AMNOG

AMNOG und die Anwendungsbegleitende Datenerhebung: kritische Bestandsaufnahme der Erfahrungen

Die anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD) steht seit ihrer Einführung in der Kritik: zu komplex, zu ressourcenintensiv, zu wenig praxistauglich. Doch ist tatsächlich das Instrument selbst die Ursache der Probleme oder eher die Art und Weise, wie es derzeit angewendet wird? Dieser Beitrag beleuchtet die bisherigen Erfahrungen mit dem Instrument und stellt die Frage, ob die aktuellen Schlussfolgerungen die eigentlichen Herausforderungen überhaupt adressieren.

>> Mit dem Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) hat der Gesetzgeber 2019 die Weichen für die Anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD) gestellt. Dem Referentenentwurf zum GSAV zufolge war es die Zielsetzung, für bestimmte Arzneimittel eine „bessere Datenbasis zur Bewertung des Zusatznutzens zu erhalten" [1]. Die Zielsetzung einer Quantifizierung des Zusatznutzens des neuen Arzneimittels lässt sich zudem aus § 130b SGB V ableiten, in dem die Folgen skizziert sind, wenn sich „anhand der gewonnenen Daten keine Quantifizierung des Zusatznutzens belegen lässt" [2]. Der Gesetzgeber hob auch hervor, Patient:innen weiterhin einen frühen Zugang zu Arzneimitteln gewährleisten zu wollen. Als Kriterien legte er fest, dass es sich bei den Arzneimitteln um solche mit bedingter Zulassung, mit einer Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen und/oder um Arzneimittel mit Orphan-Drug-Status handeln müsse [1].

