

Berlin, 14. Dezember 2018 -

**Stellungnahme der Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE) e.V.<sup>1</sup>  
zum Entwurf eines Gesetzes für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung  
(GSAV)<sup>2</sup> des Bundesministerium der Gesundheit,**

**insbesondere bezüglich der Bestimmungen, die die sogenannten „Orphan  
Drugs“ betreffen**

## **1. Wichtige Vorbemerkungen**

### ***Es gibt viel zu wenige Orphan Drugs!***

Es gibt nur etwa 150 Medikamente mit aktuellem oder ehemaligem Orphan-Drug-Status<sup>3</sup>. Dem stehen geschätzte 8.000 Seltene Erkrankungen gegenüber. Für die vier Millionen Menschen, die von diesen schweren und oft lebensverkürzenden Erkrankungen betroffen sind, stehen viel zu wenige Behandlungsmöglichkeiten zur Verfügung. **Im Bereich der Orphan Drugs gibt es kein Problem der Überversorgung, sondern eine klare Unterversorgung.** Die wenigen Orphan Drugs, die es gibt, verursachen demnach auch nur wenige Kosten, zurzeit etwa 3,7 % aller Arzneimittelkosten.<sup>4</sup>

Vor der Zulassung eines Orphan Drugs muss dieses die gleichen Standards erfüllen, die auch für Medikamente für häufigere Erkrankungen gelten. Der Hersteller muss Wirksamkeit, Sicherheit und Qualität belegen. Diese Prüfung übernimmt die Europäische Arzneimittelagentur (EMA). Die Medikamente werden zentral für alle EU-Länder zugelassen.<sup>5</sup>

Zusätzlich zu den regulären Anforderungen muss der Hersteller eines Orphan Drugs außerdem noch ein „significant benefit“, einen relativen „erheblichen Zusatznutzen“, vor der EMA belegen. Der relative Nutzen eines Orphan Drugs wird deshalb schon auf europäischer Ebene geprüft, bevor das Produkt auf den deutschen Markt kommt. Die bestehende gesetzliche Regelung im § 35a Absatz I Satz 10 SGB V stellt deshalb keine „Privilegierung“ von Orphan Drugs dar, sondern sie stellt lediglich sicher, dass die Nutzenbewertung für diese Produkte nicht doppelt ausgeführt wird.

---

<sup>1</sup> Die ACHSE setzt sich als Dachverband von 130 Selbsthilfeorganisationen für die Belange von den geschätzten 4 Millionen Menschen, die in Deutschland mit einer Seltenen Erkrankung leben, ein. Sie gibt den Seltenen eine Stimme! Siehe: [www.achse-online.de](http://www.achse-online.de).

<sup>2</sup> [https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3\\_Downloads/Gesetze\\_und\\_Verordnungen/GuV/G/GSAV\\_RefE.pdf](https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Gesetze_und_Verordnungen/GuV/G/GSAV_RefE.pdf)

<sup>3</sup> Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens, die nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen worden sind werden verkürzt als „Orphan Drugs“ bezeichnet.

<sup>4</sup> <https://www.vfa.de/de/anzneimittel-forschung/woran-wir-forschen/orphan-drugs-medikamente-gegen-seltene-erkrankungen.html>

<sup>5</sup> [https://europa.eu/european-union/about-eu/agencies/ema\\_de](https://europa.eu/european-union/about-eu/agencies/ema_de)

### ***Weitere Datenerhebung nach Zulassung ist der richtige Weg!***

**Es ist aus Sicht der ACHSE absolut erstrebenswert nach der Zulassung, systematisch weitere Daten zur Wirksamkeit, den Nebenwirkungen, dem relativen Nutzen und anderen relevanten Daten zu sammeln.** Zulassungsstudien werden gezwungenermaßen über eine relativ kurze Zeitspanne durchgeführt, damit Betroffene innerhalb vertretbarer Zeit Zugang zu einem Medikament bekommen können. Die Zulassungsstudien können deshalb in der Regel nicht darstellen, welche Wirkungen und Nebenwirkungen das Medikament bei längerer Nutzungsdauer zeigt bzw. welchen Einfluss dies auf die Lebensqualität und/oder die Mortalität hat. Dies muss nach der Zulassung festgehalten werden und zwar nicht in der Form einer frühen Nutzenbewertung, sondern als kontinuierliche Datenerhebung und regelmäßige Analyse dieser Daten. **Nur so kann die Versorgung der Betroffenen und damit ihre Lebensqualität auf Dauer verbessert werden, der Nutzen von neuen Produkten auch im Laufe der Verwendung analysiert und bei Bedarf anders bewertet werden.** Patienten haben einerseits ein großes, teilweise existentielles, Interesse an einem schnellem Zugang zu Arzneimitteln. Andererseits haben sie kein Interesse daran, dass Produkte auf dem Markt bleiben, die sich bei näherer Betrachtung doch nicht bewähren.

