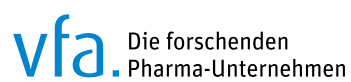




BAYERISCHER
PHARMA
GIPFEL
2024

GEMEINSAME ERKLÄRUNG
VOM 29. JULI 2024

Im Dialog mit



Inhalt

Präambel – Pharmastandort Bayern: Zukunftssicher, stark und innovativ	5
Arzneimittelversorgung in Europa sichern, Pharma- und Biotechstandort stärken	7
Arzneimittel-Versorgungsengpässe entschieden bekämpfen – Lieferketten und Versorgungssicherheit stärken	10
Zugang zu Orphan Drugs sicherstellen	13
AMNOG zukunftssicher weiterentwickeln – Fehlentwicklungen des GKV-FinStG korrigieren	16
Klinische Forschung stärken	21
Chancen und Potenziale von Gesundheitsdaten stärker nutzen	23

Präambel – Pharmastandort Bayern: Zukunftssicher, stark und innovativ

Die Partner des Bayerischen Pharmagipfels stehen für ein nachhaltiges, innovatives, patientenorientiertes und gleichzeitig finanzierbares Gesundheitssystem mit bestmöglichem Zugang zu innovativer Diagnostik und Therapie einschließlich digitaler Innovationen für alle Patientinnen und Patienten.

Die Stärkung des Pharma- und Biotechnologiestandorts Bayern und die zukunftssichere Arzneimittelversorgung sind dazu unverzichtbar.

Bedeutung Gesundheitswirtschaft

Die Gesundheitswirtschaft ist eine Leitindustrie des 21. Jahrhunderts und daher gerade auch für den Standort Bayern von erheblicher ökonomischer Bedeutung. In der gegenwärtigen volatilen wirtschaftlichen Lage ist sie nach wie vor eine der Wachstumsbranchen und ein Beschäftigungsmotor. Die hierzulande entwickelten und produzierten Arzneimittel sorgen vor, verringern gesundheitliche Leiden und helfen Betroffenen in Bayern, Deutschland und weltweit. Damit zeichnet sich die pharmazeutische Industrie durch einen hohen volkswirtschaftlichen Nutzen aus.

Eine starke Pharma- und Biotechbranche ist deshalb ein unverzichtbarer Beitrag für wirtschaftliches Wachstum, Beschäftigung und Wohlstand.

Notwendige Verbesserung der Rahmenbedingungen

Mit der Nationalen Pharmastrategie, die am 13. Dezember 2023 vom Bundeskabinett beschlossen wurde, legt die Bundesregierung erstmals Handlungskonzepte vor, um den Forschungs- und Produktionsstandort Deutschland wieder attraktiver zu machen. Die Partner des Bayerischen Pharmagipfels begrüßen die damit verbundene Anerkennung der pharmazeutischen Industrie als Schlüsselsektor und bedeutenden Teil der kritischen Infrastruktur. Insbesondere wird begrüßt, dass nunmehr Ziele und Maßnahmen aufgegriffen wurden, die bereits seit Längerem vom Bayerischen Pharmagipfel betont und vorgeschlagen wurden.

Die in den letzten Monaten verkündeten Investitionen von pharmazeutischen Unternehmen u.a. auch in Bayern wurden lange vor der Verabschiedung der Nationalen Pharmastrategie vorbereitet. Die endgültigen Investitionsentscheidungen sind nun im Vertrauen auf die zügige Umsetzung der Strategie getroffen worden. Mit den Digitalgesetzen (Digitalgesetz, Gesundheitsdatennutzungsgesetz, Gesundheits-Digitalagentur-Gesetz) und dem Medizinforschungsgesetz wurden seitens des Bundes erste Inhalte zur Umsetzung der Pharmastrategie angestoßen. Aber das deutsche Gesundheitssystem muss digitaler, entbürokratisierter, innovationsfreundlicher und verlässlicher werden – und zwar schnell. Auch der aktuelle Negativtrend bei der Anzahl klinischer Studien muss rasch und nachhaltig umgekehrt werden – Deutschland ist hier in wenigen Jahren von Platz 2 auf Platz 7 weltweit abgerutscht. Dafür sind weitere Schritte dringend nötig.

Die Partner des Bayerischen Pharmagipfels fordern die Bundesregierung auf, die Nationale Pharmastrategie rasch umzusetzen und stehen für eine pragmatische Umsetzung zur Verfügung.

Für eine erfolgreiche Implementierung der Nationalen Pharmastrategie ist es nötig, noch bestehende Handbremsen zu lösen. Vor allem müssen die mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinStG) eingeführten innovationsfeindlichen Maßnahmen revidiert werden. Schon jetzt zeichnen sich negative Auswirkungen

auf die Versorgung ab. Denn in jeder Branche gilt: Wo der Marktzugang schlecht ist, wird nicht geforscht und nicht produziert. Zudem werden dort Investitionen langfristig in Frage gestellt.

Ein nachhaltiger Erstattungsrahmen ist auch essenziell für die strategische Absicherung von Lieferketten und damit für eine resiliente und bedarfsgerechte Patientenversorgung. Die zuletzt aufgetretenen massiven Liefer- und Versorgungsengpässe im Bereich der generischen Grundversorgung machen deutlich, dass hier politisches Handeln über das Arzneimittel-Lieferengpassbekämpfungs- und Versorgungsverbesserungsgesetz (ALBVVG) hinaus notwendig ist. Dies gilt für innovative Arzneimittel und Generika gleichermaßen.

Die Partner des Pharmagipfels fordern, die Rahmenbedingungen für innovative Arzneimittel und für Generika zu verbessern, um die für eine ausreichende Arzneimittelversorgung notwendige Diversifizierung im Markt zu gewährleisten.

Schwerpunkte des Bayerischen Pharmagipfels 2024

Die Bayerischen Staatsministerien für Gesundheit, Pflege und Prävention (StMGP), für Wirtschaft, Landesentwicklung und Energie (StMWi) sowie für Wissenschaft und Kunst (StMWK) stehen im Rahmen des Bayerischen Pharmagipfels im engen Austausch mit den Verbänden und Unternehmen der Pharma- und Biotechbranche. Gemeinsam wurden die Schwerpunktthemen für den diesjährigen Bayerischen Pharmagipfel erarbeitet. Im Fokus stehen dabei neben der Revision des EU-Arzneimittelrechts (EU-Pharmapaket), die sich auch auf den Pharmastandort Bayern auswirken wird, in erster Linie resiliente Lieferketten und damit eine robuste Versorgung mit Arzneimitteln sowie eine nachhaltige Weiterentwicklung der Zugangsvoraussetzungen für Orphan Drugs. Die Nutzung von Gesundheitsdaten und eine erfolgreiche Digitalisierung wurden ebenfalls als entscheidende Elemente für eine effiziente und bedarfsgerechte Versorgung identifiziert.

Die Partner des Bayerischen Pharmagipfels haben dazu gemeinsam Ziele und Maßnahmen in sechs Handlungsfeldern erarbeitet, um die zukünftigen Herausforderungen erfolgreich anzugehen:

- **Arzneimittelversorgung in Europa sichern, Pharma- und Biotechstandort stärken**
- **Arzneimittel-Versorgungsengpässe entschieden bekämpfen – Lieferketten und Versorgungssicherheit stärken**
- **Zugang zu Orphan Drugs sicherstellen**
- **AMNOG zukunftssicher weiterentwickeln – Fehlentwicklungen des GKV-FinStG korrigieren**
- **Klinische Forschung stärken**
- **Chancen und Potenziale von Gesundheitsdaten stärker nutzen**

Der Bayerische Pharmagipfel 2024 setzt den offenen und erfolgreichen Dialog der Bayerischen Staatsregierung mit der pharmazeutischen Industrie auch in der aktuellen Legislaturperiode fort. Vor dem Hintergrund der bestehenden und kommenden Herausforderungen sind Austausch und Zusammenarbeit von besonderer Bedeutung und ein entscheidender Beitrag für eine gesunde und resiliente Gesellschaft in Bayern und Deutschland.

Arzneimittelversorgung in Europa sichern, Pharma- und Biotechstandort stärken

Position

Die Pharma- und Biotechindustrie erforscht lebenswichtige Arzneimittel und stellt diese bereit. Damit ist sie einer der Grundpfeiler der wirtschaftlichen Stärke Bayerns, Deutschlands und Europas. Die rechtlichen Rahmenbedingungen, wie sie von der EU gesetzt werden, spielen eine zentrale Rolle. Jetzt müssen die Weichen für die kommende EU-Legislatur gestellt werden. Auf EU-Ebene müssen attraktive Rahmenbedingungen für den pharmazeutischen Forschungs- und Produktionsstandort geschaffen werden, um die Versorgung mit innovativen Arzneimitteln in der gesamten EU und somit auch im Freistaat zu sichern. Ein attraktiver Standort braucht Rahmenbedingungen, die langfristige Investitionsentscheidungen ermöglichen – und nicht Überregulierung und Bürokratie.