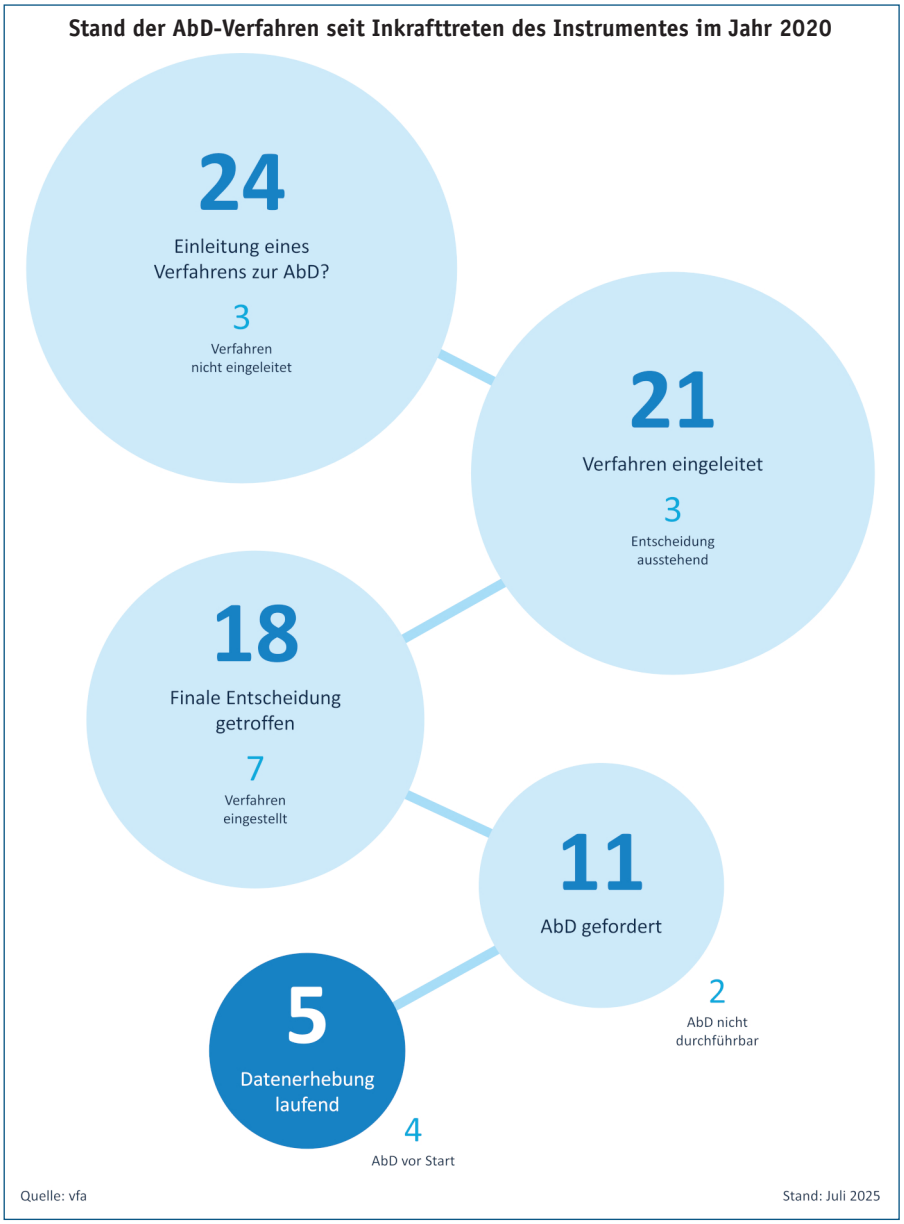


Abb. 1: Stand der AbD-Verfahren seit Inkrafttreten des Instrumentes im Jahr 2020. Eigene Darstellung.

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat bereits für 21 Arzneimittel ein offizielles Verfahren zur Prüfung der Machbarkeit gestartet und für 11 davon eine AbD gefordert [Abb. 1]. Erste Erfahrungswerte mit der AbD sind somit gesammelt und eine kritische Bestandsaufnahme ist nach bald 6 Jahren angezeigt. Jantschak et al. haben erst kürzlich in einer Übersichtsarbeit die zentralen Probleme der AbD beschrieben [3]. Die Frage ist, ob die praktischen Probleme nicht breiter eingeordnet werden müssen. Aufbauend auf dem Verfahrensmonitoring und einer Analyse der Protokolle zu den Fachaustauschen werden im Folgenden drei Thesen aus Industrieperspektive zur Diskussion gestellt.

Erkenntnisse aus den Fachaustauschen

Zur Untersuchung der 16 Wortprotokolle, die bisher sowohl zur geforderten AbD als auch zu eingestellten Verfahren veröffentlicht worden sind, wurde eine quantitative Inhaltsanalyse durchgeführt. Die systematische Auswertung zeigt thematische Überschneidungen, aber auch einige Unterschiede zwischen

