

# Finanzierung von innovativen Biotech- Arzneimitteln (Gentherapien)

21. November 2024



# Neue Arzneimittel bringen therapeutischen Fortschritt

Medizin

## Neuer Impfstoff gegen Malaria erfolgreich getestet

SWR Wissen, 2.2.2024

Pressemitteilung vom 05.05.2021

## Hoffnung auf Leben trotz Spinaler Muskelatrophie: Wenige Wochen alter Säugling erfolgreich mit Gentherapie „Zolgensma“ behandelt

Universitätsklinikum Leipzig




## Krebs-Impfung von Biontech erzielt Erfolge: Patienten bleiben krebsfrei

CHIP, 31.10.2024

## Studie enthüllt: Corona-Impfung bewahrte 1,6 Millionen Menschen vor dem Tod

Frankfurter Rundschau, 14.08.2024

 Internetzeitung Mainz

„Wir hatten ihm maximal noch Wochen gegeben“ – Wie die Nobelpreis-gekrönte Immuntherapie den Darmkrebspatienten Manfred Scharein zurück ins Leben brachte

Internetzeitung Mainz, 3.2.2019

Millionen Deutsche betroffen

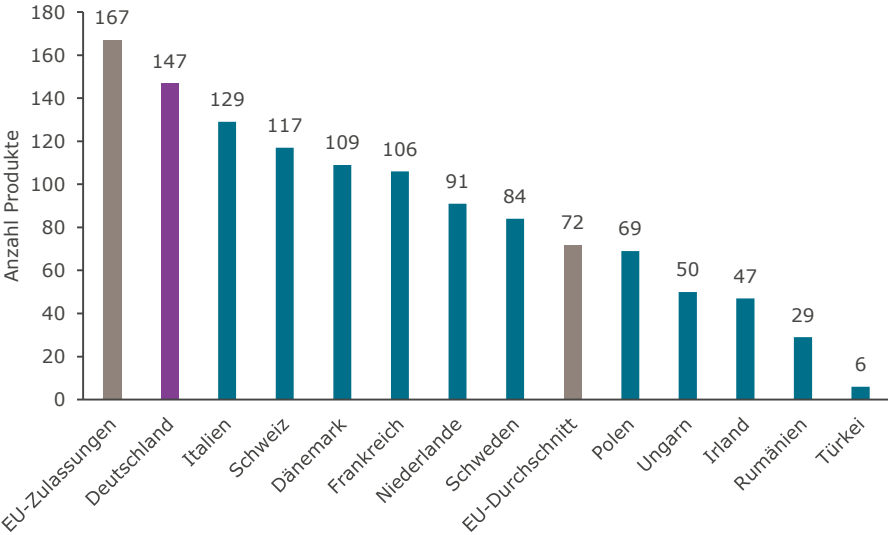
## Wie die Anti-Migräne-Spritze das Leben verändern kann

Ein Pulsieren, Stechen, Hämmern im Kopf: Acht Millionen Menschen in Deutschland kennen diesen Migräne-Schmerz. Nun gibt es einen neuen Therapie-Ansatz. Eine Spitze mit Antikörpern soll die Schmerzübertragung im Gehirn hemmen. Experten sprechen von einem Meilenstein. Zurecht?