Die EU-Kommission hat zwar erkannt, dass das EU-Verfahren für die Prüfung und Zulassung von Arzneimitteln modernisiert, entbürokratisiert und beschleunigt werden muss. Denn derzeit ist die EU im Vergleich mit den USA, Kanada, Japan und Neuseeland am langsamsten bei der Zulassung neuer Arzneimittel (EFPIA 2023). Das EU-Pharmapaket soll den Standort Europa für Forschung und Entwicklung attraktiver machen und den (zeitnahen) Zugang zu innovativen Therapien verbessern. Es sind aber weitere Nachjustierungen und Änderungen erforderlich.

Voraussetzung und maßgeblicher Treiber von Innovation sind geistige Eigentumsrechte. Ein starker Patentschutz, ein effektiver Unterlagenschutz und eine Marktexklusivität für Orphan Drugs spielen im globalen Wettbewerb eine entscheidende Rolle. Das Patentrecht und auskömmliche Schutzrechte sind für die forschungsintensive Pharmabranche, die 17 % ihres Umsatzes (vfa, 2018) in Forschung und Entwicklung (F&E) investiert, die zentralen Faktoren für Innovation.

Das Patent- und Anreizsystem in Europa hat sich bewährt und ist im weltweiten Vergleich konkurrenzfähig: In den letzten zehn Jahren wurden europaweit 351 Arzneimittel für Kinder zugelassen. Außerdem wurden in der EU bisher rund 245 Arzneimittel zur Behandlung seltener Erkrankungen zugelassen. Zudem haben forschende Pharma- und Biotechnologieunternehmen in Rekordzeit Impfstoffe und Arzneimittel gegen COVID-19 entwickelt, diese zur Zulassung gebracht und deren Großproduktion aufgebaut.

Das geplante EU-Pharmapaket droht dieses erfolgreiche System zu schwächen. Problematisch sind insbesondere die von der EU-Kommission vorgeschlagene Verkürzung des Basis-Unterlagenschutzes sowie die Schwächung der Marktexklusivität. Eine Aushöhlung des Schutzes des geistigen Eigentums würde die Innovations- und Wettbewerbsfähigkeit forschender Pharma- und Biotechunternehmen schwächen – mit gravierenden Folgen für die Attraktivität der Pharmastandorte Bayern, Deutschland und Europa. Dies könnte die Versorgungssituation bei innovativen Arzneimitteln verschlechtern. Schon jetzt führen die im Vergleich zu den USA weniger attraktiven Marktbedingungen (z.B. Geschwindigkeit von Zulassungen, regulatorische Unterstützung von Unternehmen) in Europa dazu, dass über 100 in den USA zugelassene Wirkstoffe in der EU nicht verfügbar sind (vfa, 2024).

Das gilt insbesondere für den Bereich der seltenen Erkrankungen. Zwar war die Orphan-Drug-Verordnung (EG 141/2000) ein großer Erfolg. Bis Ende 2023 wurden mehr als 230 Orphan Drugs gegen über 170 seltene Krankheiten zugelassen. Die jetzt von der Kommission und dem Europäischen Parlament vorgeschlagenen

Änderungen am System der Marktexklusivität für Orphan Drugs konterkarieren jedoch das erfolgreiche System der Orphan-Drug-Verordnung. Die Kürzung der Marktexklusivität und die weiteren Beschränkungen und Anpassungen werden dazu führen, dass die Forschung und Entwicklung (F&E) im Bereich der seltenen Erkrankungen ausgebremst wird. Es ist zu befürchten, dass die Umsetzung der Pläne der EU-Kommission in der jetzigen Fassung zu einer Reduktion der Innovationen um 12% führen könnte (insgesamt 45 weniger Neueinführungen von Orphan Drugs in den nächsten 10 bis 15 Jahren).¹ Dies würde nicht nur die F&E-Ausgaben in Europa um 4,5 Mrd. Euro reduzieren, sondern auch den Zugang zu Orphan Drugs erheblich einschränken.

Statt geistige Eigentumsrechte zu schwächen, müssen vielmehr Anreize für die Neuentwicklung von dringend benötigten Therapien gesetzt werden. Das gilt insbesondere für die Erforschung von neuen Antibiotika, die im Kampf gegen resistente Erreger dringend benötigt werden. Das von der EU-Kommission vorgeschlagene Modell der übertragbaren Exklusivitätsgutscheine kann die Entwicklung neuer Antibiotika wiederbeleben und den Forschungs- und Entwicklungsstandort Bayern und Deutschland stärken. Dazu muss das Gutscheinsystem allerdings so ausgestaltet sein, dass wirksame Anreize für F&E gesetzt werden. Die von der EU vorgeschlagenen Kriterien sind so streng, dass wohl keine Neuentwicklung der vergangenen Jahre von den übertragbaren Exklusivitätsgutscheinen profitiert hätte.

Die Abwägung zwischen Umweltschutz und Gesundheitsnutzen sollte überall dort, wo es keine Therapiealternativen gibt, zu Gunsten des Gesundheitsnutzens ausfallen. Das Ziel sollte darin bestehen, die Umweltauswirkungen zu minimieren, ohne den Zugang der Patientinnen und Patienten zu Arzneimitteln zu beeinträchtigen.

Ziel

Die internationale Wettbewerbsfähigkeit ist zu stärken, um die beste Arzneimittelversorgung für Patientinnen und Patienten in Bayern, Deutschland und Europa zu gewährleisten. Für einen starken Forschungsstandort braucht es die besten Rahmenbedingungen. Dazu gehören ein starker Patent- und Unterlagenschutz sowie ein attraktives regulatorisches Umfeld für die Therapien von morgen.

¹ Vgl. Dolon-Report: „Revision of the Orphan Regulation: Estimated impact on incentives for innovation of changes proposed by the European Commission“, S. 7: <https://www.efpia.eu/media/tigiq5g5/revision-of-the-orphan-regulation-estimated-impact-on-incentives-for-innovation-of-changes-proposed-by-the-european-commission.pdf>

Maßnahmen

Im Rahmen der Verhandlungen zum EU-Pharmapaket setzt sich Bayern in Europa und beim Bund für folgende Maßnahmen ein:

- Einen starken Patent- und Unterlagenschutz als zentralen Innovationsanreiz und als Wettbewerbsvorteil Europas schaffen. Die im EU-Pharmapaket vorgesehene Verkürzung der Schutzrechte beim Unterlagenschutz und bei der Marktexklusivität bei Orphan Drugs muss verhindert werden.
- Neue Anreize für die Entwicklung von Antibiotika durch übertragbare Exklusivitätsgutscheine als wichtigen Beitrag im Kampf gegen Antibiotika-Resistenzen und zur Stärkung der Antibiotika-Forschung. Dabei sollten die Kriterien für den Erhalt eines Gutscheins und die Übertragbarkeit der Exklusivitätsgutscheine möglichst wirksame Anreize schaffen. Insbesondere sollte die Beschränkung auf die Vergabe von maximal zehn Gutscheinen in 15 Jahren aufgehoben werden.
- Modernisierung, Entbürokratisierung und Beschleunigung der Europäischen Arzneimittelzulassung – jedoch ohne die hohen Anforderungen an Qualität, Wirksamkeit und Unbedenklichkeit neuer Arzneimittel aufzuweichen. Dazu zählen die Ausweitung der wissenschaftlichen Beratung (Scientific Advice) durch die EMA, die Ausweitung der beschleunigten Bewertungen (Accelerated Assessments) auch für neue Indikationen und Line Extensions (z.B. Zulassungserweiterung bei neuen Darreichungsformen oder Kombinationspräparaten) und die Ausweitung von Phased Reviews auch für Produkte von besonderem Interesse für die öffentliche Gesundheit, neue Indikationen und Line Extensions.
- Umweltbewertungen von Arzneimitteln, die die Verfügbarkeit von Therapien an erste Stelle setzen, ohne die Umweltverträglichkeit von Arzneimitteln außer Acht zu lassen.

Arzneimittel-Versorgungsengpässe entschieden bekämpfen – Lieferketten und Versorgungssicherheit stärken

Position

Pharma-Produktionsstandorte in Bayern, Deutschland oder der EU tragen wesentlich zu einer sicheren Arzneimittel-Versorgung bei und schützen vor Versorgungsengpässen. Um ökonomisch im internationalen Wettbewerb unter Druck stehende europäische Produktionsstandorte zu erhalten und bestehende Standorte langfristig zu stärken, sind verlässliche Rahmenbedingungen für neue Investitionen in Produktionsanlagen erforderlich.