### ***Eine nationale Datenerhebung ist nicht die Antwort auf die Bedürfnisse von Menschen mit Seltenen Erkrankungen***

Die Nutzenbewertung des Gemeinsamen Bundesausschusses dient nicht in erster Linie der Verbesserung der Versorgung, sondern sie wurde aufgesetzt um eine angemessene Preisgestaltung zu ermöglichen. Dass die Produkte wirksam und sicher sind ist mit der Zulassung schon offiziell festgestellt worden. Der zu verhandelnde Preis sollte im Verhältnis zum Mehrwert, zum Zusatznutzen, stehen. Einfach gesagt: Produkte, die deutlich besser sind als der bisherige Standard sollten auch deutlich besser vergütet werden.

Etwa 50 Prozent der Orphan Drugs<sup>67</sup> wird zurzeit ein „nicht quantifizierbarer“ Zusatznutzen bescheinigt. Dies heißt nicht, dass diese Medikamente nicht nützlich oder gar schädlich wären, sondern dass das Ausmaß des Zusatznutzens nicht bestimmt werden kann, weil „die wissenschaftliche Datengrundlage dies nicht zulässt“.

Die Datengrundlage lässt dies oft nicht zu, weil die Studien nicht die Fragen beantworten, die der G-BA und/oder das IQWiG gerne beantwortet hätten. Die Zulassungsbehörde EMA und die verschiedenen HTA-Behörden in Europa haben regelmäßig unterschiedliche Auffassungen über die zweckmäßige Vergleichstherapie, die richtigen Endpunkte etc. Wenn die Zulassungsstudie abgeschlossen ist, können solche abweichenden Fragen der HTA-Behörden nicht mehr beantwortet werden. Im Interesse der Patienten und um Ressourcen zu schonen muss unbedingt frühzeitiger geklärt werden, welche Daten

---

6 [https://www.gkv-spitzenverband.de/media/dokumente/presse/pressemitteilungen/2016/PM\\_2016-01-21\\_Orphan\\_Drugs.pdf](https://www.gkv-spitzenverband.de/media/dokumente/presse/pressemitteilungen/2016/PM_2016-01-21_Orphan_Drugs.pdf)

7 <https://www.vfa.de/embed/pos-orphanodrugs.pdf>

sowohl für die Zulassung, als auch für die anschließende Nutzenbewertung gebraucht werden. Deshalb unterstützt die ACHSE auch den Vorschlag der EU-Kommission für ein europäisches HTA.<sup>8</sup> Siehe dazu unsere Stellungnahme vom 01. August 2018.<sup>9</sup> Je besser die Studiendaten sind um so weniger muss anschließend in einer Datenerhebung nach Zulassung ermittelt werden.

Der Gesetzgeber hat vorgesehen, dass bei einem „nicht quantifizierbaren Zusatznutzen“ ein Preis erstattet werden kann, der über den Kosten der zweckmäßigen Vergleichstherapie liegt. Wenn zu diesem Zeitpunkt keine bessere Evidenz hätte vorgelegt werden können, ist das auch richtig so. Nur wenn es für die Industrie attraktiv bleibt, sich für die Forschung nach Orphan Drugs zu engagieren, werden neue Medikamente für die vielen Seltenen Erkrankungen entwickelt werden.

