Lukas Maag MSc
Dr. med. Ariane Höer
Dr. rer. nat. Gerrit Müller

Preisregulierung durch Nutzenbewertung bei seltenen Erkrankungen

Durch das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz kam es im Oktober 2022 zu einer Absenkung der nutzenbewertungsrelevanten Umsatzschwelle für Orphan Drugs von 50 auf 30 Millionen Euro. Mit Blick auf die Diskussion um die Preisgestaltung von Orphan Drugs erscheint es daher angezeigt, die Entwicklung der populationsnormalisierten Behandlungskosten genauer zu untersuchen. Zu diesem Zweck wurde bereits im Jahr 2022 eine Studie zur Betrachtung der Therapiekosten von Orphan Drugs durchgeführt (1), welche die Zeit vor Einführung des AMNOG (2005 bis 2010) und die Zeit nach Einführung des AMNOG (2011 bis 2021) betrachtet. Die Berechnungen wurden nun im Rahmen eines Studienupdates validiert, wobei die identische Grundgesamtheit herangezogen wurde. Das Update ermöglichte eine Inflationsbereinigung basierend auf dem Preisindex des Jahres 2022 (2) sowie lückenlose Behandlungskosten nach AMNOG-Bewertung und Preisverhandlung für alle Orphan Drugs. Im Ergebnis kommt es zu einer Bestätigung der Studienergebnisse. Im Durchschnitt werden die steigenden Jahrestherapiekosten der Orphan Drugs seit Einführung des AMNOG durch geringe Patientenzahlen überkompensiert.

Zusammenfassung

Ziel der Studie ist eine genaue Untersuchung der populationsnormalisierten Behandlungskosten von Orphan Drugs. Zu diesem Zweck wurde bereits im Jahr 2022 eine Studie zur Betrachtung der Therapiekosten von Orphan Drugs für die Jahre 2005 bis 2021 durchgeführt. Die Berechnungen wurden nun im Rahmen eines Studienupdates validiert, wobei die identische Grundgesamtheit herangezogen wurde. Das Update ermöglichte eine Inflationsbereinigung basierend auf dem Preisindex des Jahres 2022 sowie lückenlose Behandlungskosten nach AMNOG-Bewertung und Preisverhandlung für alle Orphan Drugs. Die Analyse zeigt, dass das AMNOG als Preisregulierungsinstrument auch bei Orphan Drugs seine Funktion erfüllt. Seit AMNOG-Einführung sind die inflationsbereinigten normalisierten Behandlungskosten für Orphan Drugs sowohl im Hinblick auf den Einführungspreis (minus 25%) als auch auf den Erstattungsbetrag (minus 6%) gesunken.

Schlüsselwörter

AMNOG, Orphan Drugs, Arzneimittel, Gesundheitsökonomie

Crossref/doi

http://doi.org/10.24945/MVF.03.24.1866-0533.2602

>> Für Orphan Drugs gibt es EU-gemeinschaftsrechtliche Besonderheiten, mit dem Ziel, die Erforschung, Entwicklung und Inverkehrbringung geeigneter Arzneimittel durch die pharmazeutische Industrie zu fördern (3). Anknüpfend daran gelten für Orphan Drugs im AMNOG-Verfahren besondere Regelungen, die die Ziele der europäischen Verordnung auf nationaler Ebene fortschreiben (s. § 35a Abs. 1 S. 11 f. SGB V), die jedoch ab einer bestimmten Umsatzschwelle aufgehoben werden. Die durch das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinStG) festgeschriebene Umsatzschwelle von 30 Millionen Euro bezieht sich, wie schon der vorherige Schwellenwert von 50 Millionen Euro, auf den Apothekenverkaufspreis und einen Zeitraum von 12 Monaten. Die Wahrscheinlichkeit, höhere AMNOG-Rabatte zu verhandeln, steigt dadurch und die so realisierbaren Einsparungen werden mittelfristig auf 100 bis 200 Millionen Euro jährlich taxiert (4). Grundsätzlich stellt sich die Frage, ob und inwieweit das AMNOG seine Preisregulierungsfunktion auch bei Orphan Drugs erfüllt. Um dies zu überprüfen, wurden zwei Arbeitshypothesen untersucht:

1. Die Einführungspreise von Orphan Drugs haben sich seit der Einführung des AMNOG nicht oder nur geringfügig erhöht,
2. Durch die gewährten AMNOG-Rabatte ergeben sich Einsparungen gegenüber der Situation vor Einführung des AMNOG.