Die Zahl der Lieferengpässe bei Arzneimitteln ist in den letzten Jahren deutlich angestiegen. Hiervon sind insbesondere niedrigpreisige patentfreie Arzneimittel betroffen. Daneben können Lieferausfälle auch bei innovativen Arzneimitteln auftreten.

Generika haben aufgrund der sehr hohen Verordnungszahlen eine entscheidende Bedeutung für die Versorgung der Patientinnen und Patienten. Sie stehen für 80 % der verordneten Arzneimittel (nach Tagesdosen), aber netto nur für ca. 7 % der Kosten in der GKV. Versorgungsrelevante Engpässe betrafen oder betreffen u.a. Arzneimittel zur Therapie onkologischer Erkrankungen (Tamoxifen, Folate), Herz-Kreislaufarzneimittel sowie Antibiotika und Arzneimittel zur Fiebersenkung bei Kindern. Insbesondere in der Wintersaison 2022/2023 kam es zu bislang noch nie erlebten Lieferausfällen in der pädiatrischen Versorgung mit Antinfektiva und Fiebersäften. In den letzten zwei Jahren wurden in Summe sechs offizielle Versorgungsengpässe für bestimmte Arzneimittel nach § 79 Abs. 5 AMG ausgerufen – ein bis vor wenigen Jahren kaum denkbare Szenario.

Die Ursachen von Lieferengpässen bei Arzneimitteln sind vielfältig. Die Preispolitik stellt dabei einen bedeutenden Faktor dar: Generika sind in Deutschland aufgrund diverser Preisregulierungsmaßnahmen teils unterfinanziert, was dazu führt, dass der Markt immer weiter konsolidiert wird. Der hohe Kostendruck auf die Generika-Industrie hat bei vielen Wirkstoffen und Arzneimitteln zu einer Konzentration auf weltweit wenige Herstellungsstätten und zu einer Verlagerung in Drittstaaten (insbesondere nach China und Indien) geführt. Dies birgt angesichts zunehmender geopolitischer Krisen das Risiko von strategischen und technologischen Abhängigkeiten. Zudem kann diese Marktkonzentration z.B. bei Qualitätsmängeln in der Herstellung, Produktionsproblemen oder steigender Nachfrage vermehrt zu Lieferengpässen führen, denn es fehlen beispielsweise diversifizierte Lieferketten, die solche Ereignisse abpuffern könnten.

Kinderarzneimittel wie z.B. Sirup- oder Trockensaftformulierungen für Antibiotika stehen hier auch deshalb so sehr im Fokus, da ihre Herstellung im Vergleich zu festen oralen Formen deutlich aufwendiger und kostenintensiver ist, was jedoch im Erstattungssystem oftmals nicht abgebildet werden kann. Mit dem ALBVVG hat der Bundesgesetzgeber daher – auch auf bayerischen Druck hin – erstmals einige strukturelle Maßnahmen im Generika-Bereich auf den Weg gebracht, um insbesondere im Bereich der Kinderarzneimittel und Antibiotika eine Verbesserung der Versorgung zu erreichen.

Der Bund liefert damit zwar einzelne gute Ansätze, verpasst aber die Gelegenheit, ein konsistentes Konzept vorzulegen, mit dem Versorgungsengpässen auch langfristig begegnet werden kann:

- Die **Modifikation des Rabattvertragssystems für Antibiotika** mit Bezuschlagung eines Anbieters mit Wirkstoffproduktion in Europa setzt erste wichtige Schritte, um den Weg einer rein preisbezogenen Vergabe zu verlassen.
 - Alternative Vergabekriterien wie Lieferantendiversifizierung, Herstellung der Wirkstoffe in Europa und Nachhaltigkeit sowie verpflichtende Mehrfachvergaben können in Rabattvertragsmärkten mit ausreichend Wettbewerb einen wichtigen Beitrag für eine stabilere Arzneimittelversorgung und eine Stärkung des Standortes Europa leisten. Allerdings greift die Beschränkung dieser Regelungen auf Antibiotika zu kurz.
 - Begrüßt wird, dass die Europäische Kommission auf dem Weg zu einem „EU Critical Medicines Act“ eine derartige Weiterentwicklung des EU-Vergaberechts bekräftigt hat. Auch die Bundesregierung kündigt in ihrer Pharmastrategie zur Verbesserung der Rahmenbedingungen für den Entwicklungs- und Produktionsstandort Deutschland aktive Beiträge zu einer entsprechenden Anpassung des Vergaberechts auf europäischer Ebene für kritische Arzneimittel an. Die EU-Kommission und die Bundesregierung müssen diese Ankündigungen umsetzen und jetzt auch entsprechend handeln.
- Erstattungspreise hatten u.a. bei kinderspezifischen Darreichungsformen zum Teil ein nicht mehr kostendeckendes Niveau erreicht. Die Versorgung war daher aufgrund der zunehmenden Marktkonzentration teilweise dramatisch zusammengebrochen. Deshalb war es folgerichtig und dringend erforderlich, dass der Bundesgesetzgeber bei den **pädiatrischen Arzneimitteln** Festbeträge aufgehoben und Rabattverträge verboten hat, um ökonomische Anreize für einen breiteren Wettbewerb zu setzen.
- Leider zieht der Bund aus den Erfahrungen bei Generika nicht die richtigen Lehren. Vielmehr wurde eine gesetzliche **Substitutionsverpflichtung für biotechnologische Arzneimittel** in parenteralen Zubereitungen eingeführt. Damit werden auch für diese hochkomplexen Arzneimittel in sensiblen Indikationen zukünftig (exklusive) Rabattvertragsausschreibungen der Krankenkassen möglich. Aktuell ist die Versorgung mit biotechnologisch hergestellten Arzneimitteln und Biosimilars (noch) stabil. Die Entwicklung und Produktion für Biologika findet noch zum großen Teil in Deutschland und Europa statt, Bayern spielt dabei eine zentrale Rolle. Eine flächendeckende Substitution in Apotheken könnte durch zunehmenden Kostendruck auch hier zu einer ähnlichen Entwicklung wie bei den Generika führen. Zu befürchten sind Standort- und Marktkonzentrationen mit erheblichen Risiken für die Versorgungssicherheit. Dies gilt es zu verhindern.

Die Maßnahmen des ALBVVG gehen nicht weit genug. Sie erfassen nur einen Bruchteil der generischen Arzneimittel und entfalten nur unzureichende Wirkung. Zukünftige Versorgungsmängel werden sich damit nicht verhindern lassen.

Auch dem BMG ist dies bewusst, denn bereits kurz nach Inkrafttreten des Gesetzes sah sich das BMG veranlasst, auf Grundlage der sogenannten Dringlichkeitsliste für Kinderarzneimittel für die Wintersaison 2023/2024 weitere Abgabeerleichterungen für Apotheken zu implementieren und Bevorratungen zu reglementieren, um die Versorgung zu verbessern. Nachbesserungen gab es auch im Digitalgesetz mit der sogenannten „Solisten-Regelung“ für versorgungskritische Arzneimittel. Dies ist viel Stückwerk, aber keine in sich geschlossene und konsistente sowie nachhaltige Versorgungsstrategie.

Ziel

Der Bayerische Pharmagipfel fordert eine nachhaltige Strategie für generische und biotechnologische Arzneimittel, die auch mittel- und langfristig Versorgungsengpässen begegnet und den Pharmastandort Deutschland sichert. Folgende Maßnahmen sollen dies sicherstellen:

Maßnahmen

➤ **Modifizierung der Erstattungsgrundlagen**

- Insbesondere für generische Arzneimittel, die durch das Frühwarnsystem des BfArM als engpassgefährdet detektiert oder bereits als versorgungskritisch identifiziert wurden, sind die Preisregulierungsmaßnahmen einer Prüfung zu unterziehen. Dabei ist zu berücksichtigen, dass diese teils auch kumulativ wirken.
- Inflationsbedingte Kostensteigerungen können die Auskömmlichkeit in der Produktion langfristig gefährden. Im Rahmen des Festbetrags- und Rabattvertragssystems sowie bei preisverhandelten Arzneimitteln ist die Weitergabe dieser Kostensteigerungen durch den Gesetzgeber vorzusehen.