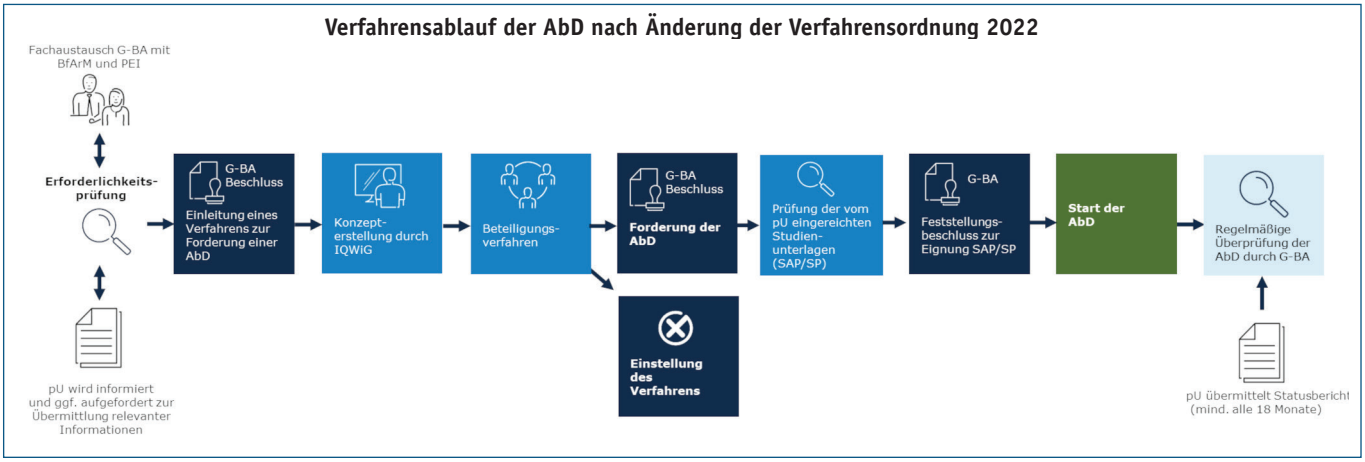


Abb. 2: Verfahrensablauf der AbD nach Änderung der Verfahrensordnung 2022. Eigene Darstellung.

beschlossenen und eingestellten Verfahren.

Während Registerfragen in beiden Fallgruppen eine große Rolle in den Beratungen spielen, kristallisieren sich bei den eingestellten Verfahren zusätzlich insbesondere methodische und praktische Hürden als zentrale Diskussionspunkte in den Fachaustauschen heraus. Dort drehen sich die Beratungen deutlich häufiger um Fallzahlen und Confounder. Dies deutet darauf hin, dass die Verfahren oftmals nicht an der grundsätzlichen Bereitschaft zur Datenerhebung scheitern, sondern an der Umsetzbarkeit im konkreten Setting, insbesondere wegen zu kleiner Patientenkollektive, heterogener Versorgungsrealitäten oder möglicher Verzerrungen, die valide Analysen erschweren. Auch die Diskussion um Vergleichsgruppen bzw. den Kontrollarm nimmt in dieser Fallgruppe großen Raum ein, was ebenfalls auf Unsicherheiten hinsichtlich der Validität möglicher Erkenntnisse hinweist.

Demgegenüber dominiert bei den Beratungen zu den am Ende beschlossenen Verfahren die Auseinandersetzung mit Registerfragen, oft verbunden mit Überlegungen zur Einbindung bestehender Strukturen und zur Verknüpfung verschiedener Datenquellen. Die Erörterung von Fragen zu Confoundern oder Fallzahlen spielt in dieser Fallgruppe eine untergeordnete Rolle. Das könnte darauf hindeuten, dass diese Verfahren entweder für Indikationen mit besser etablierten Registern und größeren Patientengruppen vorgesehen sind oder methodische Probleme leichter lösbar erschienen.

Insgesamt zog sich die Frage der Machbarkeit als roter Faden durch nahezu alle Fachaustausche. Dies entspricht den Erwartungen, da es sich um das zentrale Kriterium für oder gegen die Forderung einer AbD handeln sollte.

Problemfelder der AbD aus Industrieperspektive

1. Das Verfahren bleibt für Unternehmen nicht planbar

Verfahren zu anwendungsbegleitenden Datenerhebungen binden erhebliche Ressourcen in den Unternehmen – unabhängig davon, ob die Datenerhebung schlussendlich vom G-BA gefordert wird oder nicht. Zur besseren Kalkulation des internen Ressourcenbedarfs ist eine frühzeitige Einbindung des jeweiligen pharmazeutischen Unternehmers (pU) in den Entscheidungsprozess im G-BA elementar. Hier fanden Ende des Jahres 2022 Anpassungen an der Verfahrensordnung des G-BA statt, um die „Verfahrenstransparenz und Planungssicherheit für die pharmazeutischen Unternehmer" zu erhöhen [4]. Dabei ist vor allem die Information des pU im Vorfeld der AbD hervorzuheben, die vorher nicht vorgesehen war. Insgesamt findet nun eine bessere Einbindung des pU in den Prozess statt als in der Anfangszeit [Abb. 2].