Für die Analyse wurden die Jahrestherapiekosten auf Basis des Nettoabgabepreises zum Zeitpunkt der Markteinführung berechnet. Der Nettoabgabepreis berechnet sich aus dem Abgabepreis des pharmazeutischen Unternehmers abzüglich der gesetzlichen Rabatte (Preisinformationen gemäß ABDATA (5)). Durch die Berücksichtigung der gesetzlichen Rabatte wird der Preis, der die tatsächlichen Einnahmen der pharmazeutischen Hersteller repräsentiert, am ehesten abgebildet.

Inflationsbereinigte Preisentwicklung

Aufgrund der langen Zeitreihe von 17 Jahren wurden die Preisangaben inflationsbereinigt. Die Bereinigung bezieht sich auf das Jahr 2022, basierend auf Angaben des Statistischen Bundesamtes zum Verbraucherpreisindex. Um den Budget-Impact eines Arzneimittels erfassen zu können, ist neben dem Preis vor allem die Anzahl der Patienten, für die das Arzneimittel zugelassen wurde, entscheidend: Wenn eine Therapie nur bei sehr wenigen Patienten indiziert ist, ergeben sich für die Krankenversicherung trotz hoher Preise überschaubare Gesamtkosten.

Um den Einfluss der Patientenanzahl zu berücksichtigen, wurde diese für den Zeitraum 2005 bis 2010 für jedes neu zugelassene Orphan Drug recherchiert (Pubmed NCBI, Orphanet, European Medicines Agency). Für den Zeitraum seit 2011 wurden die Angaben gemäß der G-BA-Beschlüsse mithilfe des IGES ARA AMNOG Resolution Analyzer© (6) herangezogen, welche im Rahmen des AMNOG-Prozesses für jede in der Nutzenbewertung betrachtete Zielpopulation vom G-BA festgesetzt werden müssen. Auf Basis von Preis und Anzahl der Patienten wurden die „normalisierten Behandlungskosten" bestimmt, indem für jedes Arzneimittel zum Zeitpunkt der Markteinführung die Jahrestherapiekosten mit der GKV-Zielpopulation multipliziert wurden. Somit ergibt sich eine aussagekräftige Größe, welche geeignet ist, die entstehenden Kosten für Orphan Drugs in Deutschland in Bezug auf den Budget-Impact zu vergleichen.

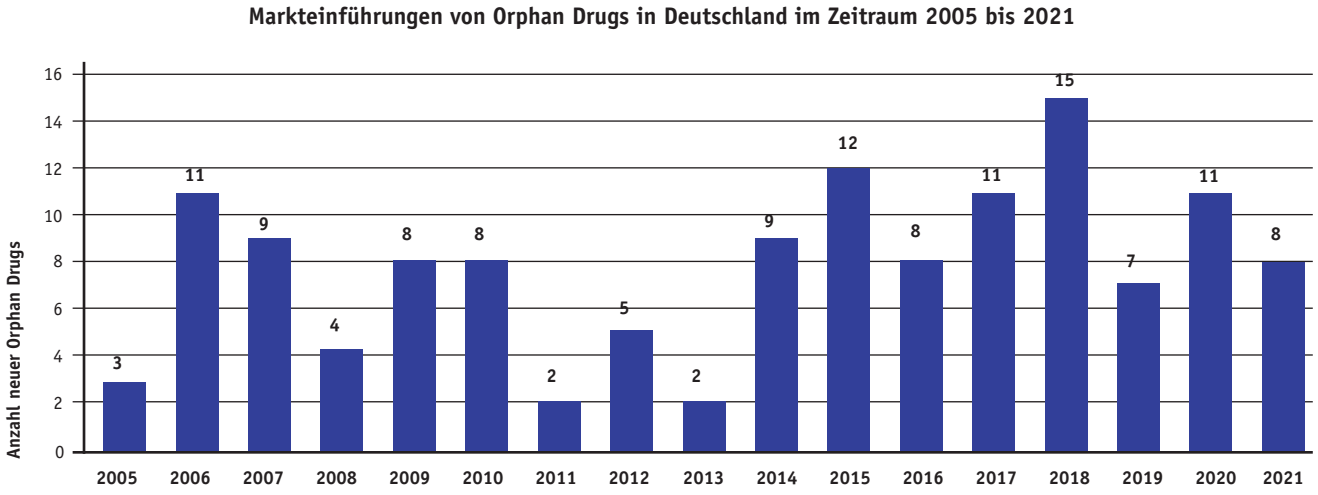


Abb. 1: *Markteinführungen von Orphan Drugs in Deutschland im Zeitraum 2005 bis 2021. Quelle: IGES nach eigenen Berechnungen.*

