Sachverständigenrat
GESUNDHEIT & PFLEGE

Preise innovativer Arzneimittel in einem lernenden Gesundheitssystem

Gutachten 2025

Preise innovativer Arzneimittel in einem lernenden Gesundheitssystem

Gutachten 2025

Sachverständigenrat zur Begutachtung
der Entwicklung im Gesundheitswesen und in der Pflege
www.svr-gesundheit.de
DOI: 10.4126/FRL01-006510673

Kurzinhalt

Kurzinhalt I
Vorwort III
Inhaltsverzeichnis VI
Exkursübersicht VIII
Tabellenverzeichnis VIII
Abbildungsverzeichnis IX
Abkürzungsverzeichnis X
Executive Summary XV
1 Fokus und Ziele des Gutachtens 1
2 Bepreisung innovativer Arzneimittel im AMNOG-Verfahren 23
3 Europäischer Kontext 55
4 Instrumente für eine evidenzbasierte Bewertung innovativer Arzneimittel 77
5 Weiterentwicklung der Preisbildungsinstrumente 117
6 Preisbildung und Standortförderung 145

Vorwort

Im deutschen Gesundheitssystem wird mehr Geld ausgegeben als in vergleichbaren OECD-Ländern. Dem hohen Aufwand an Personal- und Sachkosten steht kein entsprechend überdurchschnittliches Ergebnis an Lebenserwartung oder Lebensqualität gegenüber. Die Vermutung liegt nahe: Wir setzen unsere nicht geringen, aber naturgemäß endlichen Ressourcen ineffizient ein. Für die Fachkräfte im Gesundheitswesen hat der Sachverständigenrat Gesundheit und Pflege (SVR) dieses Problem in seinem Jahresgutachten 2024 als zentral identifiziert und Empfehlungen zur nachhaltigen Nutzung der knappen Ressource „Personal“ gegeben. Diesmal nimmt der Rat den nach der Krankenhausversorgung zweitgrößten Kostenblock ins Visier: die Arzneimittelversorgung.

Das Patientenwohl wird von vielen als oberster Leitmaßstab der Gesundheitspolitik anerkannt.[1] Daher ist es sehr zu begrüßen, dass der medizinisch-technische Fortschritt – zum Beispiel bei neuen Krebsmedikamenten oder Gentherapien – für immer mehr Patient*innen innovative Arzneimittel hervorbringen wird. Dies erhöht die Chancen auf Heilung oder zumindest Linderung vieler Erkrankungen. Fortschritte in der medikamentösen Behandlung kommen in Deutschland zügig bei Patient*innen an, denn Krankenversicherte haben hierzulande einen schnellen und umfänglichen Zugang zu pharmazeutischen Innovationen.

Diesen positiven Entwicklungen stehen steigende Ausgaben insbesondere für innovative, verschreibungspflichtige Arzneimittel gegenüber. Für Markteinführungen solcher Medikamente werden immer höhere Preise beobachtet: Der durchschnittliche Preis eines neu eingeführten patentgeschützten Arzneimittels lag vor 15 Jahren bei rund 1 000 Euro und schwankte zuletzt um einen Wert von 50 000 Euro. Insbesondere die derzeitige Preisfindung für Arzneimittel erweist sich als problematisch und stellt eine Herausforderung für die nachhaltige Finanzierung des Gesundheitssystems dar. Vor diesem Hintergrund stellt der Rat mit diesem Gutachten die Bewertung und Bepreisung von innovativen Arzneimitteln auf den Prüfstand.

Durch den medizinischen Fortschritt sind künftig mehr hochpreisige Arzneimittel für eine größere Zahl an Patient*innen und längere Behandlungszeiträume zu erwarten. Eine Überforderung des Systems könnte drohen, wenn die bisherige, zu hohen Preisen führende Systematik der Bewertung und Bepreisung innovativer Arzneimittel unhinterfragt und nicht modifiziert fortgesetzt würde.

In diesem Gutachten skizziert der Rat Maßnahmen, deren Umsetzung eine bedarfsgerechte wie wirtschaftliche, solidarisch finanzierte Versorgung mit innovativen Arzneimitteln mit echtem

[1] Näheres zu diesem Konzept siehe SVR 2021, Textziffern 31 ff. und Textziffer 66.

Zusatznutzen in Deutschland erhalten und zugleich den Pharmastandort Deutschland mit geeigneten Mitteln fördern soll.

Der Rat hat im Rahmen der Gutachtenerstellung wichtige Anregungen erhalten. Unser Dank gilt vor allem den vielen Expert*innen, die uns in ihren entsprechenden Funktionen in Anhörungen und weiteren Gesprächen an ihrem Wissen, ihren Erfahrungen und Einschätzungen haben teilhaben lassen, namentlich: Martin Danner, Sprecher der Patientenvertretung des G-BA; Ulrike Götting, Geschäftsführerin des Bereichs Markt und Erstattung des vfa; Antje Haas, Leiterin der Abteilung Arzneimittel des GKV-Spitzenverbands; Josef Hecken, unparteiischer Vorsitzender des G-BA; Stefan Huster, stellvertretender Vorsitzender der AMNOG-Schiedsstelle; Florian Innig, Sprecher der Patientenvertretung im Unterausschuss Arzneimittel des G-BA; Thomas Kaiser, Leiter des IQWiG; Sebastian Kluckert, Vorsitzender der AMNOG-Schiedsstelle; Thomas Müller, Leiter der Abteilung Arzneimittel, Medizinprodukte, Biotechnologie im Bundesministerium für Gesundheit; Katrin Nink, Bereichsleiterin Onkologie (solide Tumore) und anwendungsbegleitende Datenerhebung im IQWiG; Hagen Pfundner, zur Zeit der Anhörung Mitglied des Präsidiums des vfa; Kerstin Pietsch, Teamleitung Querschnittsaufgaben im Referat AMNOG Erstattungsbetragsverhandlungen des GKV-Spitzenverbands; Daniela Preukschat, Leiterin des Bereichs chronische Erkrankungen des IQWiG; Mujaheed Shaikh, Professor an der Hertie School, Berlin; Tom Stargardt, Professor an der Universität Hamburg; Tim Steimle, Leiter des Fachbereichs Arzneimittel der Techniker Krankenkasse; Christoph Straub, Vorstandsvorsitzender der BARMER; Anja Tebinka-Olbrich, Leiterin des Referats AMNOG Erstattungsbetragsverhandlungen des GKV-Spitzenverbands; Susanne Teupen, Teamleitung der Stabsstelle Patientenbeteiligung des G-BA; Beate Wieseler, Leiterin des Ressorts Arzneimittelbewertung des IQWiG sowie Bernhard Wörmann, Vorsitzender der ständigen Kommission Arzneimittel der AWMF.

Wir danken unseren Gesprächspartner*innen aus Australien, Dänemark, Frankreich, Japan, Österreich, UK und USA für sehr wertvollen Austausch. Namentlich seien hier genannt: Clémentine Body, Agentur für Innovationen im Gesundheitswesen des französischen Ministeriums für Arbeit, Gesundheit und Familie; Josh Carlson, Universität Washington; Christiane Gasse, Universität Aarhus; Nicklas Jørgensen, Dänisches Ministerium für Industrie, Wirtschaft und Finanzen; Marie Kirkebæk, Dänisches Ministerium für Industrie, Wirtschaft und Finanzen; Zeynep Or, Institut für Forschung und Information in der Gesundheitsökonomie, Paris; Jean-Patrick Sales, Französisches Wirtschaftskomitee für Gesundheitsprodukte; Mark Sculpher, Universität York; Rosalie Viney Technische Universität Sydney; Sabine Vogler, Gesundheit Österreich; Beth Woods, Universität York sowie vom Verband japanischer Pharmaunternehmen: Takemitsu Hayashi, Yutaka Hisada, Takashi Hisamura, Masaaki Kozaki, Yoshitaka Kusabiraki, Jinichi Someya, Yasuyuki Tashiro sowie Ryo Tatsumi.

Weitere fachkundige Informationen konnten u. a. auch bei folgenden Institutionen eingeholt werden: AOK-Bundesverband; Bennett Institute for Applied Data Science, Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte; DAK Gesundheit; Deutsches Register Klinischer Studien; European Platform on Rare Disease Registration; Gemeinsamer Bundesausschuss; GKV-Spitzenverband; Institut für Gesundheits- und Sozialforschung; Kassenärztliche Bundesvereinigung; Nuffield Department of Primary Care Health Sciences, Statistisches Bundesamt; Universität Oxford; WifOR Institute sowie dem Wissenschaftlichen Institut der AOK.

Rat und Geschäftsstelle danken ebenso den Mitarbeiter*innen des Bundesministeriums für Gesundheit, die für Auskünfte und Rückfragen immer ansprechbar waren.

Der Rat dankt des Weiteren herzlich Christopher Bühler, wissenschaftlicher Mitarbeiter am Fachgebiet für Gesundheitsökonomie der Technischen Universität München sowie Andrea Feldhus, wissenschaftliche Mitarbeiterin am Fachgebiet für Gesundheitsökonomie der Technischen Universität München für ihre wertvolle Mitarbeit am Gutachten.

Für die wissenschaftliche Recherche, die Erarbeitung und Weiterentwicklung von Entwurfsfassungen zu Gutachtenkapiteln sowie für die Schlussredaktion konnte sich der Rat auf die Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter der Geschäftsstelle stützen. Für ihr außergewöhnliches Engagement und ihre sachkundige Unterstützung gebührt ihnen besondere Anerkennung. Der Rat dankt namentlich Sonja Barth (bis Juni 2024), Sarah-Lena Böning (bis Juni 2024), Gloria Dust (seit Januar 2025), Janina Franke, Valérie Groß (bis Dezember 2024), Paula Hepp (seit Mai 2024), Janine Hinkler, Pauline Klaßen, Rebekka Müller-Rehm, Sandra Katharina Wrzeziono (seit Februar 2025) sowie Frank Niggemeier als dem Geschäftsführer des Rates und Leiter des Wissenschaftlichen Stabs.

Bonn/Berlin, im März 2025

Michael Hallek **Melanie Messer** **Jonas Schreyögg**

Nils Gutacker **Stefanie Joos** **Jochen Schmitt** **Leonie Sundmacher**

Das vorliegende Gutachten bemüht sich um gendersensible Formulierungen. Sofern aus Gründen der besseren Lesbarkeit, der Vermeidung ermüdender Aufzählungen (insbesondere bei den Berufsbezeichnungen) oder des gesetzlichen Sprachgebrauchs generische Substantiva (z. B. „Leistungserbringer“ oder „Person“) verwendet werden, sind immer Menschen jeglicher Geschlechtsidentität gemeint.

Die Nutzung des sogenannten Gendersternchens (in Zitaten natürlich nur, wenn so im Original genutzt) ist weder als ideologische Parteinahme zu verstehen noch als Votum gegen die Empfehlungen des Rats für deutsche Rechtschreibung oder gegen die Expertise von Sprachwissenschaftlern. Sie erfolgt vielmehr im Geist flexibler, kontextangemessener Sprachhandhabung, die in dieser oft unerbittlich geführten Debatte allen Beteiligten guttäte.

Der Redaktionsschluss für dieses Gutachten war der 31. Januar 2025.

Für den gesamten Inhalt des Gutachtens einschließlich etwaiger Fehler und Mängel trägt der Rat die Verantwortung.

Inhaltsverzeichnis

Kurzinhalt I
Vorwort III
Inhaltsverzeichnis VI
Exkursübersicht VIII
Tabellenverzeichnis VIII
Abbildungsverzeichnis IX
Abkürzungsverzeichnis X
Executive Summary XV
1 Fokus und Ziele des Gutachtens 1
1.1 Ziele der Bewertung und Bepreisung von Arzneimitteln 2
1.2 Fokus dieses Gutachtens 6
1.3 Entwicklung der Preise und Ausgaben für Arzneimittel 7
1.4 Struktur dieses Gutachtens 16
1.5 Literatur 18
2 Bepreisung innovativer Arzneimittel im AMNOG-Verfahren 23
2.1 Markteinführung innovativer Arzneimittel 23
2.2 Zusatznutzenbewertungen neuer Arzneimittel durch das AMNOG 25
2.2.1 Die Bewertungsgrundlage 26
2.2.2 Die Dossierbewertung durch das IQWiG 28
2.2.3 Die Beschlussfassung durch den G-BA 29
2.2.4 Sonderregelungen 32
2.3 Verhandlung des Erstattungsbetrags 33
2.4 Weitere Perspektiven zur Weiterentwicklung des AMNOG 39
2.4.1 Asymmetrische Verhandlungspositionen aufgrund garantierter Erstattungsfähigkeit 39
2.4.2 Fehlanreize in der Preisbildung 41
2.5 Preisbildung innovativer Arzneimittel im Ausland – ausgewählte Fallstudien 42
2.5.1 Preisbildung innovativer Arzneimittel in Frankreich 42
2.5.2 Preisbildung innovativer Arzneimittel in Japan 46
2.6 Zusammenfassung der Empfehlungen 47
2.7 Literatur 49
3 Europäischer Kontext 55
3.1 EU-Kompetenzen in der Arzneimittelregulierung 55
3.2 Möglichkeiten der gemeinsamen Arzneimittelbeschaffung in der EU 58
3.3 EU-Verordnung zur Bewertung von Gesundheitstechnologien 60
3.4 Forschungsnetzwerke und -strukturen auf EU-Ebene 63
3.5 Arzneimittelstrategie der EU 65
3.6 Externe Preisreferenzierung in der EU 66
3.7 Perspektiven für eine stärkere Zusammenarbeit auf europäischer Ebene 67
3.8 Zusammenfassung der Empfehlungen 70
3.9 Literatur 70

4 Instrumente für eine evidenzbasierte Bewertung innovativer Arzneimittel 77
4.1 Herausforderungen für eine evidenzbasierte Bewertung innovativer Arzneimittel 77
4.2 Studienevidenz 78
4.2.1 Datengrundlagen 79
4.2.2 Studienendpunkte 81
4.2.3 Innovative Studientypen 83
4.3 Einsatz und Bewertung von Evidenz im Kontext verschiedener Arzneimittelgruppen und ihres Produktlebenszyklus 87
4.4 Anreizsetzung zur Evidenzgenerierung 89
4.4.1 Anreize im Rahmen der frühen Nutzenbewertung 90
4.4.2 Anreize zur Reevaluation im Rahmen erneuter Nutzenbewertungen 92
4.5 Etablierung einer integrierten Forschungs(daten)infrastruktur für ein lernendes Bewertungssystem innovativer Arzneimittel 94
4.5.1 Gesundheitsregisterlandschaft 95
4.5.2 Strukturelle Vernetzung und Nutzbarmachung von Gesundheitsdaten 100
4.5.3 Stärkung der Transparenz und Auffindbarkeit durch Studienregistrierung 101
4.6 Dauerhafte Finanzierungsmöglichkeiten 102
4.7 Zusammenfassung der Empfehlungen 104
4.8 Literatur 105

5 Weiterentwicklung der Preisbildungsinstrumente 117
5.1 Preisanpassung im Zeitverlauf 117
5.1.1 Erneute Preisverhandlungen nach Reevaluation 119
5.1.2 Regelhafte Preisanpassung nach festgelegten Kriterien 122
5.2 Erfolgsabhängige Vergütung 125
5.3 Budgetierung 131
5.4 Preiskorridor und alternative Preisbildungsstrategien 133
5.4.1 Bestimmung des Minimalpreises und Cost-Plus-Regulierung 134
5.4.2 Zahlungsbereitschaft der Solidargemeinschaft für Zusatznutzen 135
5.5 Zusammenfassung der Empfehlungen 138
5.6 Literatur 139

6 Preisbildung und Standortförderung 145
6.1 Die Verknüpfung von Preissetzung und Standortförderung 145
6.2 Bedeutung des Pharmastandorts Deutschland 147
6.2.1 Beschäftigte in der pharmazeutischen Industrie 147
6.2.2 Investitionen 149
6.2.3 Aspekte der Daseinsvorsorge in der Standortpolitik 149
6.3 Wesentliche Standortfaktoren für die pharmazeutische Industrie – eine empirische Betrachtung 151
6.3.1 Grundlagenforschung 152
6.3.2 Klinische Forschung 154
6.3.3 Produktion 155
6.3.4 Digitale Forschungs(daten)infrastruktur als zukünftiger Standortfaktor 156
6.3.5 Quantitative Betrachtungen: Auswirkung von Preisregulierung auf standortbezogene F&E Investitionen 158
6.3.6 Bedeutung der Steuerung von Arzneimittelpreisen für die Standortwahl 159
6.4 Zusammenfassung und Empfehlungen für eine nachhaltige Förderung des Pharmastandorts Deutschland 160
6.5 Literatur 162

Exkursübersicht

Exkurs: Orphan Drugs und ATMPs 15
Exkurs: Positivlisten zur Regelung der Erstattungsfähigkeit von Arzneimitteln 24
Exkurs: Weitere Preisregulierungsmechanismen 34
Exkurs: Rechtsetzungskompetenzen der EU im Arzneimittel-Bereich 56
Exkurs: Target Trial Emulation – ein Anwendungsbeispiel 84
Exkurs: Anwendungsbegleitende Datenerhebung – das Beispiel Zolgensma® 93
Exkurs: Best Practice – Fallstudie Dänemark 95
Exkurs: Gesetzliche Krebsregister für die Arzneimittelbewertung nutzbar machen 99
Exkurs: Standortförderung in Frankreich 156
Exkurs: Standortförderung in Dänemark 157

Tabellenverzeichnis

Tabelle 2-1: Ausmaß des Zusatznutzens 29
Tabelle 3-1: Gemeinsame Beschaffungsverfahren für Arzneimittel in der EU während der SARS-CoV-2-Pandemie 60
Tabelle 4-1: Empfehlungen zur Nutzung verschiedener Studientypen in der Bewertung innovativer Arzneimittelgruppen nach Prävalenz des Indikationsgebiets 89
Tabelle 5-1: Anzahl der Nutzenbewertungsverfahren in den Jahren 2011 bis 2023 nach Anlass 121
Tabelle 5-2: Beispiele für Budgets im Arzneimittelbereich 132

Abbildungsverzeichnis

Abbildung 1-1:	Fokus auf erstattungsfähige Rx-Arzneimittel	6
Abbildung 1-2:	Fokus auf patentgeschützte Arzneimittel ohne Festbetrag	7
Abbildung 1-3:	Laufende Gesundheits- und Arzneimittelausgaben in Deutschland im Zeitverlauf	8
Abbildung 1-4:	Anteil der laufenden Gesundheitsausgaben am BIP in der EU im Jahr 2022	9
Abbildung 1-5:	Anteile der Ausgabenbereiche an den Leistungsausgaben der GKV im Jahr 2023	11
Abbildung 1-6:	Verordnungs- und Umsatzanteil patentgeschützter Arzneimittel am GKV-Fertigarzneimittelmarkt im Zeitverlauf	12
Abbildung 1-7:	Verordnungen und Umsatz patentgeschützter Arzneimittel im Zeitverlauf im GKV-Fertigarzneimittelmarkt	12
Abbildung 1-8:	Durchschnittliche Packungspreise für den Gesamtmarkt, den Patentmarkt und patentgeschützte Markteinführungen im Zeitverlauf	13
Abbildung 1-9:	Markteinführungen nach § 35a SGB V (Stand Oktober 2024)	14
Abbildung 1-10:	Zusammenspiel der im vorliegenden Gutachten dargestellten Themenbereiche	17
Abbildung 2-1:	Zeitlicher Ablauf des AMNOG-Verfahrens	26
Abbildung 2-2:	Ergebnisse der Nutzenbewertungen seit 2011 auf Verfahrensebene, Subgruppenebene und Patientenebene	31
Abbildung 2-3:	Auswirkungen der Leitplanken zur Preisgestaltung nach § 130b Abs. 3 SGB V	36
Abbildung 2-4:	Ergebnisse der bisherigen AMNOG-Prozesse	39
Abbildung 2-5:	Wissens- und Interessenverteilung in Preisverhandlungen	40
Abbildung 2-6:	Durchschnittliche Differenz zwischen Initialpreis und Erstattungsbetrag	41
Abbildung 3-1:	Nationale und europäische Zuständigkeiten bei Entwicklung, Zulassung, Bewertung und Bepreisung von Arzneimitteln	56
Abbildung 3-2:	Deutsche und europäische Zuständigkeiten unter Berücksichtigung der EU-HTA-Verordnung	63
Abbildung 4-1:	Einsatz verschiedener Studientypen und Datenarten über den Produktlebenszyklus eines Arzneimittels	87
Abbildung 4-2:	Maßnahmen für eine kontinuierliche Evidenzgenerierung	104
Abbildung 5-1:	Auslöser für dynamische Preisanpassungen	118
Abbildung 5-2:	Regelhafte Preisanpassung bei Arzneimitteln mit zunächst patentgeschützter zVT	124
Abbildung 5-3:	Vereinbarungen zwischen Hersteller und Krankenversicherungen	127
Abbildung 6-1:	Erwerbstätige im Marktsegment Humanarzneimittel im Zeitverlauf	148
Abbildung 6-2:	Entwicklung der Erwerbstätigenzahlen in verschiedenen Bereichen des Marktsegments Humanarzneimittel im Zeitverlauf	148

Abkürzungsverzeichnis

A	
AbD	anwendungsbegleitende Datenerhebung
AEUV	Vertrag über die Arbeitsweise der Europäischen Union
AIS	Agence de l'innovation en santé; Agentur für Innovation im Gesundheitswesen
AMNOG	Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz
AM-NutzenV	Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung
ASMR	Amélioration du Service Médical Rendu; Zusatznutzen
ASMR I-V	Bewertung des Zusatznutzens auf einer Ordinalskala mit fünf Ausprägungen
ATMPs	Advanced Therapy Medicinal Products; Arzneimittel für neuartige Therapien
AWMF	Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften
B	
BAS	Bundesamt für Soziale Sicherung
BfArM	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte
BIP	Bruttoinlandsprodukt
C	
CAR-T-Zell-Therapie	Chimäre-Antigen-Rezeptor-T-Zellen-Therapie
CEPS	Comité économique des produits de santé; Wirtschaftskomitee für Gesundheitsprodukte
COS	Core Outcome Sets
CT	Commission de la Transparence; Transparenzkommission
D	
DARWIN EU®	Data Analysis and Real World Interrogation Network
DBRCT	Double-Blind Randomised Controlled Trial; doppelblinde, randomisierte kontrollierte Studie
DCT	Decentralised Clinical Trial; dezentrale klinische Studie
DDD	Defined Daily Dose; definierte Tagesdosis
E	
EBM	evidenzbasierte Medizin

EG	Europäische Gemeinschaft
EHDS	European Health Data Space; europäischer Gesundheitsdatenraum
EMA	European Medicines Agency; Europäische Arzneimittel-Agentur
ePA	elektronische Patientenakte
EU	Europäische Union
EUnetHTA	European Network for Health Technology Assessment
EWG	Europäische Wirtschaftsgemeinschaft
F	
F&E	Forschung und Entwicklung
FDZ Gesundheit	Forschungsdatenzentrum Gesundheit
G	
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GDNG	Gesundheitsdatennutzungsgesetz
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
GKV-FinStG	Gesetz zur finanziellen Stabilisierung der gesetzlichen Krankenversicherung
GKV-SV	GKV-Spitzenverband
H	
HAS	Haute Autorité de Santé; Hohe Gesundheitsbehörde
HTA	Health Technology Assessment; Bewertung von Gesundheitstechnologien
I	
IIT	Investigator Initiated Trial; industrieunabhängige Studie
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
J	
JCA	Joint Clinical Assessment; gemeinsame klinische Bewertung
JPA	Joint Procurement Agreement; Vereinbarung über gemeinsame Beschaffung
K	
KI	künstliche Intelligenz
KJ1-Statistik	endgültige Rechnungsergebnisse der GKV
KNB	Kosten-Nutzwert-Bewertung
KOL	Key Opinion Leader

M	
MFG	Medizinforschungsgesetz
N	
NHS	National Health Service; Nationaler Gesundheitsdienst
O	
OECD	Organisation for Economic Co-operation and Development; Organisation für wirtschaftliche Zusammenarbeit und Entwicklung
OTC	Over the Counter
P	
P4P	Pay for Performance
PASI	Psoriasis Area and Severity Index
PEI	Paul-Ehrlich-Institut
PKV	private Krankenversicherung
PREMs	Patient-Reported Experience Measures
PROMs	Patient-Reported Outcome Measures
pU	pharmazeutische Unternehmen
Q	
QALY	Quality-adjusted Life Year; qualitätsadjustiertes Lebensjahr
R	
RCT	Randomised Controlled Trial; randomisierte kontrollierte Studie
RDN	Research Delivery Network
Rx	verschreibungspflichtig
S	
SARS-CoV-2	Severe Acute Respiratory Syndrome Coronavirus 2
SGB V	Sozialgesetzbuch (SGB) – Fünftes Buch (V) – Gesetzliche Krankenversicherung
SGB X	Sozialgesetzbuch (SGB) – Zehntes Buch (X) – Sozialverwaltungsverfahren und Sozialdatenschutz
SMR	Service Médical Rendu; medizinischer Nutzen
T	
TTE	Target Trial Emulation

U	
UK	United Kingdom; Vereinigtes Königreich
USA	United States of America; Vereinigte Staaten von Amerika
V	
VeDa	versorgungsnahe Daten
VerfO G-BA	Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses
vfa	Verband Forschender Arzneimittelhersteller
W	
WHO	World Health Organization; Weltgesundheitsorganisation
WIdO	Wissenschaftliches Institut der AOK
Z	
zVT	zweckmäßige Vergleichstherapie

Executive Summary

Kapitel 1: Fokus und Ziele des Gutachtens

1. Angesichts steigender Gesundheitsausgaben, die über die Versicherungsbeiträge sowohl den Einzelnen als auch den Wirtschaftsstandort Deutschland belasten, widmet sich der Rat in diesem Gutachten der Bepreisung innovativer verschreibungspflichtiger Arzneimittel.

2. Das deutsche Gesundheitssystem bietet im internationalen Vergleich eine hohe und schnelle Verfügbarkeit neuer Arzneimittel. Allerdings wird dieser rasche und umfängliche Zugang teuer erkauft: Die **Arzneimittelausgaben** sind im internationalen Vergleich hoch und in den vergangenen Jahren deutlich gestiegen. Insbesondere für Markteinführungen innovativer Arzneimittel werden immer höhere Preise beobachtet. Der durchschnittliche Preis eines neu eingeführten patentgeschützten Arzneimittels lag vor 15 Jahren bei rund 1 000 Euro und schwankte zuletzt um einen Wert von 50 000 Euro. Ein wachsender Anteil der Ausgaben entfällt auf wenige, aber besonders hochpreisige Arzneimittel.

3. Es ist absehbar, dass der medizinisch-technische Fortschritt für zunehmend mehr Patient*innen innovative Arzneimittel hervorbringen wird. Sie können dazu führen, dass zuvor häufig tödliche Erkrankungsverläufe vermieden werden. Dann müssen oft Dauertherapien finanziert werden. Zugleich wird hochpreisigen Einmaltherapien künftig noch stärkere Bedeutung zukommen. Die damit verbundenen größeren Chancen auf Heilung oder auf deutliche Linderung von Krankheiten verschärfen jedoch den **Zielkonflikt** zwischen bedarfsgerechter Versorgung, Innovationsanreizen und nachhaltiger Finanzierbarkeit des Gesundheitssystems. Es droht eine **Überforderung des Systems**.

Kapitel 2: Bepreisung innovativer Arzneimittel im AMNOG-Verfahren

4. Die Preise von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen oder Wirkstoffkombinationen werden im Rahmen des AMNOG-Prozesses auf Basis des Zusatznutzens – gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie (zVT) – zwischen dem GKV-Spitzenverband (GKV-SV) und dem betroffenen pharmazeutischen Unternehmen verhandelt. Wird keine Einigung erzielt, setzt eine Schiedsstelle den Preis fest.

5. Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) setzt die zVT fest und kann diese jederzeit – auch im laufenden Verfahren – ändern. Um zu verhindern, dass es aufgrund einer kurzfristig veränderten zVT zu einem nicht belegten Zusatznutzen kommt, empfiehlt der Rat die verbindliche **Festlegung der zVT** (ggf. *best supportive care*) einige Monate vor Einreichung des Dossiers. Auch wenn aufgrund eines relevanten Therapiefortschritts eine Änderung der zVT angezeigt wäre, sollte

der G-BA im laufenden Verfahren dennoch die ursprünglich festgelegte zVT seiner Bewertung zugrunde legen.

6. **Orphan Drugs** müssen gezielt gefördert werden und haben daher aktuell in diesem Prozess eine Sonderrolle: Für sie wird bereits mit der Zulassung von einem **fiktiven Zusatznutzen** ausgegangen, und es findet keine reguläre Bewertung ihres Zusatznutzens statt. Der Rat empfiehlt, dieses Privileg abzuschaffen. Statt einer Sonderrolle in der Bewertung empfiehlt der Rat, den *Orphan-Drug*-Status im Rahmen der **Preisbildung** zu berücksichtigen.

7. Kosten-Nutzwert-Bewertungen können wichtige Informationen für die verhandelnden Parteien liefern. Bisher werden sie trotz der bereits bestehenden Möglichkeiten wenig genutzt. Der Rat empfiehlt, **Kosten-Nutzwert-Bewertungen unter Verwendung einer indikationsübergreifenden Maßeinheit** routinemäßig bei einer definierten Auswahl von Arzneimitteln durchzuführen. Dies würde auch eine Vergleichbarkeit der Preisaufschläge für Einheiten von Zusatznutzen über Indikationen hinweg schaffen.

8. Das pharmazeutische Unternehmen darf den Initialpreis, zu dem es ein Arzneimittel auf den Markt bringt, frei wählen. Auch wenn dieser Initialpreis kein Kriterium der Preisverhandlungen sein sollte, hat er eine psychologische Ankerwirkung. Der Rat empfiehlt, einen extern festgelegten Interimspreis einzuführen, der sich – bis auf begründete Ausnahmen – an den Kosten der zVT orientiert. Der Initialpreis soll auf die Höhe des Interimspreises abgesenkt werden. Die Differenz zwischen dem zunächst festgelegten Interimspreis und dem später verhandelten Erstattungsbetrag würde rückwirkend für den Zeitraum ab der Markteinführung ausgeglichen.

9. Eine Besonderheit des deutschen Gesundheitssystems ist die in der Regel garantierte Erstattungsfähigkeit neuer Arzneimittel. Der GKV-SV kann sich zu keinem Zeitpunkt dagegen entscheiden, sondern muss sich mit dem pharmazeutischen Unternehmen auf einen Preis einigen oder die Preisfestsetzung durch die Schiedsstelle akzeptieren. Hingegen hat das Unternehmen jederzeit die Möglichkeit, das jeweilige Arzneimittel vom Markt zu nehmen. Durch diese ungleichen Voraussetzungen entsteht eine **Asymmetrie der Verhandlungsmacht**. Um dieser entgegenzuwirken, empfiehlt der Rat, dem GKV-SV zu ermöglichen, nach eingehender Betrachtung der Evidenz über die Erstattungsfähigkeit zu entscheiden und ggf. **von den Preisverhandlungen zurückzutreten**. Neben dem Zusatznutzen sollten dabei auch der geforderte Preis des Arzneimittels sowie das Vorhandensein verfügbarer Behandlungsalternativen berücksichtigt werden. Weiterhin empfiehlt der Rat, **wirkstoffübergreifende Ausschreibungen** zu ermöglichen, wenn mehrere gleichwertige Arzneimittel auf dem Markt verfügbar sind. Durch den somit entstehenden Wettbewerb um Erstattungsfähigkeit sind Preissenkungen erwartbar, ohne dass Versorgungslücken zu befürchten sind.