**Da wir nicht alles vor der Zulassung erfassen können, ist es im Interesse aller, dass die Evidenz zu dem Produkt nach der Zulassung noch verbessert wird. Die ACHSE unterstützt ausdrücklich, dass nach Zulassung eines Arzneimittels weitere Daten zum Wirken und Nutzen eines Arzneimittels erhoben werden und auch, dass dies Konsequenzen für die Preisgestaltung haben kann.**<sup>10</sup>

**Eine nationale Datenerhebung ist aber nicht die Antwort auf die Bedürfnisse von Menschen mit Seltenen Erkrankungen. Weil die Erkrankungen selten sind, werden die Studien international durchgeführt, die Zulassung wird auf europäischer Ebene gewährt und auch die Datenerhebung nach Zulassung sollte auf europäischer Ebene stattfinden.**<sup>11</sup>

**Menschen mit Seltenen Erkrankungen brauchen eine nachhaltige Erhebung von allen relevanten Versorgungsdaten, damit beforscht wird, wie die Behandlung ihrer Erkrankung verbessert werden kann. Eine überhastet eingeführte Änderung der bewährten Orphan Drug Regelung fördert ihre Versorgung jedoch nicht.**

## **2. Zum Gesetzesentwurf**

Die ACHSE begrüßt das Vorhaben, die Arzneimittelversorgung in Deutschland sicherer zu gestalten. Mit dem GSAV zieht der Gesetzgeber die Konsequenzen aus Vorkomnissen, die das Vertrauen der Patienten in das Gesundheitssystem beeinträchtigt haben. Wir verweisen für eine allgemeine Kommentierung des Gesetzesentwurfes auf die Ausführungen unseres Dachverbandes, der BAG SELBSTHILFE.

---

<sup>8</sup> [https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/technology\\_assessment/docs/com2018\\_51final\\_en.pdf](https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/technology_assessment/docs/com2018_51final_en.pdf)

<sup>9</sup> [https://www.achse-online.de/de/was\\_tut\\_ACHSE/stellungnahmen/20180801\\_Stellungnahme\\_zum\\_Vorschlag\\_des\\_EU-Parlaments\\_und\\_.php](https://www.achse-online.de/de/was_tut_ACHSE/stellungnahmen/20180801_Stellungnahme_zum_Vorschlag_des_EU-Parlaments_und_.php)

<sup>10</sup> Dies ist auch die Position unseres europäischen Dachverbandes EURORDIS. Siehe hierzu das sehr lesenswerte Positionspapier „Breaking the Access Deadlock to Leave No One Behind“

[http://download2.eurordis.org.s3.amazonaws.com/positionpapers/eurordis\\_access\\_position\\_paper\\_final\\_41220\\_17.pdf](http://download2.eurordis.org.s3.amazonaws.com/positionpapers/eurordis_access_position_paper_final_41220_17.pdf)

<sup>11</sup> Auch die Versorgung wird durch die European Reference Centers stets besser europäisch vernetzt. Hierzu gehören auch europäische Register, europäische Forschungsprojekte etc.

Gleichzeitig werden mit dem Entwurf des GSAV Änderungen für die Regelung von Medikamenten für Seltene Erkrankungen (Orphan Drugs) angestrebt, die große Auswirkungen für die Betroffenen haben können.

**a. Zu Artikel 12 Änderung des Fünften Buches Sozialgesetzbuch -**

***Neukalkulation der 50 Mio.-Grenze - § 35a Satz 12 SGB V***

Für Orphan Drugs muss bis zu einer Umsatzgrenze von 50 Mio. Euro (§ 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V) nur ein eingeschränktes Dossier eingereicht werden. Überschreitet ein Orphan Drug diese Umsatzschwelle, führt der GBA ein vollumfängliches neues Zusatznutzenbewertungsverfahren durch. Unseres Wissens nach haben zurzeit nur sechs Arzneimittel die Umsatzgrenze von 50 Mio. Euro überschritten. Anscheinend wurde zwei Orphan Drugs kein Zusatznutzen mehr bescheinigt. Ob der Preis dieser wenigen umsatzstarken Produkte anschließend gesunken ist, ist uns nicht bekannt.