Markteintritt von 145 Orphan Drugs bis 2021

Im Zeitraum zwischen 2005 und 2021 sind insgesamt 145 Orphan Drugs in Deutschland auf den Markt gekommen (Abb. 1). 133 dieser Arzneimittel wurden in die Analyse eingeschlossen. 12 Arzneimittel konnten aus folgenden Gründen nicht berücksichtigt werden: Freistellung oder Aussetzung des Verfahrens, Marktrücknahme sowie fehlende Preisdaten, da die Arzneimittel nur stationär eingesetzt wurden. Für den Zeitraum 2005 bis 2010 (vor AMNOG) ergibt sich eine Menge von 43 Arzneimitteln, für den Zeitraum 2011 bis 2021 (nach AMNOG) sind es 90 Arzneimittel, für welche zudem die normalisierten Behandlungskosten nach Preisverhandlung berechnet wurden.

Rückgang der Behandlungskosten um 25%

Für die Bewertung der Ergebnisse ist der Zusammenhang zwischen Preis und Menge entscheidend. Während die durchschnittlichen Jahrestherapiekosten für Orphan Drugs von 101.000 Euro (vor AMNOG) auf 253.000 Euro (nach AMNOG) angestiegen sind, wurden die GKV-Zielpopulationen deutlich kleiner – durchschnittlich 4.586 Patienten vor Einführung des AMNOG im Vergleich zu durchschnittlich 1.822 Patienten nach Einführung. Bezogen auf die normalisierten Behandlungskosten bestätigen sich beide Arbeitshypothesen. Die Kosten für Orphan Drugs in Deutschland haben sich seit Einführung des AMNOG durchschnittlich nicht erhöht (minus 6%). Werden die verhandelten AMNOG-Erstattungsbeträge berücksichtigt, sind die normalisierten Behandlungskosten nach Einführung des AMNOG deutlich geringer als vorher (minus 25%) (Abb.2). Der durchschnittliche Rabatt nach Preisverhandlung von Orphan Drugs liegt mit 20,0% nur minimal unter dem Wert des Gesamtmarktes von 21,6% (7).

Die Analyse zeigt, dass das AMNOG als Preisregulierungsinstrument auch bei Orphan Drugs seine Funktion erfüllt. Seit AMNOG-Einführung sind die inflationsbereinigten normalisierten Behandlungskosten für Orphan Drugs sowohl im Hinblick auf den Einführungspreis als auch auf den Erstattungsbetrag gesunken. <<

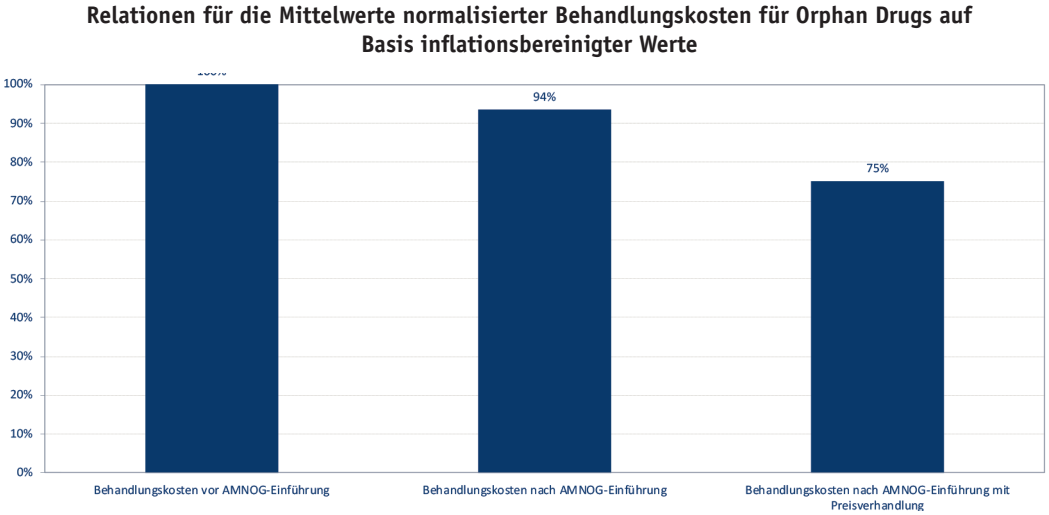


Abb. 2: *Relationen für die Mittelwerte normalisierter Behandlungskosten für Orphan Drugs auf Basis inflationsbereinigter Werte Quelle: IGES nach eigenen Berechnungen.*