Kapitel 3: Europäischer Kontext

10. Die Bewertung und die Bepreisung von Arzneimitteln in Deutschland sind auch im europäischen Kontext zu betrachten. Während die Entscheidung über den Erstattungspreis eines Arzneimittels auf nationaler Ebene getroffen wird, sind andere Aufgaben auf europäischer Ebene angesiedelt. Dazu zählen u. a. die Zulassungsentscheidungen für bestimmte Arzneimittel sowie gemeinsame *Health Technology Assessments* (HTA), welche evidenzbasierte Bewertungen des Zusatznutzens von Gesundheitstechnologien inklusive Arzneimitteln vornehmen sollen. Die im Jahre

2025 begonnenen gemeinsamen klinischen Bewertungen auf Grundlage der sogenannten EU-HTA-Verordnung sind deshalb als Schritt in die richtige Richtung zu begrüßen.

11. Der Rat sieht großes Potential zur Verbesserung der Arzneimittelversorgung in der Zusammenarbeit auf europäischer Ebene. Er empfiehlt zur **Stärkung der Verhandlungsmacht gegenüber den pharmazeutischen Unternehmen, das EU-Verfahren zur gemeinsamen Beschaffung** für ausgewählte Arzneimittel zu nutzen – über die derzeitige Beschränkung auf Arzneimittel zur Bekämpfung schwerer grenzüberschreitender Gesundheitsgefahren hinaus. Die dafür nötigen rechtlichen und sonstigen Rahmenbedingungen sollen geschaffen bzw. weiterentwickelt werden. Für eine effiziente Generierung und den Austausch von Wissen zu Arzneimitteln sollte der Ausbau der Forschungs(daten)infrastruktur auch auf europäischer Ebene weiter vorangetrieben werden. Der Rat befürwortet vor allem eine umfassende Vernetzung und Zusammenarbeit nationaler Register auf europäischer Ebene zur gemeinsamen Datenerhebung und -nutzung.

Kapitel 4: Instrumente für eine evidenzbasierte Bewertung innovativer Arzneimittel

12. Ein zentraler Grundsatz des AMNOG-Verfahrens besteht darin, dass der verhandelte Preis den Zusatznutzen innovativer Arzneimittel widerspiegeln soll. Strukturelle Aspekte des AMNOG-Prozesses und Herausforderungen in der Evidenzgenerierung tragen jedoch zu Evidenzlücken bei. So endet ca. die Hälfte der Nutzenbewertungen mit dem Ergebnis „Zusatznutzen nicht belegt“, was häufig auf fehlende Evidenz zurückzuführen ist. Wenn diese Arzneimittel ohne belegten Zusatznutzen hohe Preise erzielen, verstößt dies einerseits gegen das Wirtschaftlichkeitsgebot und schwächt andererseits den Anreiz für pharmazeutische Unternehmen, aussagekräftige Evidenz für die Nutzenbewertung zu generieren.

13. Der Rat empfiehlt, die **Preise innovativer Arzneimittel** noch **konsequenter an deren Zusatznutzen zu koppeln** und zu diesem Zweck die **Evidenzgenerierung über den gesamten Lebenszyklus** eines Arzneimittels hinweg zu verbessern. Dazu sollte der dem Preis zugrunde liegende Zusatznutzen durch regelmäßige **Reevaluationen** überprüft und ggf. neu bestimmt werden. Die systematischen Anreize für pharmazeutische Unternehmen zur Studiendurchführung müssen gestärkt werden. Dazu kann das Instrument der anwendungsbegleitenden Datenerhebung (AbD) beitragen, sofern dieses effizient umstrukturiert wird. Bei hohem Erkenntnisinteresse der Solidargemeinschaft sollten aber auch industrieunabhängige Studien durchgeführt werden, für die der G-BA gezielt Fördermittel bereitstellt.

14. Zum Zwecke einer dynamischen und nutzenorientierten Arzneimittelbepreisung bedarf es zudem dringend einer **Modernisierung der Forschungs(daten)infrastruktur**, die die Anwendung innovativer Studiendesigns (z. B. registerbasierte Interventionsstudien) und den Zugang zu versorgungsnahen Daten für die Forschung ermöglicht. Die Grundlage dazu sieht der Rat in einer **vernetzten Gesundheitsregisterlandschaft** mit funktionalen digitalen Prozessen und in einem ermöglichenden Datenschutz. Dafür ist eine bessere Vernetzung und Nutzbarkeit der bereits vorhandenen Gesundheitsdaten inklusive der elektronischen Patientenakten zu realisieren. Die Finanzierung der erforderlichen Infrastruktur sollte maßgeblich aus öffentlicher Hand erfolgen.

Kapitel 5: Weiterentwicklung der Preisbildungsinstrumente

15. Die existierenden Preisbildungsinstrumente für innovative Arzneimittel in Deutschland sollten gezielt weiterentwickelt werden, um eine hochwertige, bedarfsgerechte

Arzneimittelversorgung auch zukünftig in nachhaltig finanzierbarer Weise sicherstellen zu können. Der Rat empfiehlt die Einführung folgender, sich ergänzender Instrumente.

16. Um das Risiko einer unkontrollierten Ausgabenentwicklung zu begrenzen, nutzen viele internationale Gesundheitssysteme globale **Budgets für Arzneimittelausgaben**, bei deren Überschreitung automatische Preisabschläge greifen. Eine solche Deckelung findet im deutschen Gesundheitswesen bisher nicht statt. Der Rat empfiehlt die Einführung eines jährlich anzupassenden Arzneimittelbudgets für patentgeschützte, hochpreisige Arzneimittel, welches sich z. B. an Veränderungen des Bruttoinlandsprodukts orientieren könnte. Bei Überschreitung der Budgetgrenze würden einheitliche, prospektiv festgelegte prozentuale Preisabschläge auf alle eingeschlossenen Arzneimittel anfallen, sodass die Preisrelationen zwischen den vom G-BA festgelegten Zusatznutzenkategorien bestehen blieben. Generika, bei denen Marktmechanismen zu niedrigen Preisen führen, sowie Arzneimittel, die als besonders förderungswürdig angesehen werden, könnten von dem Budget ausgenommen werden.

17. Das aktuelle Preisbildungssystem ist nach Ansicht des Rats zu statisch und nicht hinreichend an die Preisbildungsfaktoren gekoppelt: Einmal verhandelte Preise für innovative Arzneimittel werden meist nicht angepasst, auch wenn sich die zur Preisbildung herangezogenen „Messwerte“ (z. B. der zVT-Preis) verändern. Der Rat empfiehlt, einen stärkeren Fokus auf die **Preisanpassung im Zeitverlauf** zu setzen und dabei verschiedene Ansätze zu verfolgen. So sollten Reduktionen des zVT-Erstattungspreises zu Senkungen des Preises des darauf referenzierenden Arzneimittels führen. Hierfür ist das Ergebnis der Preisverhandlung in den Komponenten „Kosten der zVT“ und „Preisaufschlag für Zusatznutzen“ auszuweisen. Zudem sollte eine neue Evidenzlage nach der frühen Nutzenbewertung möglichst konsequent zu einer Reevaluation und zu erneuten Preisverhandlungen führen. Dazu ist die Implementierung einer spezifischen **Monitoringstrategie zur systematischen Sichtung von neuer Studienevidenz für ausgewählte Arzneimittel** erforderlich. Auf dieser Grundlage könnte der G-BA gezielt eine Reevaluation und neue Preisverhandlungen auslösen. Dynamische Preisanpassungen können sich direkt kostensenkend auswirken. Sie können zudem indirekt zu Einsparungen führen, indem sie die **selbstverstärkende Preisspirale („Turmtreppeneffekt“) im AMNOG-System abschwächen** würden.

18. Der Rat empfiehlt für teure Einmalgaben, bei denen der Therapieerfolg großen Unsicherheiten unterliegt, stärker auf den **Einsatz von erfolgsabhängigen Vergütungsmodellen** (sogenannten *Pay-for-Performance*-Modellen) zu setzen. Um Fehlanreize bei der Nutzung von erfolgsabhängigen Modellen zu reduzieren, sind Anpassungen in der Systematik des Risikostrukturausgleichs durchzuführen.

19. Angesichts der zu erwartenden Zunahme an hochpreisigen Arzneimitteln (z. B. Gentherapien) erscheint ein breiter Diskurs über die Zahlungsbereitschaft der Solidargemeinschaft für den medizinischen Zusatznutzen von innovativen Arzneimitteln notwendig. Der Rat befürwortet stärkere Forschungsanstrengungen zur evidenzbasierten Ermittlung eines solchen Wertes und zur Klärung ethisch-normativer Konsequenzen. Die Nutzung eines Maximalpreises als starre Entscheidungsregel für die Erstattung von Arzneimitteln lehnt der Rat ab.

Kapitel 6: Preisbildung und Standortförderung

20. Die pharmazeutische Industrie leistet einen bedeutenden Beitrag zur deutschen Wirtschaftsleistung. Durch verbesserte Rahmenbedingungen am Standort Deutschland sollte diese

zukunftsträchtige Branche im Sinne wirtschafts- und gesundheitspolitischer Ziele weiterentwickelt und gefördert werden.

21. Die Standort- und Investitionsentscheidungen multinationaler pharmazeutischer Unternehmen sind multifaktoriell und unterscheiden sich je nach Wertschöpfungsschritt. Insbesondere für Forschung und Entwicklung ist die **Güte des biomedizinischen Forschungsstandorts**, gemessen an der Verfügbarkeit qualifizierter Fachkräfte und exzellenter, öffentlich geförderter Grundlagenforschung, ein entscheidender Wettbewerbsfaktor. Ähnlich große Bedeutung kommt den Rahmenbedingungen für die schnelle und effiziente Durchführung klinischer Studien zu. Es gibt hingegen keine überzeugende Evidenz dafür, dass ein hohes Arzneimittelpreisniveau zu mehr Industrieansiedlung führt.

22. Ein durch hohe Preise gekennzeichneter Absatzmarkt für innovative Arzneimittel, wie er in Deutschland besteht, erscheint für die Standortwahl forschender Pharmaunternehmen sekundär. Auch vor diesem Hintergrund **lehnt der Rat die im Medizinforschungsgesetz vorgesehene Koppelung des Preises an Standortentscheidungen für klinische Forschung in Deutschland ab**: Rekrutiert ein pharmazeutisches Unternehmen Proband*innen für klinische Studien in Deutschland, kann es von der Anwendung der sogenannten Leitplankenregelungen im AMNOG-System freigestellt werden. Dadurch wird die Bindung des Preisniveaus an den Zusatznutzen eines neuen Arzneimittels zugunsten wirtschaftspolitischer Ziele geschwächt. Durch die selbstreferenzielle Logik des AMNOG-Systems können solche Preisaufschläge nachwirkend zu Verzerrungen und einem Anstieg des Arzneimittelpreisniveaus führen, beispielsweise wenn ein durch das Medizinforschungsgesetz begünstigtes Arzneimittel zur zVT wird. Dieser indirekte Mechanismus führt zu Preissteigerungen und fußt auf einer anderen Finanzierungslast als steuerfinanzierte Maßnahmen.

23. Für die Standortförderung von pharmazeutischen Unternehmen empfiehlt der Rat die **Entlastung von unnötiger Bürokratie sowie steuerfinanzierte Fördermaßnahmen** anstelle von Instrumenten zur Preisregulierung von Arzneimitteln. Der **Ausbau einer vernetzten, digitalen Forschungs(daten)infrastruktur** ist eine weitere zentrale Empfehlung des Rats, um den Pharmastandort Deutschland zu fördern. Bestehende **Wettbewerbsvorteile sollten zudem identifiziert und konsequent ausgebaut werden**. Für besonders vielversprechend hält der Rat die Etablierung einer zentralen Anlaufstelle für die reibungslose Initiierung klinischer Studien und die Einführung eines Innovationsmonitorings, das die Effekte innovativer Arzneimittel auf Ausgaben und Gesellschaft erfasst.

1 Fokus und Ziele des Gutachtens

24. Sichere und wirksame Arzneimittel stellen einen wichtigen Bestandteil einer bedarfsgerechten Gesundheitsversorgung dar. Deutschland zeichnet sich im internationalen Vergleich durch eine **hohe Verfügbarkeit** und **zügige Erstattungsfähigkeit** neuer Arzneimittel aus.[2] Allerdings wird dieser rasche und umfängliche Zugang zu pharmazeutischen Innovationen teuer erkauft: Die **Arzneimittelausgaben sind im internationalen Vergleich hoch und in den vergangenen Jahren deutlich gestiegen**. Dass ihr relativer Anteil an den Gesundheitsausgaben weitgehend konstant geblieben ist, liegt vor allem daran, dass die Ausgaben auch in anderen Bereichen rapide gestiegen sind. Besonders gravierende Preissteigerungen zeigten sich in den vergangenen Jahren bei Markteinführungen von neuen Arzneimitteln.

25. Diese Entwicklung könnte sich in Zukunft vor dem Hintergrund des pharmazeutischen und biotechnologischen Fortschritts weiter verschärfen. Im Arzneimittelbereich wurden in den vergangenen Jahren zunehmend neuartige Therapieverfahren, wie Gentherapien, entwickelt, zugelassen und eingesetzt, für die vergleichsweise hohe Preise zu verzeichnen sind. Bisherige preisintensive Innovationen konzentrierten sich oftmals auf Indikationen mit geringer Prävalenz und Inzidenz (z. B. seltene genetische Defekte). Es sind aber auch zahlreiche Innovationen für Volkskrankheiten wie Krebs, Demenz oder Diabetes zu erwarten. Damit **auch in Zukunft eine wirtschaftliche und bedarfsgerechte Arzneimittelversorgung** gewährleistet werden kann, müssen die Preisbildungsmechanismen für innovative Arzneimittel überprüft werden. Dabei gilt es, die Bedeutung des deutschen Absatzmarktes nicht zu unterschätzen – er ist der größte in Europa und der drittgrößte weltweit (BPI, 2024).

[2] Im Zeitraum von 2019 bis 2022 wurden 167 Arzneimittel durch die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA, European Medicines Agency) zugelassen, von denen in Deutschland 147 (88 %) verfügbar waren; im europäischen Durchschnitt waren 72 Arzneimittel (43 %) verfügbar. Die Zeit bis zur Verfügbarkeit der zugelassenen Arzneimittel betrug in Deutschland im Median 47 Tage (gefolgt von Dänemark mit 109 Tagen); im europäischen Durchschnitt lag der Median bei 474 Tagen. Auch für *Orphan Drugs* zeigen sich entsprechende Unterschiede (Newton et al., 2024).

1.1 Ziele der Bewertung und Bepreisung von Arzneimitteln

Gewährleistung einer bedarfsgerechten Versorgung

26. Oberster Leitmaßstab gesundheitspolitischer Entscheidungen muss das Patientenwohl im Sinne einer **bedarfsgerechten Gesundheitsversorgung** sein (siehe auch SVR, 2018, Textziffer 4, und SVR, 2021, Textziffer 66). In § 70 Abs. 1 SGB V heißt es: „Die Krankenkassen und die Leistungserbringer haben eine bedarfsgerechte und gleichmäßige, dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse entsprechende Versorgung der Versicherten zu gewährleisten. Die Versorgung der Versicherten muß ausreichend und zweckmäßig sein, darf das Maß des Notwendigen nicht überschreiten und muß in der fachlich gebotenen Qualität sowie wirtschaftlich erbracht werden." In diesem Sinne gilt es, Über-, Unter- und Fehlversorgung zu vermeiden (siehe auch § 142 SGB V, Abs. 2, Satz 2, und SVR, 2002).

27. **Arzneimitteltherapien** sind ein wichtiger Bestandteil einer bedarfsgerechten Gesundheitsversorgung. Das spiegelt nicht nur der beträchtliche Anteil an den Gesundheitsausgaben wider, der auf Arzneimittel entfällt (siehe Abschnitt 1.3). Diskutiert wird z. B. auch der positive Zusammenhang zwischen dem Zugang zu bzw. den Ausgaben für Arzneimittel und der Lebenserwartung der Bevölkerung. Dieser Zusammenhang wurde wiederholt für verschiedene Zeiträume und Staaten gezeigt (Buxbaum et al., 2020; Caliskan, 2009; Lichtenberg, 2014; Magazzino et al., 2024; Shaw et al., 2005). Zum Beispiel schätzen Buxbaum et al. (2020), dass von dem Anstieg der durchschnittlichen Lebenserwartung in den USA um 3,3 Jahre zwischen den Jahren 1990 und 2015 35 % auf Arzneimittel zurückzuführen waren.

28. Für eine bedarfsgerechte Versorgung ist die **wissenschaftliche Fundierung** im Sinne einer evidenzbasierten Gesundheitsversorgung unabdingbar. Mit Blick auf den Arzneimittelmarkt sind dabei mindestens drei Aspekte wesentlich:

- **Evidenzbasierte Ressourcenallokation**: Eine Kopplung von Preis und Evidenz ist entscheidend, damit Anreize zur Generierung von Evidenz bestehen und echte Innovationen belohnt werden.
- **Patienteninformation und -beteiligung**: Wenn hochwertige wissenschaftliche Evidenz verfügbar ist, können Leistungserbringende ihre Patient*innen umfassend über die pharmakologischen und nicht-pharmakologischen Therapieoptionen aufklären und ihnen so eine informierte Entscheidung ermöglichen.
- **Lernendes Gesundheitssystem**: Die Versorgung soll nicht nur am bestehenden Wissen ausgerichtet werden, sondern umgekehrt selbst zur Generierung von Wissen beitragen, wie der Rat wiederholt betont hat (siehe z. B. SVR, 2021).

29. Die bedarfsgerechte Versorgung muss **auch in Krisensituationen** aufrechterhalten werden. Wie die SARS-CoV-2-Pandemie gezeigt hat, können die schnelle Verfügbarkeit innovativer Arzneimittel in ausreichender Menge sowie eine angemessene Evidenz über deren Wirksamkeit und Sicherheit bei der Bewältigung von Gesundheitskrisen eine entscheidende Rolle spielen. Die Pandemie hat ebenso gezeigt, dass in Deutschland die regulatorischen und infrastrukturellen Voraussetzungen fehlen, um schnell hochwertige Evidenz zu generieren. Auch zur Resilienzsteigerung sind deshalb die Weiterentwicklung von Studiendesigns, der Aufbau einer geeigneten Forschungsinfrastruktur sowie der Abbau regulatorischer Hürden wichtig (siehe dazu Kapitel 4).

Zudem ist in den letzten Jahren deutlich geworden, dass für eine zuverlässige Versorgung robuste Arzneimittellieferketten unverzichtbar sind (siehe dazu SVR, 2023, Kapitel 8).

Wirtschaftlichkeit

30. In § 12 SGB V ist das **Wirtschaftlichkeitsgebot** verankert, das auch im oben zitierten § 70 SGB V erwähnt wird. Wirtschaftlichkeit bedeutet, dass mit den eingesetzten Ressourcen das bestmögliche Ergebnis erzielt wird, d. h., dass der Mitteleinsatz effizient ist.[3] Eine wirtschaftliche Mittelverwendung ist nicht gleichbedeutend mit geringen Ausgaben. Auch hohe und steigende Arzneimittelausgaben können wirtschaftlich sein, wenn zusätzliche Ausgaben mit einem hinreichend großen zusätzlichen Nutzen einhergehen. Angesichts der Begrenztheit von Ressourcen ist Wirtschaftlichkeit sowohl aus ökonomischen als auch ethischen Gründen geboten (Deutscher Ethikrat, 2016, Seite 37 f.).[4] Ressourcen, die für einen Zweck verwendet werden, stehen für einen anderen Zweck (schon innerhalb des Gesundheitssystems etwa für die bedarfsgerechte Versorgung zukünftiger Patient*innen) nicht mehr zur Verfügung (sogenannte Opportunitätskosten[5], siehe dazu auch Kapitel 5). Zugespitzt: Ein unwirtschaftlicher Einsatz von Ressourcen geht mit einer schlechteren Gesundheitsversorgung und/oder einer höheren Finanzierungslast einher. Für den oft ineffizienten Einsatz der begrenzten Ressource „Fachkräfte im Gesundheitswesen“ hat dies der Rat in seinem Gutachten 2024 beleuchtet (SVR, 2024). Nicht zuletzt die Ressourcenverschwendung durch das vielfach reformresistente deutsche Gesundheitssystem hat in den letzten Jahren die Krankenversicherungskosten steigen lassen, was den Wirtschaftsstandort Deutschland und die privaten Haushalte durch höhere Lohnnebenkosten belastet.[6]

31. Einen wirtschaftlichen Mitteleinsatz im Gesundheitswesen zu erzielen, ist herausfordernd. Die einzelnen Marktteilnehmer haben **nur z. T. Anreize, die Ressourcen der Solidar- bzw. Versichertengemeinschaft zu schonen und effizient einzusetzen**. Die Krankenkassen übernehmen in der Regel die Kosten für verschreibungspflichtige Arzneimittel. Die Versicherten wiederum kennen die tatsächlichen Kosten ihrer medikamentösen Behandlung meist nicht. In der privaten Krankenversicherung hängt die Übernahme der Kosten für Arzneimittel vom Versicherungstarif ab.

32. Die Solidar- bzw. Versichertengemeinschaft hat ein grundlegendes Interesse daran, dass möglichst geringe Kosten für Arzneimittel anfallen. Gleichzeitig besteht die Erwartung, dass Innovationen mit patientenrelevantem Zusatznutzen in Deutschland schnell und für alle Versicherten verfügbar sind (siehe dazu die Textziffern 33 ff.). Im Bereich innovativer Arzneimittel ist das Erreichen eines sachlich angemessenen und nachhaltig finanzierbaren Preises besonders herausfordernd – vor allem, da die Bevölkerung und die Leistungserbringer in Deutschland an einen schnellen Zugang gewöhnt sind und dieser durch vergleichsweise großzügige Preise begünstigt wird. Während insbesondere auf dem Generikamarkt mit hoher Wettbewerbsintensität durch Festbeträge und

---

[3] Umgekehrt lässt sich formulieren, dass Wirtschaftlichkeit gegeben ist, wenn ein bestimmtes Ergebnis mit dem geringstmöglichen Mitteleinsatz erreicht wird.

[4] Aus Sicht des Ethikrats „gehören Allokationsüberlegungen intrinsisch in solche ethischen Überlegungen; sie sind für die Erreichung des Patientenwohls ein notwendiges, wenn auch nicht hinreichendes Kriterium“ (Deutscher Ethikrat, 2016, Seite 38).

[5] „Opportunitätskosten“ bilden den entgangenen Nutzen ab, der dadurch entsteht, dass die nächst bessere Möglichkeit zur Ressourcenverwendung nicht wahrgenommen wird, wenn eine Handlungsalternative gewählt wird.

[6] Zur Entwicklung der Beiträge in der gesetzlichen und in der privaten Krankenversicherung siehe z. B. Deutscher Bundestag (2024).

Rabattverträge große Einsparungen erzielt werden, ist der **Wettbewerbsdruck bei patentgeschützten Arzneimitteln gering**.[7] Das gilt vor allem für Arzneimittel, für die es keine gleichwertigen Behandlungsalternativen gibt.

Wahrung von Innovationsanreizen

33. Aus dem Interesse an nachhaltig finanzierbaren Arzneimittelpreisen auf der einen und an der Verfügbarkeit innovativer Therapieoptionen auf der anderen Seite ergibt sich ein **möglicher Zielkonflikt**, der bei der Preisregulierung von Arzneimitteln beachtet werden muss. Eine bedarfsgerechte und wirtschaftliche Versorgung mit Arzneimitteln wird auf Dauer nur dann aufrechterhalten werden können, wenn es gelingt, durch geeignete Maßnahmen, wie sie in diesem Gutachten skizziert werden, **beiden Zielen** gerecht zu werden.

34. Die Verfügbarkeit innovativer Therapieoptionen **erfordert umfangreiche Investitionen in Forschung und Entwicklung** (F&E). Im Jahr 2021 investierten pharmazeutische Unternehmen (pU) in Deutschland 8 % ihres Gesamtumsatzes in interne F&E-Maßnahmen. Dieser Anteil liegt bei mehr als dem Doppelten des Durchschnitts im verarbeitenden Gewerbe (Expertenkommission Forschung und Innovation, 2024).[8] Das Patentsystem dient der Incentivierung dieser Investitionen, indem den pU vorübergehende Monopolstellungen gewährt werden. Somit wird die Konkurrenz durch Nachahmer unterbunden und ein gewisser Preissetzungsspielraum eröffnet. Auf dem deutschen Arzneimittelmarkt können die pU jedoch, abgesehen von den Initialpreisen in den ersten sechs Monaten nach Markteintritt, keine beliebigen Monopolpreise zulasten der Solidargemeinschaft festsetzen. Stattdessen werden die Preise mit dem GKV-Spitzenverband verhandelt. Allerdings hat der Initialpreis eine nicht zu unterschätzende Ankerwirkung, wie in Kapitel 2 beschrieben wird.

35. Grundsätzlich gilt für die **Preisregulierung von Monopolen** einerseits, Wohlfahrtsverluste durch Monopolpreise zu vermeiden („statische Effizienz"), und andererseits, die Innovationsanreize zu erhalten („dynamische Effizienz").[9] In einem Krankenversicherungssystem mit umfassender Erstattung von Arzneimitteln kann es passieren, dass Innovationen belohnt werden, deren zusätzliche Kosten höher sind als der zusätzliche Nutzen für die Versicherten – und deren Nutzung insofern nicht wirtschaftlich ist. In Deutschland fehlt bislang die Informationsgrundlage, um Arzneimittel zu identifizieren, die mehr zusätzliche Kosten als zusätzlichen Nutzen mit sich bringen. Eine Analyse aus UK von Woods et al. (2021) spricht dafür, dass der Zusatznutzen neuer Arzneimittel in vielen Fällen selbst auf lange Sicht, d. h. unter Berücksichtigung der Phase generischen Wettbewerbs, nicht ausreicht, um die Opportunitätskosten der Zahlungen an die pU auszugleichen.

36. Die Pharmaindustrie gilt als ein Industriezweig, der **relativ hohe Umsatzrenditen** erzielt. Ledley et al. (2020) vergleichen in einer Querschnittsstudie die Gewinne von 35 großen pU mit denen

---

[7] Zwar sind gemäß § 130c SGB V auch im patentgeschützten Bereich Rabattverträge teilweise möglich. Derzeit bestehen in diesem Bereich jedoch nur geringe Anreize, Rabattverträge für Arzneimittel abzuschließen und/oder Arzneimittel, für die ein Rabattvertrag geschlossen wurde, tatsächlich bevorzugt zu verschreiben, sodass das Instrument weitgehend ins Leere läuft.

[8] Interne F&E-Maßnahmen sind solche, die innerhalb des jeweiligen Unternehmens durchgeführt werden, d. h., die nicht an externe Auftragnehmer vergeben werden.

[9] Wohlfahrtsverluste entstehen dann, wenn Transaktionen ausbleiben, deren Kosten niedriger gewesen wären als der dadurch erzielbare Nutzenzuwachs. Auf dem Arzneimittelmarkt ist diese Ursache für Wohlfahrtsverluste durch die geringe Preissensitivität der Nachfrageseite deutlich abgeschwächt. Es bleibt gleichwohl die Frage, welche Gewinne pU für die von ihnen auf den Markt gebrachten Innovationen durch die Solidargemeinschaft finanziert bekommen sollten.

von 357 großen nicht-pharmazeutischen Unternehmen in den Jahren 2000 bis 2018. Die pU erzielten in diesem Zeitraum im Verhältnis zu ihrem Umsatz signifikant höhere Gewinne (im Median: 13,8 % gegenüber 7,7 %); allerdings war der Unterschied weniger ausgeprägt, wenn z B. die Unternehmensgröße oder die F&E-Ausgaben berücksichtigt wurden. Auch die deutsche Pharmaindustrie verzeichnet relativ hohe Umsatzrenditen (Deutsche Bundesbank, 2023a, 2023b).

37. Es ist zu beachten, dass Innovationsanreize nicht nur von deutschen Preisbildungsmechanismen bestimmt werden. Sie ergeben sich vielmehr aus den **globalen Absatzmöglichkeiten**. Allerdings spielt der deutsche Absatzmarkt aufgrund seiner Größe und Funktion als Referenzland eine wichtige Rolle. Im Jahr 2023 belief sich der weltweite Umsatz der Pharmaindustrie auf knapp 1,4 Billionen Euro. Auf den deutschen Absatzmarkt entfielen ca. 64 Milliarden Euro (BPI, 2024, Seite 43), d. h. fast 5 % des Weltmarktes. Da innerhalb und außerhalb Europas in vielen Gesundheitssystemen auf den deutschen Preis referenziert wird, wirkt sich die Preisbildung in Deutschland nicht nur direkt, sondern auch indirekt auf den Absatz der pU aus (siehe dazu Kapitel 3).

Fairness und Gerechtigkeit

38. Bei der Bewertung und Bepreisung von Arzneimitteln stellen sich **herausfordernde Fragen**: Wie viel dürfen Arzneimittel kosten? Wie stellt sich dies bei ungewissem Therapieerfolg dar? Unter welchen Umständen soll die Solidargemeinschaft die Kosten bis zu welcher Höhe übernehmen? Welche Privilegien sollten Arzneimittel genießen, die beispielsweise der Behandlung seltener Erkrankungen dienen? In den vergangenen Jahren sind diese Fragen angesichts neuer Therapieverfahren (z. B. Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMPs, *Advanced Therapy Medicinal Products*), siehe Abschnitt 1.3) und der Markteinführung sehr preisintensiver Arzneimittel immer drängender geworden. So wurden in den vergangenen Jahren Arzneimittel zur Einmalgabe eingeführt, deren Preise z. T. bei über 2 Millionen Euro liegen (siehe Abschnitt 1.3). Zudem werden durch Entwicklungen in der personalisierten Medizin häufige Erkrankungen durch streng eingegrenzte Therapieschemata in kleine Behandlungsgruppen unterteilt, was die Evidenzgenerierung erschweren und möglicherweise zu einem *Orphan-Drug*-Status führen kann. Auch weniger preisintensive, aber potentiell aufgrund hochprävalenter Indikationsgebiete sehr umsatzstarke Arzneimittel erhöhen den Druck auf die Solidargemeinschaft. Dazu gehören z. B. Injektionen zur Behandlung von Diabetes mellitus Typ 2, einer der bedeutendsten Volkskrankheiten.

39. Fairness und Gerechtigkeit als Kriterien der Arzneimittelbepreisung sind nicht eindeutig definiert. Es gibt jedoch verschiedene Möglichkeiten, sich ihnen anzunähern, u. a. über Zahlungsbereitschaften (siehe dazu z. B. Witte & Greiner, 2021, Seite 10). Im Rahmen einer Veranstaltung des Deutschen Ethikrats zur **Preisbildung bei hochpreisigen Arzneimitteln** wurden prozedurale Kriterien (transparente Begründungen, Einsichtigkeit der Argumente, Widerspruchsmöglichkeiten im Verfahren und Durchsetzung von Entscheidungen) sowie inhaltliche Kriterien gerechter Bepreisung (Menschenwürde, Bedürftigkeit, Solidarität, Wirksamkeit und Nutzen) identifiziert (Deutscher Ethikrat, 2022).

40. Grundsätzlich gilt: **Je wirtschaftlicher die Arzneimittelversorgung erfolgt, desto mehr Spielraum besteht, möglichst vielen konkurrierenden Bedarfen gerecht zu werden**. Auch die schwierigen ethischen Fragen sprechen somit dafür, das System der Bewertung und Bepreisung innovativer Arzneimittel auf den Prüfstand zu stellen.