➤ **Weiterentwicklung des Rabattvertragssystems**

- Für eine stabile Versorgung ist es wichtig, dass in Rabattverträgen neben dem Preis auch weitere Vergabekriterien zu Liefersicherheit, Nachhaltigkeit und Standort hinzugezogen werden. Solche Vorgaben für die Diversifizierung von Lieferketten sind für alle Rabattverträge im Generikamarkt gesetzlich zu regeln.
- Die Bundesregierung wird aufgefordert, im Zuge der Vorbereitung eines „Critical Medicines Act“ konkrete Vorschläge für die zielgerichtete Erweiterung der vergaberechtlichen Regulierungen einzubringen.
- Exklusivverträge sind zu verbieten. Ein Zuschlag in Rabattverträgen muss für mindestens drei Anbieter erfolgen, davon mindestens für einen Bieter mit Produktionskette innerhalb der EU.

➤ **Verhinderung der Substitution bei biotechnologischen Arzneimitteln/Biosimilars**

- Eine weitreichendere Substitution für Biologika, die über den aktuell geltenden Beschluss des G-BA zu biotechnologischen Arzneimitteln in parenteralen Zubereitungen zur unmittelbaren ärztlichen Anwendung hinausgeht, muss gesetzlich unterbunden werden.

Zugang zu Orphan Drugs sicherstellen

Position

Die Versorgung von Menschen, die an einer seltenen Erkrankung leiden, ist in Deutschland bislang vergleichsweise gut. Das liegt zum einen an der im Jahr 2000 eingeführten sogenannten Orphan-Drug-Verordnung der Europäischen Union (Verordnung 141/2000). Mit dieser Verordnung wurde ein Anreizsystem geschaffen, um die Entwicklung von Therapien gegen seltene Erkrankungen zu fördern. Zum anderen legte der deutsche Gesetzgeber im AMNOG-System fest, dass bei Orphan Drugs der medizinische Zusatznutzen bis zu einer bestimmten Umsatzgrenze durch die europäische Zulassung als belegt gilt.

In den vergangenen Jahren belegte Deutschland dank dieser innovationsfreundlichen Politik einen Spitzenplatz in Europa hinsichtlich der schnellen und umfassenden Verfügbarkeit von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen und gewährleistete damit eine qualitativ hochwertige Gesundheitsversorgung. Das ist extrem wichtig für die vier Millionen Menschen in Deutschland, die an einer seltenen Krankheit leiden. Denn es handelt sich hier größtenteils um Erkrankungen, die unbehandelt lebensbedrohend sind oder zu einer chronischen Invalidität führen würden. Dennoch besteht weiterhin politischer Handlungsbedarf, denn für 95 % der bislang bekannten über 7.000 seltenen Erkrankungen gibt es bislang keine zugelassene Therapie. Der Bedarf an zielgerichteten Therapien für kleine Patientenpopulationen ist noch immer enorm.

Notwendige Weiterentwicklung des AMNOG

Die **AMNOG-Bewertungsmethodik**, die auf große Kohorten und breite Evidenzquellen ausgerichtet ist, muss dringend weiterentwickelt werden. Die strikten Vorgaben des G-BA für die Evidenzgenerierung stellen insbesondere bei Arzneimitteln gegen seltene Erkrankungen eine Hürde dar. Der G-BA verlangt randomisierte kontrollierte klinische Studien (RCT), die im Regelfall den Goldstandard darstellen. RCT sind aus folgenden praktischen und ethischen Gründen gerade bei seltenen Erkrankungen nicht immer angemessen oder durchführbar:

- Die jeweiligen Patientenpopulationen sind sehr klein, was Studien mit großen Probandenzahlen und mehreren Therapiearmen erschwert.
- Erkrankungen sind oft schwerwiegend oder letzten Endes tödlich und betreffen überproportional oft Kinder und Jugendliche. Dadurch sprechen oft ethische Gründe gegen eine Verblindung oder eine Randomisierung.

Besondere Therapie- und Evidenzsituationen müssen daher bei der Bewertung des Zusatznutzens von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen im AMNOG-System adäquat abgebildet werden. Orphan Drugs, für die Studien der höchsten Evidenzstufe oftmals unmöglich oder ethisch nicht vertretbar sind, sollten daher nicht nach den gleichen strikten Kriterien wie andere Arzneimittel bewertet werden. Im Bewertungsverfahren von Orphan Drugs sollten die bestverfügbare Evidenz sowie angepasste Bewertungskriterien zur Quantifizierung des Zusatznutzens berücksichtigt werden.

Ohne diese Nachbesserungen besteht die Gefahr, dass Deutschland beim wissenschaftlichen Fortschritt in der Arzneimittelentwicklung bei seltenen Erkrankungen zurückfällt. Dies würde eine Verschlechterung der Versorgung betroffener Patientinnen und Patienten bedeuten.

Negative Auswirkungen des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes

Die Bundesregierung hat sich mit den kumulativ wirkenden **Maßnahmen des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes (GKV-FinStG)** von dem bisherigen Ansatz entfernt, die Besonderheiten von zugelassenen Orphan Drugs im AMNOG adäquat zu berücksichtigen. Die folgenden Maßnahmen im GKV-FinStG verringern die Anreize für Unternehmen, in die Entwicklung von Arzneimittel gegen seltene Erkrankungen zu investieren, und drohen letztlich auch den Patientinnen und Patienten zu schaden, die dringend auf Therapien für ihre Erkrankung warten:

➤ Absenkung der Umsatzschwelle für Orphan Drugs von 50 Mio. auf 30 Mio. Euro

Arzneimittel für seltene Erkrankungen müssen zum Erhalt des Orphan-Drug-Status bereits im Rahmen der europäischen Zulassung zeigen, dass entweder noch keine zufriedenstellende Methode für die Diagnose, Verhütung oder Behandlung des betreffenden seltenen Leidens zugelassen wurde oder – sofern eine solche Methode besteht – sie einen signifikanten klinischen Nutzen gegenüber der Vergleichstherapie haben. Im AMNOG-Verfahren gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs bis zum Erreichen einer Umsatzschwelle als belegt, der G-BA bewertet in diesen Fällen lediglich das Ausmaß des Zusatznutzens.

Diese Umsatzschwelle wurde Ende 2022 von 50 Mio. Euro auf 30 Mio. Euro gesenkt, auch rückwirkend. Bei Überschreiten dieser Schwelle müssen sich die entsprechenden Orphan Drugs einer regulären Nutzenbewertung unterziehen, wodurch dieselben Evidenzanforderungen an sie gelegt werden, wie an alle anderen Arzneimittel.

Die Absenkung der Umsatzschwelle kann somit dazu führen, dass bereits in der Versorgung angekommene Orphan Drugs nach Erreichen der Umsatzschwelle ihren Zusatznutzen aufgrund der strikten G-BA-Bewertungsmethodik nicht belegen können.

Dabei wird ignoriert, dass in vielen Fällen gar keine zweckmäßige Vergleichstherapie (zVT) existiert und Orphan Drugs oft die erste wirksame Therapie für die Patientinnen und Patienten sind. Der Vergleich ist in solchen Fällen dann die „best supportive care“, die bestmögliche unterstützende Pflege der Patientinnen und Patienten. Da jedoch unter den zugleich eingeführten neuen „AMNOG-Leitplanken“ ein Arzneimittel, dessen Zusatznutzen „nicht quantifizierbar“ ist, nicht mehr kosten darf als die „best supportive care“, fällt der Erstattungsbetrag unter ein nutzenadäquates Niveau. Diese Vorgaben führen zu erheblichen unternehmerischen Unsicherheiten und bestrafen Forschungsinvestitionen in Indikationen mit hohem medizinischen Bedarf. Die ursprüngliche und im Übrigen erfolgreiche europäische Idee der Förderung von Therapien für seltene Erkrankungen wird so konterkariert.

Die verschärften „AMNOG-Leitplanken“ wirken sich gerade bei solchen Orphan Drugs negativ aus, für die aus o.g. Gründen formal kein Zusatznutzen nach Erreichen der Umsatzschwelle nachgewiesen

werden kann. Unter den „Leitplanken“ ist dann ein Erstattungsbetrag zu vereinbaren, der nicht zu höheren Jahrestherapiekosten führen darf als die zVT, sofern diese patentgeschützt ist oder Unterlagenschutz besitzt.

- Noch größer sind die Auswirkungen, wenn zu diesen Maßnahmen auch noch der so genannte **Kombinationsabschlag** hinzukommt. Bei Kombinationstherapien mit mehreren neuen Wirkstoffen ohne einen mindestens beträchtlichen Zusatznutzen sieht das GKV-FinStG einen Abschlag in Höhe von 20 % vor. Dadurch können die Erstattungsbeträge neuer Kombinationstherapien mit Zusatznutzen unterhalb der Kosten für die ursprüngliche Monotherapie liegen. Dies könnte durch den Marktaustritt von Unternehmen dazu führen, dass die entsprechenden Therapien in Deutschland nicht mehr verfügbar wären.