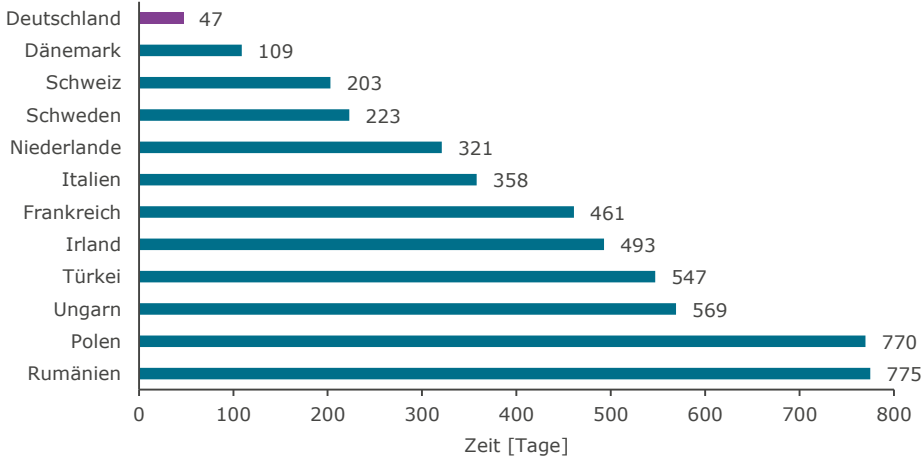
BR,06.02.2024

# Europäischer Vergleich: Höchste und schnellste Verfügbarkeit neuer Arzneimittel in Deutschland

**Absolute Marktverfügbarkeit 2019-2022**

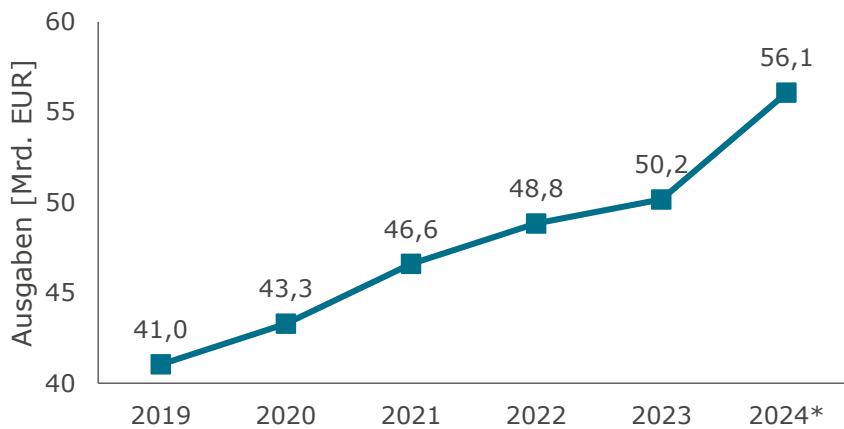


**Mediane Zeit bis zur Verfügbarkeit 2019-2022**



Eigene Darstellung nach EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2023 Survey, IQVIA, Juni 2024

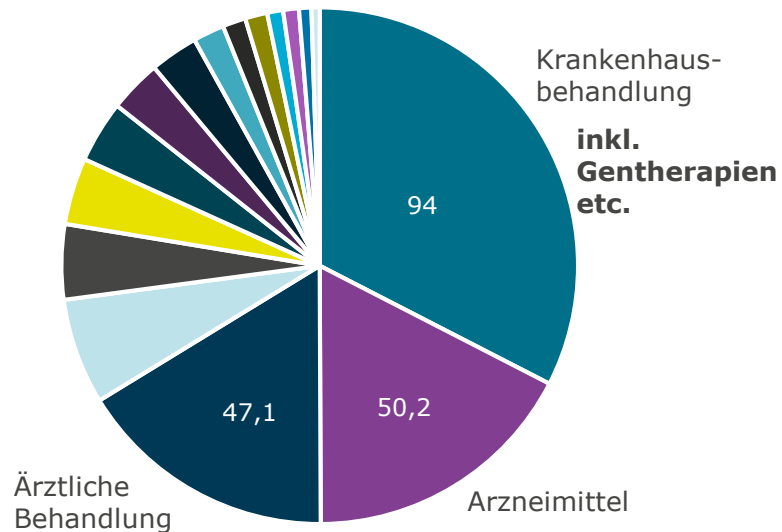
# Die Ausgaben für Arzneimittel steigen kontinuierlich