1.2 Fokus dieses Gutachtens

41. Dieses Gutachten fokussiert auf **innovative Rx-Arzneimittel**, wobei Rx für die Verschreibungspflicht steht. Die Krankenkassen übernehmen zu einem großen Teil die Kosten für Rx-Arzneimittel, die an gesetzlich versicherte Patient*innen abgegeben werden. Im Unterschied dazu werden frei verkäufliche Arzneimittel sowie solche, die zwar apotheken-, aber nicht verschreibungspflichtig sind (sogenannte OTC-, *Over-the-Counter*-Arzneimittel), von den gesetzlichen Krankenkassen meist nicht erstattet. In der privaten Krankenversicherung hängt die Kostenübernahme vom Versicherungstarif ab. In Abbildung 1-1 sind die Merkmale der Arzneimittelgruppen, auf die in diesem Gutachten fokussiert wird, blau hinterlegt.

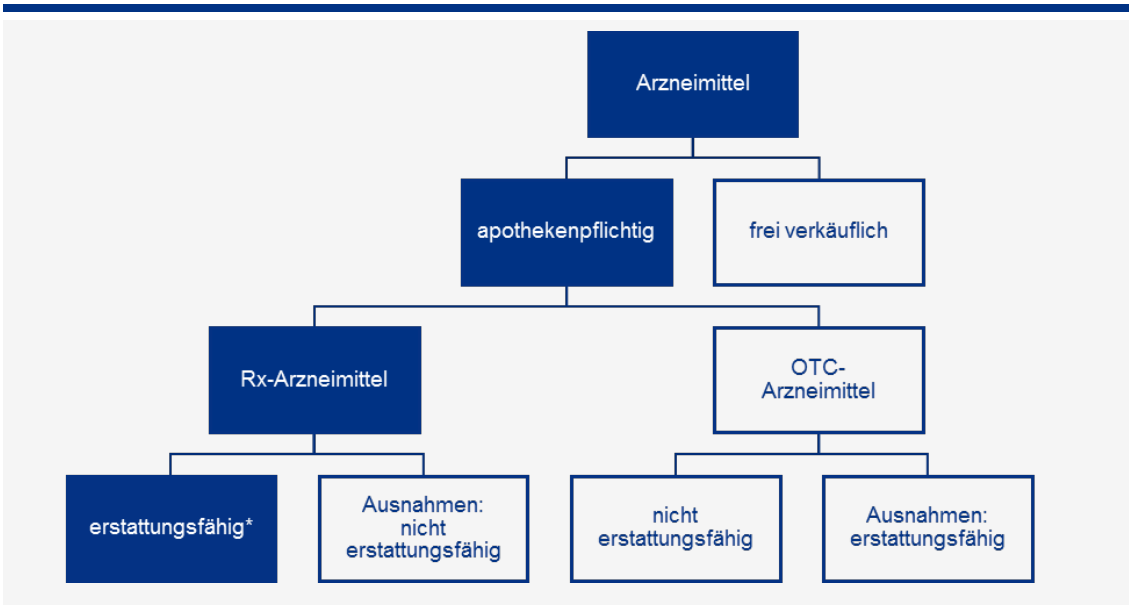

Abbildung 1-1: Fokus auf erstattungsfähige Rx-Arzneimittel

Rx = verschreibungspflichtig; OTC = Over the Counter.
* Hier ist die Erstattungsfähigkeit in der GKV gemeint.

Quelle: Eigene Darstellung.

42. Die Definition **innovativer Arzneimittel** ist nicht einheitlich. Im Folgenden werden damit patentgeschützte Arzneimittel bezeichnet, die keiner Festbetragsgruppe zugeordnet werden (zu Festbetragsgruppen siehe Kapitel 2). Abbildung 1-2 veranschaulicht diese Fokussierung. Diese ist zum einen dadurch motiviert, dass auf patentgeschützte Arzneimittel zuletzt weniger als ein Zehntel der Verordnungsmenge, aber gut die Hälfte der Arzneimittelausgaben entfielen, wie in Abschnitt 1.3 näher beschrieben wird. Das ist vor allem darauf zurückzuführen, dass für viele innovative Arzneimittel kaum wettbewerbliche Mechanismen greifen, während es für andere Arzneimittel gut funktionierende Instrumente gibt, die Wettbewerb induzieren oder Preise anderweitig kontrollieren (siehe dazu Kapitel 2). Zum anderen haben innovative Arzneimittel – trotz verhältnismäßig geringer Verordnungsmengen – eine nicht zu unterschätzende Relevanz für die Versorgung, vor allem, wenn für eine Erkrankung vor der Markteinführung des neuen Arzneimittels keine oder nur eine deutlich schlechtere therapeutische Option existierte.

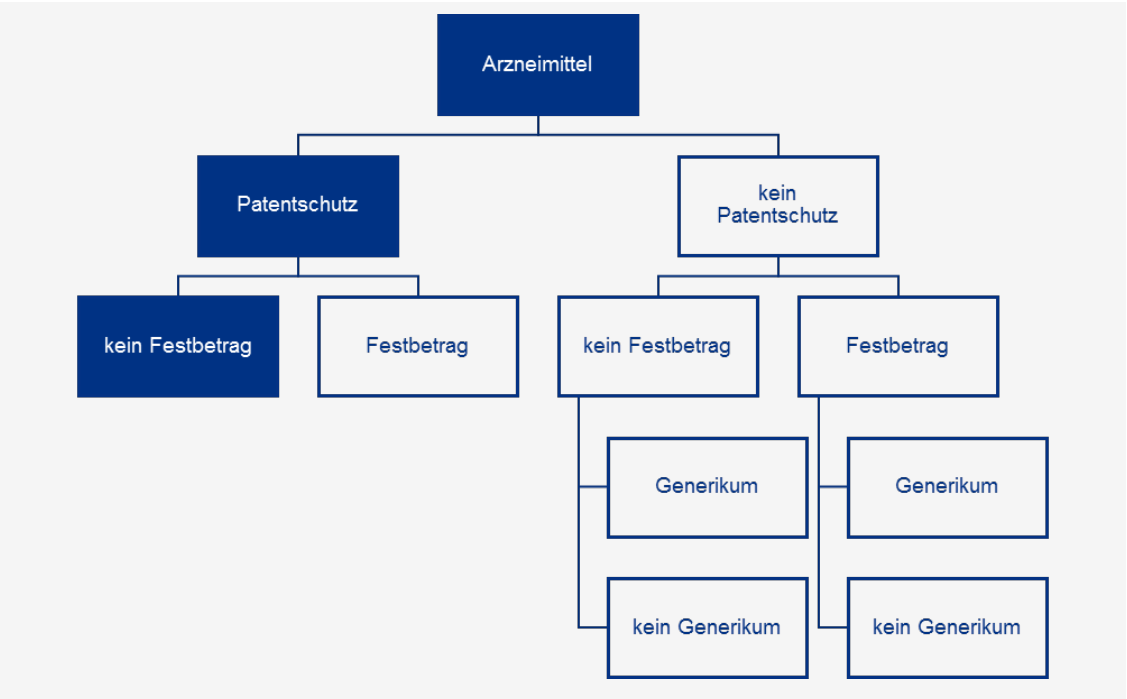

Abbildung 1-2: Fokus auf patentgeschützte Arzneimittel ohne Festbetrag

Quelle: Eigene Darstellung in Anlehnung an Busse et al. (2022b).

1.3 Entwicklung der Preise und Ausgaben für Arzneimittel

43. Gemäß Daten des Statistischen Bundesamtes machten im Jahr 2022 die **Ausgaben für Arzneimittel** 15,6 % der laufenden Gesundheitsausgaben[10] in Deutschland aus; dieser Anteil ist seit dem Jahr 1992 stabil. Diese relative Stabilität muss unter Berücksichtigung der insgesamt stark angestiegenen Gesundheitsausgaben interpretiert werden. Die absoluten Ausgaben für Arzneimittel betrugen im Jahr 1992 25,8 Milliarden Euro und im Jahr 2022 76 Milliarden Euro (Destatis, 2025; siehe Abbildung 1-3).

[10] Bei der Gesundheitsausgabenrechnung fasst das Statistische Bundesamt (Destatis) verschiedene Datenquellen aus dem Bereich des Gesundheitswesens zur Ermittlung der gesamten Ausgaben für Waren und Dienstleistungen im Gesundheitswesen zusammen. Die Gesundheitsausgaben werden dreidimensional nach Ausgabenträgern (z. B. GKV, PKV, Pflegeversicherung), Leistungsarten (z. B. ärztliche Leistungen, pflegerische Leistungen, Prävention) und Einrichtungen (z. B. Krankenhäuser, Arztpraxen, Apotheken) ausgewiesen. Die Gesundheitsausgaben setzen sich aus den laufenden Gesundheitsausgaben sowie den Investitionen zusammen. Zu den laufenden Gesundheitsausgaben zählen Leistungen und Waren mit dem Ziel der Prävention, Behandlung, Rehabilitation und Pflege. Zudem werden die Ausgaben für die Verwaltung des Gesundheitssystems erfasst. Die Arzneimittelausgaben enthalten in dieser Betrachtungsweise u. a. Ausgaben, die in Apotheken, Gesundheitshandwerken, Krankenhäusern und Vorsorge-/Rehabilitationseinrichtungen angefallen sind (Destatis, 2024).

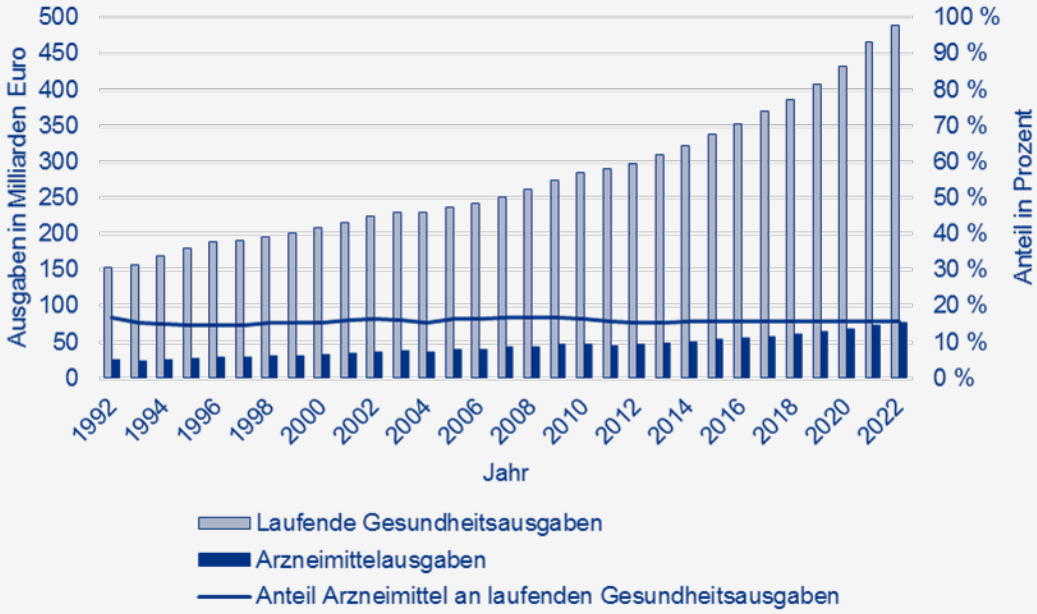

Abbildung 1-3: Laufende Gesundheits- und Arzneimittelausgaben in Deutschland im Zeitverlauf

Quelle: Eigene Darstellung auf Basis von Destatis (2025).

Internationaler Vergleich

44. Im internationalen Vergleich sind die **Gesundheitsausgaben** – im Verhältnis zum jeweiligen Bruttoinlandsprodukt (BIP) – in Deutschland **besonders hoch**. Die laufenden Gesundheitsausgaben betrugen hierzulande im Jahr 2022 fast 500 Milliarden Euro[11] (siehe Abbildung 1-3), was 12,6 % des BIP entsprach. Gemessen an der Wirtschaftsleistung hatte Deutschland die höchsten laufenden Gesundheitsausgaben in der EU (Eurostat, 2024; siehe Abbildung 1-4).[12]

[11] Mit 488 Milliarden Euro entsprachen die laufenden Gesundheitsausgaben nahezu dem Volumen des für das gleiche Jahr geplanten Bundeshaushalts von 495,8 Milliarden Euro (§ 1 Abs. 1 Haushaltsgesetz 2022).

[12] Bei Betrachtung aller OECD-Länder lagen lediglich die USA mit einem Anteil von 16,5 % im Jahr 2022 über Deutschland (OECD, 2025a).

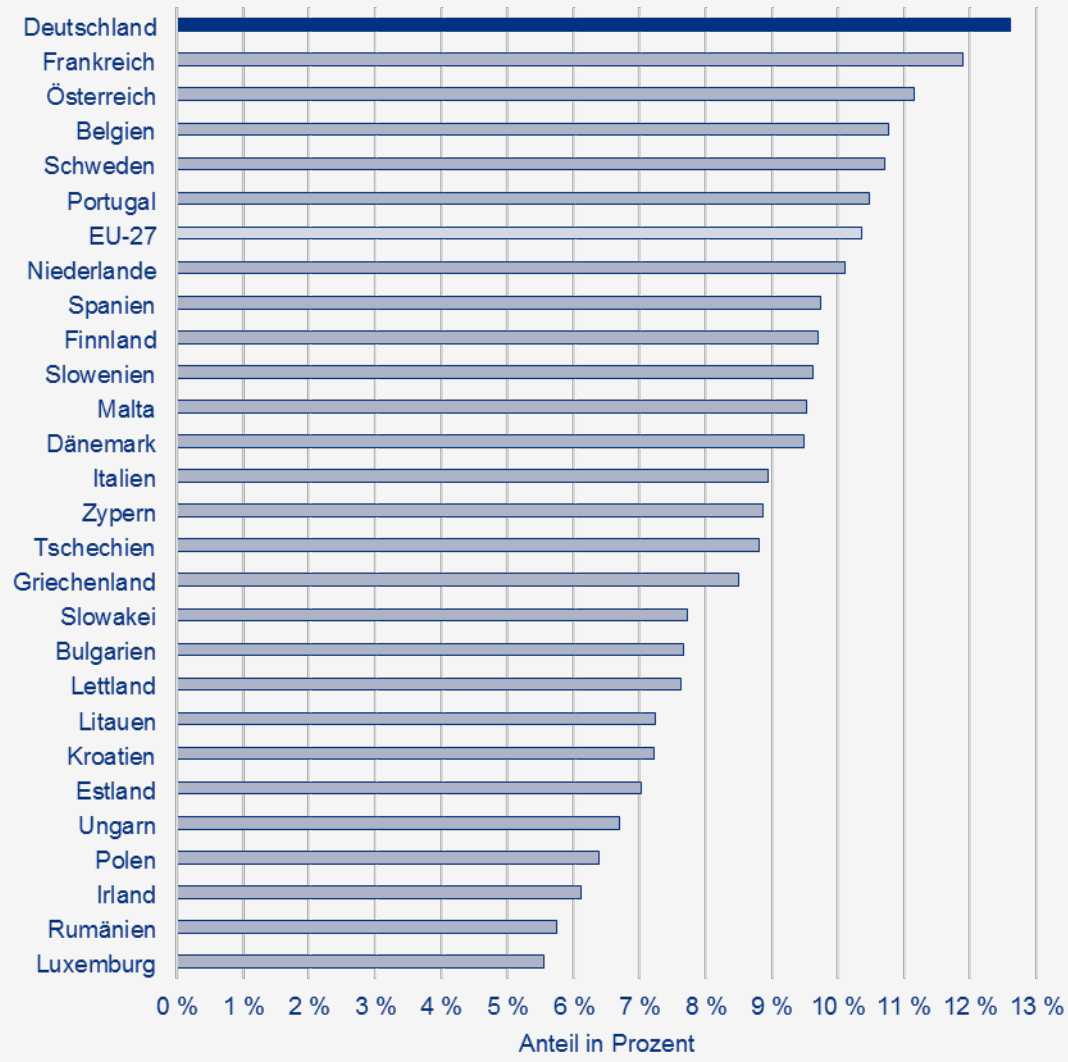

Abbildung 1-4: Anteil der laufenden Gesundheitsausgaben am BIP in der EU im Jahr 2022

Quelle: Eurostat (2024).

45. Ein Vergleich von Arzneimittelausgaben wird durch unterschiedliche Regulierungssysteme und Datenerhebungsverfahren erschwert. In vielen Staaten werden sowohl die ambulant als auch stationär verordneten Arzneimittel zugrunde gelegt. Für Deutschland und einige andere Staaten werden in den OECD-Daten lediglich die ambulant verordneten Arzneimittel erfasst und keine, die im stationären Sektor verabreicht werden (OECD, 2025b).[13] Dies führt zu einer Unterschätzung der

[13] Der Hintergrund ist, dass die Arzneimittelkosten im stationären Sektor in das auf Pauschalen und Zusatzentgelten basierte Finanzierungssystem integriert sind. Betrachtet man nur die Entgelte für neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden (NUB) und die Zusatzentgelte, liegen allein die darüber abgedeckten Arzneimittelkosten gemäß einer Schätzung von Greiner (2024) bei 1,2 Milliarden Euro. In dieser Schätzung nicht berücksichtigt sind die Arzneimittelkosten, die in den diagnosebezogenen Fallgruppen (DRG, *Diagnosis Related Groups*) eingepreist sind.

tatsächlich angefallenen Ausgaben für Arzneimittel.[14] Trotz dieser Unterschätzung verzeichnet Deutschland in der EU die **höchsten Ausgaben für verschreibungspflichtige Arzneimittel (in Kaufkraftparitäten) pro Kopf** (OECD, 2025c).

46. Gemäß OECD-Daten hat Deutschland im europäischen Vergleich zugleich einen **überdurchschnittlichen Verbrauch von Arzneimitteln** (gemessen in definierten Tagesdosen; DDD, *Defined Daily Doses*). Des Weiteren war eine kontinuierliche Zunahme des Verbrauchsvolumens zu verzeichnen (OECD, 2025d). Die Unterschiede zwischen den Arzneimittelausgaben im internationalen Vergleich lassen sich nur teilweise über die verhältnismäßig hohe Verbrauchsmenge erklären. Auch das Preisniveau ist in Deutschland hoch. Deutschland gilt insofern als **„Hochpreisland" für patentgeschützte Arzneimittel**, als die Preise für patentgeschützte Arzneimittel im Durchschnitt über den Preisen in anderen europäischen Ländern liegen (Busse et al., 2022a, Seite 280).

Ausgaben der GKV

47. Gemäß den endgültigen Rechnungsergebnissen der GKV (sogenannte KJ1-Statistik) beliefen sich deren **Leistungsausgaben** im Jahr 2023 auf ca. 288,6 Milliarden Euro. Davon entfielen ca. 50,2 Milliarden Euro (ca. 17,4 %) auf Arzneimittel.[15] Demnach machten die Ausgaben für Arzneimittel nach denen für Krankenhausleistungen (ca. 32,6 %) den zweitgrößten Anteil an den Leistungsausgaben der GKV aus (siehe Abbildung 1-5).[16]

[14] Darüber hinaus ist zu berücksichtigen, dass ein großer Teil der Versorgung in Deutschland im stationären Sektor erbracht wird, was im internationalen Vergleich zusätzlich zu einer Unterschätzung der Arzneimittelausgaben führen kann.

[15] Dieser Wert, der in der KJ1-Statistik als „Summe Arzneimittel" ausgewiesen wird, umfasst u. a. die Ausgaben für Arznei- und Verbandmittel im Rahmen der vertragsärztlichen Versorgung und aus Krankenhausapotheken sowie aus weiteren Versorgungsformen. Ausgaben für Impfstoffe sind nicht enthalten. Gesetzliche und vertraglich vereinbarte Rabatte sind bereits abgezogen.

[16] Die in dieser und den folgenden Textziffern angeführten Informationen unterscheiden sich z. T. hinsichtlich der zugrunde liegenden Daten. Einzelheiten sind den angeführten Quellen zu entnehmen; sie sind u. a. in WIdO (2024a) beschrieben.

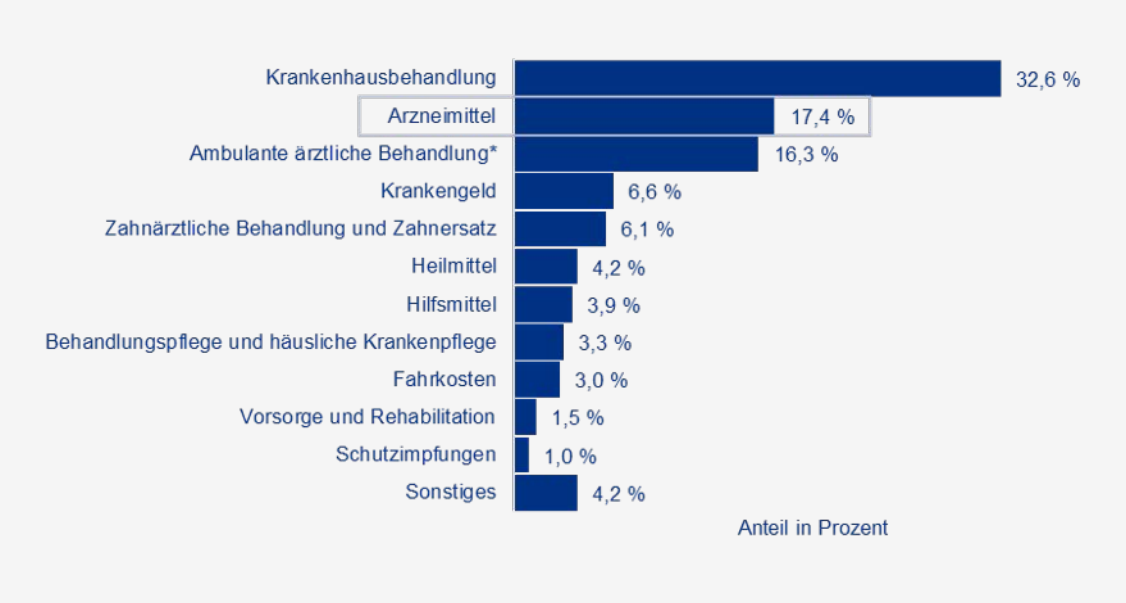

Abbildung 1-5: Anteile der Ausgabenbereiche an den Leistungsausgaben der GKV im Jahr 2023

* Ohne Ausgaben für Früherkennung, Impfungen, „Sonstige Hilfen" und Dialyse-Sachkosten.
Die Werte addieren sich nicht zu 100 % auf, da sie auf eine Nachkommastelle gerundet wurden.

Quelle: Eigene Darstellung auf Basis von GKV-SV (2025). Grundlage ist die KJ1-Statistik.

48. Der Ausgabenanteil für Arzneimittel war in den vergangenen Jahren – auch bezogen auf die GKV-Leistungsausgaben – recht konstant. Die **absoluten Arzneimittelausgaben** der GKV stiegen hingegen deutlich an. Allein von 2019 bis 2023 erhöhten sie sich gemäß der KJ1-Statistik um gut 22 % (GKV-SV, 2025). Seit dem Jahr 2019 werden ambulant über Krankenhausapotheken abgegebene Arzneimittel in der Statistik berücksichtigt. Andere Arzneimittelausgaben, die in Krankenhäusern anfallen, fließen nicht in diese Betrachtungen ein (siehe dazu auch Textziffer 45). Steigende Kosten sind vor allem für patentgeschützte Arzneimittel zu verzeichnen (Greiner et al., 2024; Mühlbauer & Ludwig, 2023). Zuletzt entfiel **mehr als die Hälfte des Arzneimittelumsatzes**[17] **auf patentgeschützte Arzneimittel**. Während sich ihr Umsatzanteil erhöht hat, ist ihr Anteil an den Verordnungen zurückgegangen (siehe Abbildung 1-6). Zugleich ist ein steigender Umsatz pro Verordnung bei patentgeschützten Arzneimitteln zu verzeichnen (siehe Abbildung 1-7). Dies spiegelt sich darin wider, dass ein **großer Anteil der Arzneimittelkosten auf eine kleine Gruppe von Versicherten** entfällt. So wurde im Jahr 2022 die Hälfte der Gesamtkosten für Arzneimittel der Barmer durch die Behandlung von 1,74 % der Barmer-Versicherten verursacht (Grandt et al., 2023).

[17] Die Angaben beziehen sich auf den Umsatz im GKV-Arzneimittelmarkt vor Abzug gesetzlicher Hersteller- und Apothekenabschläge.

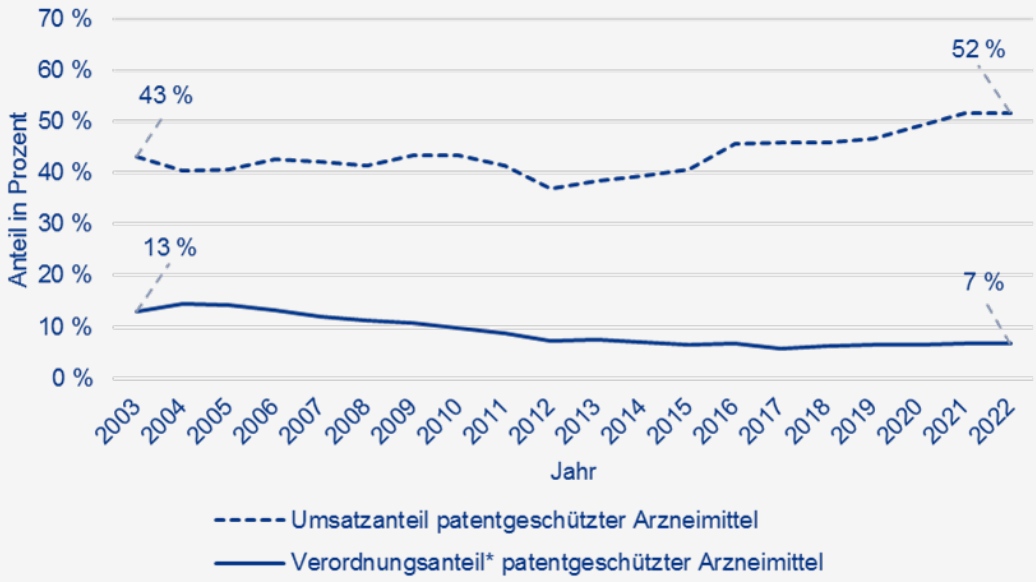

Abbildung 1-6: Verordnungs- und Umsatzanteil patentgeschützter Arzneimittel am GKV-Fertigarzneimittelmarkt im Zeitverlauf

* Dieser Abbildung liegt die Anzahl der Verordnungen (ungeachtet der DDD; Defined Daily Dose, definierte Tagesdosis) zugrunde.
Für diese Darstellung wurden die in der Quelle angegebenen Umsätze bzw. Verordnungen patentgeschützter Arzneimittel im GKV-Fertigarzneimittelmarkt durch die Umsätze bzw. Verordnungen im GKV-Fertigarzneimittelmarkt geteilt. Der Divisor umfasst seit dem Jahr 2012 neben Fertigarzneimitteln auch Rezepturarzneimittel; für den Dividenden, d. h. für den patentgeschützten Bereich, sind seit dem Jahr 2016 auch Zubereitungen enthalten.

Quelle: Eigene Darstellung auf Basis von Mühlbauer & Ludwig (2023).

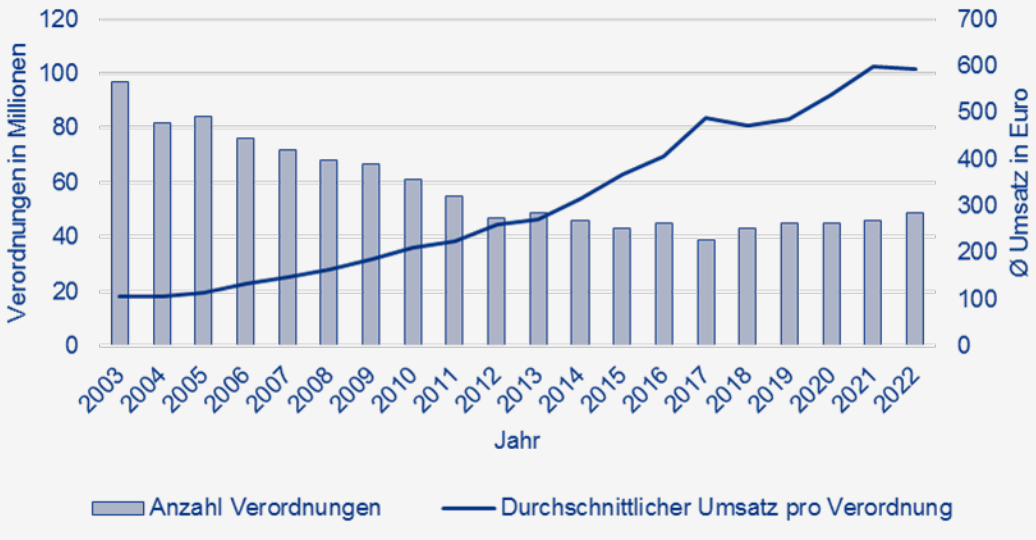

Abbildung 1-7: Verordnungen und Umsatz patentgeschützter Arzneimittel im Zeitverlauf im GKV-Fertigarzneimittelmarkt

Ab dem Jahr 2016 sind auch Zubereitungen enthalten.

Quelle: Eigene Darstellung auf Basis von Mühlbauer & Ludwig (2023).

49. Die **Preisentwicklung unterscheidet sich deutlich nach Marktsegmenten**. Durchschnittlich stiegen die Kosten für Verordnungen von Präparaten, für die auch Generika existierten, zwischen 2014 und 2023 um 31 %. Im patentgeschützten Bereich haben sich die Kosten mehr als verdreifacht. Ein zunehmender Anteil der Arzneimittelausgaben entfällt auf preisintensive Arzneimittel (WIdO, 2024b).[18] Betrachtet man den durchschnittlichen Packungspreis ungeachtet der Verordnungshäufigkeit stellt sich vor allem die Preisentwicklung bei patentgeschützten neu eingeführten Arzneimitteln besorgniserregend dar (siehe Abbildung 1-8, die auf dem GKV-Arzneimittelindex des Wissenschaftlichen Instituts der AOK (WIdO) beruht).[19] Vor 15 Jahren kostete ein patentgeschütztes neues Arzneimittel (bei Betrachtung der Markteinführungen innerhalb der vergangenen 36 Monate) durchschnittlich rund 1 000 Euro; zuletzt lag dieser Wert zeitweise bei über 70 000 Euro. Die Preise neuer Arzneimittel bei Markteinführung unterlagen in den letzten Jahren erheblichen Schwankungen. In der hier gewählten Darstellung werden dabei jeweils die Arzneimittel berücksichtigt, die in den vorherigen drei Jahren auf den Markt gekommen sind. Dadurch wandelt sich der zugrunde liegende Warenkorb laufend – es wird somit ein rollender Durchschnitt abgebildet. Preisliche Ausreißer[20] zeigen sich in dieser Darstellung gleichwohl sehr deutlich.[21]

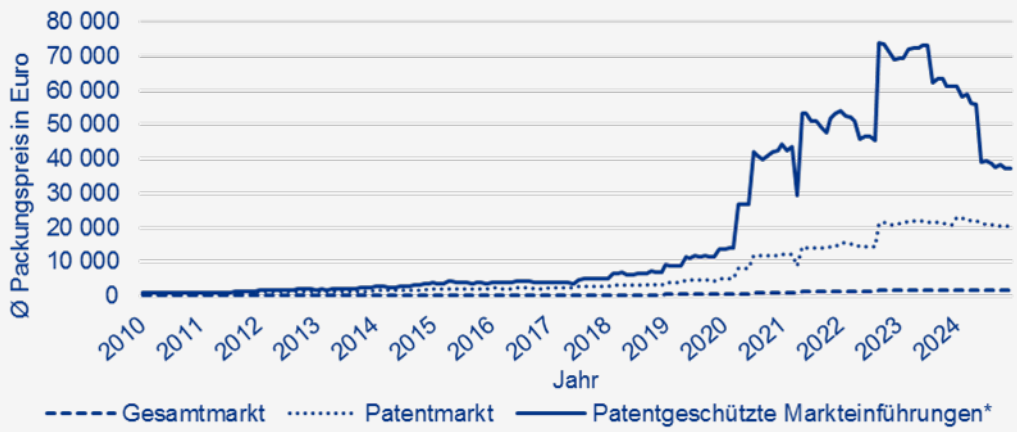

Abbildung 1-8: Durchschnittliche Packungspreise für den Gesamtmarkt, den Patentmarkt und patentgeschützte Markteinführungen im Zeitverlauf

* Es liegen die Markteinführungen der jeweils letzten 36 Monate zugrunde.