Ziel

Für Orphan Drugs und andere besondere Therapiesituationen, bei denen RCT unmöglich oder unethisch sind, muss ein zukunftsfester Rahmen für die Nutzenbewertung und die anschließende Preisbildung geschaffen werden. Ansonsten besteht die Gefahr, dass Deutschland die Vorreiterrolle in Europa bei der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit innovativen Arzneimitteln verliert.

Maßnahmen

Bestmögliche Rahmenbedingungen für die forschenden Arzneimittelhersteller im Bereich der seltenen Erkrankungen sind erforderlich, damit die Versorgung der Patientinnen und Patienten auch in Zukunft auf dem höchsten medizinischen Niveau sichergestellt ist. Hierfür müssen folgende Maßnahmen zeitnah umgesetzt werden:

- Einführung einer Sonderstellung im AMNOG zur adäquaten Bewertung von Arzneimitteln für „besondere Therapiesituationen“ wie Arzneimittel für seltene Erkrankungen. Dieser Spezialweg bedarf einer Prüfung, wann RCTs unmöglich oder unangemessen sind, einer Berücksichtigung der bestverfügbaren Evidenz sowie Anpassungen der Kriterien zur Quantifizierung des Zusatznutzens.
- Rückführung der Orphan-Drug-Umsatzschwelle von 30 Mio. Euro auf 50 Mio. Euro und Berechnung der Umsatzschwelle auf Basis des Abgabepreises des pharmazeutischen Unternehmers.
- Keine Anwendung der „Leitplanken“ und Rabatte auf Kombinationstherapien bei Arzneimitteln für seltene Erkrankungen.

AMNOG zukunftssicher weiterentwickeln – Fehlentwicklungen des GKV-FinStG korrigieren

Position

AMNOG als „lernendes System“ weiterentwickeln

Der Bayerische Pharmagipfel unterstützt weiterhin die Ziele des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes (AMNOG):

- Den Menschen sollen im Krankheitsfall die besten und wirksamsten Arzneimittel zur Verfügung stehen.
- Preise und Verordnungen von Arzneimitteln sollen wirtschaftlich und kosteneffizient sein.
- Es sollen verlässliche Rahmenbedingungen für Innovationen, die Versorgung der Versicherten und die Sicherung von Arbeitsplätzen geschaffen werden.

Um diese Ziele auch weiterhin erreichen zu können, sind geeignete Prozesse für die Zusatznutzenbewertung von innovativen Arzneimitteln und ein faires Verhandlungsverfahren für den Erstattungsbetrag unabdingbar. Das AMNOG muss sich im Hinblick auf Innovationen, z.B. im Bereich des therapeutisch-technischen Fortschritts, als lernendes System weiterentwickeln und erkannte Fehler korrigieren.

So verlangen neue medizinische Entwicklungen eine Flexibilisierung der Bewertungsmethodik im AMNOG und Offenheit für neue Erstattungsmodelle, z.B.:

- die Präzisionsmedizin,
- die Entwicklung und Markteinführung von Therapeutika auch für seltene Erkrankungen (Orphan Drugs),
- Advanced Therapeutical Medicinal Products (ATMPs),
- die zunehmende Zahl von Langfrist-Überlebenden bei Krebserkrankungen,
- tumoragnostische Onkologika.

Im Rahmen dieser Entwicklungen nehmen besondere Therapiesituationen zu, in denen randomisierte kontrollierte Studien (RCT) sowie im AMNOG-Prozess bislang anerkannte Endpunkte nicht in allen Situationen sinnvoll möglich oder ethisch vertretbar bzw. angemessen sind. Die Forschung setzt dann auf andere Studienkonzepte und auch die Zulassungsbehörden stellen sich seit Jahren dieser Entwicklung. Im Fokus steht dabei eine situative, einzelfallgerechte Berücksichtigung des jeweils adäquaten Studiendesigns.

Dies wird im AMNOG bisher nicht ausreichend berücksichtigt, die notwendige Flexibilisierung ist beim AMNOG nicht erkennbar. Vielmehr deutet die starke Zunahme negativer Bewertungen auf Verfahrensebene darauf hin, dass der methodische Fortschritt im AMNOG nicht mit dem medizinisch pharmazeutischen Fortschritt mithalten scheint (BPI, 2023).²

2 BPI AMNOG-Daten 2023, S. 36 / Abb. 7: <https://www.bpi.de/index.php?eID=dumpFile&t=f&f=77050&token=dca8405c8f9ee4c8fab686415f6f42bfe6d90c5e>.

Die Ziele des AMNOG sind durch zwei gegenläufige Entwicklungen in eine gefährliche Schiefelage geraten: Einerseits fehlt es an dringend notwendigen Weiterentwicklungen der AMNOG-Systematik für die personalisierte Medizin. Andererseits bewirkt die Einführung eines starren staatlichen Preisautomatismus, dass in vielen Fällen kein Raum mehr für eine dem Einzelfall gerechte Würdigung der vorliegenden Evidenz bleibt. Es zeichnet sich bereits für die Zukunft ab, dass den Menschen in unserem Land nicht mehr die besten und wirksamsten Arzneimittel zur Verfügung stehen könnten. Weil zuverlässige Rahmenbedingungen für Innovationen fehlen oder wegbrechen, könnten künftig Investitionen ausbleiben, mit Folgen für Wirtschaft und Beschäftigung.

GKV-FinStG als Innovationsbremse

Statt die notwendige Flexibilisierung bzw. Weiterentwicklung des AMNOG anzugehen oder Fehler zu korrigieren, hat die Bundesregierung mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinStG) das AMNOG-System unflexibler gemacht.

➤ Die mit dem GKV-FinStG neu eingeführten „Leitplanken“ bei den Erstattungsbetragsverhandlungen stellen einen erheblichen Eingriff in das dem AMNOG bislang zugrunde liegende Konzept der wertorientierten Preisfindung dar: Auch wenn der G-BA einen „geringen“ oder „nicht quantifizierbaren“ Zusatznutzen feststellt, dürfen diese Präparate, die selbst nach der G-BA-Bewertung eine Therapieverbesserung darstellen, keine Innovationszuschläge zum Preis der unterlegenen Therapie erzielen, wenn es sich bei dieser um eine patentgeschützte zweckmäßige Vergleichstherapie handelt. Mindestens gleichgute Therapien, deren Zusatznutzen gemäß G-BA nicht belegt werden kann, müssen sogar einen mindestens zehnpromtigen Abschlag hinnehmen, obwohl für viele dieser „Fälle ohne Zusatznutzen“ die erforderlichen Nachweise lediglich aufgrund der restriktiven Vorgaben von G-BA und IQWiG (noch) nicht erbracht werden können und/oder an der unzureichenden Definition der klinisch-relevanten Endpunkte im AMNOG scheitern. Dies kann zu weiteren Marktrückzügen, Nicht-Einführungen oder verspäteten Markteintritten führen. Anreize für die Erforschung von Schrittinnovationen, aber auch von Durchbruchinnovationen, werden reduziert. Das ist insofern problematisch, weil oft viele kleine Schrittinnovationen in Summe zu großen medizinischen Fortschritten führen. Teilweise lösen weitere Schrittinnovationen die ersten Durchbruchinnovationen als Therapiestandard ab, weil sie noch wirksamer oder nebenwirkungsärmer sind.

Der Bund hat die mit den Leitplanken einhergehende Fehlsteuerung und die damit verbundenen Versorgungsrisiken nun scheinbar selbst erkannt und im Medizinforschungsgesetz (MFG) Ausnahmen von den Leitplanken zumindest für Arzneimittel geschaffen, deren klinische Prüfungen zu einem relevanten Anteil in Deutschland durchgeführt wurden. Auch wenn die Intention im Sinne der Forschungsförderung begrüßenswert ist: Diese Ausnahmeregelung führt die durch die Leitplanken verursachte Abkehr von der rein nutzenorientierten Preisfindung faktisch weiter fort. Es entscheidet weiterhin nicht mehr – wie vor Einführung der Leitplanken – allein der Nutzen des Arzneimittels über den Preis, sondern es werden eben auch systemwidrig wirtschafts- und versorgungspolitische Aspekte miteinbezogen.