**Es ist uns völlig unklar, wie die Umsätze im stationären Bereich ermittelt werden sollten, da die DRGs den Anteil der Arzneimittelkosten nicht spezifizieren. Der Aufwand, der nötig ist, um ein Verfahren zu etablieren, diese Kosten auf anderen Wegen zu ermitteln, wird hoch sein. Es ist zu befürchten, dass der Aufwand nicht im Verhältnis zu den möglichen Mehreinnahmen steht.**

**b. Zu Artikel 12 Änderung des Fünften Buches Sozialgesetzbuch -**

***Datenerhebung - § 35a Absatz 3a SGB V***

Bislang galt, dass im Dossier für Medikamente für Seltene Leiden (Orphan Drugs) keine Angaben zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie gemacht werden mussten. Die Begründung dieser Ausnahme war, dass das pharmazeutische Unternehmen schon bei der Zulassung einen „significant benefit“, d.h. einen relativen erheblichen Zusatznutzen, belegen musste.

Durch die Ausnahme, die in Artikel 35a Absatz 1 Satz 11 aufgenommen werden soll, kann der Gemeinsame Bundesausschuss bei Arzneimitteln die von der European Medicine Agency (EMA) entweder für Seltene Leiden (Orphan Drugs) oder mit bedingter Zulassung zugelassen worden sind, vom pharmazeutischen Unternehmer „die Vorlage Anwendungsbegeleitender Datenerhebungen oder Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung fordern“. Die näheren Vorgaben an die Dauer, die Art und den Umfang der Datenerhebung und der Auswertung, einschließlich der zu verwendenden Formate, werden vom Gemeinsamen Bundesausschuss bestimmt.

**Die ACHSE befürchtet negative Auswirkungen auf den Zugang zu den Medikamenten sowie auf die Forschung und Entwicklung, wenn eine solche neue Datenerhebung nicht im Vorfeld mit den verschiedenen Akteuren in Deutschland sowie den anderen HTA-Behörden in Europa abgestimmt wird. Die Orphan Drugs werden mit einer „Market Authorisation“ für ganz Europa zugelassen. Die Datenerhebung des GSAV wird nur für Deutschland verpflichtend eingeführt. Die Anforderungen an eine solche Datenerhebung**

**dürfen nicht ohne Berücksichtigung der Anforderungen anderer HTA-Behörden formuliert werden. Nach einer zentralen Zulassung würde idealerweise auch eine zentrale Datenerhebung nach Zulassung etabliert werden.**

Wenn die Hersteller verschiedene Datenerhebungen für unterschiedliche EU-Staaten umsetzen müssen, dann wird dadurch das Wissen fragmentiert. Unübersichtliche Rahmenbedingungen und verschiedene Anforderungen in der EU hemmen außerdem die Forschung und Entwicklung und schaden damit die vielen Betroffenen für die es noch kein wirksames Arzneimittel gibt. Eine weitere Datenerhebung nur in Deutschland könnte außerdem ein Anreiz für eine verspätete Markteinführung in Deutschland sein.

Die vorgeschlagene Datenerhebung wurde im Vorfeld – soweit uns bekannt ist - nicht mit den verschiedenen Akteuren beraten. Es gibt keine gemeinsame Vorstellung darüber, wie eine solche Datenerhebung umgesetzt werden könnte.

**Die ACHSE ruft das BMG dazu auf, zuerst die Möglichkeiten einer gemeinsamen EU-Regelung zu prüfen. Wenn auf EU-Ebene tatsächlich ein gemeinsames HTA eingeführt wird, können zugleich gemeinsame Regelungen für eine Datenerhebung nach der Zulassung etabliert werden. Es gibt keine zwingenden Gründe, warum eine bewährte Orphan Drug Regelung jetzt im Schnellverfahren geändert werden müsste.**

#### ***Beschränkung Verordnungsbefugnis auf sich beteiligende Ärzte***

Der GBA kann die Verordnung des Arzneimittels auf die Vertragsärzte oder Einrichtungen beschränken, die an der zusätzlichen Anwendungsdatenerhebung teilnehmen. **Die ACHSE befürchtet, dass dies mit einer Verschlechterung der Versorgung von Betroffenen einhergeht. Es ist sicherzustellen, dass alle Patienten Zugang zu den neuen Produkten behalten. Es darf ihnen dieser Zugang nicht aus organisatorischen Gründen, die mit der Datenerhebung zusammenhängen, verwehrt werden.**

Die ACHSE fordert schon seit Jahren die Realisierung der NAMSE-Zentrenstruktur, in der die spezialisierte Versorgung durch Zentren verantwortet und in Kooperation mit Versorgern vor Ort realisiert wird. Diese vernetzten Strukturen gibt es in dieser Form zurzeit nicht. Patienten mit Seltenen Erkrankung tun sich im Gegenteil oft sehr schwer medizinische Experten zu finden, die sich mit diesen Erkrankungen auskennen. Für viele Betroffenen ist es aktuell schon schwierig überhaupt einen Arzt an der Seite zu haben, der die notwendigen Medikamente verordnet.