Quelle: Grafisch angepasste Darstellung auf Grundlage von Daten, die dem SVR durch das Wissenschaftliche Institut der AOK (WIdO) zur Verfügung gestellt wurden.

18 Im generikafähigen Marktsegment lagen die durchschnittlichen Kosten im Jahr 2014 bei 26,60 Euro; im Jahr 2023 bei 34,85 Euro. Die durchschnittlichen Kosten eines patentgeschützten Arzneimittels lagen im Jahr 2014 bei 190,06 Euro; im Jahr 2023 bei 587,72 Euro. Im Jahr 2014 entfielen 27,6 % des Gesamtumsatzes auf Arzneimittel mit Preisen von mindestens 1 000 Euro; im Jahr 2023 lag dieser Anteil bei 47,6 % (WIdO, 2024b).

19 Bei der Darstellung in Abbildung 1-8 sind zudem Arzneimittel berücksichtigt, die im stationären Sektor eingesetzt werden, während die zuvor angeführten Informationen zur Preisentwicklung auf den ambulanten Verordnungen beruhen.

20 So zeigt sich in Abbildung 1-8 bei den Markteinführungen insbesondere deutlich, dass die besonders hochpreisige Einmalgabe Libmeldy® seit Mitte des Jahres 2024 nicht mehr Teil des abgebildeten Warenkorbs ist.

21 Zu beachten ist zudem, dass keine Inflationsbereinigung der Daten erfolgt.

Kosten von Orphan Drugs und ATMPs

50. Die Zahl der neu zugelassenen Arzneimittel hat sich in den vergangenen Jahren tendenziell erhöht. Dabei ist vor allem ein **Anstieg der Markteinführungen von Orphan Drugs** zu beobachten, d. h. von Arzneimitteln zur Behandlung seltener Leiden (siehe Exkurs in Textziffer 55). Der Anteil der *Orphan Drugs* unter den neu in den Markt eingeführten Arzneimitteln stieg zwischen den Jahren 2012 und 2024 von 11 % auf 40 % (Stand Oktober 2024; siehe Abbildung 1-9). Zum Zeitpunkt der Gutachtenfertigstellung hatten 148 Arzneimittel einen aktiven *Orphan-Drug*-Status (vfa, 2025).

51. Der Anstieg der Jahrestherapiekosten von *Orphan Drugs* bei Markteintritt betrug im Zeitraum 2019 bis 2023 durchschnittlich 43 % pro Jahr (Greiner et al., 2024, Seite 22). Zwischen den Jahren 2010 und 2022 hat sich der **mit Orphan Drugs erzielte Umsatz** mehr als versechsfacht. Im Jahr 2022 zeigte sich für *Orphan Drugs* trotz eines vergleichsweise geringen Verordnungsvolumens von 32,4 Millionen DDD (GKV-Gesamtarzneimittelmarkt: 47,6 Milliarden DDD) ein Umsatzvolumen von 7,1 Milliarden Euro. Das bedeutet, dass auf *Orphan Drugs* zwar weniger als 0,1 % des Verordnungsvolumens (in DDD) entfielen, jedoch fast 13 % des Umsatzvolumens (Mühlbauer & Ludwig, 2023, Seite 23).

52. Mitverantwortlich für diese Entwicklung sind auch Arzneimittel, die auf neuartigen Mechanismen oder der Anwendung neuer Technologien beruhen (sogenannte **ATMPs**). Dazu zählen z. B. Gentherapien. Sie können zur Behandlung (teilweise sogar mit kurativem Ansatz) gewisser schwerer Erkrankungen eingesetzt werden, die bisher keine ausreichende Behandlungsperspektive hatten. Ihre hohen Preise werden u. a. mit der langwierigen, schwierigen und kostenintensiven Entwicklung begründet sowie damit, dass durch eine Heilung ansonsten fortlaufende Kosten verhindert werden können (Alex & König, 2023).

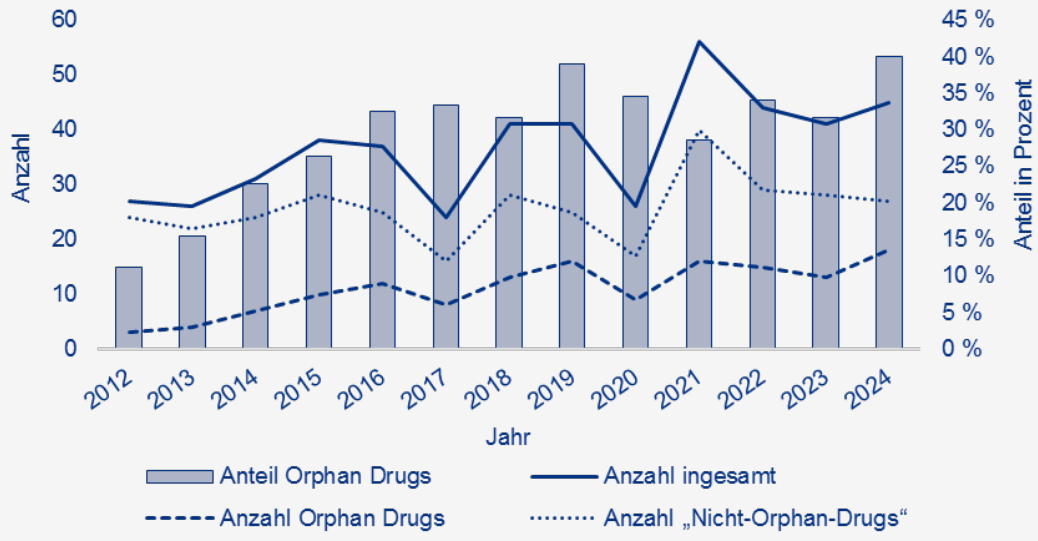

Abbildung 1-9: Markteinführungen nach § 35a SGB V (Stand Oktober 2024)

Quelle: Eigene Darstellung auf Basis von Daten, die durch den G-BA zur Verfügung gestellt wurden.

53. Bei ATMPs handelt es sich oft um sogenannte Einmaltherapien, d. h. um Arzneimittel, die zur einmaligen Anwendung vorgesehen sind. Erstmals wurde eine solche Therapie im Jahr 2016 in der EU zugelassen. Insgesamt erhielten bis zum Zeitpunkt der Gutachtenfertigstellung 17 **Einmaltherapien** aus dem ATMP-Bereich eine europäische Zulassung; zwei von ihnen haben mittlerweile keine Zulassung mehr. Zurzeit sind für Einmaltherapien in Deutschland Preise von ca. 200 000 bis 3 Millionen Euro zu verzeichnen (BAS, 2025).

54. Die Bedeutung von ATMPs wird mutmaßlich weiter zunehmen. Der Bundesverband der pharmazeutischen Industrie schätzt, dass bereits rund 1 200 ATMPs in klinischer Erprobung sind (BPI, 2025). Noch sind ATMPs überwiegend Arzneimittel für seltene Erkrankungen (*Orphan Drugs*). Wahrscheinlich werden **ATMPs in Zukunft zunehmend für häufigere Erkrankungen** angewandt, wie dies beispielsweise für die Chimäre-Antigen-Rezeptor-T-Zellen-Therapie (CAR-T-Zell-Therapie) zu beobachten ist.

Exkurs: Orphan Drugs und ATMPs

55. Als **Orphan Drugs** werden Arzneimittel für seltene Erkrankungen bezeichnet, die im Englischen *orphan diseases* („Waisenkrankheiten“) genannt werden. In zurückliegender Zeit hatten pU nur ein geringes finanzielles Interesse an der Entwicklung von Arzneimitteln, die für eine kleine Zielgruppe bestimmt sind (vfa, 2024a). In Europa gilt eine Erkrankung als selten, wenn weniger als fünf von 10 000 Personen von ihr betroffen sind. Derzeit sind mehr als 6 000 seltene Erkrankungen bekannt. Die Gesamtzahl der Betroffenen ist somit beträchtlich und wird in Deutschland auf rund vier Millionen Personen und in der EU auf ca. 30 Millionen Personen geschätzt. Die meisten seltenen Erkrankungen (über 70 %) sind genetisch bedingt (BMG, 2025).

Um die Erforschung und Entwicklung von *Orphan Drugs* für pU attraktiver zu machen, hat die EU verschiedene Anreize geschaffen. Als Gamechanger ist hier vor allem die Verordnung (EG) Nr. 141/2000 über Arzneimittel für seltene Leiden zu nennen (vfa, 2024b). Mit Bezug auf sie können Hersteller bei der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA, European Medicines Agency) einen Antrag auf *Orphan-Drug*-Status stellen. Die Kriterien dafür sind: a) Das Arzneimittel ist für die Prävention, Diagnose oder Behandlung einer seltenen Erkrankung bestimmt, die lebensbedrohend ist oder eine chronische Invalidität nach sich zieht, b) es existiert keine zufriedenstellende Therapie oder das Arzneimittel ist von erheblichem Nutzen im Vergleich zu bestehenden Therapien und das Inverkehrbringen des Arzneimittels in der EU würde nicht genügend Gewinn bringen, um die notwendigen Investitionen zu rechtfertigen (Artikel 3 der Verordnung (EG) Nr. 141/2000). Die Zulassung von *Orphan Drugs* erfolgt zentral über die EMA. Ist diese erfolgreich, profitieren die Hersteller eines *Orphan Drug* von einem Alleinvertriebsrecht. Diese Marktexklusivität gegenüber ähnlichen Arzneimitteln gilt bei Aufrechterhaltung des *Orphan-Drug*-Status für einen Zeitraum von bis zu zehn Jahren und kann auf zwölf Jahre ausgedehnt werden, wenn zudem potentielle Auswirkungen auf Kinder erforscht und die Anforderungen der Kinderarzneimittelverordnung erfüllt werden (BfArM, 2025). Ein anderes, als ähnlich eingestuftes Arzneimittel kann für dasselbe Anwendungsgebiet nur zugelassen werden, wenn a) das pU des bereits zugelassenen *Orphan Drug* sein Einverständnis gibt, b) Lieferengpässe bei dem bestehenden Arzneimittel vorliegen oder c) es klinisch überlegen ist (Artikel 8 der Verordnung (EG) Nr. 141/2000). Nach Inverkehrbringen in Deutschland gelten für *Orphan Drugs* außerdem Sonderregelungen im Prozess der Nutzenbewertung (siehe Kapitel 2).

ATMPs sind Arzneimittel für neuartige Therapien. Sie stellen eine heterogene Produktgruppe dar und umfassen Gentherapeutika, somatische Zelltherapeutika sowie biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte. Gentherapeutika sind biologische Arzneimittel, deren Wirkstoff eine rekombinante Nukleinsäure enthält oder aus dieser besteht. Sie werden eingesetzt, um Nukleinsäuresequenzen im Körper zu regulieren, zu reparieren, zu ersetzen, hinzuzufügen oder zu entfernen. Die Wirkung steht in unmittelbarem Zusammenhang mit der rekombinanten Nukleinsäuresequenz, die das Arzneimittel enthält, oder mit dem Produkt, das auf Basis dieser genetischen Information gebildet wird. Ziel der Anwendung von Gentherapeutika ist die ursächliche Therapie von Gendefekten. Ein Beispiel ist Hemgenix® bei Hämophilie B. Somatische Zelltherapeutika bestehen aus Zellen oder Geweben, die substanziell bearbeitet wurden, sodass biologische oder strukturelle Merkmale oder physiologische Funktionen verändert wurden. Ein Beispiel ist Alofisel®, eine Stammzelltherapie zur Behandlung von Fisteln bei Morbus Crohn. Biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte sind biologische Arzneimittel aus biotechnologisch bearbeiteten Zellen oder Geweben. Sie werden zur Reparatur, Regeneration oder zum Ersatz menschlichen Gewebes eingesetzt. Ein Beispiel sind Knorpelzellen, die *ex vivo* zur Therapie bei Knorpeldefekten von Gelenken hergestellt werden (PEI, 2022; vfa, 2023).

ATMPs bieten innovative Behandlungen für schwerwiegende und oft unheilbare Erkrankungen. Aufgrund ihrer Neuartigkeit und Komplexität unterliegen sie besonderen regulatorischen Anforderungen. Die Zulassung von ATMPs erfolgt grundsätzlich zentral über die EMA, kann in Ausnahmefällen aber auch national erfolgen. Auf europäischer Ebene findet eine Bewertung unter Einbeziehung eines speziell für diese Produktgruppe geschaffenen Ausschusses für neuartige Therapien (Committee for Advanced Therapy) statt. Häufig stehen für die Bewertung von Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit lediglich Daten aus nicht randomisierten, klinischen Studien ohne Vergleichsgruppe mit geringer Patientenzahl zur Verfügung (Schüßler-Lenz et al., 2022). Wird ein ATMP in Deutschland in den Verkehr gebracht, welches das zentralisierte europäische Zulassungsverfahren durchlaufen hat, besteht dennoch die Verpflichtung für das pU, ein Dossier beim Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) zur Nutzenbewertung einzureichen. Davon ausgeschlossen sind biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte. Um eine qualitativ hochwertige Versorgung und sachgerechte Anwendung sicherzustellen, legt der G-BA Mindestanforderungen (z. B. Qualifikation des Personals) für die Anwendung von ATMPs in der sogenannten ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie fest. Ausschließlich Krankenhäuser oder Praxen, die die Anforderungen nachweislich erfüllen, dürfen Leistungen im Rahmen einer Therapie mit ATMPs erbringen.

1.4 Struktur dieses Gutachtens

56. Das vorliegende Gutachten ist wie folgt strukturiert: **Kapitel 2** bietet einen Überblick über die bestehenden Preisbildungsmechanismen sowie Empfehlungen zu konkreten Veränderungen in den bestehenden Strukturen. Der Fokus liegt dabei auf dem Preisbildungsverfahren gemäß Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG), das seit dem Jahr 2011 den Rahmen für die Zusatznutzenbewertung innovativer Arzneimittel und die Preisverhandlungen vorgibt. In **Kapitel 3** wird ausgeführt, inwiefern der europäische Kontext für das Thema des vorliegenden Gutachtens relevant ist. **Kapitel 4** ist der Evidenz zur Bewertung und Bepreisung von Arzneimitteln gewidmet. Die Kernfragen von Kapitel 4 sind: Welche Anforderungen sollte die Evidenz erfüllen, die der Bewertung

zugrunde liegt? Welche Hürden und Fehlanreize bei der Generierung von Evidenz bestehen bislang und wie könnten diese behoben werden? **Kapitel 5** fokussiert u. a. auf Preisinstrumente, die eingesetzt werden können, um das Risiko einer rapiden Ausgabensteigerung zu begrenzen oder um Preise dynamisch an Marktentwicklungen anzupassen. Abschließend beleuchtet **Kapitel 6** den Zusammenhang zwischen Preisregulierung und Standortentscheidungen der pU und erörtert, wie Investitionen in Deutschland gefördert werden können.

Die Zusammenhänge zwischen den in diesem Gutachten behandelten Themenkomplexen sowie die inhaltlichen Schwerpunkte der einzelnen Kapitel sind in Abbildung 1-10 illustriert.

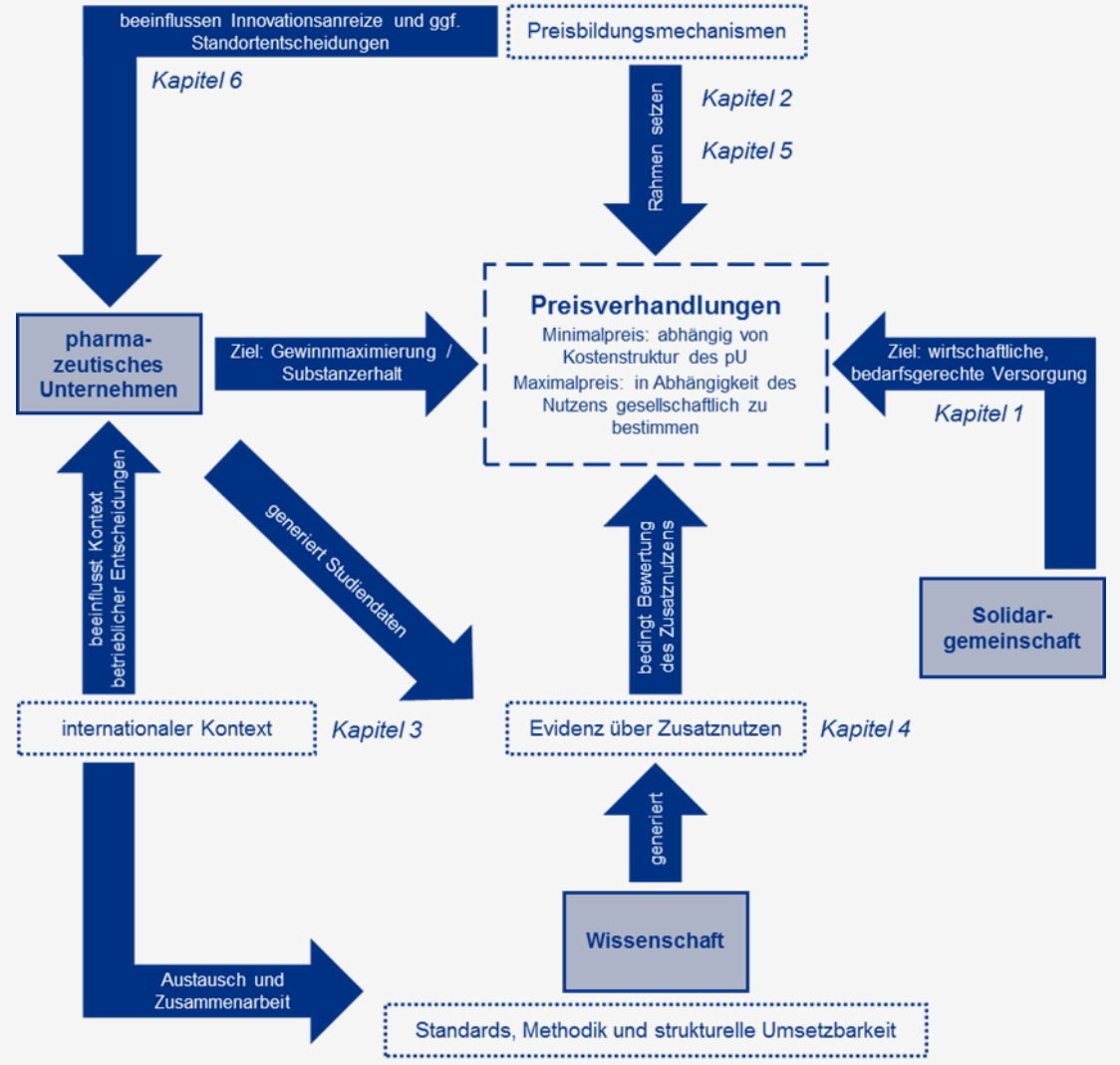

Abbildung 1-10: Zusammenspiel der im vorliegenden Gutachten dargestellten Themenbereiche

Minimal- bzw. Maximalpreis beschreiben die Unter- bzw. Obergrenze möglicher Verhandlungsergebnisse (siehe dazu Kapitel 2 und 5).

Quelle: Eigene Darstellung.

1.5 Literatur

Alex, K., König, J., 2023. Dürfen Gentherapien so viel kosten? Ethische Bewertung der hohen Preise und des performanceorientierten Erstattungsmodells, in: Fehse, B., Schickl, H., Bartfeld, S., Zenke, M. (Hrsg.), Gen- und Zelltherapie 2.023 – Forschung, klinische Anwendung und Gesellschaft. Springer, Berlin, Heidelberg, S. 317–337. https://doi.org/10.1007/978-3-662-67908-1_22

BAS, (Bundesamt für Soziale Sicherung), 2025. Gutachten zu den Wirkungen des Risikostrukturausgleichs im Jahresausgleich 2021, Bonn.

BfArM, (Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte), 2025. Arzneimittel für seltene Erkrankungen. https://www.bfarm.de/DE/Arzneimittel/Zulassung/Arzneimittel-fuer-seltene-Erkrankungen/_node.html#:~:text=Verg%C3%BCnstigungen%20f%C3%BCr%20orphan%20drugs&text=Die%20Marktexklusivit%C3%A4t%20kann%20auf%2012,Anpassung%20der%20SmPC%20%2FFachinformation (abgerufen am 2.4.2025).

BMG, (Bundesministerium für Gesundheit), 2025. Seltene Erkrankungen. https://www.bundesgesundheitsministerium.de/themen/praevention/gesundheitsgefahren/seltene-erkrankungen.html (abgerufen am 2.4.2025).

BPI, (Bundesverband der pharmazeutischen Industrie), 2025. ATMP (Arzneimittel für neuartige Therapien). https://www.bpi.de/alle-themen/atmp-arzneimittel-fuer-neuartige-therapien (abgerufen am 2.4.2025).

BPI, (Bundesverband der pharmazeutischen Industrie), 2024. Pharma-Daten 2024, Berlin. https://www.bpi.de/index.php?eID=dumpFile&t=f&f=81021&token=c94916c479598c5343e03f0f9ab7cebb46f9d64a (abgerufen am 2.4.2025).

Busse, R., Henschke, C., Panteli, D., Vogler, S., 2022a. Arzneimittelmarkt und -versorgung in Deutschland im europäischen Vergleich, in: Schröder, H., Thürmann, P., Telschow, C., Schröder, M., Busse, R. (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2022. Springer Berlin, Heidelberg, S. 279–303. https://doi.org/10.1007/978-3-662-66041-6_20

Busse, R., Schreyögg, J., Stargardt, T. (Hrsg.), 2022b. Management im Gesundheitswesen. Das Lehrbuch für Studium und Praxis. Springer, Berlin, Heidelberg. https://doi.org/10.1007/978-3-662-64176-7

Buxbaum, J. D., Chernew, M. E., Fendrick, A. M., Cutler, D. M., 2020. Contributions Of Public Health, Pharmaceuticals, And Other Medical Care To US Life Expectancy Changes, 1990–2015. Health Affairs 39, 9, S. 1546–1556. https://doi.org/10.1377/hlthaff.2020.00284

Caliskan, Z., 2009. The relationship between pharmaceutical expenditure and life expectancy: evidence from 21 OECD countries. Applied Economics Letters 16, 16, S. 1651–1655. https://doi.org/10.1080/13504850701604136

Destatis, (Statistisches Bundesamt), 2025. Gesundheitsausgaben: Deutschland, Jahre, Leistungsarten. https://www-genesis.destatis.de/datenbank/online/statistic/23611/table/23611-0002/search/s/Z2VzdW5kaGVpdHNhdXNnYWJlbiUyMGFyem5laW1pdHRlbA== (abgerufen am 2.4.2025).

Destatis, (Statistisches Bundesamt), 2024. Gesundheitsausgabenrechnung: Methoden und Grundlagen 2022. https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Gesundheit/Gesundheitsausgaben/Methoden/gesundheitsausgabenrechnung-methoden-grundlagen.pdf?__blob=publicationFile&v=5 (abgerufen am 2.4.2025).

Deutsche Bundesbank, 2023a. Ertragslage und Finanzierungsverhältnisse deutscher Unternehmen im Jahr 2021 (Deutsche Bundesbank Monatsbericht März 2023), S. 69–84. https://www.bundesbank.de/resource/blob/906502/39c2fc51daef05155304a2930c922840/mL/2023-03-ertragslage-data.pdf (abgerufen am 2.4.2025).

Deutsche Bundesbank, 2023b. Ertragslage und Finanzierungsverhältnisse deutscher Unternehmen während der Energiekrise 2022 (Deutsche Bundesbank Monatsbericht Dezember 2023), S. 57–74. https://www.bundesbank.de/resource/blob/920564/8b23a472a652dfc2579009ba9ee9e2b5/mL/2023-12-ertragslage-data.pdf (abgerufen am 2.4.2025).

Deutscher Bundestag, 2024. Beitragssteigerungen in der privaten Krankenversicherung (Antwort der Bundesregierung auf die Kleine Anfrage der Abgeordneten Kathrin Vogler, Susanne Ferschl, Gökay Akbulut, weiterer Abgeordneter und der Gruppe Die Linke Nr. Drucksache 20/14094), Berlin. https://dserver.bundestag.de/btd/20/144/2014410.pdf (abgerufen am 2.4.2025).

Deutscher Ethikrat, 2022. Hohe Preise – Gute Besserung? Wege zur gerechten Preisbildung bei teuren Arzneimitteln. Infobrief 30, 01/22, S. 1–5.

Deutscher Ethikrat, 2016. Patientenwohl als ethischer Maßstab für das Krankenhaus, Berlin. https://www.ethikrat.org/fileadmin/Publikationen/Stellungnahmen/deutsch/stellungnahme-patientenwohl-als-ethischer-massstab-fuer-das-krankenhaus.pdf (abgerufen am 2.4.2025).

Eurostat, 2024. Gesundheitsausgaben nach Funktionen. https://ec.europa.eu/eurostat/databrowser/view/hlth_sha11_hc__custom_13673948/bookmark/table?lang=de&bookmarkId=8cec15e6-717d-448f-b59c-d23bb0c52f1c (abgerufen am 2.4.2025).

Expertenkommission Forschung und Innovation, 2024. Anteil der internen FuE-Ausgaben am Gesamtumsatz. https://www.e-fi.de/dashboard/dev/f-und-e/interne-fue-anteile-am-umsatz (abgerufen am 2.4.2025).

GKV-SV, (GKV Spitzenverband), 2025. GKV-Kennzahlen. https://www.gkv-spitzenverband.de/gkv_spitzenverband/presse/zahlen_und_grafiken/gkv_kennzahlen/gkv_kennzahlen.jsp (abgerufen am 2.4.2025).

Grandt, D., Lappe, V., Schubert, I., 2023. BARMER Arzneimittelreport 2023. Medikamentöse Schmerztherapie nicht-onkologischer ambulanter Patientinnen und Patienten, Institut für Gesundheitssystemforschung, Berlin, Schriftenreihe zur Gesundheitsanalyse, Band 42. https://www.barmer.de/resource/blob/1241248/8e2483171c80ba878809dfdac7ccdb8e/arzneimittelreport-2023-data.pdf (abgerufen am 2.4.2025).

Greiner, W., Witte, J., Gensorowsky, D., Diekmannshemke, J., 2024. AMNOG-Report 2024: Blinde Flecken Im AMNOG-Markt - Einblicke in die Ausgabendynamik bei Arzneimitteln, Beiträge zur Gesundheitsökonomie und Versorgungsforschung. medhochzwei, Heidelberg.

Ledley, F. D., McCoy, S. S., Vaughan, G., Cleary, E. G., 2020. Profitability of Large Pharmaceutical Companies Compared With Other Large Public Companies. JAMA 323, 9, S. 834–843. https://doi.org/10.1001/jama.2020.0442

Lichtenberg, F. R., 2014. Pharmaceutical innovation and longevity growth in 30 developing and high-income countries, 2000–2009. Health Policy and Technology 3, 1, S. 36–58. https://doi.org/10.1016/j.hlpt.2013.09.005

Magazzino, C., Auteri, M., Schneider, N., Ofria, F., Mele, M., 2024. Pharmaceutical consumption, economic growth and life expectancy in the OECD: the application of a new causal direction from dependency algorithm and a DeepNet process. JES 51, 9, S. 249–271. https://doi.org/10.1108/JES-02-2024-0066

Mühlbauer, B., Ludwig, W.-D., 2023. Arzneiverordnungen 2022 im Überblick, in: Ludwig, W.-D., Mühlbauer, B., Seifert, R. (Hrsg.), Arzneiverordnungs-Report 2023. Springer Berlin Heidelberg, S. 3–28. https://doi.org/10.1007/978-3-662-68371-2_1

Newton, M., Stoddart, K., Travaglio, M., Troein, P., 2024. EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2023 Survey, IQVIA. https://efpia.eu/media/vtapbere/efpia-patient-wait-indicator-2024.pdf (abgerufen am 2.4.2025).

OECD, (Organisation for Economic Co-operation and Development), 2025a. OECD Data Explorer: Health expenditure and financing – Percentage of GDP. https://data-explorer.oecd.org/vis?tm=Health%20Expenditures&pg=0&snb=100&vw=tb&df[ds]=dsDisseminateFinalDMZ&df[id]=DSD_SHA%40DF_SHA&df[ag]=OECD.ELS.HD&df[vs]=1.0&dq=.A.EXP_HEALTH.PT_B1GQ._T.._T.._T...&pd=2015%2C&to[TIME_PERIOD]=false (abgerufen am 2.4.2025).

OECD, (Organisation for Economic Co-operation and Development), 2025b. OECD Health Statistics 2024: Definitions, Sources and Methods – Total pharmaceutical sales. https://stats.oecd.org/wbos/fileview2.aspx?IDFile=64dd2802-d0a6-4f1f-acad-a00cc4d17689 (abgerufen am 2.4.2025).

OECD, (Organisation for Economic Co-operation and Development), 2025c. OECD Data Explorer: Health expenditure and financing – Prescribed medicines, Euros per person PPP converted. https://data-explorer.oecd.org/vis?tm=Health%20Expenditures&pg=0&snb=100&vw=ov&df[ds]=dsDisseminateFinalDMZ&df[id]=DSD_SHA%40DF_SHA&df[ag]=OECD.ELS.HD&df[vs]=1.0&dq=LTU%2BPRT%2BLUX%2BROU%2BIRL%2BPOL%2BHUN%2BEST%2BHRV%2BLVA%2BBGR%2BGRC%2BCZE%2BCYP%2BSVK%2BSVN%2BFIN%2BMLT%2BESP%2BBEL%2BSWE%2BNLD%2BITA%2BDNK%2BFRA%2BDEU%2BAUT.A.EXP_HEALTH.EUR_PPP_PS._T..HC511.._T...&pd=2013%2C&to[TIME_PERIOD]=false (abgerufen am 2.4.2025).

OECD, (Organisation for Economic Co-operation and Development), 2025d. OECD Data Explorer: Pharmaceutical market – Pharmaceutical consumption. https://data-explorer.oecd.org/vis?fs[0]=Topic%2C1%7CHealth%23HEA%23%7CPharmaceutical%20market%23HEA_PHM%23&pg=0&fc=Topic&bp=true&snb=4&vw=tb&df[ds]=dsDisseminateFinalDMZ&df[id]=HEALTH_PHMC%40DF_PHMC_CONSUM&df[ag]=OECD.ELS.HD&df[vs]=1.0&dq=ROU%2BGBR%2BHRV%2BSWE%2BESP%2BSVN%2BSVK%2BPRT%2BPOL%2BNLD%2BLUX%2BLTU%2BLVA%2BITA%2BIRL%2BGRC%2BHUN%2BDEU%2BFRA%2BFIN%2BEST%2BDNK%2BBEL%2BCZE%2BAUT....&pd=2015%2C&to[TIME_PERIOD]=false (abgerufen am 2.4.2025).

PEI, (Paul-Ehrlich-Institut), 2022. ATMP. https://www.pei.de/DE/arzneimittel/atmp/atmp-node.html (abgerufen am 2.4.2025).

