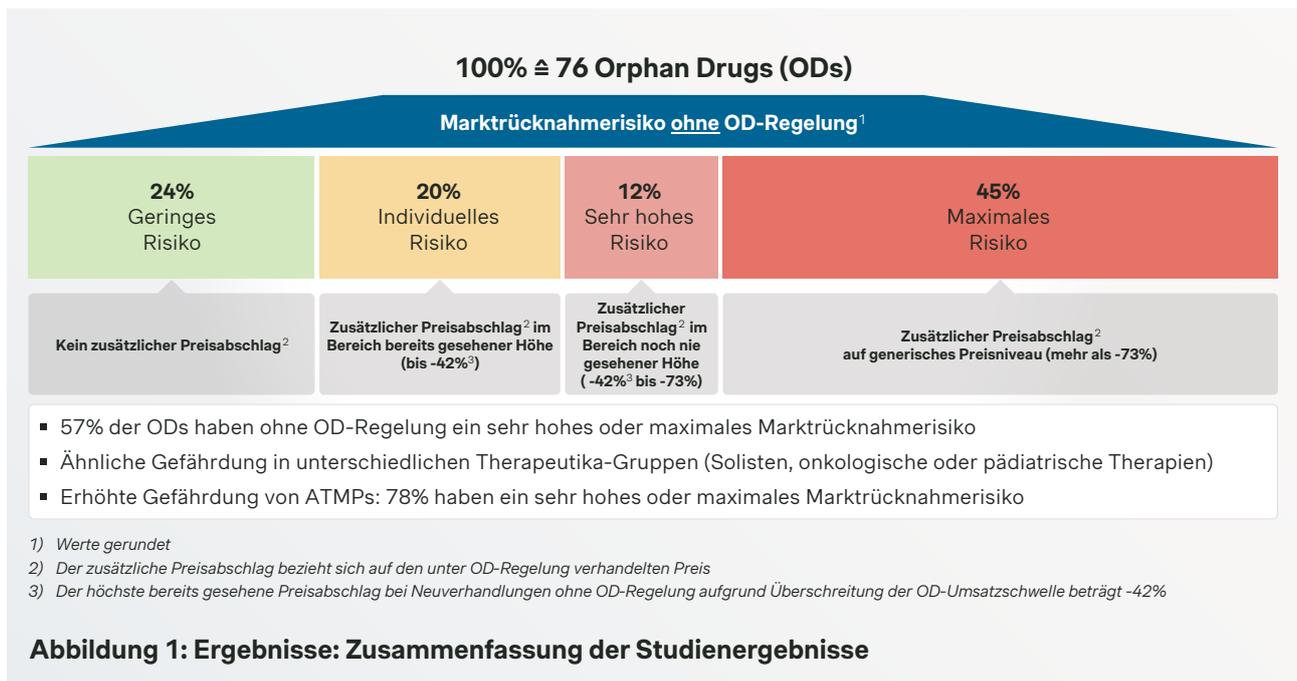
Ergebnisse

In der Zusatznutzen-Simulation können nur 21% der ODs einen Zusatznutzen zeigen, während 79% der ODs ohne OD-Regelung keinen Zusatznutzen erreichen. Dies resultiert in durchschnittlichen Abschlägen von -52% auf den bereits unter OD-Regelung AMNOG-verhandelten Preis und -62% auf den Markteinführungspreis.

Folglich sind 45% der ODs einem maximalen Marktrücknahmerisiko ausgesetzt, da sie auf generische Preisniveaus absinken (siehe [Abbildung 1](#)). Einem sehr hohen Marktrücknahmerisiko unterliegen 12% der ODs wegen noch nie gesehener Abschläge von mehr als -42% auf den unter OD-Regelung verhandelten Preis. 20% der ODs sind einem individuellen

Marktrücknahmerisiko mit Abschlägen von bis zu -42% ausgesetzt und nur 24% der ODs unterliegen einem geringen Risiko, da keine zusätzlichen Abschläge auf den unter OD-Regelung verhandelten Preis hingenommen werden müssen.

Zusätzliche Analysen des Marktrücknahmerisikos für unterschiedliche Therapeutika-Gruppen zeigen, dass Solisten bzw. Nicht-Solisten, onkologische bzw. nicht-onkologische Therapien und pädiatrische bzw. nicht-pädiatrische Therapien jeweils einem sehr ähnlichen Marktrücknahmerisiko ausgesetzt sind. Neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMPs), also hochinnovative Gen- und Zelltherapien, unterliegen einem erhöhten Marktrücknahmerisiko.



Schlussfolgerung

Der simulierte Wegfall der OD-Regelung im deutschen Markt führt im weit überwiegenden Anteil von ODs zu keinem Zusatznutzen und in der Folge zu einer erheblichen Absenkung des Preisniveaus. Für mehr als die Hälfte der ODs besteht ein sehr hohes bis maximales Marktrücknahmerisiko, da sie keinen Zusatznutzen belegen können und einem dramatischen Preisverfall ausgesetzt sind. Das Gefährdungspotential zeigt sich gleichermaßen für unterschiedliche Therapeutika-Gruppen (Solisten/Nicht-Solisten, onkologische/nicht-onkologische Therapien, pädiatrische/keine pädiatrischen Therapien) und im Besonderen für ATMPs. Für einen weiteren

relevanten Anteil von ODs bestehen individuelle Marktrücknahmerisiken, welche das gesamte Gefährdungspotenzial von ODs vergrößern. Nur für ein Viertel der ODs verbleiben geringe Risiken.