➤ Der im GKV-FinStG eingeführte **Kombinationsrabatt von 20 %** ist immer noch nicht umgesetzt. Der GKV-Spitzenverband und die pharmazeutische Industrie konnten sich nicht auf entsprechende Regelungen

einigen. Das BMG hat aufgrund der gescheiterten Einvernehmensherstellung inzwischen einen Entwurf für einen Festsetzungsbescheid vorgelegt, um das Nähere zur Umsetzung verbindlich zu regeln. Doch darin werden rechtliche Fiktionen zur Definition von Kombinationstherapien herangezogen, die den realen Kombinationseinsatz nicht zutreffend widerspiegeln. Die rechtssichere Umsetzung des Kombinationsrabattes bereitet große Schwierigkeiten, was nicht zuletzt an der unzureichenden Datenlage und dem hohen bürokratischen Aufwand liegt. Zudem handelt es sich um eine Doppelregulierung, denn bereits heute werden Kombinationstherapien in den Erstattungsbeitragsverhandlungen berücksichtigt.

- Die im GKV-FinStG eingeführten Maßnahmen können sich in bestimmten Konstellationen **kumulieren** und dadurch so hohe Preisreduktionen bewirken, dass sie einen Vertrieb in Deutschland betriebswirtschaftlich unrentabel machen und damit die Patientenversorgung gefährden.

Erste Anzeichen deuten bereits auf eine abnehmende Verfügbarkeit von innovativen Arzneimitteln in Deutschland hin. Auf Basis einer Befragung der Mitglieder hat der vfa ermittelt, dass im Jahr 2024 voraussichtlich 14 Arzneimittel und Zulassungen aufgrund des GKV-FinStG für Patientinnen und Patienten nur verzögert oder gar nicht zur Verfügung stehen werden (vfa, 2024). Eine weitere Analyse des vfa auf Basis realer Daten zeigt, dass die Verfügbarkeitsquote im Zeitraum von Juli 2022 bis Ende 2023 in Deutschland um gut 10 Prozentpunkte niedriger lag als in der Zeit von Juli 2020 bis Ende 2021 (vfa, 2024).

Die Maßnahmen des GKV-FinStG schaden dem **Pharmastandort Deutschland** und konterkarieren das Ziel, die pharmazeutische Industrie als Schlüsselindustrie der Zukunft zu stärken. Die forschende Pharma- und Biotechindustrie benötigt für Investitionen **Planbarkeit und Verlässlichkeit**, insbesondere auch bei den Erstattungs- und Marktzugangsbedingungen. Die Maßnahmen im GKV-FinStG erhöhen jedoch die Unsicherheit. Das zeigt sich auch in den Unternehmenserwartungen, in denen viele Unternehmen ihre langfristigen Pläne für Investitionen und den Ausbau der Beschäftigung angepasst haben.³

Notwendige Anpassung des AMNOG-Verfahrens an die europäische Nutzenbewertung

Die **europäische Nutzenbewertung (EU-HTA)** wird bereits ab dem 12. Januar 2025 verbindlich für die ersten Produkte starten, darunter für ATMPs und onkologische Arzneimittel. Dadurch soll der Zugang zu innovativen Therapien in Europa verbessert, der Bearbeitungsaufwand für Unternehmen und nationale HTA-Behörden verringert und die Qualität der klinischen Bewertung EU-weit gestärkt werden. Die effiziente Zusammenarbeit auf europäischer Ebene soll Europa auch als erfolgreichen Biotechnologie-Standort stärken und erhalten. Zur Erreichung dieser Ziele ist eine Implementierung in den AMNOG-Prozess notwendig.

- Patientinnen und Patienten in Deutschland haben europaweit derzeit den schnellsten Zugang zu innovativen Arzneimitteln. Neuartige Therapien sind hierzulande bereits kurz nach EU-Zulassung verfügbar, oft innerhalb weniger Tage. Mit Inverkehrbringen beginnt automatisch auch die Nutzenbewertung. Weil der für die Nutzenbewertung zu berücksichtigende EU-HTA-Bericht allerdings künftig erst mehrere Wochen

3 Prognos-Studie: „Auswirkungen des GKV-FinStG auf die Unternehmen der pharmazeutischen Industrie“, S. 14 ff.

nach Zulassung verfügbar sein wird, kann das AMNOG-Verfahren nur mit deutlicher Verzögerung starten. Um sicherzustellen, dass der EU-HTA-Bericht adäquat im AMNOG-Verfahren berücksichtigt werden kann, sollte der Verfahrensstart für die Nutzenbewertung von Arzneimitteln angepasst werden.

- Das EU-HTA-Verfahren zielt unter anderem darauf ab, die klinische Bewertung in den verschiedenen EU-Staaten stärker zu harmonisieren. Es erfordert die Darstellung der Evidenz auf Basis von sog. „patientenzentrierten Endpunkten“. Ein Beispiel dafür ist das progressionsfreie Überleben (PFS) in der Onkologie. Die Bewertung des Progresses erfolgt üblicherweise durch den Einsatz von bildgebenden (radiologischen) Verfahren und ist daher nicht immer direkt vom Patienten selbst wahrnehmbar. Aus diesem Grund wird dieser Endpunkt im deutschen AMNOG nicht akzeptiert. Das Fortschreiten der Erkrankung führt in nahezu allen Fällen zu einer Verschlechterung der Symptome und der Lebensqualität der Patientinnen und Patienten und hat zudem Einfluss auf die Therapieentscheidung. Die Konsequenzen eines Progresses treffen die Patientinnen und Patienten also unmittelbar – sie sind folglich patientenzentriert. So wird eine Verlängerung des progressionsfreien Überlebens von der EMA per se als Nutzen für die Patientinnen und Patienten angesehen. Die aktuelle Praxis sorgt in Deutschland für erhebliche Probleme in der Zusatznutzenbewertung von Onkologika ausgerechnet in den frühen Erkrankungsstadien, in denen grundsätzlich eine kurative Intention besteht. Eine unterschiedliche Handhabung dieser Endpunkte in verschiedenen Ländern bedeutet nicht nur mehr Aufwand für die HTA-Behörden sowie die Pharma- und Biotechunternehmen, sondern steht auch im Widerspruch zum Ziel des EU-HTA, die klinische Bewertung effizienter zu machen.

Ziel

Eine Weiterentwicklung des AMNOG ist dringend geboten. Es muss so umgestaltet werden, dass die ursprünglichen Gesetzesziele wieder erreicht werden, Fehler korrigiert werden und die Bewertungs- und Preisfindungssystematik mit dem therapeutischen Bedarf Schritt halten.

Maßnahmen

Die folgenden Maßnahmen sind kurz- oder mittelfristig umzusetzen:

- Sofortige Rücknahme der mit dem GKV-FinStG eingeführten „Leitplanken“ für die Verhandlung des Erstattungsbetrags. Das AMNOG braucht mehr Flexibilität, um den Herausforderungen des medizinisch-technischen Fortschritts gerecht werden zu können.
- Ersatzlose Streichung des Kombinationsrabatts. Er stellt eine unnötige Doppelregulierung dar, die sich zudem nicht rechtssicher umsetzen lässt. Dies wäre auch ein Beitrag zum Bürokratieabbau.
- Flexibilisierung des AMNOG gerade in Therapiesituationen, in denen bislang keine ausreichende Behandlungsmöglichkeit existiert. Hier ist jede neue therapeutische Option von hoher Bedeutung für die Patientenversorgung.
- Die Bundesregierung ist aufgefordert, mit der forschenden pharmazeutischen Industrie unter Einbeziehung des G-BA und des IQWiG in einen strukturierten Dialog einzutreten, um faire Prozesse für die Bewertung und Preisgestaltung bei innovativen Arzneimitteln in besonderen Therapiesituationen zu entwickeln. Hierbei ist eine Berücksichtigung von alternativen Studiendesigns und Endpunkten notwendig.
- Prüfung, inwieweit akzeptierte krankheitsbezogene Endpunkte künftig nicht auf „patientenrelevante“ Endpunkte, sondern auf „patientenzentrierte“ Endpunkte (wie in der europäischen HTA-Bewertung) ausgeweitet werden sollten, um eine angemessene Berücksichtigung vorhandener klinischer Evidenz, wie etwa dem progressionsfreien und rezidivfreien Überleben, zu ermöglichen.
- Anpassung der Regelungen im SGB V sowie in der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) zum Beginn des AMNOG-Verfahrens. Dieses sollte erst mit Veröffentlichung des EU-HTA-Berichts beginnen, um dessen Berücksichtigung zu ermöglichen. Da der verhandelte Erstattungspreis unverändert rückwirkend ab dem 7. Monat nach Inverkehrbringen gilt, ergäbe sich hieraus kein Nachteil.
- Erweiterung der im Rahmen der AMNOG-Preisverhandlungen zu berücksichtigenden Parameter. Hier sollte die Minderung von Ausgaben in Leistungsbereichen außerhalb des Gesundheitswesens (z.B. Erhalt der Erwerbsfähigkeit, Verhinderung von Pflegebedürftigkeit) mitbetrachtet werden, um den Mehrwert der bewerteten Therapie umfänglich zu bewerten.
- Etablierung einer regelmäßigen unabhängigen Evaluierung von gesetzgeberischen Maßnahmen im Erstattungsbereich, die Auswirkungen auf die Patientenversorgung haben können, um negativen Versorgungseffekten frühzeitig entgegenzuwirken.
- Einführung einer „Paragrafenbremse“ im Arzneimittelmarkt wie in der europäischen HTA-Bewertung. Bei geplanten Neuregelungen im Arzneimittelmarkt sind Vorschläge zu unterbreiten, die bestehende Regulierungen abschaffen oder ablösen. Über die Jahre haben sich die Regulierungen im deutschen Arzneimittelmarkt zu einem hochbürokratischen und extrem komplexen System entwickelt, das kaum noch handhabbar ist.