Schüßler-Lenz, M., Scherer, J., Müller-Berghaus, J., 2022. Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMP): Ankunft in der Versorgung. Pharmakon 10, 5, S. 337–343. https://doi.org/10.1691/pn.20220034

Shaw, J. W., Horrace, W. C., Vogel, R. J., 2005. The Determinants of Life Expectancy: An Analysis of the OECD Health Data. Southern Economic Journal 71, 4, S. 768–783. https://doi.org/10.1002/j.2325-8012.2005.tb00675.x

SVR, (Sachverständigenrat für die Konzertierte Aktion im Gesundheitswesen), 2002. Bedarfsgerechtigkeit und Wirtschaftlichkeit – Über-, Unter- und Fehlversorgung. Gutachten 2000/2021. Nomos, Baden-Baden.

SVR, (Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen), 2024. Fachkräfte im Gesundheitswesen. Nachhaltiger Einsatz einer knappen Ressource. Gutachten 2024, 2. Auflage. Bonn/Berlin.

SVR, (Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen), 2023. Resilienz im Gesundheitswesen. Wege zur Bewältigung künftiger Krisen. Gutachten 2023. Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft, Berlin.

SVR, (Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen), 2021. Digitalisierung für Gesundheit: Ziele und Rahmenbedingungen eines dynamisch lernenden Gesundheitssystems. Gutachten 2021. Hogrefe Verlag, Bern.

SVR, (Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen), 2018. Bedarfsgerechte Steuerung der Gesundheitsversorgung. Gutachten 2018. MWV Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft, Berlin.

vfa, (Verband Forschender Arzneimittelhersteller), 2025. Zugelassene Orphan Drugs. https://www.vfa.de/de/forschung-entwicklung/datenbanken/orphan-drugs-list (abgerufen am 2.4.2025).

vfa, (Verband Forschender Arzneimittelhersteller), 2024a. Orphan Drugs. https://www.vfa.de/download/positionspapier-orphan-drugs.pdf (abgerufen am 2.4.2025).

vfa, (Verband Forschender Arzneimittelhersteller), 2024b. Die Orphan Drug-Verordnung ist ein Erfolg. https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/seltene-erkrankungen/die-orphan-drug-verordnung-ist-ein-erfolg (abgerufen am 2.4.2025).

vfa, (Verband Forschender Arzneimittelhersteller), 2023. Glossar Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP). https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/medizinische-biotechnologie/glossar-medizinische-biotechnologie (abgerufen am 2.4.2025).

WIdO, (Wissenschaftliches Institut der AOK), 2024a. Der GKV-Arzneimittelmarkt: Klassifikation, Methodik und Ergebnisse 2024, Berlin. https://www.wido.de/fileadmin/Dateien/Dokumente/Forschung_Projekte/Arzneimittel/wido_arz_gkv-arzneimittelmarkt_klassifikation_methodik_ergebnisse_2024.pdf (abgerufen am 2.4.2025).

WIdO, (Wissenschaftliches Institut der AOK), 2024b. Erneut Rekordwert bei den GKV-Arzneimittelkosten: Anstieg um 74 Prozent in den letzten zehn Jahren. https://www.wido.de/news-presse/pressemitteilungen/2024/rekordwert-bei-den-gkv-arzneimittelkosten/ (abgerufen am 2.4.2025).

Witte, J., Greiner, W., 2021. Arzneimittelpreise aus gesellschaftlicher Perspektive, in: Schröder, H., Thürmann, P., Telschow, C., Schröder, M., Busse, R. (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2021. Springer Berlin Heidelberg, S. 3–17. https://doi.org/10.1007/978-3-662-63929-0_1

Woods, B., Fox, A., Sculpher, M., Claxton, K., 2021. Estimating the shares of the value of branded pharmaceuticals accruing to manufacturers and to patients served by health systems. Health Economics 30, 11, S. 2649–2666. https://doi.org/10.1002/hec.4393

2 Bepreisung innovativer Arzneimittel im AMNOG-Verfahren

57. Innovative, patentgeschützte Rx-Arzneimittel, die den Fokus dieses Gutachtens darstellen, machen einen beträchtlichen Anteil der Arzneimittelausgaben im deutschen Gesundheitssystem aus (siehe Kapitel 1). Während die Preise von Arzneimitteln im oftmals generischen Bestandsmarkt sowohl aufgrund diverser Regulierungsmechanismen (siehe Exkurs in Textziffer 77) als auch durch den Wettbewerb zwischen verschiedenen Anbietern im internationalen Vergleich gemäßigt sind, gilt Deutschland für patentgeschützte Arzneimittel allgemein als ein „Hochpreisland" (Busse et al., 2016, 2022; TLV, 2022; Wouters et al., 2017; Wouters & Kanavos, 2017). Aufgrund des Patentschutzes gibt es für neue Arzneimittel häufig wenig Wettbewerb; auch ein Großteil der bewährten Preisregulierungsmechanismen greift hier nicht. Um den daraus resultierenden hohen Preisen neuer patentgeschützter Arzneimittel entgegenzuwirken, wurde zum 1. Januar 2011 das Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) eingeführt (Bundesregierung, 2010). In diesem Kapitel wird das AMNOG-Verfahren näher beleuchtet und mit den Verfahren anderer Länder zur Bewertung und Bepreisung neuer Arzneimittel verglichen.

2.1 Markteinführung innovativer Arzneimittel

58. Ein Arzneimittel darf in Deutschland nur nach erfolgter Zulassung vertrieben und erstattet werden. Im Rahmen der **Zulassung** werden die Wirksamkeit und Unbedenklichkeit des Arzneimittels sowie die pharmazeutische Qualität geprüft (BfArM, 2024). Für ein **nationales Verfahren** kann das pharmazeutische Unternehmen (pU) die Zulassung beim Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) beantragen. Alternativ hat das pU die Möglichkeit, den Antrag im Rahmen eines **zentralisierten Verfahrens** bei der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA, European Medicines Agency) oder bei der dafür zuständigen Behörde eines anderen Mitgliedstaates der EU einzureichen.[22] In einigen Fällen ist das zentralisierte Verfahren verpflichtend: z. B. bei Arzneimitteln zur Behandlung von Krebs, neurodegenerativen Erkrankungen, Diabetes, dem erworbenen Immundefizienz-Syndrom, Viruserkrankungen, Autoimmunerkrankungen und anderen

[22] Im Zuständigkeitsbereich des BfArM wurden zum Stichtag 19. November 2024 bezogen auf die verkehrsfähigen Arzneimittel 25 549 Arzneimittel über das zentralisierte Verfahren der EU-Zulassung und 29 493 Arzneimittel über nationale oder dezentrale Verfahren nach §§ 21 und 25 Arzneimittelgesetz zugelassen.

Immunschwächen. Dasselbe gilt für Arzneimittel zur Behandlung von seltenen Leiden, sogenannten *Orphan Drugs* (BfArM, 2025).

59. Verschreibungspflichtige Arzneimittel werden in Deutschland in der Regel gleich nach der Zulassung und **mit der Markteinführung** durch die GKV zu einem zunächst vom pU frei festgelegten Preis **erstattet**. Dies **unterscheidet** die deutsche Gesundheitsversorgung maßgeblich von **den meisten anderen EU-Ländern**, in denen nach der Zulassung in einem weiteren Schritt, der sogenannten vierten Hürde[23], über die Erstattungsfähigkeit entschieden wird (IQWiG, 2022; Vogler, 2018; WHO Regional Office for Europe, 2018). In Deutschland hängt die Erstattungsfähigkeit nicht von einer positiven Bewertung des medizinischen Zusatznutzens ab.

Exkurs: Positivlisten zur Regelung der Erstattungsfähigkeit von Arzneimitteln

60. In Deutschland werden – bis auf in § 34 SGB V definierte Ausnahmen – zunächst alle zugelassenen Arzneimittel, die Versicherten verschrieben werden, zulasten der GKV erstattet, unabhängig vom Nutzenbewertungsergebnis. Es wird im Rahmen sogenannter **Negativlisten** definiert, welche Arzneimittel von der Erstattung ausgeschlossen sind. Dies betrifft – bis auf Ausnahmen – nicht verschreibungspflichtige Arzneimittel sowie Arzneimittel für sogenannte Bagatellerkrankungen bzw. sogenannte Lifestyle-Arzneimittel. Ein weiteres Instrument besteht in der Möglichkeit des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA), die Verordnung von unzweckmäßigen oder unwirtschaftlichen Arzneimitteln auszuschließen. Diese sind in Anlage III der Arzneimittel-Richtlinie zu finden. Eine **alternative Lösung** zur Definition erstattungsfähiger Arzneimittel bieten sogenannte **Positivlisten**. Diese existieren in vielen anderen Ländern und wurden auch in Deutschland in der Vergangenheit diskutiert. Auf Positivlisten werden Arzneimittel eingeschlossen, die vorab definierten Kriterien entsprechen. Angesichts hoher Gesundheitsausgaben definieren solche Positivlisten einen Leistungskatalog, der vorgibt, wofür die insgesamt zur Verfügung stehenden, zudem häufig in spezifischen Leistungsbereichen (z. B. Arzneimittelversorgung) budgetierten Mittel verwendet werden sollen (WHO Regional Office for Europe, 2018). Positivlisten können auch einen Anreiz zur Preissenkung erzeugen, wenn sich ein niedrigerer Preis positiv auf die Wahrscheinlichkeit auswirkt, auf die Liste aufgenommen zu werden.

Im Rahmen des Gesetzgebungsprozesses wurde im Jahr 1993 die **Einführung von Positivlisten in Deutschland diskutiert**. Laut einem Entwurf des Gesundheitsstrukturgesetzes sollte ein Institut für Arzneimittel in der Krankenversicherung gegründet werden, dessen Mitglieder eine wirkstoffbezogene Vorschlagsliste verordnungsfähiger Fertigarzneimittel für die Anwendung in der vertragsärztlichen Versorgung erstellen und mindestens jährlich überprüfen sollten (Fraktionen der CDU/CSU, SPD und FDP, 1992). Auf die Liste sollten nur Arzneimittel aufgenommen werden, für die ein mehr als geringfügiger therapeutischer Nutzen nachgewiesen werden konnte, deren therapeutische Zweckmäßigkeit unzweifelhaft war und die üblicherweise nicht bei lediglich geringfügigen Gesundheitsstörungen verordnet wurden. Arzneimittel, die nicht auf dieser Liste enthalten sind, sollten nur bei gesonderter Begründung erstattet werden. Nachdem diese Initiative nicht zur Umsetzung kam, gab es einen ähnlichen Vorschlag während des Gesetzgebungsprozesses für die im Jahr 2000 in Kraft getretene GKV-Gesundheitsreform.

[23] Als vierte Hürde wird eine Prüfung bezeichnet, von der die Erstattungsfähigkeit eines Arzneimittels abhängt. Die Prüfung hängt dann – neben den drei (Zulassungs-)Hürden Qualität, Sicherheit sowie Wirksamkeit und Verträglichkeit – von mindestens einem weiteren Kriterium ab (IQWiG, 2022).

Voraussetzung für die Aufnahme in die Liste erstattungsfähiger Arzneimittel sollte eine systematisch vergleichende Nutzenbewertung sein, im Rahmen derer das zu bewertende Arzneimittel mit therapeutischen Alternativen verglichen worden wäre (Bundesregierung, 1999). Letztendlich kam es im Zuge dieser Gesetzgebungsprozesse nicht zur Einführung einer Positivliste.

Ein Beispiel für eine Positivliste findet sich in Frankreich. Hier werden Arzneimittel nach der Zulassung zunächst hinsichtlich ihres Nutzens (SMR, *Service Médical Rendu*) bewertet. Dabei werden neben Wirksamkeit und Nebenwirkungen auch die Schwere der Erkrankung, das Vorhandensein von Alternativen bzw. die Stellung innerhalb der therapeutischen Strategie[24] sowie das Interesse der öffentlichen Gesundheit berücksichtigt. Nur bei einem ausreichenden medizinischen Nutzen wird das Arzneimittel erstattet. Hierbei ist es möglich, die Erstattungsfähigkeit nur für einzelne Teilindikationen festzulegen (HAS, 2011, 2013). Im Jahr 2017 waren **in allen EU-Mitgliedsländern außer in Deutschland Positivlisten in Kraft**, in denen die jeweils erstattungsfähigen Arzneimittel aufgeführt wurden (WHO Regional Office for Europe, 2018).

2.2 Zusatznutzenbewertungen neuer Arzneimittel durch das AMNOG

61. Die Preise neuer patentgeschützter Rx-Arzneimittel waren in Deutschland lange Zeit wenig reguliert. Die fehlende Regulierung führte insbesondere im Kontext der garantierten Erstattungsfähigkeit mit Inverkehrbringen eines neuen Arzneimittels zu hohen Ausgaben in diesem Bereich. Aus diesem Grund wurde zum 1. Januar 2011 das **AMNOG** eingeführt (Bundesregierung, 2010). Seither hat der G-BA gemäß § 35a SGB V den gesetzlichen Auftrag, mit Inverkehrbringen den **Zusatznutzen** von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen oder neuen Wirkstoffkombinationen im **Vergleich** zu ihrer **zweckmäßigen Vergleichstherapie** (zVT) zu bewerten. Als Nutzen des Arzneimittels in diesem Kontext wird laut Verfahrensordnung des G-BA der „**patientenrelevante therapeutische Effekt** insbesondere hinsichtlich der Verbesserung des Gesundheitszustandes, der Verkürzung der Krankheitsdauer, der Verlängerung des Überlebens, der Verringerung von Nebenwirkungen oder einer Verbesserung der Lebensqualität“ (Kapitel 5 § 3 Satz 1 VerfO G-BA) bezeichnet. Der Zusatznutzen ist durch den G-BA definiert als ein Nutzen, der quantitativ oder qualitativ höher ist als der Nutzen, den die zVT aufweist (Kapitel 5 § 3 Abs. 2 VerfO G-BA). Das nähere Vorgehen wird durch die Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) geregelt bzw. durch den G-BA in seiner Verfahrensordnung festgelegt. Der Ablauf dieser Zusatznutzenbewertung ist in Abbildung 2-1 skizziert.

[24] Damit sind die Rolle und die Bedeutung eines Arzneimittels im Vergleich zu anderen verfügbaren Behandlungsmöglichkeiten gemeint; insbesondere, ob das Arzneimittel aufgrund seiner Wirksamkeit, Sicherheit oder anderer Eigenschaften im Vergleich zu alternativen Therapien bevorzugt eingesetzt wird (Arzneimittel erster Wahl) oder ob es lediglich eine ergänzende oder nachrangige Option darstellt.

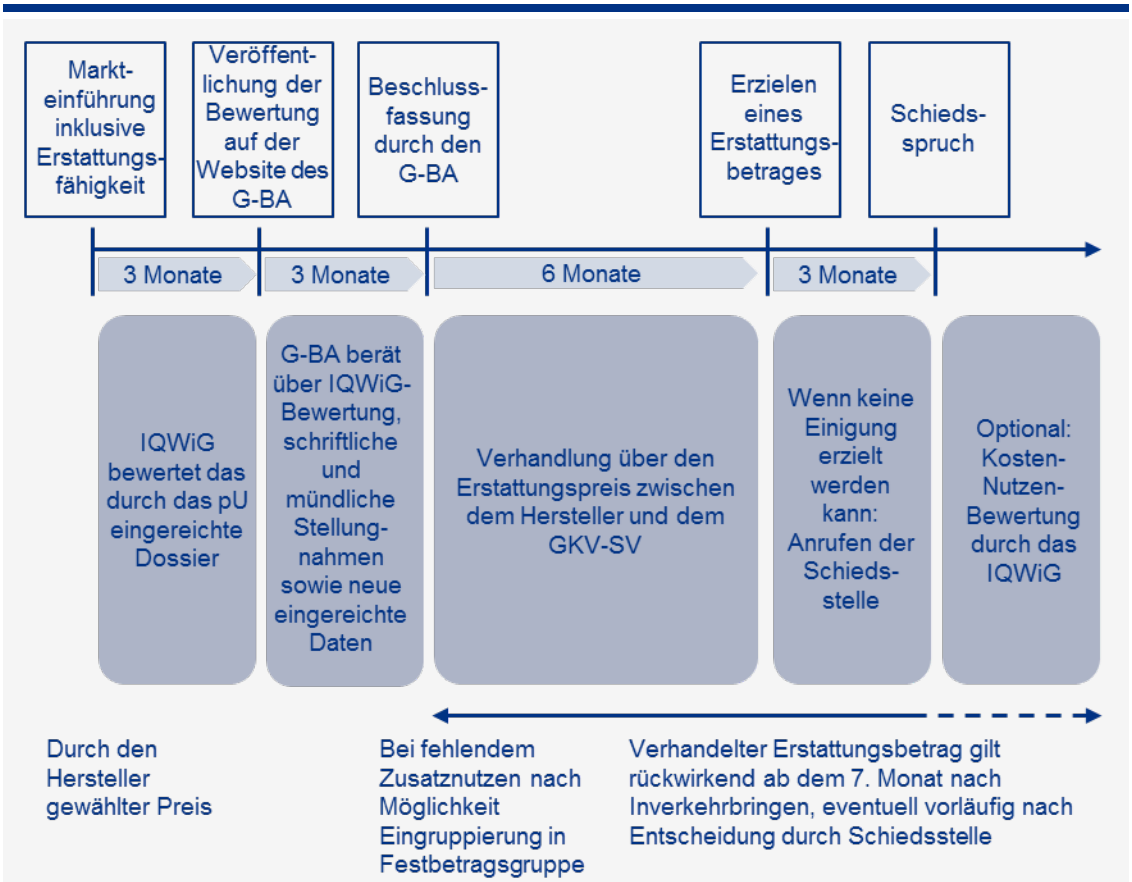

Abbildung 2-1: Zeitlicher Ablauf des AMNOG-Verfahrens

G-BA = Gemeinsamer Bundesausschuss; GKV-SV = GKV-Spitzenverband; IQWiG = Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen; pU = pharmazeutisches Unternehmen.

Quelle: Eigene Darstellung.

2.2.1 Die Bewertungsgrundlage

62. Das pU ist verpflichtet, parallel zum Inverkehrbringen eines Arzneimittels mit neuem Wirkstoff oder neuer Wirkstoffkombination sowie nach Zulassung eines neuen Anwendungsgebietes ein **Dossier** beim G-BA einzureichen. Auf dieser Basis wird die Zusatznutzenbewertung durchgeführt. Als Teil dieses Dossiers muss das pU **alle ihm verfügbaren relevanten Studiendaten**, die im Rahmen der Zulassung und darüber hinaus erhoben wurden, einreichen. Für die Bewertung relevant sind insbesondere solche Studien (oder indirekte Vergleiche), die das zu bewertende Arzneimittel mit der zVT vergleichen. Daneben beinhaltet das Dossier u. a. die Anzahl der Patient*innen, für die das pU einen therapeutisch bedeutsamen Zusatznutzen annimmt, sowie die Kosten der zu bewertenden Therapie für die GKV. Laut § 5 der Verfahrensordnung des G-BA sollen die im Rahmen des Dossiers eingereichten Studien nach Möglichkeit randomisierte, verblindete und kontrollierte Studien sein, die das zu bewertende Arzneimittel direkt mit der zVT vergleichen. In begründeten Ausnahmefällen ist es möglich, dass Studien einer niedrigeren Evidenzstufe sowie indirekte Vergleiche für den Nachweis des Zusatznutzens herangezogen werden. Wenn zum Zeitpunkt der Bewertung noch keine

validen Daten zu patientenrelevanten Endpunkten vorliegen, soll die best verfügbare Evidenz eingereicht werden (Kapitel 5 § 5 Abs. 5 Satz 4 VerfO G-BA).

63. Die **zVT** wird durch den **G-BA** unter schriftlicher Beteiligung der wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften und der Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft **festgelegt**. Dabei ist es üblich, dass nicht ein einziger Wirkstoff als zVT festgelegt wird, sondern **mehrere Wirkstoffe**, die gemeinsam oder alternativ verwendet werden. Bei der Auswahl der zVT werden u. a. aktuelle wissenschaftliche Erkenntnisse sowie die Wirtschaftlichkeit eines Arzneimittels berücksichtigt. Die ausgewählten Arzneimittel müssen für die untersuchte Indikation zugelassen und nach allgemein anerkanntem Stand der medizinischen Erkenntnisse eine zweckmäßige Therapie im fokussierten Anwendungsgebiet sein. Es können sowohl **medikamentöse** als auch **nicht-medikamentöse** Therapien einbezogen werden, solange diese als Leistung der gesetzlichen Krankenkassen angeboten werden. Unter bestimmten Voraussetzungen kann der G-BA auch eine **zulassungsüberschreitende Anwendung** als zVT bestimmen. Diese Möglichkeit hat laut G-BA einen großen Stellenwert, insbesondere bei seltenen Erkrankungen oder in der Onkologie in fortgeschrittenen Behandlungssituationen.[25] Die zVT soll vorzugsweise eine Therapie sein, „für die Endpunktstudien vorliegen und die sich in der praktischen Anwendung bewährt hat“ (Kapitel 5 § 6 Abs. 3 VerfO G-BA). Kann keine zVT identifiziert werden, so ist das zu bewertende Arzneimittel mit den bisherigen Strategien (wie z. B. *best supportive care* oder auch dem beobachtenden Abwarten) zu vergleichen.

64. Das pU kann sich in Bezug auf die **Auswahl der Vergleichstherapie** für die von ihm geplanten Studien durch den G-BA **beraten** lassen. Das Ergebnis der Beratung ist laut Verfahrensordnung (Kapitel 5 § 7 Abs. 5 VerfO G-BA) jedoch **nicht bindend**. Die ZVT kann zu jedem Zeitpunkt des Verfahrens durch den G-BA geändert werden, um jederzeit den aktuellen wissenschaftlichen Stand abbilden zu können. Der G-BA muss das pU hierüber **nicht informieren**. In einer Publikation aus dem Jahr 2022 wurde beschrieben, dass in den „vergangenen Jahren“ in rund 20 % der laufenden Verfahren eine Änderung der zVT erfolgte (Rasch, 2022). Das kann bewirken kommen, dass Studien, auch solche, die auf Basis einer Beratung mit dem G-BA erstellt wurden, im Verlauf für das AMNOG-Verfahren nicht mehr relevant sind. Dies wiederum kann dazu führen, dass der Zusatznutzen als nicht belegt eingestuft wird. Um ein solches Bewertungsergebnis aufgrund einer unpassenden zVT zu vermeiden, sollte eine **verbindliche Festlegung der zVT geprüft werden**. Dabei wäre insbesondere der Zeitpunkt der Festlegung zu erörtern. Es ist zu beachten, dass eine frühe Festlegung bereits während der Planung der (Zulassungs-)Studien dem Ziel entgegenstehen kann, durch die zVT das zum Zeitpunkt der Nutzenbewertung aktuelle Therapieschema abzubilden. Eine solch frühe Festlegung scheint auch deshalb unverhältnismäßig, da beschrieben wird, dass die pU selbst bei Kenntnis über eine aktuellere zVT durchaus alternative Vergleichstherapien in ihren Studien einsetzen (Flintrop, 2024). Denkbar ist beispielsweise, dass sich pU im Kontext internationaler Studienplanung für ein Vergleichsarzneimittel entscheiden, das nicht der für Deutschland festgelegten zVT entspricht. Stattdessen ist eine Festlegung der zVT – beispielsweise im Rahmen eines **Scoping Workshops** – einige Monate vor Einreichung des Dossiers zu erwägen. Bei einer Festlegung zu diesem späteren Zeitpunkt wäre das pU in der Lage, die Studienergebnisse, die

[25] Ein Beispiel hierfür stellt die Behandlung des rezidivierten oder refraktären großzelligen B-Zell-Lymphoms dar. Als kurative Therapie wird hier eine Induktionstherapie mittels Hochdosis-Chemotherapie, gefolgt von einer Stammzelltransplantation empfohlen. Dabei wird als Induktionstherapie standardmäßig eine platinhaltige Chemotherapiekombination angewendet. Obwohl diese Therapie als der Goldstandard gilt, ist für diese Indikation kein Platinpräparat zugelassen (Hecken et al., 2023).

als Teil des Dossiers eingereicht werden, durch Modellierungen oder indirekte Vergleiche[26] auf die zVT zu beziehen.

2.2.2 Die Dossierbewertung durch das IQWiG

65. Auf Basis des eingereichten Dossiers wird im ersten Schritt eine **Nutzenbewertung** durchgeführt, im Rahmen derer die **Validität und die Vollständigkeit der Angaben des Dossiers geprüft und bewertet** werden. Es wird geprüft, ob ein **Zusatznutzen** im Vergleich zur zVT anhand der verfügbaren Daten/Studien belegt werden kann, sowie welches Ausmaß dieser für **welche Patientengruppe mit welcher Wahrscheinlichkeit** hat (§ 7 AM-NutzenV). Diese Nutzenbewertung kann der G-BA selbst durchführen oder hierfür das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen[27] (IQWiG), oder aber Dritte beauftragen. Bei der Bewertung von *Orphan Drugs* (siehe Textziffer 2.2.4 ff.) führt der G-BA die Nutzenbewertung selbst durch, in allen anderen Fällen beauftragt er das IQWiG. Dritte wurden bisher nicht beauftragt.

66. In den allgemeinen Methoden des IQWiG wird die methodische Grundlage der Nutzenbewertung erörtert (IQWiG, 2023). In diesen Methoden sind u. a. die berücksichtigten Endpunkte erläutert. Da sich der hier bewertete Zusatznutzen auf einen patientenrelevanten therapeutischen Effekt (siehe Textziffer 61) bezieht, beruht die Nutzenbewertung auf **patientenrelevanten Endpunkten** (siehe dazu IQWiG, 2023, Seite 45 ff.). Surrogatendpunkte[28] werden in der Forschung häufig als Ersatz für patientenrelevante Endpunkte verwendet, da sie schneller und einfacher zu erheben sind. Für die Nutzenbewertungen des IQWiG werden sie jedoch nur herangezogen, wenn sie zuvor ausreichend validiert wurden.

67. Die Bewertung der Ergebnisse durch das **IQWiG** mündet in einer **Empfehlung an den G-BA**. Das **Ausmaß des Nutzens** des bewerteten Arzneimittels wird auf einer Ordinalskala mit sechs Kategorien ausgedrückt: „erheblicher“, „beträchtlicher“, „geringer“, „nicht quantifizierbarer Zusatznutzen“, „kein Zusatznutzen belegt“ sowie „Nutzen des zu bewertenden Arzneimittels ist geringer als der Nutzen der zVT“. Die Definitionen der einzelnen Kategorien sind in Tabelle 2-1 zu finden (§ 5 AM-NutzenV).

In einer zweiten Dimension wird im Falle eines belegbaren Zusatznutzens außerdem die **Ergebnissicherheit**[29] bewertet, also mit welcher Wahrscheinlichkeit der attestierte Zusatznutzen besteht. Auf dieser zweiten Skala wird mit den Ausprägungen „Beleg“, „Hinweis“, „Anhaltspunkt“ und

---

[26] Die Qualität indirekter Vergleiche könnte durch den konsequenten Einsatz von *Core Outcome Sets* deutlich verbessert werden (siehe dazu Kapitel 4).

[27] Das IQWiG wurde im Jahr 2004 als fachlich unabhängiges wissenschaftliches Institut gegründet und untersucht den Nutzen und den Schaden von medizinischen Maßnahmen für Patient*innen. Es darf ausschließlich Aufträge vom G-BA, z. B. im Rahmen der Zusatznutzenbewertung, und vom Bundesministerium für Gesundheit annehmen (BMG, 2016).

[28] Als Surrogatendpunkte werden Endpunkte bezeichnet, die nicht von unmittelbarer Bedeutung für die betroffenen Patient*innen, aber mit patientenrelevanten Endpunkten assoziiert sind. Eine solche Assoziation beweist allerdings nicht, dass eine Veränderung des Surrogatendpunktes eine entsprechende Veränderung des patientenrelevanten Endpunktes mit sich bringt (IQWiG, 2025). Ein Beispiel hierfür wäre die Erhöhung der Knochendichte bei einer Osteoporose, die in einigen Studien anstelle des patientenrelevanten Endpunktes der Frakturinzidenz erfasst wird (Mangiapane & Velasco Garrido, 2009).

[29] Die Ergebnissicherheit der eingereichten klinischen Studien wird durch das IQWiG daraufhin bewertet, wie zuverlässig die vorhandenen Ergebnisse sind. Sie hängt in erster Linie von der internen Validität, der externen Validität und der statistischen Präzision ab (IQWiG, 2023, Seite 8).

„kein Beleg“ die Qualität und Aussagesicherheit der eingereichten Studien eingestuft. Das Ergebnis der Bewertung sowohl des Ausmaßes als auch der Ergebnissicherheit des Zusatznutzens kann für die gesamte Zielpopulation, also die **gesamte zu bewertende Indikation**, ausgewiesen werden oder unterteilt in **Subgruppen**. Somit ist es möglich, dass eine Nutzenbewertung zu dem Ergebnis kommt, dass für einen Teil der Zielpopulation ein Zusatznutzen nachgewiesen wird, für einen anderen hingegen nicht. Das IQWiG übermittelt das Ergebnis seiner Nutzenbewertung drei Monate nach Einreichen des Dossiers an den G-BA, der es auf seiner Internetseite veröffentlicht.

Quantifizierung	Erläuterung nach § 5 AM-NutzenV
Erheblicher Zusatznutzen	Eine nachhaltige und gegenüber der zVT bisher nicht erreichte große Verbesserung des therapierelevanten Nutzens, insbesondere eine Heilung der Erkrankung, eine erhebliche Verlängerung der Überlebensdauer, eine langfristige Freiheit von schwerwiegenden Symptomen oder die weitgehende Vermeidung schwerwiegender Nebenwirkungen
Beträchtlicher Zusatznutzen	Eine gegenüber der zVT bisher nicht erreichte deutliche Verbesserung des therapierelevanten Nutzens, insbesondere eine Abschwächung schwerwiegender Symptome, eine moderate Verlängerung der Lebensdauer, eine für die Patient*innen spürbare Linderung der Erkrankung, eine relevante Vermeidung schwerwiegender Nebenwirkungen oder eine bedeutsame Vermeidung anderer Nebenwirkungen
Geringer Zusatznutzen	Eine gegenüber der zVT bisher nicht erreichte moderate und nicht nur geringfügige Verbesserung des therapierelevanten Nutzens, insbesondere eine Verringerung von nicht schwerwiegenden Symptomen der Erkrankung oder eine relevante Vermeidung von Nebenwirkungen
Nicht quantifizierbarer Zusatznutzen	Ein Zusatznutzen liegt vor, ist aber nicht quantifizierbar, weil die wissenschaftliche Datengrundlage dies nicht zulässt
Zusatznutzen nicht belegt	Es ist kein Zusatznutzen belegt
Geringerer Nutzen	Der Nutzen des zu bewertenden Arzneimittels ist geringer als der Nutzen der zVT

Tabelle 2-1: Ausmaß des Zusatznutzens

AM-NutzenV = Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung; zVT = zweckmäßige Vergleichstherapie.

Quelle: Eigene Darstellung auf Basis von § 5 AM-NutzenV.