Quelle: GKV-SV, amtliche Statistik KJ1

\*Prognose der TK

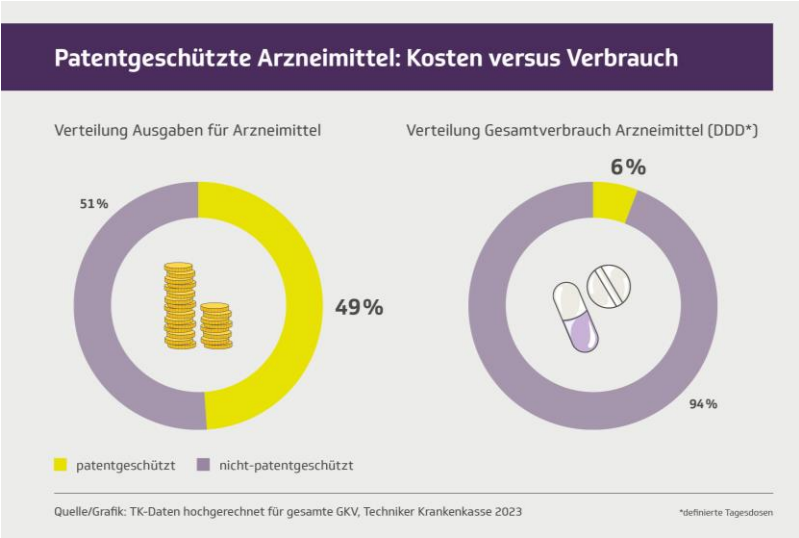
- Statistik umfasst nur Ausgaben für Arzneimittel **im ambulanten Sektor**.
- Innovative Biotech-Arzneimittel, v.a. **Gentherapien** werden meist **stationär** verabreicht. **Ausgaben** „verschwinden“ im Bereich **Krankenhaus**.



Ausgaben für einzelne Leistungsbereiche der GKV 2023 in Mrd. EUR

Quelle: GKV-SV, amtliche Statistik KJ1

# Ausgabentreiber sind patentgeschützte Arzneimittel



**Hoher Ausgabenanteil bei geringer Verordnungsmenge** | 2022 entfielen knapp 50 % der Arzneimittelausgaben auf Patent-Arzneimittel bei lediglich rund 6 % des Gesamtverbrauchs in DDD<sup>1</sup>

**Verdopplung der Ausgaben innerhalb von fünf Jahren** | Steigerung der Ausgaben für Patent-Arzneimittel von 14,6 Mrd. EUR (2018) auf 28 Mrd. EUR (2022)<sup>2</sup>

1,2: TK-Daten hochgerechnet auf gesamte GKV

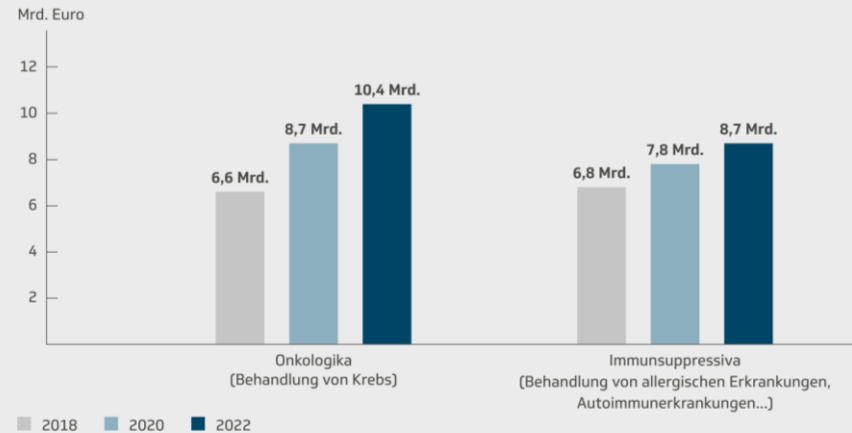
**Aktuelle Ausgabenentwicklung** | Arzneimittel sind in Q1 und Q2 2024 durchschnittlich um rd. 10 % gestiegen. Treiber sind erneut v.a. neue patentgeschützte Arzneimittel. **Wir müssen jetzt Lösungen finden, damit Innovationen bezahlbar und für alle zugänglich bleiben!**

# Forschung nur in lukrativen Indikationen?

- **Kostentreiber sind v.a. Onkologika und Immunsuppressiva** | Darunter viele biotechnologisch hergestellte Arzneimittel, z. B. Antikörper und neuere Entwicklungen wie bispezifische Antikörper und Antikörper-Wirkstoff-Konjugate.
- **System fördert lukrative Indikationen** | Die Entwicklung von z. B. Antibiotika ist hingegen kaum attraktiv, da sie wenig Gewinn verspricht.
- **Schwächen des AMNOG** | Grundniveau der Preisbildung ist zu hoch. Wirksamkeit der „AMNOG-Leitplanken“ (noch) nicht erkennbar.