Eine Teilnahme an einer Datenerhebung erfordert Kapazitäten, die möglicherweise nicht von allen Ärzten, die die betreffende Erkrankung behandeln, erbracht werden können, zumal nicht klar ist, wie diese Aufgaben vergütet werden. Nicht jeder Hausarzt oder normaler Facharzt kann sich an der Datenerhebung für Seltene Erkrankungen in einem Register beteiligen – d.h. ein Register verstehen, ein Profil einrichten, sich im Detail mit der Erkrankung auskennen - wenn dieser z.B. nur

Folgerezepte ausstellen soll. Die Experten in den Zentren für Seltene Erkrankungen und andere engagierte Ärzte werden möglicherweise die Ressourcen und das wissenschaftliche Interesse haben, sich an solch – wichtigen! – Datenerhebungen zu beteiligen. Wenn das Gesundheitswesen sich nicht strukturell auf die Erhebung von Versorgungsdaten einstellt, wird es nicht möglich sein, bei einer vereinzelt Datenerhebung alle Patienten zu erfassen, die das Medikament benötigen. Diese Patienten dürfen wir nicht von der Versorgung mit neuen Arzneimitteln, mit denen sie Hoffnungen für eine bessere Lebensqualität oder ein längeres Leben verbinden, ausschließen.

**c. Zu Artikel 12 Änderung des Fünften Buches Sozialgesetzbuch -**

***Neuverhandlung Erstattungsbetrag - § 130b SGB V***

Die neuen Sätze in Absatz 3 würden bestimmen: „Sofern sich im Fall der Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens anhand der gewonnenen Daten keine Quantifizierung des Zusatznutzens belegen lässt, ist ein Erstattungsbetrag zu vereinbaren, der zu in angemessenem Umfang geringen Jahrestherapiekosten führt als der zuvor vereinbarte Erstattungsbetrag.“

**Die ACHSE befürwortet, dass der Preis eines Produkts im Falle von neuen Erkenntnissen zum Nutzen des Arzneimittels neu verhandelt werden kann. Im Interesse der Patienten sollte eine solche Verhandlung jedoch sowohl einen höheren als auch einen niedrigeren Preis als bisher zum Ergebnis haben können. Wenn feststeht, dass die Hersteller durch die Datenerhebung nur zu verlieren haben, werden sie deutlich höhere Erstpreise verhandeln, damit die zukünftige Preissenkung eingepreist ist. Aber noch wichtiger: Wenn die Datenerhebung nur eine wirtschaftliche Gefahr darstellt, entsteht nicht das richtige Umfeld, dass diese für die Patienten wichtigen Daten gewissenhaft und mit wissenschaftlichem Ehrgeiz erhoben werden. Wir müssen die Datenerhebung zu einem gemeinsamen Anliegen machen.**

**FAZIT**

Die ACHSE unterstützt ausdrücklich, dass nach Zulassung eines Arzneimittels weitere Daten zum Wirken und Nutzen eines Arzneimittels erhoben werden und auch dass dies Konsequenzen für die Preisgestaltung haben kann. Eine nationale Datenerhebung ist aber nicht die Antwort auf die Bedürfnisse von Menschen mit Seltenen Erkrankungen. Die Datenerhebung sollte auf europäischer Ebene organisiert werden.

Menschen mit Seltenen Erkrankungen brauchen eine nachhaltige Erhebung von allen relevanten Versorgungsdaten, damit beforscht wird, wie die Behandlung ihrer Erkrankung verbessert werden kann. Eine überhastet eingeführte Änderung der bewährten Orphan Drug Regelung fördert ihre Versorgung nicht und gefährdet den bisher sehr guten Zugang zu den wenigen verfügbaren Arzneimitteln.