2.2.3 Die Beschlussfassung durch den G-BA

68. Auf der Grundlage der veröffentlichten Nutzenbewertung des IQWiG beginnt im Anschluss das **Stellungnahmeverfahren**. In dessen Rahmen sind laut § 92 Abs. 3a SGB V Sachverständige, Spitzenorganisationen und Berufsvertretungen sowie betroffene pU stellungnahmeberechtigt. Sie haben die Möglichkeit, zunächst schriftlich und anschließend mündlich Stellung zu beziehen. Im Rahmen der Anhörungen können insbesondere neue wissenschaftliche Erkenntnisse vorgetragen werden, die sich seit Einreichen des Dossiers ergeben haben. Außerdem ist es möglich, dass der G-BA weitere Daten anfordert, die das pU im Anschluss nachzureichen hat. Auch nachgereichte Daten werden in der Regel durch das IQWiG bewertet, das auf dieser Grundlage die Möglichkeit hat, sein ursprüngliches Bewertungsergebnis zu verändern. Sechs Monate nach dem Markteintritt beschließt der G-BA im Plenum (auf Basis der Dossierbewertung des IQWiG, der schriftlichen Stellungnahmen und der mündlichen Anhörung) über das Ausmaß und die Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens. Dabei ist er **weder** in seiner **Methodik noch** in Bezug auf das **Ergebnis an** die **Bewertungen des IQWiG**

gebunden. Seit Einführung des AMNOG wich der G-BA in 31,8 % der Verfahren von den Empfehlungen des IQWiG ab (in 10,6 % der Verfahren wurde ein niedrigerer, in 21,2 % ein höherer Zusatznutzen beschlossen als durch das IQWiG vorgeschlagen; AMNOG-Monitor, Stand Ende 2024). Neben der unterschiedlichen Bewertungsgrundlage kann ein Grund hierfür sein, dass der G-BA die explizite Aufgabe hat, die Besonderheiten des Einzelfalls anzuerkennen, und deshalb zum medizinischen Stellenwert und Verhältnis von erwünschten Wirkungen und unerwünschten Nebenwirkungen im Plenum diskutiert und auf dieser Basis Abwägungen trifft. Die Ergebnisse der Nutzenbewertungen des G-BA seit dem Jahr 2011 sind in Abbildung 2-2 dargestellt. Dabei ist für jedes der bis zum 6. November 2024 durchgeführten 1 031 Verfahren zunächst jeweils die höchste vergebene Zusatznutzenkategorie abgebildet. Darunter finden sich die Ergebnisse auf Basis der einzelnen Subgruppen sowie auf der Patientenebene. Die Patientenebene stellt dar, für wie viele Patient*innen welcher Zusatznutzen attestiert wurde. Es zeigt sich, dass ein **Zusatznutzen häufig nicht für die gesamte jeweilige Indikation**, sondern lediglich für eine **Teilpopulation** ausgewiesen werden kann.

69. In seinem Beschluss legt der G-BA neben dem Ausmaß und der Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens u. a. eine eventuelle **Befristung** des Beschlusses fest. Gemäß den Daten des AMNOG-Monitors des Instituts für Pharmakologie und präventive Medizin wurde bisher in 142 Verfahren (etwa 14 % der Verfahren) eine Befristung durch den G-BA festgelegt (Stand Ende 2024). Eine Befristung erfolgt insbesondere, wenn **weitere Daten** zu dem bewerteten Arzneimittel **zu erwarten sind**. Seltener wird ein Beschluss befristet, wenn es im Laufe des Verfahrens zu einer Änderung der zVT kommt. Es ist **möglich**, dass der G-BA eine **Befristung verlängert, verkürzt** oder gar **aufhebt**, beispielsweise wenn sich herausstellt, dass entgegen der Erwartung keine weiteren Daten nachgereicht werden können. Einen Änderungsbeschluss hat es nach Auskunft des G-BA bisher in 71 Fällen gegeben. In weiteren 34 Fällen wurde eine Befristung aufgehoben (AMNOG-Monitor, Stand Ende 2024). Nach Ablauf einer durch den G-BA gesetzten Frist hat das pU die Pflicht, abermals ein Dossier einzureichen und es kommt zu einer **erneuten Bewertung**. Eine solche Neubewertung nach Fristablauf hat laut G-BA bisher in 77 Fällen stattgefunden; aktuell sind 30 Beschlüsse befristet. Weitere mögliche Gründe für eine erneute Bewertung sind die Überschreitung der Umsatzschwelle von *Orphan Drugs* (siehe Abschnitt 2.2.4), ein Verlust des *Orphan-Drug*-Status auf europäischer Ebene, eine Einreichung eines Dossiers mit Daten aus einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung, ein positiv beschiedener Antrag des pU sowie eine Forderung des G-BA (siehe Kapitel 5 Textziffer 263[30]).

[30] Wie dort erläutert, steht die Möglichkeit des G-BA, bei Vorliegen neuer Evidenz eine erneute Nutzenbewertung zu initiieren, aktuell (Stand April 2025) in Frage. Aus Sicht des Rats sollte diese Möglichkeit dringend gesetzlich gesichert werden.

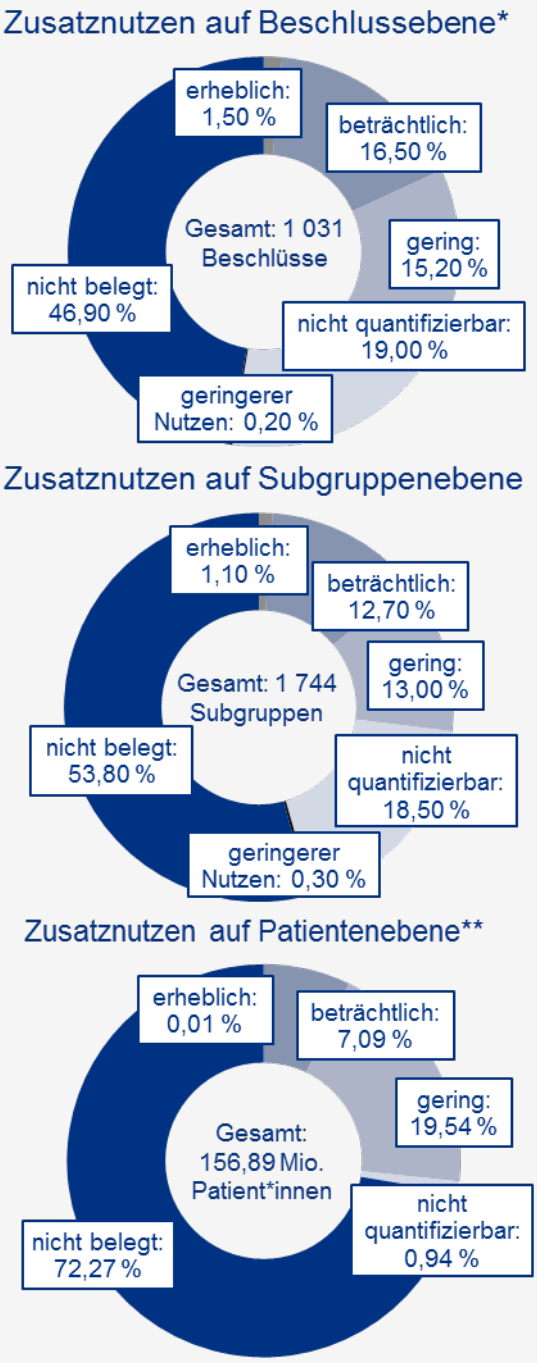

Abbildung 2-2: Ergebnisse der Nutzenbewertungen seit 2011 auf Verfahrensebene, Subgruppenebene und Patientenebene

* Dabei wurde für jeden Beschluss jeweils der höchste vergebene Zusatznutzen angenommen. ** Anzahl der Patient*innen mit dem jeweiligen Zusatznutzen; ein geringerer Nutzen wurde auf Patientenebene für ~0,01 % der Patient*innen attestiert.
Die Zahlen addieren sich nicht zu 100 % auf, da auf zwei Nachkommastellen gerundet wurde.

Quelle: Eigene Darstellung auf Basis des AMNOG-Monitors des Instituts für Pharmakologie und präventive Medizin, Stand Ende 2024.

2.2.4 Sonderregelungen

70. Für bestimmte Arzneimittel gibt es **Ausnahmen** im Prozess der Nutzenbewertung. Wenn beispielsweise die **Ausgaben**, die der GKV durch dieses Arzneimittel entstehen, als **geringfügig** eingeschätzt werden, kann ein Arzneimittel **von der Bewertung freigestellt** werden. Als geringfügig gelten dabei Ausgaben, die einen Betrag von 1 Million Euro innerhalb von zwölf Kalendermonaten (Jahresumsatzgrenze) nicht übersteigen (Kapitel 5 § 15 VerfO G-BA). In diesen Fällen muss das pU kein Dossier beim G-BA einreichen.[31]

71. Zur Förderung der Entwicklung von Arzneimitteln, die zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung EG Nr. 141/2000 zugelassen sind, sogenannte **Orphan Drugs** (siehe Kapitel 1), wurden Anreize geschaffen, um die damit einhergehenden Investitionen für die Pharmaindustrie attraktiver zu machen. Im AMNOG-Verfahren haben *Orphan Drugs* insofern eine Sonderstellung, als für diese Arzneimittel bereits durch die Zulassung ein ausreichend hoher Nutzen als belegt gilt (**fiktiver Zusatznutzen**), ohne dass hier entsprechende empirische Evidenz nachgewiesen werden muss. Anders als für andere Arzneimittel, ist das pU hier nicht verpflichtet, im Rahmen des Dossiers Nachweise über den Nutzen des Arzneimittels und den Zusatznutzen im Vergleich zur zVT zu erbringen. Es kann dies allerdings freiwillig tun. Die Nutzenbewertung wird für diese Arzneimittel nicht durch das IQWiG, sondern durch den G-BA selbst durchgeführt. Dabei kann das Ergebnis der Bewertung weder die Kategorie „nicht belegt“ noch die Kategorie „geringerer Nutzen“ lauten. Diese Ausnahmeregelung gilt bis zu einer Jahresumsatzgrenze von 30 Millionen Euro. Nach Überschreiten dieser Umsatzschwelle wird das pU verpflichtet, ein reguläres Dossier einzureichen. Im Anschluss findet eine erneute Bewertung des Arzneimittels über den in Abbildung 2-1 abgebildeten Prozess statt. Eine solche erneute, reguläre Bewertung ist auch auf Antrag des pU möglich.

72. Der für *Orphan Drugs* in ihrer Erstbewertung angenommene fiktive Zusatznutzen schränkt die Orientierung der Preise von *Orphan Drugs* ein. Insofern **untergräbt das Orphan-Drug-Privileg die AMNOG-Logik**. Analysen des IQWiG konnten zeigen, dass in 54 % der regulären Bewertungen von *Orphan Drugs* (beispielsweise nach Überschreiten der Umsatzgrenze) kein Zusatznutzen nachgewiesen werden konnte (IQWiG, 2021). Die Annahme eines fiktiven Zusatznutzens verhindert, dass im Rahmen der Erstbewertung eine solche Einstufung stattfindet. Aktuell kann daher das Ziel des AMNOG-Verfahrens, den Preis am Zusatznutzen im Vergleich zur zVT auszurichten, bei *Orphan Drugs* erst in erneuten, regulären Nutzenbewertungen erreicht werden. So liegt der verhandelte Erstattungspreis, der mithilfe der Preisverhandlungen im AMNOG-Prozess erzielt wird, bei *Orphan Drugs* durchschnittlich etwa 22 % unterhalb des Initialpreises; bei Arzneimitteln, die keine *Orphan Drugs* darstellen, liegt der Erstattungspreis etwa 28 % unterhalb des Initialpreises (AMNOG-Monitor, Stand Ende 2024). Im Kontext des gestiegenen Anteils der *Orphan Drugs* an den neuen Arzneimittelzulassungen (siehe Abbildung 1-9 in Kapitel 1) stellt sich die Frage, ob eine Förderung von *Orphan Drugs* durch diesen fiktiven Zusatznutzen notwendig und im Sinne einer wirtschaftlichen und bedarfsgerechten Arzneimittelversorgung zielführend ist.

73. Die **Notwendigkeit des Orphan-Drug-Privilegs** wird auch an anderer Stelle infrage gestellt: Eine Analyse des IQWiG zur Evidenzbasis der Nutzenbewertung von *Orphan Drugs* aus dem Jahr 2021 ergab, dass bereits im Rahmen der Erstbewertung für 68 % der untersuchten Fragestellungen

[31] Eine weitere Ausnahme gilt für Reserveantibiotika, für die der Zusatznutzen als belegt gilt (Kapitel 5 § 15a VerfO G-BA).

randomisierte kontrollierte Studien (RCTs, *Randomised Controlled Trials*) vorlagen. Für die Erstbewertung eines Arzneimittels mit *Orphan-Drug*-Privileg wird, anders als für spätere reguläre Bewertungen, keine zVT festgelegt. Erst für eine Reevaluation ist das pU verpflichtet, den Nachweis über den Nutzen im Vergleich zur zVT zu erbringen. Im Rahmen der erneuten, regulären Bewertungen lagen in 39 % der untersuchten Fragestellungen RCTs vor, die das zu bewertende Arzneimittel direkt mit der zVT verglichen (IQWiG, 2021). Es kann somit nicht argumentiert werden, dass eine Erstellung von RCTs bei *Orphan Drugs* generell nicht möglich sei. Zugleich fehlen durch die Sonderstellung von *Orphan Drugs* im Rahmen der frühen Nutzenbewertung wertvolle Erkenntnisse für die Versorgung.

74. Der **Rat empfiehlt** daher, die **Sonderstellung von Orphan Drugs** im Rahmen der frühen Nutzenbewertung **aufzuheben** und den **fiktiven Zusatznutzen abzuschaffen**. Stattdessen sollen *Orphan Drugs* regulär bereits mit der Erstbewertung in vollem Umfang und im Vergleich mit der gültigen zVT (also ggf. *best supportive care*) bewertet werden. Der Rat sieht allerdings die Notwendigkeit, die Entwicklung und Verfügbarkeit von *Orphan Drugs* mit geeigneten Anreizen zu unterstützen. Er empfiehlt in diesem Zusammenhang, den *Orphan-Drug*-Status im Rahmen der Preisverhandlungen als zusätzliches Kriterium zu berücksichtigen.

2.3 Verhandlung des Erstattungsbetrags

75. Das Ergebnis der **Zusatznutzenbewertung** durch den G-BA ist ein **zentraler Bestandteil** der **Preisbildung**. Wenn für ein Arzneimittel kein Zusatznutzen belegt werden kann, wird geprüft, ob dieses in eine bestehende Festbetragsgruppe (siehe Exkurs in Textziffer 77) eingegliedert oder eine neue Festbetragsgruppe gebildet werden kann (Kapitel 5 § 21 VerfO G-BA). Dies geschieht allerdings, anders als mit der Einführung des AMNOG vorgesehen, äußerst selten (5 % der AMNOG-bewerteten Arzneimittel wurden zum Stichtag des 6. November 2024 in Festbetragsgruppen eingegliedert; siehe Abbildung 2-4). In allen anderen Fällen, in denen das Arzneimittel also in keine Festbetragsgruppe eingegliedert wurde, folgt auf den Beschluss des G-BA die Verhandlung über den Erstattungsbetrag des Arzneimittels zwischen dem pU und dem GKV-Spitzenverband (GKV-SV) im Benehmen mit der PKV. Der Ablauf der Verhandlungen wird in § 130b SGB V sowie über die auf § 130b Abs. 9 SGB V basierende Rahmenvereinbarung geregelt. Zwölf Monate nach Inverkehrbringen des Arzneimittels und Einreichung des Dossiers soll der Erstattungsbetrag für das Arzneimittel feststehen. In dem sechsmonatigen Zeitraum der **Verhandlungen** finden in der Regel vier Verhandlungstermine statt. Während dieser Termine soll ein Erstattungsbetrag verhandelt werden, „der für den festgestellten Zusatznutzen angemessen ist und einen Ausgleich der Interessen der Versichertengemeinschaft mit denen des pharmazeutischen Unternehmers darstellt“ (Rahmenvereinbarung nach § 130b Abs. 9 SGB V). Dieser **Erstattungsbetrag gilt rückwirkend ab dem siebten Monat** seit Markteinführung, also direkt nach der Beschlussfassung des G-BA (siehe Abbildung 2-1), und ist nicht nur für die GKV, sondern ebenso für Versicherte einer PKV, Selbstzahler*innen und Beihilfeberechtigte gültig.

76. Während das Arzneimittel in der ambulanten Versorgung zu dem verhandelten Erstattungspreis abgegeben wird, können Krankenhäuser für **die stationäre Versorgung individuell** mit dem pU über den **Preis verhandeln**. Sie bilden dazu häufig Einkaufsgemeinschaften, um durch eine größere Abnahmemenge geringere Preise verhandeln zu können; die so ausgehandelten Preise sind in der Regel nicht öffentlich bekannt (Schröder & Telschow, 2021, Seite 75).

Exkurs: Weitere Preisregulierungsmechanismen

77. Während sich das AMNOG auf Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen oder Wirkstoffkombinationen bezieht, werden die Preise im **generischen Markt** durch andere Gesetze reguliert. Dabei kann zwischen Instrumenten unterschieden werden, die primär den Wettbewerb zwischen einzelnen Arzneimitteln verstärken, und solchen, die generell zu Preisnachlässen führen.

Als eines der im Kontext der Ausgabenkontrolle erfolgreichsten Instrumente gelten die **Festbetragsgruppen**, die etwa 80 % der Verordnungen zulasten der GKV betreffen (BMG, 2024). In den Festbetragsgruppen werden nach § 35 SGB V Arzneimittel mit denselben oder pharmakologisch-therapeutisch vergleichbaren Wirkstoffen oder mit therapeutisch vergleichbarer Wirkung zusammengefasst, für die jeweils ein maximaler Erstattungsbetrag bestimmt wird. Dieser Betrag wird durch den GKV-SV festgelegt und regelmäßig an die durch die pU hergestellten Marktbedingungen (Listenpreise) angepasst.[32] Auch wenn die Festbeträge keine staatlich vorgegebenen Preise sind, übersteigen die durch die pU festgesetzten Preise die Erstattungsgrenze selten, da die Patient*innen in der Regel nicht bereit sind, eventuelle Mehrkosten selbst zu tragen. Mit der Einführung des AMNOG wurde erwartet, dass Arzneimittel, die im Rahmen der frühen Nutzenbewertung keinen Zusatznutzen nachweisen konnten, regelhaft in eine Festbetragsgruppe eingeordnet werden (Lukat & Götting, 2024). Entgegen dieser Erwartungen ist dies bislang allerdings kaum passiert (siehe Abbildung 2-4).

In § 130a SGB V werden mit dem **Preismoratorium**, den **Herstellerabschlägen** und der Möglichkeit für Krankenkassen, mit pU Rabattverträge zu verhandeln, diverse Instrumente zur Senkung der Arzneimittelkosten geregelt. Seit dem Jahr 2010 gilt für Arzneimittel ein Preismoratorium, was bedeutet, dass die Preise seitdem nicht erhöht werden dürfen. Das Preismoratorium gilt für alle Arzneimittel, für die kein Erstattungspreis im Rahmen des AMNOG-Prozesses vereinbart wurde oder die Teil einer Festbetragsgruppe sind. Es gibt seitdem nur wenige Möglichkeiten, die Preise von Arzneimitteln zu erhöhen. Beispiele hierfür sind Zulassungserweiterungen sowie ein Inflationsaufschlag, um den seit dem Jahr 2018 jährlich die Arzneimittelpreise angepasst werden können. Daneben müssen die pU bei Arzneimitteln ohne Festbetragsgruppe den Krankenkassen im Rahmen der Herstellerabschläge bestimmte Rabatte gewähren. Für patentgeschützte Arzneimittel beträgt dieser Rabatt 7 %, für patentfreie, wirkstoffgleiche Arzneimittel insgesamt 16 %.

Während die zuvor genannten Mechanismen in der Regel direkt zu Preisnachlässen führen, gibt es mit den **Rabattverträgen** auch ein Instrument, das gezielt den Wettbewerb zwischen austauschbaren Arzneimitteln verstärkt und dadurch wiederum niedrigere Preise erwirkt. Krankenkassen haben die Möglichkeit, mit pU Rabattverträge auszuhandeln. Das pU gewährt der Krankenkasse im Rahmen solcher Rabattverträge Preisnachlässe im Austausch dafür, dass das jeweilige Arzneimittel anstelle vergleichbarer Alternativen an die Versicherten der betreffenden Krankenkasse abgegeben wird, es sei denn, der Arzt oder die Ärztin schließt dies auf der Verordnung ausdrücklich aus. Aktuelle Zahlen zeigen, dass die Rabattverträge eine große Bedeutung im Kontext der Regulierung der Arzneimittelausgaben haben: Gemäß Daten des Deutschen Arzneiprüfungsinstituts resultierten im Jahr 2023 68,2 % der Preise der zulasten der

[32] Der Festbetrag muss dabei so gewählt werden, dass mindestens 20 % der getätigten Verordnungen und der abgegebenen Packungen unterhalb dieser Festbetragsgrenze liegen. Er wird also angehoben, wenn sich das Angebot preisgünstiger Alternativen verringert, und gesenkt, wenn sich dieses Angebot erhöht (BMG, 2025).

GKV abgegebenen Packungen von Arzneimitteln in Festbetragsgruppen aus Rabattverträgen. Auch wenn die zuvor genannten Festbeträge durch die Rabattverträge in den Hintergrund geraten, sind sie systemisch nach wie vor von großer Bedeutung. Ein Problem besteht darin, dass Rabattverträge das Instrument der Festbetragsgruppen konterkarieren können: Während Festbeträge sinken, wenn die Listenpreise betreffender Arzneimittel sinken, führen Rabattverträge zwar zu geringeren tatsächlichen Preisen, aber zu unveränderten Listenpreisen. Sinkende Preise durch Rabattverträge wirken sich also nicht auf die Festbeträge aus.

Die meisten dieser Instrumente beziehen sich in erster Linie auf Generika und Produkte des Bestandsmarktes, da sie entweder von einer Austauschbarkeit einiger Arzneimittel ausgehen oder Abschläge definieren, die das pU zu leisten hat. Solche **Abschläge können in der Preisfindung neuer Arzneimittel möglicherweise eingepreist werden**, wenn die Höhe des Abschlags absehbar ist. Unter bestimmten Voraussetzungen sind kurzfristige Einsparungen durch Rabatte jedoch denkbar: Einspareffekte sind vor allem möglich, wenn die Höhe der Rabatte nicht Gegenstand der Verhandlungen ist, sondern extern vorgegeben wird, und zwar ohne, dass dies zuvor antizipiert wurde. Dann können die Rabatte bei Arzneimitteln, für die die Preisverhandlungen bereits abgeschlossen sind, nicht mehr eingepreist werden. Die Ausgabensenkung durch die vorübergehende Erhöhung des (nicht mengenabhängigen) Herstellerrabatts um 5 % im Jahr 2023 wird auf 1,3 Milliarden Euro geschätzt (Deutscher Bundestag, 2024, Seite 12).

78. Die **Grundlage** der **Erstattungsbetragsverhandlungen** bildet insbesondere der **Beschluss des G-BA**. Daneben spielen das eingereichte **Dossier** und die Jahrestherapiekosten **vergleichbarer Arzneimittel**[33] eine Rolle. Bis zum Inkrafttreten des Medizinforschungsgesetzes (MFG) wurden auch die durch den pU mitgeteilten tatsächlichen Abgabepreise[34] in anderen europäischen Ländern (Referenzpreise) einbezogen (siehe Textziffer 80 ff.). Wenn der G-BA in seinem Beschluss einen Zusatznutzen für das zu bewertende Arzneimittel feststellt, soll der **Erstattungsbetrag als Aufschlag auf die Jahrestherapiekosten der zVT** verhandelt werden. Der Aufschlag soll hierbei das Ausmaß des Zusatznutzens widerspiegeln: Je höher der Zusatznutzen, desto höher soll auch der Aufschlag ausfallen. Bei einem geringeren Nutzen soll ein Abschlag auf die Jahrestherapiekosten der zVT erreicht werden.[35] In Fällen, in denen ein Arzneimittel in verschiedenen Subgruppen oder verschiedenen Indikationen einen unterschiedlich hohen Zusatznutzen hat, wird ein gewichteter **Mischpreis** ausgehandelt.

79. Mit dem im Jahr 2022 in Kraft getretenen Gesetz zur finanziellen Stabilisierung der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV-FinStG) wurde die Bedeutung des Ausmaßes des Zusatznutzens weiter gestärkt. Die durch dieses Gesetz eingeführten sogenannten **Leitplanken** sollten einen Anreiz zur besseren Evidenzgenerierung schaffen und die **Verknüpfung zwischen dem vergebenen Zusatznutzen und der Höhe des Erstattungsbetrags verstärken** (Greiner et al., 2023). Die verfahrenstechnischen Konsequenzen der Leitplanken sind in Abbildung 2-3 dargestellt. Mit dem

[33] Vergleichbare Arzneimittel sind laut § 6 Abs. 4 der Rahmenvereinbarung nach § 130b Abs. 9 SGB V „für das Anwendungsgebiet zugelassene Arzneimittel, deren Zweckmäßigkeit sich aus den internationalen Standards der evidenzbasierten Medizin ergibt“.

[34] Während die in Deutschland gültigen Erstattungsbeträge bekannt und einsehbar sind, sind die tatsächlichen Abgabepreise in vielen anderen Ländern vertraulich. Hier werden lediglich Listenpreise veröffentlicht, die sich jedoch von den Preisen, die z. B. die Versicherungen bezahlen, unterscheiden (Greiner et al., 2024); siehe Kapitel 3).

[35] Seit dem Jahr 2011 wurde in fünf Subgruppen das Ausmaß „geringerer Nutzen“ vergeben, in zwei Verfahren war dies die höchste vergebene Zusatznutzenkategorie (siehe Abbildung 2-2).

MFG wurden diese Leitplanken wieder gelockert: Arzneimittel, die zu einem relevanten Anteil in Deutschland in klinischen Prüfungen getestet wurden, sind seitdem von den Leitplanken freigestellt (siehe Kapitel 4 und 6). Die **Einführung der Leitplanken befürwortet der Rat** als ein Instrument, das dabei helfen kann, steigende Arzneimittelpreise lediglich bei hohem Zusatznutzen zu ermöglichen. Aus diesem Grund sieht der Rat die partielle Abkehr von den Leitplanken im MFG kritisch und **empfiehlt, diese Lockerung wieder zurückzunehmen**. Auf die standortpolitischen Implikationen der Leitplanken wird in Kapitel 6 eingegangen.

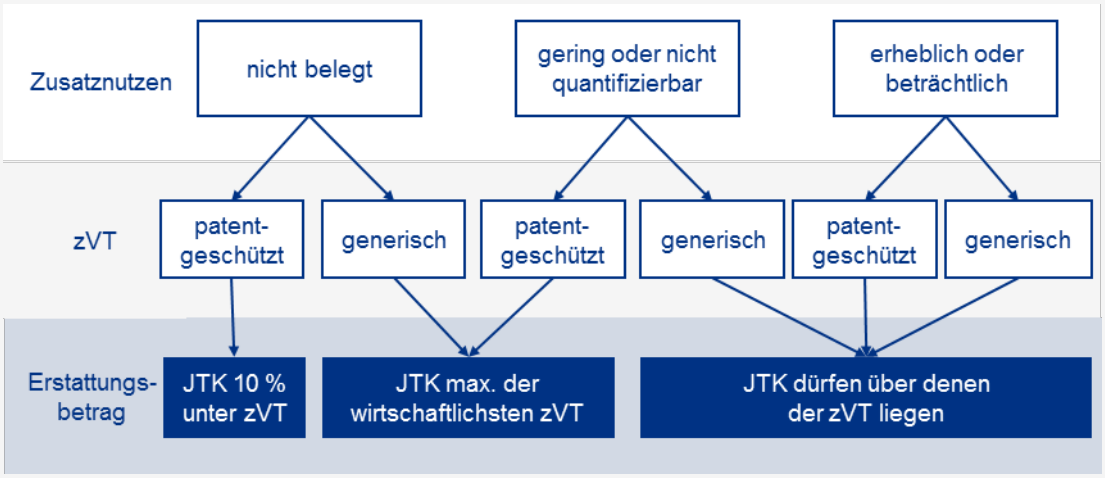

Abbildung 2-3: Auswirkungen der Leitplanken zur Preisgestaltung nach § 130b Abs. 3 SGB V

JTK = Jahrestherapiekosten; zVT = zweckmäßige Vergleichstherapie.

Quelle: Eigene Darstellung.

80. Das MFG legt außerdem fest, dass sich pU im Rahmen der Preisverhandlung zwischen **vertraulichen** oder einsehbaren **Erstattungsbeträgen** entscheiden können. Die Hersteller haben nach Abschluss der Preisverhandlungen fünf Tage Zeit für diese Entscheidung. Bei einer Entscheidung für vertrauliche Erstattungsbeträge wird ein zusätzlicher Abschlag von 9 % auf den zuvor ausgehandelten Betrag fällig. Darüber hinaus regelt das MFG, dass das europäische Preisniveau nicht mehr als Kriterium in den Preisverhandlungen herangezogen wird; zum Zeitpunkt der Preisverhandlungen waren allerdings auch in der Vergangenheit nur wenige andere Preise verfügbar. Damit entfällt das europäische Preisniveau als Kriterium in den Preisverhandlungen.[36]

81. Mit der Einführung **vertraulicher Erstattungspreise** könnten verschiedene **mögliche Vor- und Nachteile** einhergehen; aus der empirischen Literatur ist weder ein systematischer Vor- noch ein Nachteil vertraulicher Preise ableitbar. Darüber hinaus besteht immer die Möglichkeit, dass formal vertrauliche Preise dennoch an die Öffentlichkeit gelangen. Daher ist es unklar, ob vertrauliche Preise tatsächlich einen Vorteil für das entsprechende Land darstellen. Der zentrale Vorteil könnte sein, dass

[36] Während der GKV-Spitzenverband vertrauliche Erstattungsbeträge ablehnt, begrüßt er gleichzeitig diese Regelung und sieht sie als folgerichtig an. Unter der Annahme, dass auch nach Einführung vertraulicher Erstattungspreise (zunächst) weiter auf die hohen Listenpreise in Deutschland referenziert würde, würden diese über das Kriterium der europäischen Referenzpreise in die deutschen Erstattungsbetragsverhandlungen „zurückreflektiert“ (GKV-SV, 2024, Seite 26).

die Vertraulichkeit höhere Preisnachlässe in den Preisverhandlungen ermöglichen könnte. Die internationale Preisreferenzierung führt bislang dazu, dass die pU mit öffentlich bekannten Rabatten in dem einen Staat die Sorge verbinden, auch in anderen Staaten niedrigere Preise hinnehmen zu müssen. Die praktische Umsetzung der Vertraulichkeit in Deutschland gilt allerdings als sehr aufwendig und könnte zudem dazu führen, dass die Ausgabenkontrolle an anderen Stellen schlechter gelingt. So wird u. a. die Umsetzung des Wirtschaftlichkeitsgebots erschwert, wenn Ärzt*innen nicht mehr nachvollziehen können, welche Arzneimittel vergleichsweise günstig sind. Zudem können vertrauliche Preise Debatten darüber gefährden, wie eine faire und bezahlbare Versorgung insbesondere mit hochpreisigen Arzneimitteln zukünftig gelingen kann (Greiner et al., 2024).

82. Auch wenn teilweise niedrigere tatsächliche Erstattungsbeträge durch die Möglichkeit der Vertraulichkeit erhofft werden, wäre eine **Transparenz** sowohl der deutschen als auch internationalen Preise **wünschenswert**. Die einzelnen Länder befinden sich gleichwohl häufig in einem Dilemma: Während transparente Preise allgemein wünschenswert wären, haben die jeweiligen Länder gleichzeitig den Anreiz, selber – in der Hoffnung auf niedrigere Preise – vertrauliche Preise zu ermöglichen (siehe Kapitel 3).