Ein großer Unsicherheitsfaktor für alle Unternehmen bleibt jedoch die Frage, welche Arzneimittel Gegenstand einer AbD werden. Dies wird gegenwärtig im Zuge der anfänglichen Erforderlichkeitsprüfung unter Einbeziehung des BfArM und PEI eruiert. Es scheint dabei weiterhin keine „harten" Auswahlkriterien zu geben, sondern es wird eine Einzelfallprüfung durchgeführt. Dabei zeichnet sich ab, dass eine AbD oft bei Arzneimitteln zur Behandlung von Krankheiten mit schnellem Progress und schweren Symptomen für den G-BA infrage kommt (etwa Arzneimittel gegen spinale Muskelatrophie, Hämophilie sowie verschiedene Lymphome). In der Regel liegen bei den AbD-Arzneimitteln nur einarmige Studien bzw. indirekte Vergleiche vor. Zudem wird inzwischen regelhaft von mindestens 100 für die AbD rekrutierbaren Patient:innen im Jahr als Voraussetzung ausgegangen, andernfalls wurden Verfahren zuletzt eingestellt.

Trotz aller Verfahrensverbesserungen ist es bislang nicht gelungen, die grundlegende Unsicherheit über den Einsatz des AbD-Instruments aufzuheben. Die Verfahren und Datenerhebungen sind weiterhin für die Unternehmen kaum verlässlich planbar.

2. Das Instrument wird nicht fokussiert eingesetzt

Der mit der AbD für alle beteiligten Akteure einhergehende Aufwand muss in einem vertretbaren Verhältnis zum erwarteten Erkenntnisgewinn stehen. Eine gewissenhafte Prüfung, ob die AbD im konkreten Fall überhaupt zu einer Quantifizierung des Zusatznutzens führen kann, ist elementar. Zuletzt haben die am 17. Juli 2025 im Plenum des G-BA gefassten Beschlüsse zu den Forderungen von AbD in der DLBCL Zweifel aufkommen lassen, ob diese Prämisse auch hier galt. So wurde auch im Plenum des G-BA vor der Abstimmung noch kontrovers diskutiert. Deutliche Zweifel wurden seitens KBV und DKG geäußert, ob die AbD in absehbarer Zeit und mit vertretbarem Aufwand umsetzbar und die Zielerreichung überhaupt realistisch sei [5].

Ein weiterer Befund aus dem Verfahrensmonitoring ist, dass das IQWiG in den jüngeren Verfahren meist nur noch eine „orientierende Betrachtung von Fallzahlszenarien" durchführt, so auch bei den o. g. DLBCL-

Fällen. Diese Szenarienangaben können jedoch nicht unmittelbar zur Studienplanung verwendet werden. Eine verlässliche Fallzahlplanung, das Fundament für eine erfolgreiche, zielführende AbD, fehlt damit. Das IQWiG begründet im kürzlich veröffentlichten Rapid Report 25-13 zu versorgungsnahen Daten dieses Vorgehen mit dem Argument, es könne bei „[…] einer AbD sinnvoll sein, eine vergleichende Studie nicht zwingend mit dem Ziel durchzuführen, einen Vorteil des neuen Arzneimittels zu zeigen und die Fallzahlschätzung auf dieses Ziel auszurichten", und ergänzt, es stelle „[…] jedes Ergebnis einer AbD einen Erkenntnisgewinn dar" [6]. Diese Argumentationslinie ist überraschend und widerspricht der eingangs genannten Zielsetzung des Gesetzgebers [1,2]. Nicht jedes Ergebnis einer AbD stellt einen gesetzlich intendierten Erkenntnisgewinn dar, sondern nur jenes, das auf eine Quantifizierung des Zusatznutzens abzielt.