Die vorliegenden Studienergebnisse belegen die existenzielle Bedeutung der OD-Regelung im AMNOG für die breite Versorgung von Patienten mit seltenen Erkrankungen. Eine Abschaffung der OD-Regelung oder Einschränkung der OD-Regelung auf einzelne Therapeutika-Gruppen wäre nicht ohne weitreichende negative Konsequenzen für die Patientenversorgung mit ODs in Deutschland realisierbar.

Literaturverzeichnis

GKV-Spitzenverband. (April 2022). Orphan Drugs: Zusatznutzen darf keine Fiktion bleiben. *90 Prozent - Das E-Magazin des GKV-Spitzenverbandes*, 27, S. 10. Abgerufen am 29. August 2024 von https://www.gkv-90prozent.de/ausgabe/27/meldungen/27_orphandrugs/27_orphandrugs.html

Pro Generika e.V. (Januar 2022). *Generika machen Versorgung bezahlbar: Viele Preise sinken nach Patentablauf um drei Viertel und mehr.* Abgerufen am 29. August 2024 von https://www.progenerika.de/app/uploads/2022/01/Zahl-des-Monats-Januar_dreiviertel.pdf

Staeck, F. (18. Januar 2022). *AMNOG-Report: Umgang mit Orphan Drugs in der Diskussion.* Abgerufen am 29. August 2024 von Ärzte Zeitung: <https://www.aerztezeitung.de/Politik/AMNOG-Report-Umgang-mit-Orphan-Drugs-in-der-Diskussion-426093.html>

Verordnung (EG) Nr. 141/2000. (22. Januar 2000). Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Orphan-Arzneimittel

Die Autoren



Christoph Engelke, Partner / christoph.engelke@simon-kucher.com

Christoph Engelke ist Partner in der Life Science Division bei Simon-Kucher und ausgewiesener Experte im Bereich AMNOG. Er berät Kunden sowohl bei gesamtstrategischen Fragestellungen als auch dabei, wegweisende Therapien wie Gentherapien oder Onkologie-Blockbuster erfolgreich durch den AMNOG-Prozess zu navigieren, u.a. durch Übernahme der Verhandlungsführung in Preisverhandlungen.



Gabor Kiss, Partner / gabor.kiss@simon-kucher.com

Gabor Kiss ist Partner in der Life Science Division bei Simon-Kucher und hat seit der Einführung im Jahr 2011 den AMNOG-Bereich bei Simon-Kucher aufgebaut. Seither unterstützt er zahlreiche Kunden erfolgreich durch den AMNOG-Prozess zu manövrieren. Mit seiner umfassenden Expertise und strategischen Weitsicht ist er heute als Vordenker des deutschen AMNOG-Systems anerkannt.



Alexandra Gottswinter, Senior Manager / alexandra.gottswinter@simon-kucher.com

Alexandra Gottswinter ist seit 2020 Teil des AMNOG-Teams bei Simon-Kucher. In diesem Zuge leitet sie Projekte zu AMNOG-relevanten Fragestellungen und der Vorbereitung und Durchführung von Preisverhandlungen, u.a. als Mitglied des Verhandlungsteams.

Die Studie wurde zudem von Nicolas Bader, Maike Willersinn und Nicolas Goßler unterstützt.

Hintergrund zur Studie

Diese Studie wurde von Simon-Kucher im Auftrag des Verbands forschender Arzneimittelhersteller (vfa) durchgeführt.

Über Simon-Kucher

Simon-Kucher ist eine globale Unternehmensberatung mit über 2.000 Mitarbeitenden in 30 Ländern. Unser Fokus: „Unlocking Better Growth“. Wir helfen unseren Kunden, „besser“ zu wachsen, indem wir jeden Aspekt ihrer Unternehmensstrategie optimieren, von Produkten und Preisen bis hin zu Innovation, Digitalisierung, Marketing und Vertrieb.

Seit rund 40 Jahren agiert Simon-Kucher als führendes Beratungsunternehmen in der Gesundheitsbranche. Wir unterstützen Unternehmen aus Pharma, Medizintechnik und Consumer Healthcare dabei, den wahren Wert ihrer Produkte und Leistungen zu identifizieren, zu verbessern und zu realisieren. In diesem Zuge unterstützt Simon-Kucher seit Einführung des AMNOG pharmazeutische Unternehmen strategisch wie operativ ihre therapeutischen Innovationen erfolgreich durch diesen Prozess zu navigieren – von der strategischen Planung der Markteinführung bis hin zur Vorbereitung und Durchführung von Erstattungsbeitragsverhandlungen und Schiedsverfahren.

Büro München

Luise-Ullrich-Straße 14
80636 München
Tel. +49 89 544793 0

christoph.engelke@simon-kucher.com
gabor.kiss@simon-kucher.com
alexandra.gottswinter@simon-kucher.com

Folge uns



Entdecke mehr

[simon-kucher.com](https://www.simon-kucher.com)

© 2024 Simon Kucher & Partner Strategy & Marketing
Consultants GmbH. Alle Rechte vorbehalten.

SIMON 
KUCHER
Unlocking better growth