83. Auch mit dem GKV-FinStG änderten sich die Rahmenbedingungen der Preisverhandlungen: So wurden beispielsweise **mengenbezogene Aspekte als Teil der Preisverhandlungen festgelegt**. Seitdem müssen mengenbezogene Staffelungen oder ein jährliches Gesamtvolumen des Arzneimittels vereinbart werden. Dabei soll das „Gesamtausgabenvolumen des Arzneimittels unter Beachtung seines Stellenwerts in der Versorgung“ berücksichtigt werden (§ 130b Abs. 1a SGB V; siehe dazu auch Kapitel 5). Außerdem wurde ein sogenannter **Kombinationsabschlag** eingeführt. Für Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, die als Teil einer durch den G-BA festgelegten Kombination aus mehreren Wirkstoffen verabreicht werden, erhalten Krankenkassen einen Abschlag in Höhe von 20 %. Dieser Abschlag entfällt, wenn die Kombination dieser Wirkstoffe laut G-BA einen beträchtlichen oder erheblichen Zusatznutzen erwarten lässt (§ 130e Abs. 1SGB V).

84. Wenn der GKV-SV und das pU sich innerhalb der sechsmonatigen Frist **nicht über einen Erstattungsbetrag einig** werden, geht die Entscheidung an eine dafür geschaffene **Schiedsstelle**, die weitere drei Monate Zeit hat, um eine Einigung herbeizuführen. Dabei soll sie alle Umstände des Einzelfalls sowie die Besonderheiten des jeweiligen Therapiegebietes berücksichtigen. Die gesetzlichen Regelungen zur Bestimmung des Erstattungspreises nach § 130b SGB V gelten auch in diesem Fall. Sowohl gegen den Schiedsspruch als auch unter Umständen gegen die Nutzenbewertung kann Klage eingereicht werden.

85. Zu Beginn des Schiedsstellenprozesses bringen der **GKV-SV** und das **pU jeweils einen Antrag** ein, in dem sie ihre **Forderungen** erläutern und begründen. Diese Anträge bestehen neben einem Erstattungsbetrag auch aus weiteren Vertragsinhalten, beispielsweise mengenbezogenen Aspekten. Über diese Anträge berät im Folgenden die Schiedsstelle, die sich aus einem unparteiischen Vorsitzenden, zwei weiteren unparteiischen Mitgliedern, zwei vom GKV-SV benannten Mitgliedern sowie zwei von dem betroffenen pU benannten Mitgliedern zusammensetzt. Es kann davon ausgegangen werden, dass sowohl der GKV-SV als auch das pU mit Maximalforderungen in den Prozess starten, um ein für sich möglichst vorteilhaftes Ergebnis zu bewirken. Die **Schiedsstelle hat dann die Aufgabe, einen Kompromiss zu erzielen**, der in einer Abstimmung mit einfacher Mehrheit angenommen wird und ein möglichst kohärentes Konstrukt aus dem Erstattungspreis und den weiteren möglichen Aspekten darstellt (AMNOG-Schiedsstelle, 2020). Um eine solche Kohärenz sicherzustellen, wäre neben diesem kompromissgeleiteten Schiedsspruch

auch ein antragsgebundenes Verfahren denkbar, bei dem die Schiedsstelle verpflichtet wäre, sich für einen der beiden eingebrachten Anträge zu entscheiden. Damit würde der Anreiz geschaffen, dass sowohl der GKV-SV als auch das betroffene pU realistische Vorschläge einbringen und sich in ihrer Argumentation bemühen, die unparteiischen Mitglieder und Vorsitzenden zu überzeugen. Mit einem solchen Verfahren könnte zudem verhindert werden, dass bei der Kompromissbildung durch Inkonsistenzen beispielsweise zwischen Mengen- und Preisaspekten eine unpassende Zusammenstellung aus den einzelnen Vertragsinhalten entstehen kann. Allerdings kann ex ante keine sichere Aussage dazu getroffen werden, ob ein solches antragsgeleitetes Verfahren zu niedrigeren Preisen führen würde. Der **Rat empfiehlt** daher dem Gesetzgeber, **ein solches Verfahren neben anderen Alternativen der Entscheidungsfindung in der Schiedsstelle zu prüfen**.

86. Nach einem abgeschlossenen Schiedsverfahren können sowohl der GKV-SV als auch das betroffene pU in einem weiteren Schritt eine **Kosten-Nutzwert-Bewertung**[37] (KNB) anfordern, für die das IQWiG durch den G-BA beauftragt werden kann. Das pU kann eine solche Bewertung neben diesem Fall auch dann verlangen, wenn der G-BA zu dem Schluss gekommen ist, dass für ein Arzneimittel kein Zusatznutzen belegt werden konnte. Laut § 35b Abs. 1 SGB V soll das IQWiG den therapeutischen Zusatznutzen für den Patient*innen im Verhältnis zu den Kosten betrachten. Auf dieser Grundlage wird das zu bewertende Arzneimittel mit anderen Arzneimitteln oder Behandlungsmethoden verglichen.

87. Der Rat hat bereits in der Vergangenheit gefordert, die Bedeutung der KNB für die Preisverhandlungen zu stärken; auch der ExpertInnenrat „Gesundheit und Resilienz“ fordert eine multikriteriale Bewertung von Innovationen unter Einbezug der Kosten (ExpertInnenrat „Gesundheit und Resilienz“, 2024; SVR, 2014, Seite 106). Trotzdem ist es bisher zu keiner solchen Bewertung im Rahmen eines AMNOG-Verfahrens gekommen. Der **Rat empfiehlt** vor diesem Hintergrund, die im Gesetz bereits verankerte Möglichkeit der KNB auszuweiten und diese **verpflichtend für eine Liste priorisierter Arzneimittel in Deutschland durchzuführen**. Das würde vor allem zusätzliche Informationen für die verhandelnden Parteien liefern und die Vergleichbarkeit der Preisaufschläge für vergleichbare Einheiten von Zusatznutzen über Indikationen hinweg stärken.

88. Wenn das pU bereits zu Beginn der Verhandlungen eine Einigung mit dem GKV-SV über einen Erstattungsbetrag ausschließt, hat es die Möglichkeit, die Verhandlungen spätestens 14 Tage nach dem ersten Verhandlungstermin abzubrechen und das Arzneimittel wieder vom deutschen Markt zu nehmen (**Opt out**). In diesem Fall wird kein Erstattungsbetrag verhandelt oder festgesetzt. Darüber hinaus kann das pU auch nach Erreichen eines Erstattungsbetrags das Arzneimittel als „**außer Vertrieb**“ melden. Der GKV-SV hingegen hat nicht die Möglichkeit, die Verhandlungen ohne Ergebnis zu beenden – es herrschen **asymmetrische Rückzugsmöglichkeiten**.

[37] In § 35b SGB V bezeichnet der Gesetzgeber die durchzuführenden Bewertungen als „Kosten-Nutzen-Bewertungen“; das IQWiG interpretiert diesen Begriff „eher als Oberbegriff für vergleichende gesundheitsökonomische Analysen im Allgemeinen“ (IQWiG, 2023, Seite 10). Das vorgesehene Verfahren wird in der Fachsprache als Kosten-Nutzwert-Bewertung bezeichnet.

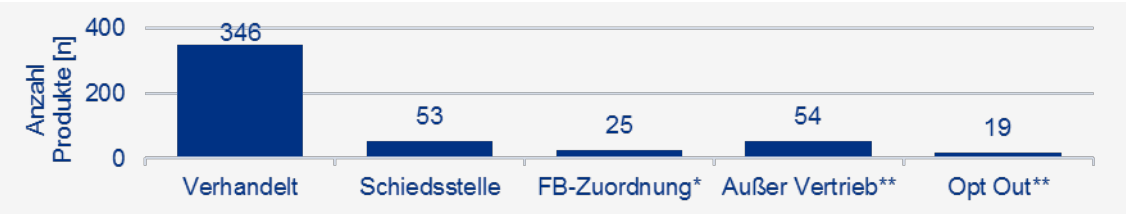

Abbildung 2-4: Ergebnisse der bisherigen AMNOG-Prozesse

FB = Festbetragsgruppe.

* Inklusive späterer Zuordnung. ** Bis zum 6. November 2024 nicht wieder eingeführt.

Quelle: Eigene Darstellung auf Basis des AMNOG-Monitors des Instituts für Pharmakologie und präventive Medizin, Stand Ende 2024.

2.4 Weitere Perspektiven zur Weiterentwicklung des AMNOG

2.4.1 Asymmetrische Verhandlungspositionen aufgrund garantierter Erstattungsfähigkeit

89. Die Preisverhandlungen in Deutschland sind durch **Asymmetrien** hinsichtlich der **verfügbaren Informationen** sowie der **Verhandlungsmacht** zwischen den **Verhandlungspartnern** gekennzeichnet (siehe Abbildung 2-5). Das pU hat bis zur Nutzenbewertung und z. T. darüber hinaus einen Wissensvorsprung hinsichtlich der Effektivität und des Risikoprofils des patentgeschützten Arzneimittels, der zu erwartenden Marktdurchdringung sowie der Kosten, die aufgewendet werden müssen, um den Patient*innen das Produkt zur Verfügung stellen zu können. Es hat zudem ein Monopol auf die Produktion und Vermarktung des Arzneimittels, solange der Patentschutz gilt. Außerdem kann es das Arzneimittel jederzeit wieder vom Markt nehmen.

90. Die Verhandlungsführer des GKV-SV agieren im Auftrag der Solidargemeinschaft und bündeln die Nachfrage der gesetzlich und privat Versicherten in Deutschland. Im Gegensatz zu den pU haben sie jedoch keine Möglichkeit, von den Verhandlungen zurückzutreten (siehe Textziffer 88). Anders als in den meisten anderen europäischen Systemen wird in Deutschland nicht über die Erstattungsfähigkeit eines Arzneimittels entschieden (im Sinne einer vierten Hürde; siehe Textziffer 59). Arzneimittel können vielmehr automatisch ab dem Zeitpunkt des Inverkehrbringens verordnet und erstattet werden (Vogler, 2018; WHO Regional Office for Europe, 2018; siehe Exkurs in Textziffer 60). Die **garantierte Erstattungsfähigkeit schwächt die Verhandlungsposition des GKV-SV**, der anders als das pU nicht darüber entscheiden kann, ob das Arzneimittel auf dem deutschen Markt überhaupt Teil der Gesundheitsversorgung sein soll. Mit dem Scheitern der Verhandlungen können nur die pU, nicht jedoch der GKV-SV drohen. Selbst wenn es zwischen dem pU und dem GKV-SV nicht zu einer Einigung über den Erstattungspreis kommt, für die Preisfindung also die Schiedsstelle angerufen wird, ist der Schiedsspruch lediglich für den GKV-SV alternativlos: Auch wenn ein aus Sicht der Solidargemeinschaft inakzeptabler Preis zustande käme, müsste der GKV-SV das Arzneimittel zu diesem Preis erstatten. Umgekehrt hat das pU im Fall eines für das Unternehmen inakzeptablen Preises die Möglichkeit, das Arzneimittel vom deutschen Markt zu nehmen.

91. Der **Rat empfiehlt, dieser Asymmetrie entgegenzuwirken**. Dafür sollte dem GKV-SV ermöglicht werden, nach eingehender Betrachtung der vorliegenden Evidenz **über die**

Erstattungsfähigkeit zu entscheiden und ggf. von den Preisverhandlungen zurückzutreten. Dabei sollten neben dem Zusatznutzen des Arzneimittels auch dessen Kosten sowie das Vorhandensein verfügbarer Behandlungsalternativen berücksichtigt werden.

92. Eine mögliche Ausgestaltung, die Erstattungsfähigkeit einzelner Arzneimittel (ggf. in einzelnen Indikationen) infrage zu stellen, bietet die Möglichkeit eines Bieterwettbewerbs. So werden in den Niederlanden und in Belgien wirkstoffübergreifende Ausschreibungen für bestimmte Anwendungsgebiete durchgeführt. Da im betreffenden Anwendungsgebiet im Anschluss nur ein Wirkstoff aus einer Gruppe von Wirkstoffen erstattet wird, kommt es zu einem Wettbewerb zwischen den Anbietern der verschiedenen Wirkstoffe. Dieser Wettbewerb kann für Preisnachlässe genutzt werden. Andere Staaten nutzen dieses Instrument bereits: So wird in Belgien und in den Niederlanden von den beiden Gentherapien Kymriah® und Yescarta® je Anwendungsgebiet nur eine erstattet (Jablonka et al., 2021). Der **Rat empfiehlt**, einen solchen **Wettbewerb um die Erstattungsfähigkeit von Arzneimitteln zu ermöglichen, wenn mehrere gleichwertige Arzneimittel auf dem deutschen Markt verfügbar sind**. Von der Verordnung des Arzneimittels, das im Ergebnis erstattet würde, könnte in Anlehnung an die bestehenden Regelungen bei Rabattverträgen in medizinisch begründeten Ausnahmefällen abgewichen werden. Solche wirkstoffübergreifenden Ausschreibungen unterscheiden sich von den Rabattverträgen, wie sie durch § 130c SGB V ermöglicht werden, darin, dass sie – bis auf Ausnahmen – zu Erstattungsausschlüssen für jene Wirkstoffe führen würden, für die kein Vertrag geschlossen wurde.

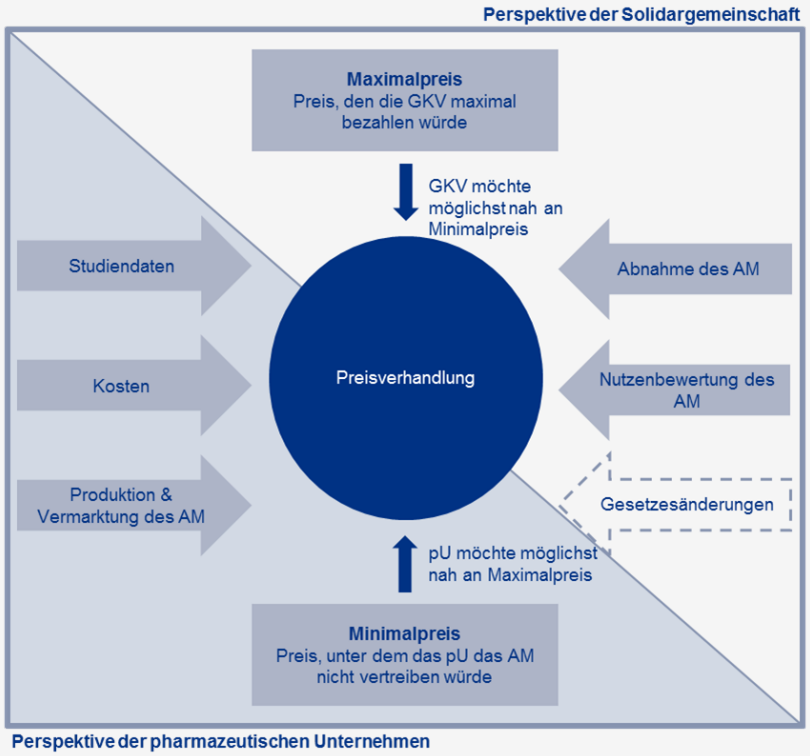

Abbildung 2-5: Wissens- und Interessenverteilung in Preisverhandlungen

AM = Arzneimittel; pU = pharmazeutisches Unternehmen.

Quelle: Eigene Darstellung.

2.4.2 Fehlanreize in der Preisbildung

93. Laut Rahmenvereinbarung nach § 130b Abs. 9 SGB V soll der Erstattungsbetrag explizit als Zuschlag auf die Jahrestherapiekosten der zVT verhandelt werden. Der mit Markteintritt durch das pU festgelegte Initialpreis ist kein Teil der in § 6 dieser Rahmenvereinbarung genannten Kriterien zur Vereinbarung des Erstattungsbetrags. In der Praxis fungiert der **Initialpreis** trotzdem neben dem **Zusatznutzen** als einer der **zwei wichtigen Ankerpunkte in der Verhandlung**. Er scheint dabei insbesondere einen starken psychologischen Effekt zu haben. Zudem dürfte der Abschlag für das pU vorhersehbar sein, da dieser im Durchschnitt relativ stabil ist. In Abbildung 2-6 ist die durchschnittliche Differenz zwischen dem Initialpreis und dem am 6. November 2024 gültigen Erstattungspreis[38] in Abhängigkeit des höchsten vergebenen Zusatznutzens abgebildet. Dieser durchschnittliche Abschlag liegt je nach vergebener Zusatznutzenkategorie zwischen 22,8 % und 34,2 %. Der Abschlag scheint selbst zwischen den vergebenen Zusatznutzenkategorien relativ stabil. In einigen Fällen wurde sogar der Initialpreis als verhandelter Erstattungsbetrag übernommen (Greiner et al., 2022). Daher **ist anzunehmen, dass der zu erwartende Abschlag bei der Festlegung des Initialpreises durch das pU bereits eingepreist wird**.

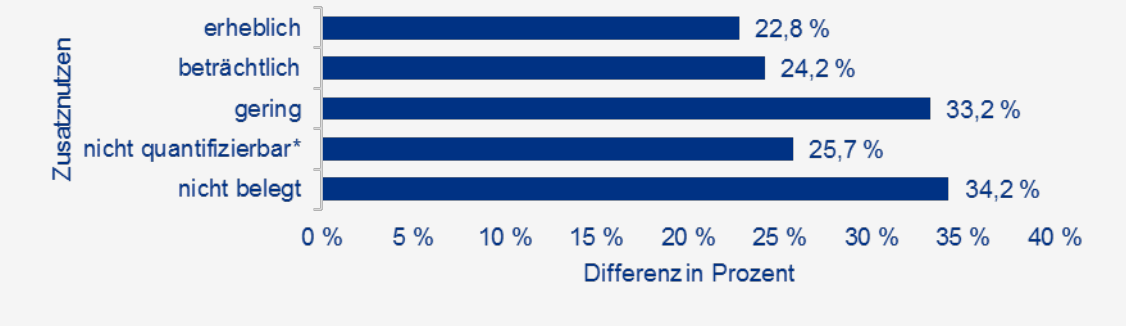

Abbildung 2-6: Durchschnittliche Differenz zwischen Initialpreis und Erstattungsbetrag

* In etwa 70 % der Verfahren, in denen der G-BA einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen vergeben hat, wurden Orphan Drugs behandelt, für die aufgrund des Orphan-Drug-Privilegs ein Zusatznutzen bereits mit Zulassung als belegt galt.
Der Initialpreis wird mit Markteinführung durch das pU festgelegt, für den Erstattungsbetrag wird der am 6. November 2024 gültige Erstattungsbetrag herangezogen.

Quelle: Eigene Darstellung auf Basis des AMNOG-Monitors des Instituts für Pharmakologie und präventive Medizin, Stand Ende 2024.

94. Der **Rat empfiehlt die Einführung eines extern festgelegten Interimspreises**, der anstelle des bisher durch das pU festgelegten Initialpreises gelten soll, bis der der verhandelte oder festgesetzte Erstattungsbetrags in Kraft tritt. Die Höhe dieses Interimspreises sollte sich an der wirtschaftlichsten Alternative der festgelegten zVT (ggf. *best supportive care*) orientieren. Sollte dies in Ausnahmefällen nicht sinnvoll möglich sein – beispielsweise bei Arzneimitteln, die in der Produktion bereits höhere Kosten verursachen, als durch den Preis der zVT gedeckt werden könnten – könnte eine Anpassung erfolgen. Der im Rahmen der Erstattungsbetragsverhandlungen erreichte Preis wäre rückwirkend ab dem Markteintritt gültig. Die Differenz zwischen dem vorerst

[38] Der Erstattungsbetrag kann sich im Produktlebenszyklus bedingt verändern.

festgelegten Interimspreis und dem verhandelten Erstattungsbetrag würde dann rückwirkend ausgeglichen (siehe dazu auch Richard et al., 2021, Seite 182 ff.). Auch wenn aufgrund der erst im Zeitverlauf stattfindenden Marktdurchdringung die Verkaufszahlen in den ersten Monaten relativ gering und somit die Einsparungen während der Geltung des Interimspreises als mäßig gelten dürften, wäre aufgrund des wesentlich niedrigeren Ankerpunktes über die Gültigkeit des Interimspreises hinaus mit niedrigeren Preisen zu rechnen.

95. So geankerte Interimspreise könnten allerdings zu einer späteren Verfügbarkeit des Arzneimittels auf dem deutschen Markt führen. Derzeit wird in vielen anderen Staaten auf den deutschen Arzneimittelpreis referenziert (siehe Kapitel 3). Aufgrund der schnellen Markteinführung ist Deutschland in der Regel eines der ersten Länder, aus denen ein Preis öffentlich bekannt ist. Um zu verhindern, dass auf den niedrigeren Interimspreis referenziert wird, könnten sich pU zu einer verzögerten Markteinführung in Deutschland entschließen. Dies ließe sich verhindern, indem das pU den **Listenpreis** weiterhin frei setzen dürfte, dieser aber bis zur Preisverhandlung mit einem **temporären Rabatt** auf das Niveau der zVT gebracht würde. Für die Referenzierung durch andere Länder würde sich somit nichts ändern und eine zeitlich verlangsamte Markteinführung in Deutschland wäre nicht zu befürchten.

96. Inwiefern das AMNOG dem Ziel der Ausgabensenkung dient, lässt sich nicht allein durch die erzielten Einsparungen bewerten. Da das AMNOG ursprünglich Aufschläge auf die Jahrestherapiekosten der zVT bei jedem neuen Arzneimittel mit einem Zusatznutzen vorsah, sind alleine durch diese Selbstreferenzierung[39] (sogenannter „**Turmtreppeneffekt**“) gewisse Ausgabensteigerungen erwartbar: Zurzeit werden im Rahmen der Preisverhandlungen statische Preise verhandelt, für die in Abhängigkeit von dem vergebenen Zusatznutzen ein Aufschlag auf die zVT gewährt wird. Ist der Erstattungsbetrag verhandelt oder festgesetzt, so verändert er sich in der Regel nicht ohne äußere Einwirkungen[40], auch dann nicht, wenn der Preis der zVT z. B. durch ein Auslaufen des Patentschutzes sinkt. Es gibt aktuell kein Instrument, durch das die Arzneimittelpreise im Zeitverlauf regelhaft dynamisch angepasst werden. Auch die pU haben bis zum Auslaufen des Patentschutzes in der Regel keinen Anreiz, den Preis des Arzneimittels zu senken. Denkbar wären statt dieser statischen Preise auch dynamische Preise, die z. B. bei einer Preisreduktion der zVT eine automatische Preisreduktion nach sich ziehen könnten (siehe Kapitel 5).

2.5 Preisbildung innovativer Arzneimittel im Ausland – ausgewählte Fallstudien

2.5.1 Preisbildung innovativer Arzneimittel in Frankreich

97. Die Finanzierung des **französischen Gesundheitssystems** basiert auf einem Sozialversicherungssystem. Es besteht eine Versicherungspflicht ohne Kassenwahlfreiheit. Aufgrund der wachsenden Bedeutung von Steuereinnahmen für die Finanzierung des Gesundheitssystems sowie der zentralen nationalen Organisation weist es somit auch Merkmale eines staatlichen

[39] Wann immer ein patentgeschütztes Arzneimittel als zVT gilt, wird ein Aufschlag auf einen Preis gewährt, der im internationalen Kontext ohnehin als relativ hoch gilt.

[40] Beispielsweise durch neue Preisverhandlungen im Anschluss an einen neuen Beschluss des G-BA zu dem betreffenden Arzneimittel aufgrund einer Indikationsausweitung oder einer erneuten Bewertung.

Gesundheitssystems auf. Im Jahr 2021 beliefen sich die Gesundheitsausgaben in Frankreich mit etwa 308 Milliarden Euro auf 12,3 % des französischen Bruttoinlandsprodukts (BIP) (Eurostat, 2025). Von diesen Kosten wurde mit rund 85 % der größte Anteil durch den Staat bzw. die Krankenkassen getragen (OECD & EU, 2022). Arzneimittelkosten machten 12,6 % der Gesundheitsausgaben[41] aus (OECD, 2025).

98. Damit ein Arzneimittel in Frankreich erstattet werden kann, muss es von der Transparenzkommission (CT, Commission de la Transparence) bewertet werden. Diese ist Teil der Hohen Gesundheitsbehörde (HAS, Haute Autorité de Santé) und setzt sich aus einem Präsidenten bzw. einer Präsidentin sowie 22 ordentlichen sowie sieben weiteren stellvertretenden Mitgliedern zusammen. Unter den Mitgliedern befinden sich Ärzt*innen verschiedener Fachrichtungen, Pharmazeut*innen, Methodiker*innen sowie Patientenvertreter*innen (HAS, 2022). Die CT **bewertet** bei einem neuen Arzneimittel bzw. einer neuen Indikation in einem **ersten Schritt** den **medizinischen Nutzen** (SMR, *Service Médical Rendu*). Bei einem unzureichenden medizinischen Nutzen wird das Arzneimittel in der betreffenden (Teil-)Indikation nicht erstattet (siehe Exkurs in Textziffer 60). Bei einem ausreichenden medizinischen Nutzen wird in einem **zweiten Schritt** die Verbesserung des medizinischen Nutzens im Sinne eines therapeutischen Fortschritts, also der **Zusatznutzen** (ASMR, *Amélioration du Service Médical Rendu*), bewertet. Hierfür wird das jeweilige Arzneimittel mit verfügbaren therapeutischen Alternativen verglichen. Die Bewertungsbasis bilden alle zu diesem Zeitpunkt verfügbaren klinischen Daten für das betreffende Arzneimittel und die zu evaluierende Indikation. Neben direkt klinisch relevanten Endpunkten werden in einigen Fällen auch Surrogatendpunkte betrachtet. So wird im Gegensatz zur Zusatznutzenbewertung in Deutschland z. B. das progressionsfreie Überleben als Endpunkt anstelle des Gesamtüberlebens herangezogen. Bei der Bewertung wird zudem der medizinische Bedarf in der untersuchten Indikation einbezogen.

99. Das **Ergebnis der ASMR-Bewertung** wird auf einer Ordinalskala mit fünf Ausprägungen ausgedrückt, die von einem „bedeutenden“ therapeutischen Fortschritt (ASMR I) über einen „wichtigen“ (ASMR II), einen „mäßigen“ (ASMR III) und „geringfügigen“ (ASMR IV) bis hin zu „keinem therapeutischen Fortschritt“ (ASMR V) reicht. Letzterer wird u. a. in Fällen vergeben, in denen zu dem jeweiligen Zeitpunkt eine Bewertung aufgrund der vorliegenden Daten nicht möglich ist (HAS, 2021). Dabei kann sowohl die gesamte Zielpopulation mit einer Zusatznutzenausprägung bewertet als auch in verschiedene Teilpopulationen aufgeteilt und getrennt bewertet werden (HAS, 2023).

100. Bis zum Jahr 2020 wurde der Zusatznutzen (ASMR) eines Arzneimittels regelhaft alle fünf Jahre erneut bewertet. Da es im Rahmen dieser **automatischen Neubewertung** allerdings häufig zu unveränderten ASMR-Ergebnissen kam, wurde diese Regelung **ausgesetzt**. Zu einem unveränderten ASMR-Ergebnis kam es insbesondere deshalb häufig, weil nicht ausreichend neue Evidenz für eine erneute Bewertung vorlag. Eine erneute Bewertung kann jedoch nach wie vor auf Initiative des pU, der CT oder des Gesundheitsministeriums erfolgen (HAS, 2021). Im Jahr 2023 kam es zu 72 erneuten Bewertungen des SMR oder ASMR; davon wurden 19 auf Initiative des pU, 44 auf Initiative der CT und neun auf Initiative des Gesundheitsministeriums durchgeführt (HAS, 2024). Erneute Bewertungen sind insbesondere dann sinnvoll, wenn es neue Evidenz gibt (siehe Kapitel 4). Das Gesundheitsministerium hat außerdem die Möglichkeit, eine Neubewertung einer gesamten Produktklasse zu fordern (HAS, 2023). In diesem Fall werden beispielsweise alle in Frankreich erhältlichen oralen Antiarrythmika oder die für die Behandlung des Typ-2-Diabetes erhältlichen

[41] In Deutschland machten Arzneimittelkosten im Jahr 2021 14,1 % der Gesundheitsausgaben aus (OECD, 2025); für Näheres, auch zur Datengrundlage, siehe Kapitel 1.

Gliflozine miteinander verglichen (HAS, 2021). Im Jahr 2023 wurden zwei Produktklassen bewertet (HAS, 2024).

101. Auf Basis der **ASMR-Bewertung** finden **Preisverhandlungen** zwischen dem pU und dem Wirtschaftskomitee für Gesundheitsprodukte (CEPS, Comité économique des produits de santé) statt. Das CEPS setzt sich aus Vertreter*innen der Direktion für Soziale Sicherheit, der Generaldirektion für Gesundheit, der Generaldirektion für Wettbewerb, Verbraucherschutz und Betrugsbekämpfung und der Generaldirektion für Unternehmen sowie Vertreter*innen der nationalen Krankenkassen und der privaten Zusatzversicherungen zusammen. Mit beratender Funktion sind außerdem Vertreter*innen der Generaldirektion für die Gesundheitsversorgung und der Generaldirektion für Forschung Teil des CEPS (CEPS, 2024). Hierbei werden **in Abhängigkeit vom ASMR Auf- bzw. Abschläge auf die Referenzkosten**, also die Kosten der therapeutischen Alternativen, verhandelt. In die Verhandlungen können außerdem die Ergebnisse einer fakultativen gesundheitsökonomischen Bewertung, eine Umsatzprognose sowie ein nationaler Produktionsstandort einbezogen werden. Dabei ist es möglich, neben einem offiziellen Listenpreis vertrauliche Rabatte und somit einen vertraulichen Nettopreis auszuhandeln. Die genauen Bedingungen der Preisverhandlungen werden durch die Höhe des ASMR festgelegt:

- Für Arzneimittel mit einem **ASMR I bis III** gilt, dass der Listenpreis als Aufschlag auf die Referenzbehandlungskosten verhandelt wird. Den pU wird dabei mindestens der niedrigste Preis in festgelegten europäischen Referenzländern gewährt. Von diesem Listenpreis kann ein zusätzlicher, vertraulicher Nettopreis abweichen.
- Bei Arzneimitteln mit einem **ASMR IV** ist der Listenpreis identisch zu den Referenzbehandlungskosten. Auch hier kann in einigen Fällen gelten, dass der Preis nicht niedriger sein darf als in festgelegten europäischen Referenzländern. Auch ein vertraulicher Nettopreis neben dem offiziellen Listenpreis ist möglich.
- Für Arzneimittel mit einem **ASMR V** wird ein Abschlag auf die Referenzbehandlungskosten verhandelt. Aufgrund des fehlenden therapeutischen Fortschritts dürfen diese Arzneimittel nur dann erstattet werden, wenn sie einen geringeren Preis aufweisen als die therapeutischen Alternativen und so trotz fehlendem therapeutischem Zusatznutzen einen ökonomischen Vorteil für die Gesundheitsversorgung mit sich bringen.

102. Wenn die Preisverhandlungen zwischen dem CEPS und dem pU **scheitern**, hat das CEPS die Möglichkeit, den Preis **festzusetzen**. In diesem Fall entscheidet sich das pU allerdings meist für einen **Rückzug aus dem französischen Markt**. Da Marktrückzüge in den meisten Fällen verhindert werden sollen, kommt es dazu nur selten.

103. Dieser Prozess führt zu einem **späteren Marktzugang im Vergleich zu anderen Ländern**. In Frankreich sind Arzneimittel im Durchschnitt etwa sieben Monate später verfügbar als in Deutschland (Büssgen & Stargardt, 2022; Newton et al., 2024). Es gibt Ausnahmen von dem beschriebenen Prozess, wenn ein schnellerer Zugang zu Arzneimitteln für besonders schwere oder seltene Erkrankungen ermöglicht werden soll. Unter bestimmten Umständen kann das Arzneimittel zunächst zu einem vom pU festgelegten Preis erstattet werden. Sobald die oben beschriebene Bewertung beendet und ein Erstattungsbetrag zwischen dem CEPS und dem pU verhandelt wurde, sind Rückzahlungen in Höhe der Differenz zwischen dem vorerst festgelegten und dem schließlich verhandelten Erstattungsbetrag zu (d'Andon, 2024; Minery & Or, 2024).