Klinische Forschung stärken

Position

Die Erprobung innovativer Arzneimittel in klinischen Prüfungen leistet einen wichtigen Beitrag für eine gute Gesundheitsversorgung und erfolgreiche Forschung in Bayern. Sie stärkt den Forschungsstandort Deutschland, unterstützt Ärztinnen und Ärzte dabei, Erfahrungen im Umgang mit neuen Therapien und Therapieformen zu sammeln, und kann vielen Patientinnen und Patienten frühzeitig Zugang zu innovativen Therapien bieten.

Klinische Forschung ist vor allem an solchen Standorten erfolgreich, wo Fachpersonal, Infrastruktur und die Qualität der Durchführung auf hohem Niveau liegen und eine ausreichend große Zahl an Patientinnen und Patienten auch praktisch erreichbar ist. Das Kostenniveau sollte international vergleichbar sein.

Bürokratie und zeitliche Verzögerungen in der klinischen Forschung haben dazu geführt, dass Deutschland bei der Zahl der durchgeführten klinischen Studien im weltweiten Vergleich in den letzten Jahren von Platz 2 auf Platz 7 (u.a. hinter Spanien und Frankreich) zurückgefallen ist. Die Vertragsverhandlungen dauern in Deutschland etwa doppelt so lange wie in Frankreich, Italien, Benelux oder UK. Die Studienaktivität bleibt in Deutschland daher mit 1.500 Studienteilnehmern pro eine Million Einwohner weit hinter Ländern wie Dänemark (30.000 Teilnehmer pro 1 Mio. Einwohner), Großbritannien (20.000) und Spanien (5.000) zurück.

Bayern ist Impulsgeber, um diese Entwicklung umzukehren. Das Positionspapier zur Klinischen Forschung im Rahmen des Bayerischen Pharmagipfels 2023 hat für die am 13. Dezember 2023 verabschiedete Pharmastrategie der Bundesregierung wichtige Anstöße geliefert.

Bayern soll mit der „**Highmed Agenda Bayern**“ zu einem Spitzenstandort für medizinische Versorgung und translationale Forschung werden. Die Voraussetzungen für klinische Forschung sind im Freistaat sehr gut. Die in Gründung befindliche „**Munich Medicine Alliance**“ ist ein wichtiges Vorhaben. Die Bayerische Staatsregierung will damit die eigenen translationalen Strukturen weiter ausbauen, aus klinischen Beobachtungen neue Forschungsideen entwickeln und biomedizinische Erkenntnisse in neue Ansätze zur personalisierten Vorhersage, Prävention, Diagnostik und Therapie übertragen.

Es ist zu begrüßen, dass mit dem **Medizinforschungsgesetz (MFG)**, das am 4. Juli 2024 im Bundestag beschlossen wurde, die Voraussetzungen für die klinische Forschung in Deutschland verbessert werden sollen. Erfreulicherweise wurden hier auch Forderungen der bayerischen Arbeitsgruppe Klinische Forschung aufgegriffen. Kritisch zu sehen ist allerdings z.B. die vorgesehene Einrichtung einer beim BfArM angesiedelten zentralen „**Spezialisierten Ethik-Kommission für besondere Verfahren**“. Hierbei droht die Gefahr von Doppelstrukturen und uneinheitlichen Kriterien, was wiederum zu Bürokratieaufbau anstelle von Bürokratieabbau führen könnte.

Gleichwohl reichen die Maßnahmen nicht aus, um die Attraktivität des Standorts Deutschland für die Pharmaindustrie nachhaltig zu erhöhen. So wäre zusätzlich zu verbindlichen Mustervertragsklauseln die Einführung eines Musterkostenkatalogs als Basis für Budgetverhandlungen und entsprechender digitaler Tools wünschenswert, um damit Vertragsabschlüsse weiter zu beschleunigen und Unternehmen wie Kliniker gleichermaßen von überbordendem bürokratischem Aufwand zu entlasten. Hier besteht noch Nachbesserungsbedarf für den Bundesgesetzgeber.

Ziel

Im Einklang mit der „**Highmed Agenda Bayern**“ setzt sich der Bayerische Pharmagipfel für Bayern und Deutschland als Spitzenstandort für klinische Forschung ein. Dafür braucht es zunächst bessere Rahmenbedingungen in Deutschland: Das geplante MFG ist nicht ausreichend, um die nach wie vor bestehenden großen Hürden für klinische Forschung in Deutschland abzubauen.

Maßnahmen

Folgende über das MFG hinausgehende Maßnahmen sind erforderlich, um die Rahmenbedingungen für klinische Forschung in Bayern und Deutschland weiter zu verbessern:

➤ Intensive Förderung dezentraler Studien

Dazu gehören z.B. eine verstärkte Digitalisierung, insbesondere durch Etablierung von Telemonitoring und durch die digitale Anbindung niedergelassener Praxen und Krankenhäuser, sowie die weiter verbesserte Information potenzieller Studienteilnehmer. Ärztinnen und Ärzten, die aus eigener Initiative als Prüfer einer oder mehrerer klinischer Prüfungen tätig werden möchten, sollten auch aktiv auf Sponsoren zugehen können. Hier sind auf Bundesebene die notwendigen Rahmenbedingungen zu setzen.

➤ Effizientere Patientenrekrutierung

Wir brauchen eine höhere Bereitschaft zur Teilnahme an klinischen Prüfungen. Dazu bedarf es verstärkter Aufklärung über die Bedeutung einer Studienteilnahme für die Gesundheit der Gesellschaft und des Einzelnen z.B. über Aufklärungskampagnen mit Einbindung der Patientenorganisationen. Vorgeschlagen wird die Initiierung solcher Kampagnen durch die Bundeszentrale für gesundheitliche Aufklärung (oder die geplante Nachfolgeeinrichtung „Bundesinstitut für Prävention und Aufklärung in der Medizin“), die dafür entsprechend personell, strukturell und finanziell auszurichten ist.

Notwendig ist zudem die Schaffung einer bundeseinheitlichen Studiendatenbank. Eine solche Datenbank wäre eine wichtige Informationsquelle für potenzielle Studienteilnehmende, weil damit geeignete Patientinnen und Patienten auch außerhalb von Studienzentren und Universitätskliniken identifiziert werden können. Zudem könnten sich dann medizinische Einrichtungen mit einem hohen Rekrutierungspotenzial aktiv an Sponsoren wenden, um an geeigneten klinischen Prüfungen als Prüfer teilzunehmen. Dadurch könnten Prüfstellen identifiziert werden, die den Sponsoren bis dahin unbekannt waren.

➤ Etablierung eines gemeinsamen Dialogs

aller beteiligten Stakeholder auf Bundesebene zur Stärkung der klinischen Forschung in Deutschland nach dem Vorbild des Bayerischen Pharmagipfels, insbesondere zur Umsetzung der im Medizinforschungsgesetz vorgesehenen Maßnahmen und zur Identifizierung weiterer Handlungsbedarfe.

Chancen und Potenziale von Gesundheitsdaten stärker nutzen

Position

Gesundheitsdaten sind ein Schlüsselfaktor für Innovation und Fortschritt in der medizinischen Forschung, Diagnostik, Therapie und Behandlung. Um die Potenziale von Gesundheitsdaten für Forschung und Versorgung zu nutzen, sind jedoch einige Voraussetzungen zu erfüllen. Dazu gehört die Nutzung bundesweit einheitlicher, international anerkannter und erprobter Standards, semantische und technische Interoperabilität sowie eine strukturierte Datenerfassung.