Hinzu kommt, dass die AbD mit Rechtsfolgen bei den Erstattungsbeträgen verknüpft ist und eine im G-BA mitentscheidende Partei ggf. Vorteile für die Durchsetzung von Preisabschlägen sieht. Indem die Nicht-Durchführung und das Scheitern einer AbD mit erneuten Erstattungsbetragsverhandlungen und Vorgaben zu geringeren Jahrestherapiekosten einhergehen, besteht analog zur frühen Nutzenbewertung an dieser Stelle ein prozessualer Interessenkonflikt beim GKV-SV. Das untermauert die strukturelle Kritik hinsichtlich der Governancedefizite des G-BA, die in der Vergangenheit bereits umfänglich dargelegt wurden [7]. Auch die AbD ist nicht vor dieser Strategieanfälligkeit geschützt.

3. Es fehlt der Pragmatismus bei der Umsetzung

Jeder Beteiligte im System möchte „gute Daten" haben. Wenn die Umsetzung der AbD aber nach der Blaupause erfolgt, eigentlich nur aus einem RCT-Setting Erkenntnisse ableiten zu können, wird die Chance vertan, die Evidenzbasis für die Nutzenbewertung neuer Arzneimittel mit versorgungsnahen Daten in Einzelfällen zu erweitern. Die geforderte umfangreiche Patientenrekrutierung impliziert langjährige Datenerhebungen, die den Mehrwert dieser Art der Datengenerierung von Beginn an in Zweifel ziehen.

Hinzu kommen unrealistische Erwartungen bei den methodischen Vorgaben. Bei der aktuellen Methodik des IQWiG bleibt unklar, wie die aus der AbD resultierende Evidenz zur Quantifizierung des Zusatznutzens führen soll. Nicht sachgerecht erscheint beispielsweise die Messlatte eines dramatischen Effekts. Die AbD-Vorgaben beziehen sich auf Konfidenzintervallgrenzen, z. B. in einem Bereich von 2 bis 5 für das relative Risiko (bzw. 0,2 bis 0,5 bei mortalitätssenkenden Interventionen) bezogen auf die untere bzw. obere Konfidenzintervallgrenze. Diese Anforderungen unterscheiden sich de facto nicht von den üblichen Anforderungen der Nutzenbewertung gemäß dem Abschnitt 3.2.2 der Allgemeinen Methoden, wonach ein dramatischer Effekt vorliegt, wenn das beobachtete relative Risiko von 5 bis 10 vorliegt [8]. Die AbD-Vorgaben für die Effekte berücksichtigen somit weder die zusätzlich zu erfolgende Confounder-Adjustierung noch die Besonderheiten der Therapiesituation (insb. die kleinen Patientenzahlen), die gemäß Auftrag des G-BA zur AbD jeweils vorliegt. Unter der zusätzlichen Berücksichtigung der Vorgaben an die Confounder-Adjustierung sind die Anforderungen an die Effekte in der AbD damit sogar konservativer als in der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V.

Nicht das Instrument ist das Problem, sondern die Evidenzkultur

Die Einführung der AbD war ein Novum im deutschen Bewertungsvorgehen für innovative Arzneimittel. Für ausgewählte Einzelfälle sollten nunmehr auch Daten abseits von klinischen Studien als patientenrelevant anerkannt und in der Nutzenbewertung berücksichtigt werden. Dieser erste Schritt hin zu einer Akzeptanz von Versorgungsdaten war wichtig. Es zeichnet sich jedoch zunehmend eine Ernüchterung oder sogar Resignation bei den beteiligten Akteuren ab. Die sich herauskristallisierenden Probleme sind hinreichend beschrieben [3]. In diesem Beitrag wurden die spezifischen Herausforderungen aus Industrieperspektive beleuchtet.

Zweifelsohne ist die derzeitige Umsetzung für alle Beteiligten ressourcenintensiv, die methodischen Anforderungen sind hoch und die Zielerreichung ist noch unklar. Diesen Herausforderungen müssten sich alle Beteiligten stellen und eine Kurskorrektur vornehmen. Die Probleme bei der Umsetzung der AbD sind leider auch ein Spiegelbild dafür, dass sich das deutsche HTA-System generell schwertut, auch versorgungsnahe Daten im Bewertungsprozess zu berücksichtigen.