## Mehr als 10 Milliarden Euro für Onkologika

Ausgabenentwicklung (brutto) der beiden größten Arzneimittelgruppen

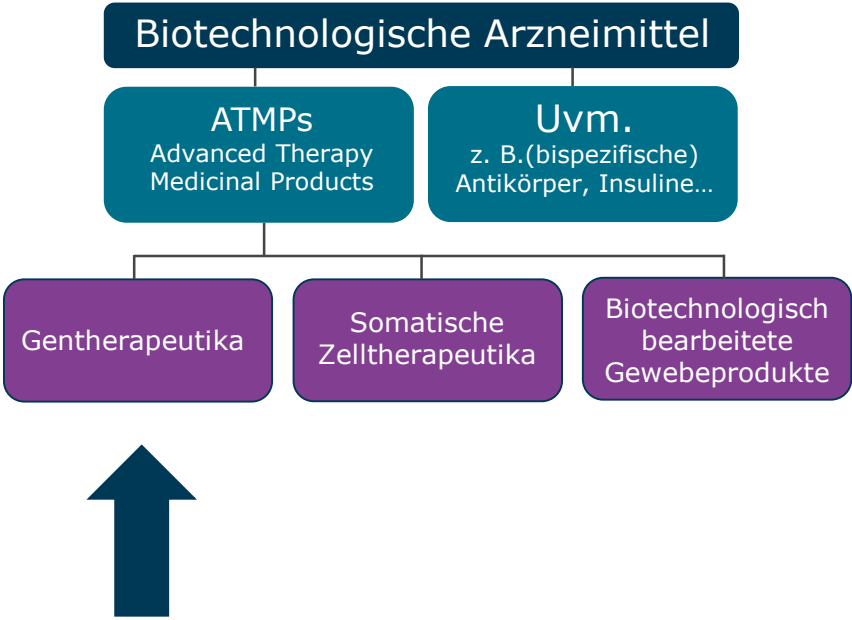


Quelle/Grafik: TK-Daten hochgerechnet für gesamte GKV, Techniker Krankenkasse 2023

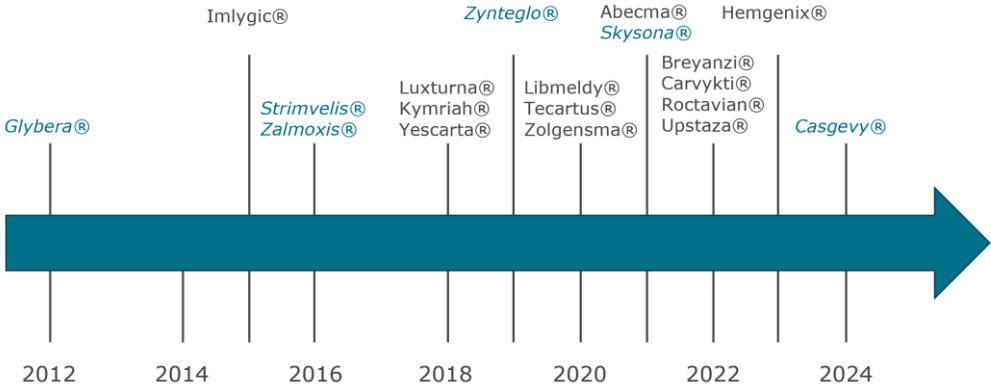
# Gentherapien verändern den Arzneimittelmarkt

## Herausforderungen:

- Diskontinuierliche Gabe, meist einmalig
- Komplexe Anwendung: Vorbehandlung, Nebenwirkungsmanagement
- Unreife Datenlage: Keine Daten zur Langzeitwirkung und -nebenwirkung bei Markteinführung
- Preisgestaltung:
  - Sehr hochpreisig
  - Einmalgabe verlagert Kostenrisiko auf Kostenträger
  - Aufweichen der Sektorengrenzen: Einzelfallerstattung von Arzneimittelgaben im stationären Bereich
- AMNOG nur teilweise geeignet
  - Vergleichstherapien oft nicht vorhanden
  - Bestehende Therapien setzen Preisanker