Der Bayerische Pharmagipfel begrüßt die Schaffung eines gesetzlichen Rahmens für das Sammeln, Teilen und Nutzen von Gesundheitsdaten durch den **European Health Data Space (EHDS)** und das deutsche **Gesundheitsdatennutzungsgesetz (GDNG)**. Nunmehr liegt der Fokus auf der erfolgreichen Implementierung.

Ein entscheidender Baustein dafür ist der aktuell laufende Aufbau eines schlagkräftigen Forschungsdatenzentrums Gesundheit beim BfArM, um allen Akteuren im Gesundheitswesen mit einem legitimen Nutzungszweck gleichberechtigte Datenzugänge und Nutzungsrechte zu gewähren. Der Bayerische Pharmagipfel fordert dafür eine adäquate personelle Ausstattung. Zudem müssen Antrags- und Entscheidungsstrukturen schlank gehalten werden, damit zukünftige Forschungsanträge zeitnah bearbeitet werden und angeforderte Daten rasch und in adäquater Form zur Verfügung gestellt werden.

Deutschland ist mit den aktuellen Fortschritten und Ansätzen zur Nutzung von Gesundheitsdaten auf dem richtigen Weg. Dennoch sind weitere Maßnahmen erforderlich, um eine führende Rolle in der datenbasierten Forschung und Entwicklung zu erreichen. Dazu gehören u.a. die Verbesserung der Telematikinfrastruktur als ein leistungsfähiges Instrument für den Datenaustausch und die Beschleunigung des Aufbaus einer nachhaltigen Registerlandschaft. Der Bayerische Pharmagipfel begrüßt daher den nun vorliegenden Entwurf für ein Gesetz zur Schaffung einer **Digitalagentur für Gesundheit (Gesundheits-Digitalagentur-Gesetz – GDAG)**, dessen erklärtes Ziel die Stärkung der Handlungsfähigkeit der Gesellschaft für Telematik (gematik) ist.

Das Gesundheitsdatennutzungsgesetz sollte als Startschuss für eine langfristige „Zeitenwende“ in der Gesundheitsdatenpolitik verstanden werden, um die vorhandenen Chancen zu nutzen und von anderen europäischen Ländern weiter zu lernen z.B. flächendeckende Digitalisierung, unkomplizierte Beantragungswege und pragmatische bürokratische Vorgaben nach den Vorbildern Finnland und dem Vereinigten Königreich bei der Nutzung von Gesundheitsdaten.

Ziel

Mit der fortschreitenden Digitalisierung wird die Nutzung von Gesundheitsdaten ein Schlüsselement für einen robusten Pharmastandort Deutschland. Um in der Zukunft konkurrenzfähig zu bleiben, bedarf es der Schaffung eines möglichst harmonisierten und vollständigen Datenpools auch mit Versorgungsdaten. Dies ist zur Unterstützung innovativer Forschung und damit für bessere Ergebnisse bei der Behandlung von schwer kranken Patientinnen und Patienten notwendig – es geht darum, Daten zu nutzen, um Menschen zu schützen.

Maßnahmen

Zukunftsmedizin braucht Gesundheitsdaten – um die Potenziale von Gesundheitsdaten für die pharmazeutische Industrie und damit für eine bedarfsgerechte Patientenversorgung nutzbar zu machen, hält der Bayerische Pharmagipfel folgende Maßnahmen für erforderlich:

- Zeitnahe Verabschiedung eines Gesetzes für medizinische Register, um den Aufbau einer nachhaltigen medizinischen Registerlandschaft zu unterstützen und damit eine vernetzte Datennutzung aus unterschiedlichen Quellen zu ermöglichen.
- Zielorientierte Umsetzung des Gesundheitsdatennutzungsgesetzes mit einer zukunftsorientierten datenschutzrechtlichen Weiterentwicklung. Persönlicher Datenschutz und innovative Gesundheitsforschung müssen dabei stets gemeinsam gedacht werden, weil die persönliche Gesundheit von modernen technischen Lösungen abhängig ist.
- Unterstützung des Aufbaus einer technisch interoperablen Forschungsdateninfrastruktur, um die grundsätzliche Verfügbarkeit von Daten und eine hochwertige Datenqualität und damit eine zielführende Nutzung zu ermöglichen.
- Entwicklung geeigneter Maßnahmen zum Schutz des geistigen Eigentums der aus den Daten generierten Forschungsergebnisse, um eine nachhaltige Gesundheitsforschung zu gewährleisten.
- Rascher Umbau der gematik in eine Digitalagentur Gesundheit, um deren Handlungsfähigkeit zu stärken und die digitale Vernetzung im deutschen Gesundheitswesen voranzutreiben.

Hubert Aiwanger, MdL

Bayerischer Staatsminister für Wirtschaft,
Landesentwicklung und Energie



Bayerisches Staatsministerium für
Wirtschaft, Landesentwicklung und Energie

Judith Gerlach, MdL

Bayerische Staatsministerin für
Gesundheit, Pflege und Prävention



Bayerisches Staatsministerium für
Gesundheit, Pflege und Prävention

Dr. Günter Auerbach

Geschäftsführer Dr. Pfleger Arzneimittel GmbH
für Pharma Deutschland



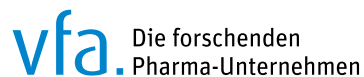
Oliver Kirst

Geschäftsführer Servier Deutschland GmbH
für den BPI



Prof. Dr. Hagen Pfundner

Vorsitzender der Geschäftsführung der
Roche Deutschland GmbH für den vfa



Thomas Weigold

Country President Sandoz Germany &
CEO Hexal AG für ProGenerika



Dr. Holger Zimmermann

Chief Research and Development Officer bei AiCuris
Anti-infective Cures GmbH für BIO Deutschland



Biotechnologie-Industrie-Organisation Deutschland e.V.

Herausgeber

Bayerisches Staatsministerium für Wirtschaft, Landesentwicklung und Energie
Prinzregentenstraße 28 // 80538 München
Postanschrift 80525 München
Telefon +49 89 2162-0 // Telefax +49 89 2162-2760
info@stmwi.bayern.de // www.stmwi.bayern.de



Bayerisches Staatsministerium für Gesundheit, Pflege und Prävention
Haidenauplatz 1 // 81667 München
Telefon +49 89 540233-0 // Telefax +49 89 540233-90999
Gewerbemuseumsplatz 2 // 90403 Nürnberg
Telefon +49 911 21542-0 // Telefax +49 911 21542-90999
poststelle@stmgp.bayern.de // www.stmgp.bayern.de



Barrierefreiheit

Dieses Dokument erfüllt die Vorgaben gemäß BITV 2.0

Stand

29. Juli 2024

Hinweis

Diese Druckschrift wird im Rahmen der Öffentlichkeitsarbeit der Bayerischen Staatsregierung herausgegeben. Sie darf weder von Parteien noch von Wahlwerbenden oder Wahlhelfern im Zeitraum von fünf Monaten vor einer Wahl zum Zwecke der Wahlwerbung verwendet werden.

Dies gilt für Landtags-, Bundestags-, Kommunal- und Europawahlen. Missbräuchlich ist während dieser Zeit insbesondere die Verteilung auf Wahlveranstaltungen, an Informationsständen der Parteien sowie das Einlegen, Aufdrucken und Aufkleben von parteipolitischen Informationen oder Werbemitteln. Untersagt ist gleichfalls die Weitergabe an Dritte zum Zwecke der Wahlwerbung. Auch ohne zeitlichen Bezug zu einer bevorstehenden Wahl darf die Druckschrift nicht in einer Weise verwendet werden, die als Parteinahme der Staatsregierung zugunsten einzelner politischer Gruppen verstanden werden könnte. Den Parteien ist gestattet, die Druckschrift zur Unterrichtung ihrer eigenen Mitglieder zu verwenden.

Die Druckschrift wurde mit großer Sorgfalt zusammengestellt. Gewähr für die Richtigkeit und Vollständigkeit des Inhalts kann dessen ungeachtet nicht übernommen werden.



BAYERN | DIREKT ist Ihr direkter Draht zur Bayerischen Staatsregierung.

Unter Telefon **089 122220** oder per E-Mail unter **direkt@bayern.de** erhalten Sie Informationsmaterial und Broschüren, Auskunft zu aktuellen Themen und Internetquellen sowie Hinweise zu Behörden, zuständigen Stellen und Ansprechpartnern bei der Bayerischen Staatsregierung.



Bayerisches Staatsministerium für
Gesundheit, Pflege und Prävention
www.stmgp.bayern.de

Bayerisches Staatsministerium für
Wirtschaft, Landesentwicklung und Energie
www.stmwi.bayern.de