Auch über den AbD-Kontext hinaus stellt sich vermehrt die Frage, wie man das AMNOG fit für den medizinischen Fortschritt machen kann. Spezielle Versorgungssituationen, ziel-

Literatur

(1) Deutscher Bundestag (2019): Entwurf eines Gesetzes für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung. Drucksache 19/8753. Online verfügbar unter https://dserver.bundestag.de/btd/19/087/1908753.pdf
(2) § 130b SGB V: https://t1p.de/g04rm
(3) Jantschak et al.: „Das Verfahren der anwendungsbegleitenden Datenerhebung in der frühen Nutzenbewertung", in „Monitor Versorgungsforschung" (04/25), S. 34–41. http://doi.org/10.24945/MVF.04.25.1866-0533.2737
(4) Gemeinsamer Bundesausschuss (2022): Tragende Gründe zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Verfahrensordnung: Änderung des 5. Kapitels – Ergänzungen im Verfahren einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 und 10 des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) sowie der Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V. Online verfügbar unter https://www.g-ba.de/downloads/40-268-9133/2022-12-15_VerfO_Aenderung-5-Kapitel-anwendungsbegleitende-Datenerhebung_TrG.pdf
(5) Gemeinsamer Bundesausschuss (2025): 26. öffentliche Sitzung der 5. Amtsperiode am 17.07.2025, Video-Mitschnitt hier abrufbar: https://gemeinsamer-bundesausschuss.corporate.tube/channel/108290/2025/1/9SYZKfgWJzHAEb9ewVAxaS#top
(6) Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (2025): Wissenschaftliche Ausarbeitung ausgewählter Aspekte zur Generierung versor-gungsnaher Daten und deren Auswertung zum Zwecke der Nutzenbewertung von Arzneimitteln nach § 35a SGB V – Rapid Report. Auftrag A25-13. Online verfügbar unter https://www.iqwig.de/download/a25-13_generierung-und-auswertung-versorgungsnaher-daten-zum-zwecke-der-nutzenbewertung_rapid-report_v1-0.pdf
(7) Rasch: „Gibt es Anhaltspunkte für Interessenkonflikte? – Abstimmungsverhalten im G-BA bei AMNOG-Nutzenbewertungen", in „Monitor Versorgungsforschung" (04/24), S. 44–48. http://doi.org/10.24945/ MVF.04.24.1866-0533.2641
(8) Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (2025): Allgemeine Methoden. Entwurf für Version 8.0 vom 25.02.2025. Online verfügbar unter https://www.iqwig.de/methoden/allgemeine-methoden_entwurf-fuer-version-8-0.pdf.
(9) Julian et al.: „Umgang mit best-verfügbarer Evidenz in der Nutzenbewertung von Arzneimitteln: Eine Analyse von Verfahren ohne Vorliegen einer randomisiert-kontrollierten Studie", in „Gesundheitsökonomie & Qualitätsmanagement", 2024; 29(01): 51-63, DOI: 10.1055/a-2142-0794

Zitationshinweis

Bussilliat, P.: „AMNOG und die Anwendungsbegleitende Datenerhebung: Kritische Bestandsaufnahme der Erfahrungen", in „Monitor Versorgungsforschung" (02/26), S. 49–52. http://doi.org/10.24945/MVF.02.26.1866-0533.2804

Autorenerklärung

Der Autor erklärt, dass über seine Tätigkeit für den Verband Forschender Arzneimittelhersteller hinaus keine Interessenkonflikte bestehen.