# ATMPs haben ein neues Niveau für Arzneimittelpreise etabliert



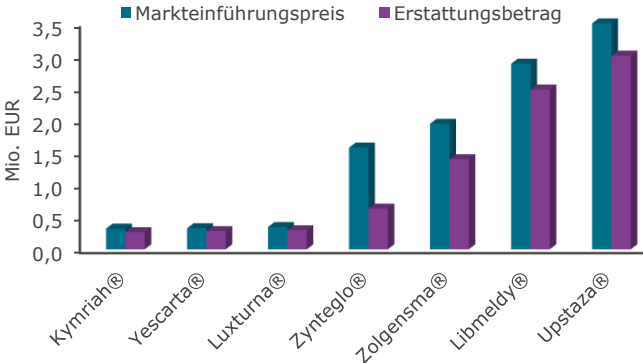
**Der Preis fürs Überleben**  
Sovaldi ist das erste Medikament, das viele Hepatitis-C-Patienten heilen könnte. Doch eine Pille kostet 700 Euro, Krankenkassen befürchten Milliardenkosten. Für Patienten wie Giovanni Ferro ist es die Hoffnung auf ein besseres Leben.

**Pillen-Preise an der Schmerzgrenze**  
Advanced Therapy Medicinal Products  
 Hecken: „Hier ist der Gesetzgeber nicht konsequent gewesen“

**Die 2-Millionen-Dollar-Spritze**  
Arzneimittelpreise: Innovationen werden immer teurer GILEAD'S HEPATITIS-C-ARZNEIEN

## Warum sind Gentherapien zum Teil nicht verfügbar?

- Zulassung in der EU „aus kommerziellen Gründen“ zurückgezogen: Zalmoxis®, Skysona®, Zynteglo®
- Marktrücknahme „aus kommerziellen Gründen“: Glybera®, Strimvelis®
- Bislang keine Vermarktung in Deutschland aus kommerziellen Gründen: Casgevy®





# Neue Gentherapeutika: Perspektivisch Milliarden (Mehr)ausgaben

Art der Erkrankung (Anzahl Gentherapeutika-Kandidaten)	Geschätzte Fallzahlen
Erkrankungen des Kreislaufsystems (1), z. B. Herzinsuffizienz	2.200.000
Erkrankungen des Auges (9), z. B. feuchte AMD	637.400
Stoffwechselerkrankungen (14), z. B. Typ-1-Diabetes	612.170
Krankheiten des Nervensystems (10), z. B. Morbus Parkinson	414.030
Bösartige Neubildungen (2), z. B. Hautkrebs	7.500
Krankheiten des Blutes (11), z. B. Hämophilie	4.400
Angeborene Fehlbildungen (2)	800



Laut interner Recherche  
**49 Gentherapeutika** für **3,8 Millionen Patient:innen** in der Pipeline.

Geschätzte potentielle Ausgaben bei Zulassung aller 49 Gentherapeutika:  
**26,7–35,6 Mrd. Euro.**

Quelle: Arzneimittel-Fokus, Kapitel 2.2

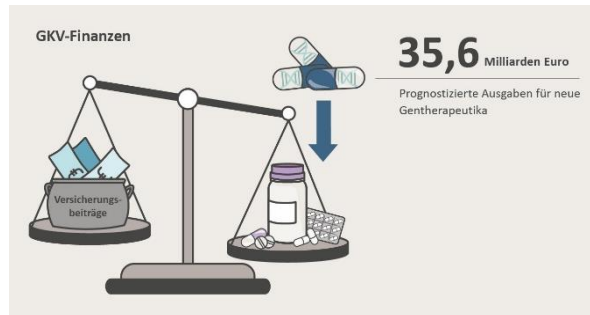
# Herausforderungen dieser Entwicklung

## Finanziell

- Große Fallzahlen führen zu enormer finanzieller Belastung
- Verlagerung des Kostenrisikos auf die Kostenträger
- Abbildung von Einmaltherapien im RSA

## Medizinisch/ethisch

- Lebenslange Wirkung ungesichert
- Langfristige Auswirkungen einer Gentherapie bislang nicht absehbar
- Kann ein Mensch mehrere Gentherapien bei unterschiedlichen Erkrankungen erhalten?



**Finanzierung aktuell nicht darstellbar** | Rücklagen der Kassen aufgebraucht, steigende Kosten werden jetzt schon durch höhere Beiträge finanziert, ist nicht dauerhaft möglich

# Unterschiedliche Zahlmodelle werden diskutiert und z.T. auch schon erprobt

## Zahlung zu einem singulären Zeitpunkt

- Ungleichmäßige Verteilung des Budget Impacts auf einen einzigen Zeitpunkt
- Auswirkungen auf den RSA
- Wie geht man mit Kassenwechsel um?