Literatur

1. Maag et al.: „Therapiekosten von Orphan Drugs vor und nach Einführung des AMNOG“, in: „Monitor Versorgungsforschung“ (05/22), S. 61–66. http://doi.org/10.24945/MVF.05.22.1866-0533.2445
2. Statistisches Bundesamt 2023: Verbraucherpreisindex (inkl. Veränderungsraten) für Deutschland nach Jahren (zugegriffen am: 10.08.2023).
3. VERORDNUNG (EG) Nr. 141/2000 vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden, Erwägungsgrund Nr. 2.
4. Bundesministerium für Gesundheit 2022: Entwurf eines Gesetzes zur finanziellen Stabilisierung der gesetzlichen Krankenversicherung, GKV-FinStG, https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Gesetze_und_Verordnungen/GuV/G/RefE_GKV-FinStG.pdf
5. ABDATA Pharmadatenservice (2023): ABDA-Artikelstamm. Bereitstellung als Rohdaten
6. IGES Institut (2023): IGES ARA AMNOG Resolution Analyzer. https://ara-info.iges.com/
7. Maag et al. „Einsparungen durch AMNOG-Rabatte“, in „Monitor Versorgungsforschung“ (05/23), S. 71–75. http://doi.org/10.24945/MVF.05.23.1866-0533.2549

Price regulation based on benefit assessment for rare diseases

The aim of the study is a detailed investigation of the population-normalized treatment costs of orphan drugs. For this purpose, a study was already conducted in 2022 to examine the treatment costs of orphan drugs for the years 2005 to 2021. The calculations have now been validated as part of a study update, using the identical sample size. The update enabled an inflation adjustment based on the price index of the year 2022, as well as complete treatment costs after AMNOG assessment and price negotiation for all orphan drugs. The analysis shows that the AMNOG also fulfills its function as a price regulation instrument for orphan drugs. Since the introduction of AMNOG, the inflation-adjusted normalized treatment costs for orphan drugs have fallen both in terms of the launch price (minus 25%) and the reimbursement amount (minus 6%).

Keywords

AMNOG, Orphan Drugs, Pharmaceuticals, Health Economics

Autorenerklärung

Dr. Gerrit Müller ist angestellt bei Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG. Lukas Maag und Dr. Ariane Höer sind bei der IGES Institut GmbH beschäftigt.
Die Studie wurde durch die Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG finanziert und in Zusammenarbeit mit dem IGES Institut konzipiert. Die Autor:innen danken Dr. Stefan Hönzke und Dr. Stefan Stadelhoff für ihren maßgeblichen Input bei der Konzeption dieser Studie.

Zitationshinweis

Maag, l., Höer, A., Müller, G.: „Preisregulierung durch Nutzenbewertung bei seltenen Erkrankungen“, in: „Monitor Versorgungsforschung“ (03/24), S. 81–83. http://doi.org/10.24945/MVF.03.24.1866-0533.2602

Lukas Maag MSc ORCID: 0000-0002-6758-9679



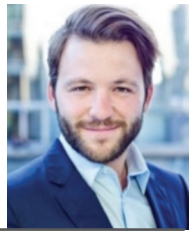
studierte Public Economics (MSc) an der FU Berlin sowie Staatswissenschaften (BA) mit Schwerpunkt Volkswirtschaftslehre und Politikwissenschaften an der Universität Erfurt. Er ist am IGES Institut tätig und arbeitet als Projektleiter im Bereich Arzneimittelmarkt. Seine Arbeitsschwerpunkte sind theoretische und empirische Analyse gesundheitspolitischer Fragestellungen sowie die wissenschaftliche Auswertung und Bewertung von Marktdaten. Kontakt: Lukas.Maag@iges.de

Dr. med. Ariane Höer ORCID: 0000-0003-3426-2984



ist Ärztin für Pharmakologie und Toxikologie und leitet seit 2011 den Bereich Arzneimittelmarkt am IGES Institut, wo sie seit 2001 tätig ist. Schwerpunkte ihrer wissenschaftlichen Arbeit sind Analysen zur Entwicklung des Arzneimittelmarktes inklusive Prognosen, pharmakoepidemiologische Studien, Studien zur Versorgungsforschung sowie Themen rund um die Nutzenbewertung neuer Arzneimittel, wozu auch die Erstellung von Nutzendossiers gehört. Kontakt: Ariane.Hoer@iges.de

Dr. rer. nat. Gerrit Müller ORCID: 0000-0002-5585-0067



ist Health Technology Assessment (HTA) Manager bei Takeda. Zuvor war er als Fachreferent für Arzneimittel im Referat AMNOG, Abteilung Arznei- und Heilmittel beim GKV-Spitzenverband tätig. Er studierte Pharmazie an der FU Berlin und promovierte dort im Anschluss im Fachbereich Pharmakologie.
Kontakt: Gerrit.Mueller@takeda.com