gerichtetere Therapieansätze mit kleineren Patientengruppen und Gentherapien stellen die Nutzenbewertung vor Herausforderungen, die es zu bewältigen gilt. Systemisch ist der mit der AbD eingeschlagene Weg, die Öffnung der Nutzenbewertung für Versorgungsdaten, richtig. Der bisher vorwiegend ablehnende Umgang des G-BA mit bestverfügbarer Evidenz [9] zeigt jedoch ein grundsätzliches Problem, das auch abseits der AbD auftritt. Ohne Akzeptanz solcher Evidenz sowie entsprechend pragmatische Anforderungen an die Generierung und Auswertung von Versorgungsdaten wird jeder Ansatz scheitern. Wir brauchen einen Kulturwandel im AMNOG zur Generierung und zur Berücksichtigung vorhandener hochwertiger Evidenz anstatt einer Diskussion über neue gesetzliche Instrumente. <<

von:
Paul Bussilliat MSc[1]
(ORCID: 0009-0000-0062-5869)

1: Manager Marktzugang/Versorgung, Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V., Berlin

Neues EMA-Register für klinische Studien

>> Eine neue EMA-Website (https://www.clinicaltrialsregister.eu/) soll die Durchführung klinischer Studien für Humanarzneimittel in der Europäischen Union (EU) und im Europäischen Wirtschaftsraum (EWR) unterstützen. Das EU-Register für klinische Studien verzeichnet derzeit 44.366 klinische Studien mit einem EudraCT-Protokoll – davon 7.389 Studien mit Probanden unter 18 Jahren – und 16.385 Studien, in denen deutsche Unternehmen, Universitäten und Kliniken beteiligt sind. Das Register enthält außerdem Informationen zu 18.700 Studien mit älteren Kindern (im Anwendungsbereich von Artikel 45 der Verordnung (EG) Nr. 1901/2006 über Kinderarzneimittel).

Das Register, das Informationen der EudraCT-Datenbank (https://eudract.ema.europa.eu/), die von nationalen Arzneimittelbehörden für Daten zu klinischen Studienprotokollen verwendet wird, aufbereitet, ermöglicht zudem die Suche nach Protokoll- und Ergebnisinformationen zu:

- interventionellen klinischen Studien, die in der Europäischen Union (EU)/im Europäischen Wirtschaftsraum (EWR) gemäß der Richtlinie 2001/20/EG über klinische Prüfungen genehmigt wurden;
- klinischen Studien, die außerhalb der EU/des EWR durchgeführt wurden und mit der Entwicklung von Kinderarzneimitteln in Europa in Verbindung stehen.

Interventionelle klinische Studien aus der EU/dem EWR, die gemäß der Verordnung (EG) Nr. 536/2014 über klinische Prüfungen genehmigt oder auf diese umgestellt wurden, sind hingegen öffentlich über das Informationssystem für klinische Studien (CTIS) zugänglich. <<

Link: Die Sponsoren des Registers: https://t1p.de/yrsh6

Deutscher Kongress
für Versorgungsforschung

25. Kongress
23. – 25.09.2026 | Uniklinik Köln

Menschen. Beziehungen. Organisationen.
25 Jahre gemeinsame Versorgungsforschung

Themenschwerpunkte

MENSCHEN
Lebenswelten | Bedürfnisse im Lebens- und Krankheitsverlauf | Ungleichheit in der Versorgung

ORGANISATIONEN
Organisationsbezogene Versorgungsforschung

GEMEINSAM
Partizipativ forschen und partizipative Versorgungsforschung beforschen

WISSEN SCHAFFEN
Methoden und Theorien | Lehre | Aus- und Weiterbildung in der Versorgungsforschung | interprofessionelle Ausbildung & Lehre

SHARED LEARNING
International Track (in englischer Sprache)

Call for Abstracts

Gestalten Sie den DKVF mit und reichen Sie Ihr Abstract zu den genannten Themenschwerpunkten ein.
Bis zum **7. April 2026** können Beiträge eingereicht werden.
Alle wichtigen Informationen zur Abstracteinreichung finden Sie unter www.dkvf.de.

MENSCHEN BEZIEHUNGEN ORGANISATIONEN

Deutsches Netzwerk Versorgungsforschung e.V. (DNVF)
In Zusammenarbeit mit dem Deutschen Netzwerk Gesundheitskompetenz e.V. (DNGK)

DKVF.DE