## Ratenmodell

- Abo ohne Kündigung?
- Tatsächliche Wirkdauer unbekannt
- Verschleiert hohen Preis

## Pay for Performance

- Definition von Performance-Kriterien häufig schwierig
- Kriterien müssen überprüfbar sein
- Abwicklung der Verträge mit hohem Aufwand verbunden

# Lösungsansätze aus dem Ausland

Budget 	Geheime Preise 	Ratenmodelle 	Kostentransparenz  	Kriterien-basierte Preise 
<p>Deckelung der Arzneimittelausgaben bzw. des Umsatzes der Pharmabranche.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>👍 Ausgabenbelastung für Kostenträger berechenbar</li> <li>👎 Beliebig, rein finanzielle Betrachtung</li> <li>👎 Kein Fokus auf Honorierung von Innovationen</li> </ul>	<p>Durch öffentliche Preise dient Deutschland als Referenz für das Preisniveau weltweit.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>👍 Möglicherweise sinken die Ausgaben, da kein einkalkulierter Preispuffer für andere Länder mehr</li> <li>👎 Darstellung der Wirtschaftlichkeit an die Ärzteschaft erschwert</li> </ul>	<p>Um hohe Einmalkosten abzumildern, werden die Gesamtkosten über mehrere Jahre aufgeteilt.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>👎 Ggf. Ausgaben für bereits veraltete Therapeutika</li> <li>👎 Preise sinken nicht, schleichende Überschuldung der GKV</li> </ul>	<p>Immer mehr Länder fordern die volle Kostentransparenz von Herstellern ein.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>👍 Preise anhand der Kosten</li> </ul>	<p>Preisfestsetzung durch Kriterien, u.a. transparente Kosten und der innovative Charakter.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>👍 Preisfestsetzung durch objektive Kriterien</li> <li>👍 Honorierung von Innovationen</li> </ul>

# Ausblick: Transparenz und objektive Kriterien statt value-based-pricing

- Reines Value-based-pricing setzt falsche Forschungsanreize
- Datenlage bei ATMPs ist lange Zeit sehr dünn
  - > Daten aus Registern sind notwendig für medizinische Entscheidung, daraus ergibt sich aber keine automatische Preisbildung
- Donald Trump hat angekündigt, Arzneimittelpreise in den USA auf Niveau in Europa abzusenken.
  - > Dies würde zu weiter steigenden Preisen auch in Deutschland führen.

**Wir brauchen zeitnah intelligente Lösungen, da der Druck im System deutlich steigen wird.**

## Diskussionsvorschlag

- Faire **Gewinnobergrenzen** - Einführung eines Cost-based-Modells unter Berücksichtigung von gesellschaftlich relevanten und nachprüfbaren Kriterien
- Sozialrechtliche Vorgaben für die Organisation der ATMP-Versorgung
  - Modellbasierter Zugangspreis als Basis einer fairen und geheimen Preisobergrenze
  - Qualitätsgesicherter Zugang zur Versorgung über den Arzt/Klinik nach Kenntnis durch den Kostenträger
  - Ausgeprägte nachgelagerte wettbewerbliche Preisfindung auf Basis von ATMP-Verträgen zwischen Herstellern, Ärzten/Krankenhäusern und den Krankenkassen

## Fazit: Zahlmodelle lösen nicht das Preisproblem

- Beispiele zeigen, dass Bezahlmodelle zwar die Komplexität erhöhen, nicht jedoch zu fairen, bezahlbaren Preisen führen.
- Die Steigerung der Arzneimittelausgaben zeigt, dass wir nicht nur Lösungen für ATMPs/Gentherapien benötigen, sondern für alle neuen, patentgeschützten Arzneimittel.
- Wirtschaftsförderung ja, aber nicht mit Versichertengeldern, die für die Versorgung benötigt werden.

**Zahlmodelle führen nicht zu niedrigeren Preisen |** Wir brauchen Wege zu transparenten und fairen, angemessenen Preisen - nicht nur für Gentherapien, sondern für alle patentgeschützten Arzneimittel!



# Vielen Dank!