104. Ein **zentrales Instrument** der französischen Arzneimittelbepreisung sind **erneute Preisverhandlungen**. Somit kann auch ohne neue ASMR-Bewertung zeitnah auf sich verändernde Rahmenbedingungen – beispielsweise aufgrund gesunkener Preise der Referenzbehandlung – reagiert werden. Wird bereits zum Zeitpunkt der Preisverhandlung eine Indikationsausweitung für das Arzneimittel erwartet, wird zudem häufig eine Ausgabendeckelung festgelegt. Diese Deckelung sorgt dafür, dass das pU hohe Abschläge zahlen muss, wenn die Abgabe eine vorab verhandelte Menge überschreitet. Da diese Abgabemenge durch eine Indikationsausweitung in der Regel schnell erreicht wird, hat das pU einen starken Anreiz, sich daraufhin zügig im Rahmen einer neuen Preisverhandlung mit dem CEPS zu einigen.

105. Zusätzlich zu diesen Regelungen für die Bestimmung von Arzneimittelpreisen gibt es seit dem Jahr 1999 eine Schutzklausel, die eine **globale Deckelung der gesamten Arzneimittelkosten** zum Ziel hat. Übersteigen die Arzneimittelkosten einen festgelegten Schwellenwert, bewirkt die Schutzklausel, dass ein Teil dieser Überschreitung nach einer progressiven Skala an die Krankenversicherung zurückgezahlt wird. Im Jahr 2022 lag dieser Schwellenwert bei 24,5 Milliarden Euro. Die durch einen pharmazeutischen Hersteller zu leistende Rückzahlung berücksichtigt gewährte Rabatte und darf eine Höchstgrenze nicht übersteigen (CEPS, 2024).

Hauptunterschiede in der Preisbildung zwischen Frankreich und Deutschland

106. Das System zur Bewertung innovativer Arzneimittel unterscheidet sich somit zwischen Deutschland und Frankreich in vielen Aspekten. Es ergeben sich z. B. bedeutende Unterschiede bereits mit der **Erstattungsfähigkeit**. Während in Deutschland Arzneimittel in der Regel mit dem Zeitpunkt des Inverkehrbringens – und damit noch vor der Bewertung des Zusatznutzens – erstattungsfähig sind, beginnt die Erstattungsfähigkeit in Frankreich bis auf Ausnahmen (siehe Textziffer 103) erst nach dem abgeschlossenen Prozess der Bewertung und der anschließenden Preisverhandlung. In Frankreich werden in zwei Schritten zunächst der Nutzen (SMR, Auswirkung auf die Erstattungsfähigkeit) und im Anschluss daran der Zusatznutzen (ASMR, Auswirkung auf den Erstattungsbetrag) bewertet. Gegen die Erstattungsfähigkeit kann sowohl für gesamte Arzneimittel als auch für einzelne (Teil-)Indikationen entschieden werden. In Deutschland hingegen findet lediglich eine Bewertung statt, die sich auf die Höhe des Erstattungsbetrags auswirkt. Die Bewertung in Frankreich ist zudem offener für die Verwendung von Surrogatendpunkten und umfasst z. T. eine gesundheitsökonomische Bewertung.

107. Auch die Bepreisung von Arzneimitteln weist relevante Unterschiede zwischen Deutschland und Frankreich auf. Die französische Bepreisung bei mangelnder Evidenz, und damit einem ASMR V, ist durch einen Abschlag auf den Preis der Referenzbehandlung begrenzt. Sie ist folglich **strenger als die deutsche Bepreisung**, die lediglich bei einem geringeren Nutzen, nicht jedoch bei einem nicht belegten Zusatznutzen einen Abschlag auf die zVT vorsieht. Durch die striktere Bepreisung jener Arzneimittel, die keinen Zusatznutzen nachweisen können, soll ein Anreiz für das pU gesetzt werden, überzeugende Evidenz u. a. durch aussagekräftige Studien zu erzeugen. Weitere Unterschiede betreffen insbesondere die in Frankreich regelmäßig vorhandenen vertraulichen Nettopreise und die Schutzklausel, die nicht die Regulierung eines einzelnen Arzneimittelpreises, sondern der gesamten französischen Arzneimittelausgaben zum Ziel hat. Bei einer Indikationsausweitung hat das pU in Frankreich darüber hinaus aufgrund von Ausgabendeckelungen einen starken Anreiz, zügig einen neuen Preis zu verhandeln, da es ansonsten hohe Abschläge zahlen muss.

2.5.2 Preisbildung innovativer Arzneimittel in Japan

108. Das **japanische Gesundheitssystem** basiert auf einem Sozialversicherungssystem mit Versicherungspflicht. Die Zugehörigkeit zu einer der Krankenkassen ist an das Beschäftigungsverhältnis und/oder den Wohnort gekoppelt; es besteht keine Kassenwahlfreiheit (Rump & Schöffski, 2018). Nahezu alle Aspekte der Krankenversicherung werden durch den Staat reguliert (Tikkanen et al., 2020), und der Staat bzw. die Krankenkassen tragen mit 84,7 % den Großteil der Gesundheitsausgaben. Im Jahr 2021 beliefen sich diese in Japan mit rund 460 Milliarden Euro auf 10,8 % des japanischen BIP (Statista, 2024; WHO, 2024). Der Anteil der Arzneimittelkosten machte im Jahr 2021 17,8 % der Gesundheitsausgaben aus (OECD, 2025).

109. Nach der Zulassung eines neuen Arzneimittels muss in Japan durch das pU ein **Antrag auf Erstattungsfähigkeit** gestellt werden. Damit beginnt ein Verfahren, dessen Ziel die Eintragung des Arzneimittels auf der Arzneimittelpreisliste der Krankenkassen ist. Dieser Prozess muss 60 Tage, in Ausnahmen 90 Tage nach der Zulassung des Arzneimittels abgeschlossen sein. Den **Preis**, zu dem das Arzneimittel auf dieser Liste eingetragen und somit erstattungsfähig wird, **legt der Staat fest**. Wie ein Preis festgelegt wird, hängt in erster Linie davon ab, ob bereits andere, ähnliche Arzneimittel zugelassen wurden (Sakamoto, 2018). Die Ähnlichkeit der Arzneimittel bezieht sich dabei auf die Indikationen und Wirkungen, den pharmakologischen Wirkmechanismus, die Zusammensetzung der chemischen Struktur sowie die Verabreichungsform und Dosierungsstufe (JPMA, 2024).

110. Bei Arzneimitteln, für die bereits ähnliche Arzneimittel zugelassen wurden, wird der **Preis an den Tagespreis des ähnlichsten bereits zugelassenen Arzneimittels angepasst**. In einigen Fällen kann ein Aufschlag auf diesen Tagespreis gewährt werden: Wenn nachgewiesen werden kann, dass ein Arzneimittel trotz der Ähnlichkeit einen Zusatznutzen aufweist, kann dieser **Aufschlag** zwischen 5 % und 60 % liegen. Wenn das Arzneimittel beispielsweise aufgrund eines neuen Wirkmechanismus als innovativ gilt, sogar zwischen 70 % und 120 %. Der Zusatznutzen bzw. der Grad der Innovation wird anhand von festgelegten Kriterien[42] bewertet. Je höher die Anzahl der zutreffenden Kriterien, desto höher ist der Aufschlag, der gewährt wird. Weitere Aufschläge sind für pädiatrische Indikationen (5 % bis 20 %), Spezialzwecke (5 % bis 20 %) oder für in Japan entwickelte Arzneimittel (10 % bis 20 %) sowie eine besonders schnelle Markteinführung (5 % bis 10 %) möglich. Auch für *Orphan Drugs* können Aufschläge in Höhe von 5 % bis 20 % gewährt werden, um trotz der kleinen Patientenpopulationen die Entwicklung von *Orphan Drugs* zu unterstützen (JPMA, 2024).

111. Wenn ein Arzneimittel zugelassen wird, für das zuvor **keine ähnlichen Arzneimittel** zugelassen wurden, wird der Preis mit Hilfe einer kostenbasierten Methode (dem sogenannten **Cost-Plus-Ansatz**) ermittelt. Dazu werden in einem ersten Schritt die Kosten berechnet, die dem pU für das Arzneimittel entstehen und bereits entstanden sind. Es werden die Produktions- und Importkosten, Verwaltungs-, Verkaufs- und Forschungskosten, Gewinn, Distributionskosten und die Verbrauchsteuer einbezogen. Diese Kosten gehen zu festgelegten Anteilen in die Kalkulation ein. Wenn das neue Arzneimittel nützlicher als die Behandlungsalternative ist, wird auf die so kalkulierten Kosten ein Aufschlag gewährt. Dieser Aufschlag hängt vom Grad der Offenlegung ab, der in einem zweiten Schritt bewertet wird. Mit der Offenlegung ist der Anteil der durch das pU offengelegten Kosten an den gesamten Kosten des Arzneimittels gemeint. Je höher der Anteil der offengelegten

[42] Zu diesen Kriterien zählen neben dem neuen Wirkmechanismus mit klinischem Nutzen auch ein größerer Nutzen oder eine größere Sicherheit als Vergleichstherapien, eine Verbesserung der Therapie von Erkrankungen sowie eine bessere klinische Anwendung durch eine verbesserte Formulierung.

Kosten, desto höher ist dieser Aufschlag. Liegt der Grad der Offenlegung bei unter 50 %, entfällt dieser Aufschlag gänzlich. In einem dritten Schritt werden auch hier analog zu der in Textziffer 110 beschriebenen Methodik Aufschläge z. B. für einen Zusatznutzen oder Innovationen gewährt. Es existiert jedoch keine festgelegte standardisierte Kostenrechnungsmethodik, z. B. mit verbindlichen Bezugsgrößen zur Ermittlung von Gemeinkosten, wie sie in Deutschland von der modularen Kostenmatrix des Instituts für das Entgeltsystem im Krankenhaus für die Kalkulationskrankenhäuser bekannt ist. Es findet außerdem keine Prüfung, z. B. durch Wirtschaftsprüfer, der durch die pU offengelegten Kosten statt.

112. Die Arzneimittelpreise, die auf Basis der in Textziffer 110 und Textziffer 111 erläuterten Methoden ermittelt wurden, werden im Anschluss **mit durchschnittlichen internationalen Preisen verglichen**. Dafür wird der Durchschnitt der Preise in den USA, Deutschland, Frankreich und dem UK gebildet. Wenn der zuvor ermittelte Arzneimittelpreis diesen Durchschnittspreis um mehr als 25 % übersteigt, kommt es zu einer Preisreduktion. In dem Fall, dass der ermittelte Preis diesen Durchschnittspreis um mehr als 25 % unterschreitet, kommt es zu einer Anpassung nach oben (JPMA, 2024; MAMIYA, 2018).

113. Die festgelegten **Preise werden regelmäßig überprüft** (Sakamoto, 2018). Dabei können die bereits erwähnten unterschiedlichen Aufschläge sowohl aberkannt als auch, z. B. im Fall einer Indikationserweiterung, hinzugefügt werden. Auch eine Absatzmenge, die die Erwartungen stark übersteigt, wird bei der Überprüfung mit einbezogen. Dadurch kann es zu einer Preisreduktion von bis zu 50 % kommen. Die genaue Höhe der Preisreduktion hängt unter anderem vom Jahresumsatz ab und davon, wie stark dieser von der Erwartung abweicht (JPMA, 2024).

Hauptunterschiede in der Preisbildung zwischen Japan und Deutschland

114. Die Preisfindung für innovative Arzneimittel unterscheidet sich somit stark zwischen Deutschland und Japan. Während in Japan Arzneimittel, zu denen bereits ähnliche Arzneimittel zugelassen wurden, gänzlich anders bepreist werden als solche, für die es keine ähnlichen Arzneimittel gibt, findet eine solche Differenzierung in Deutschland bei Arzneimitteln im AMNOG-Prozess nicht statt. Weiter werden in Japan in beiden beschriebenen Fällen **diverse Aufschläge**, beispielsweise für *Orphan Drugs*, gewährt. In Deutschland wird ausschließlich der Zusatznutzen als Aufschlag akzeptiert. Die Aufschläge auf die Referenzkosten sind außerdem in ihrer Höhe festgelegt, während sie in Deutschland verhandelt werden. Im Rahmen der **Kostenrechnungsmethode** werden in Japan die Kosten herangezogen, die dem pU für das betreffende Arzneimittel entstanden sind. Eine solche Methodik findet in Deutschland keine Anwendung. Eine direkte Übertragung der Methode auf Deutschland wäre allerdings nicht empfehlenswert, da die in Japan angewandte *Cost-Plus*-Methode weder Standards für die Kostenberechnung vorgibt, noch die Prüfung der Kosten durch eine externe Instanz vorgesehen ist (Näheres zum Thema der *Cost-Plus*-Regulierung siehe Kapitel 5).

2.6 Zusammenfassung der Empfehlungen

115. Der Rat empfiehlt die Einführung eines **extern festgelegten Interimspreises**, dessen Höhe sich – bis auf begründete Ausnahmen – an der wirtschaftlichsten Alternative der festgelegten zVT orientieren sollte. Der weiterhin vom pU frei wählbare Initialpreis würde bis zum Abschluss der

Preisverhandlungen durch einen verpflichtenden Rabatt auf die Höhe dieses Interimspreises gesenkt werden. Die Differenz zwischen dem vorerst festgelegten Interimspreis und dem verhandelten Erstattungsbetrag würde rückwirkend ausgeglichen. Auf diese Weise müsste keine spätere Markteinführung in Deutschland befürchtet werden, da sich durch die Referenzierung auf den weiterhin frei wählbaren Initialpreis für die Referenzierung durch andere Länder nichts ändern würde.

116. Während das pU von den Erstattungsbetragsverhandlungen zurücktreten und auch später das Arzneimittel jederzeit vom deutschen Markt nehmen kann, hat der GKV-SV als Verhandlungspartner aufgrund der garantierten Erstattungsfähigkeit keine solche Möglichkeit. Um dieser Asymmetrie der Verhandlungsmacht entgegenzuwirken, empfiehlt der Rat, dem **GKV-SV** zu **ermöglichen**, nach eingehender Betrachtung der vorliegenden Evidenz **über die Erstattungsfähigkeit zu entscheiden und ggf. von den Preisverhandlungen zurückzutreten**. Dabei sollten neben dem Zusatznutzen des Arzneimittels auch dessen Kosten sowie das Vorhandensein verfügbarer Behandlungsalternativen berücksichtigt werden. Als eine mögliche Ausgestaltung der Infragestellung der Erstattungsfähigkeit, empfiehlt der Rat, wirkstoffübergreifende Ausschreibungen zu ermöglichen, wenn mehrere gleichwertige Arzneimittel auf dem Markt erhältlich sind.

117. Der G-BA legt die zVT fest und kann diese jederzeit – auch im laufenden Verfahren – ändern. Um zu verhindern, dass es aufgrund einer kurzfristig geänderten und in der Folge nicht mehr relevanten zVT zu einem nicht belegten Zusatznutzen kommt, empfiehlt der Rat, eine **verpflichtende Festlegung der zVT** zu **prüfen**. Dies könnte beispielsweise im Rahmen eines Scoping Workshops wenige Monate vor Einreichen des Dossiers erfolgen.

118. Der Rat empfiehlt, die bereits bestehenden Möglichkeiten der **Kosten-Nutzwert-Bewertung** auszuweiten und statt wie bisher auf Antrag nun routinemäßig bei priorisierten Arzneimitteln durchzuführen. Dies würde zusätzliche Informationen für die verhandelnden Parteien liefern und die Vergleichbarkeit der Preisaufschläge für vergleichbare Einheiten von Zusatznutzen über Indikationen hinweg stärken.

119. Weiter empfiehlt der Rat, statt eines kompromissgeleiteten Ansatzes einen antragsgebundenen Ansatz neben möglichen anderen Alternativen zur Entscheidungsfindung für die **Festsetzung des Schiedsspruches** zu prüfen. Der aktuelle Ansatz, einen Kompromiss zwischen den beiden eingereichten Anträgen zu erreichen, führt dazu, dass beide Parteien Maximalforderungen formulieren. Wenn die Schiedsstelle lediglich zwischen konkret beantragten Alternativen entscheiden müsste, statt einen Kompromiss zu verhandeln, könnte dies dazu führen, dass die Anträge realistische und kohärente Vertragsinhalte beinhalten.

120. Der Rat empfiehlt, das **Privileg des fiktiven Zusatznutzens für Orphan Drugs abzuschaffen**. Stattdessen sollten auch diese Arzneimittel mit Markteintritt einer regulären Zusatznutzenbewertung unterzogen werden. Da der Rat gleichzeitig die Notwendigkeit sieht, die Entwicklung und Verfügbarkeit von *Orphan Drugs* mit geeigneten Maßnahmen zu unterstützen, empfiehlt er, den *Orphan-Drug*-Status im Rahmen der Preisverhandlungen als zusätzliches Kriterium zu berücksichtigen.

2.7 Literatur

AMNOG-Schiedsstelle, 2020. Schiedsstelle nach § 130b Abs. 5 SGB V Geschäftsordnung in der Fassung vom 09.11.2019, genehmigt vom Bundesministerium für Gesundheit am 11.03.2020. https://www.schiedsstelle.de/media/dokumente/schiedsstellen/130b/GSchO_130b.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

BfArM, (Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte), 2025. Zentralisiertes Verfahren. https://www.bfarm.de/DE/Arzneimittel/Zulassung/Zulassungsverfahren/Zentralisiertes-Verfahren/_node.html (abgerufen am 1.4.2025).

BfArM, (Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte), 2024. Zulassungsverfahren. https://www.bfarm.de/DE/Arzneimittel/Zulassung/Zulassungsverfahren/_node.html (abgerufen am 4.11.2024).

BMG, (Bundesministerium für Gesundheit), 2025. Festbeträge für Arzneimittel. https://www.bundesgesundheitsministerium.de/service/begriffe-von-a-z/f/festbetraege-fuer-arzneimittel.html (abgerufen am 1.4.2025).

BMG, (Bundesministerium für Gesundheit), 2024. Wie Arzneimittelpreise entstehen und wie man sie senken kann. https://www.bundesgesundheitsministerium.de/arzneimittelpreise#:~:text=Das%20Pharmaunternehmen%20kann%20seinen%20Verkaufspreis,und%20der%20Apotheken%20verg%C3%BCtet%20werden (abgerufen am 1.4.2025).

BMG, (Bundesministerium für Gesundheit), 2016. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. https://www.bundesgesundheitsministerium.de/service/begriffe-von-a-z/i/institut-fuer-qualitaet-und-wirtschaftlichkeit-im-gesundheitswesen.html (abgerufen am 1.4.2025).

Bundesregierung, 1999. Entwurf eines Gesetzes zur Reform der gesetzlichen Krankenversicherung ab dem Jahr 2000 (GKV-Gesundheitsreform 2000), BT-Drs. 454/99.

Bundesregierung, 2010. Entwurf eines Gesetzes zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung (Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz – AMNOG), BT-Drs. 17/3116.

Busse, R., Henschke, C., Panteli, D., Vogler, S., 2022. Arzneimittelmarkt und -versorgung in Deutschland im europäischen Vergleich, in: Schröder, H., Thürmann, P., Telschow, C., Schröder, M., Busse, R. (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2022. Springer Berlin, Heidelberg, S. 279–303. https://doi.org/10.1007/978-3-662-66041-6_20

Busse, R., Panteli, D., Schaufler, J., Schröder, H., Telschow, C., Weiss, J., 2016. Preise patentgeschützter Arzneimittel im europäischen Vergleich. Die deutschen Arzneimittelpreise im Vergleich zu den Listenpreisen in fünf ausgewählten europäischen Ländern, Wissenschaftliches Institut der AOK; Technische Universität Berlin, Berlin. https://www.wido.de/fileadmin/Dateien/Dokumente/Forschung_Projekte/Arzneimittel/wido_arz_preise_eu_vergleich_2016.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

Büssgen, M., Stargardt, T., 2022. Changes in launch delay and availability of pharmaceuticals in 30 European markets over the past two decades. BMC Health Serv Res 22, 1, S. 1457. https://doi.org/10.1186/s12913-022-08866-7

CEPS, (Comité économique des produits de santé), 2024. Rapport d'activité 2022. https://sante.gouv.fr/IMG/pdf/ra_ceps_2022.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

d'Andon, A., 2024. Stärken und Schwächen von HTA in Frankreich. Interdisziplinäre Plattform zur Nutzenbewertung, AMNOG 2.0: Auf dem Weg zu einem effizienten System, 18, S. 34–40. https://www.aerztezeitung.de/Dateien/AMNOG20-Auf-dem-Weg-zu-einem-effizienten-System-d-751.pdf (abgerufen am 17.4.2025).

Deutscher Bundestag, 2024. Evaluationsbericht über die Auswirkungen der Änderungen durch das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz auf die Versorgung mit Arzneimitteln (Unterrichtung durch die Bundesregierung Drucksache 20/10008), Berlin. https://dserver.bundestag.de/btd/20/100/2010008.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

Eurostat, 2025. Health care expenditure by function. https://ec.europa.eu/eurostat/databrowser/view/HLTH_SHA11_HC__custom_12828091/default/table?lang=en (abgerufen am 1.4.2025).

ExpertInnenrat „Gesundheit und Resilienz", 2024. 2. Stellungnahme des ExpertInnenrats „Gesundheit und Resilienz", ExpertInnenrat „Gesundheit und Resilienz". https://www.bundesregierung.de/resource/blob/975196/2299664/547bb80c349fd4a46b74d17928eba02d/2024-07-18-expertinnenrat-stellungnahme-2-data.pdf?download=1 (abgerufen am 1.4.2025).

Flintrop, J., 2024. Zweckmäßige Vergleichstherapie. Dtsch Arztebl 15, 121, S. A-1026/B-886.

Fraktionen der CDU/CSU, SPD und FDP, 1992. Entwurf eines Gesetzes zur Sicherung und Strukturverbesserung der gesetzlichen Krankenversicherung (Gesundheits-Strukturgesetz), BT-Drs. 12/3608.

GKV-SV, (GKV-Spitzenverband), 2024. Stellungnahme des GKV-Spitzenverbandes zum Gesetzentwurf eines Medizinforschungsgesetzes. https://www.gkv-spitzenverband.de/media/dokumente/presse/p_stellungnahmen/20240607_GKV-SV_STN_MFG.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Greiner, W., Batram, M., Gensorowsky, D., Witte, J., 2022. AMNOG-Report 2022: Orphan Drugs – Erstattungs- und Versorgungsherausforderungen, Beiträge zur Gesundheitsökonomie und Versorgungsforschung. medhochzwei Verlag, Heidelberg.

Greiner, W., Witte, J., Gensorowsky, D., 2024. AMNOG-Kurzreport 2024: Vertrauliche Erstattungsbeträge. Fluch oder Segen?, Beiträge zur Gesundheitsökonomie und Versorgungsforschung 46. medhochzwei Verlag, Heidelberg.

Greiner, W., Witte, J., Gensorowsky, D., Diekmannshemke, J., 2023. AMNOG-Report 2023: Das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz und seine Auswirkungen, Beiträge zur Gesundheitsökonomie und Versorgungsforschung 43. medhochzwei Verlag, Heidelberg.

HAS, (Haute Autorité de Santé), 2024. Commission de la transparence rapport d'activité 2023. https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2024-06/rapport_dactivite_2023_de_la_ct.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

HAS, (Haute Autorité de Santé), 2023. Doctrine de la commission de la transparence (CT), Saint-Denis. https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-03/doctrine_ct.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

HAS, (Haute Autorité de Santé), 2022. Règlement intérieur de la Commission de la Transparence, Saint-Denis. https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2020-11/reglement_interieur_commission__de_la_transparence__19112020.pdf (abgerufen am 5.11.2024).

HAS, (Haute Autorité de Santé), 2021. Commission de la transparence rapport d'activité 2020, Saint-Denis. https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-06/ra_2020_ct_vdef.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

HAS, (Haute Autorité de Santé), 2013. Le service médical rendu (SMR) et l'amélioration du service médical rendu (ASMR). https://www.has-sante.fr/jcms/r_1506267/fr/le-service-medical-rendu-smr-et-l-amelioration-du-service-medical-rendu-asmr (abgerufen am 1.4.2025).

HAS, (Haute Autorité de Santé), 2011. Accompagnement des mesures de déremboursement de médicaments Novembre 2011 Messages pour les médecins et pharmaciens Service médical rendu insuffisant et déremboursement. https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2011-12/smrinsuffisant_generalites.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

Hecken, J., Lelgemann, M., Maag, K., 2023. Stellungnahme der hauptamtlichen unparteiischen Mitglieder des Gemeinsamen Bundesausschusses vom 08.06.2023 zum Gesetzentwurf der Bundesregierung. Entwurf eines Gesetzes zur Bekämpfung von Lieferengpässen bei patentfreien Arzneimitteln und zur Verbesserung der Versorgung mit Kinderarzneimitteln, Gemeinsamer Bundesausschuss. https://www.g-ba.de/downloads/17-98-5503/2023-06-08-PA-AfG_G-BA_Stellungnahme_RegEALBVVG.pdf (abgerufen am 8.1.2025).

IQWiG, (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), 2025. Surrogatendpunkt. https://www.iqwig.de/sonstiges/glossar/surrogatendpunkt.html#:~:text=Endpunkte%2C%20die%20selbst%20nicht%20von,Surrogatendpunkt%20f%C3%BCr%20Vermeidung%20eines%20Schlaganfalls (abgerufen am 1.4.2025).

IQWiG, (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), 2023. Allgemeine Methoden-Version 7.0, Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), Köln. https://www.iqwig.de/methoden/allgemeine-methoden_version-7-0.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

IQWiG, (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), 2022. 2. Arzneimittel-Zulassung und -Nutzenbewertung in anderen Ländern. https://www.iqwig.de/presse/im-fokus/neue-arzneimittel-zulassung-nutzenbewertung-erstattung/2-arzneimittel-zulassung-und-nutzenbewertung-in-anderen-laendern/#:~:text=Die%20vierte%20H%C3%BCrde,von%20einer%20%22vierten%20H%C3%BCrde%22 (abgerufen am 1.4.2025).

IQWiG, (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), 2021. Evidenz zu Orphan Drugs (Arbeitspapier GA21-01), Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen,

Köln, IQWiG-Berichte – Nr. 1269. https://www.iqwig.de/download/ga21-01_evidenz-zu-orphan-drugs_arbeitspapier_v1-0.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

Jablonka, S., Bogum, J., Opitz, G., 2021. Arzneimittel – Ein neuer Weg zu fairen Preisen. G+G 6/2021.

JPMA, (Pharmaceutical Industrial Policy Committee), 2024. Japan's NHI Pricing System.

Lukat, S., Götting, U., 2024. Die Festbetragsregelung im AMNOG-Markt – ein Blick aus der Praxis. MVF 2024, 06, S. 60–67. https://doi.org/10.24945/MVF.06.24.1866-0533.2670

MAMIYA, H., 2018. Update of Drug Pricing System in Japan.

Mangiapane, S., Velasco Garrido, M., 2009. Surrogatendpunkte als Parameter der Nutzenbewertung, Schriftenreihe Health Technology Assessment (HTA) in der Bundesrepublik Deutschland; 91; ISSN 1864-9645. DIMDI. https://doi.org/10.3205/HTA000074L

Minery, S., Or, Z., 2024. Comparaison des dépenses de santé en France et en Allemagne, Institut de recherche et documentation en économie de la santé, Paris. https://www.irdes.fr/recherche/rapports/590-comparaison-des-depenses-de-sante-en-france-et-en-allemagne.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

Newton, M., Stoddart, K., Travaglio, M., Troein, P., 2024. EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2023 Survey, IQVIA. https://efpia.eu/media/vtapbere/efpia-patient-wait-indicator-2024.pdf (abgerufen am 2.4.2025).

OECD, (Organisation for Economic Co-operation and Development), 2025. Pharmaceutical spending. https://www.oecd.org/en/data/indicators/pharmaceutical-spending.html?oecdcontrol-0ad85c6bab-var1=AUS%7CAUT%7CBEL%7CCAN%7CCHL%7CCOL%7CCRI%7CCZE%7CDNK%7CEST%7CFIN%7CFRA%7CDEU%7CGRC%7CHUN%7CISL%7CIRL%7CISR%7CITA%7CJPN%7CKOR%7CLVA%7CLTU%7CLUX%7CMEX%7CNLD%7CNZL%7CNOR%7CPOL%7CPRT%7CSVK%7CSVN%7CESP%7CSWE%7CCHE%7CTUR%7CGBR%7CUSA&oecdcontrol-0ad85c6bab-var2=FRA (abgerufen am 1.4.2025).

OECD, (Organisation for Economic Co-operation and Development), EU, (European Union), 2022. Health at a Glance: Europe 2022: State of Health in the EU Cycle, Health at a Glance: Europe. OECD. https://doi.org/10.1787/507433b0-en

Rasch, A., 2022. Änderungen der zweckmäßigen Vergleichstherapie. Monitor Versorgungsforschung , 05, S. 32–36. https://doi.org/10.24945/MVF.05.22.1866-0533.2440

Richard, S., Jablonka, S., Bogum, J., Opitz, G., Wolf, C., 2021. Reformbedarf für angemessene Arzneimittelpreise aus Sicht der gesetzlichen Krankenkasse, in: Schröder, H., Thürmann, P., Telschow, C., Schröder, M., Busse, R. (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2021. Springer Berlin Heidelberg, S. 177–189. https://doi.org/10.1007/978-3-662-63929-0_12

Rump, A., Schöffski, O., 2018. Das japanische Gesundheitssystem: Analyse von Finanzierung und Vergütung. Gesundheitswesen 80, 10, S. 897–909. https://doi.org/10.1055/s-0043-114001

Sakamoto, H., 2018. Japan health system review. World Health Organization, Regional Office for South-East Asia on behalf of the Asia Pacific Observatory on Health Systems and Policies, New Delhi, India.

Schröder, M., Telschow, C., 2021. Entwicklung der Arzneimittelkosten und -preise in der Versorgung, in: Schröder, H., Thürmann, P., Telschow, C., Schröder, M., Busse, R. (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2021. Springer Berlin Heidelberg, S. 65–78. https://doi.org/10.1007/978-3-662-63929-0_5

Statista, 2024. Gesundheitsfinanzierung. https://de.statista.com/outlook/co/gesundheitsindikatoren/japan#gesundheitsfinanzierung (abgerufen am 1.4.2025).

SVR, (Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen), 2014. Bedarfsgerechte Versorgung - Perspektiven für ländliche Regionen und ausgewählte Leistungsbereiche.

Tikkanen, R., Osborn, R., Mossialos, E., Djordjevic, A., Wharton, G., 2020. International profiles of health care systems (Nr. 12). https://www.commonwealthfund.org/sites/default/files/2020-12/International_Profiles_of_Health_Care_Systems_Dec2020.pdf (abgerufen am 2.4.2025).

TLV, (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket), 2022. International price comparison 2022. An analysis of Swedish pharmaceutical prices in relation to 19 other European countries, Stockholm. https://www.tlv.se/download/18.12c69789187230f29b822802/1680069871440/report_international_price_comparison_2022_130-2023.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

Vogler, S., 2018. Marktzugang, Erstattung und Preissetzung neuer patentgeschützter Arzneimittel in der Europäischen Union, in: Schwabe, U., Paffrath, D., Ludwig, W.-D., Klauber, J. (Hrsg.), Arzneiverordnungs-Report 2018. Springer Berlin, Heidelberg, S. 239–260. https://doi.org/10.1007/978-3-662-57386-0_7

WHO Regional Office for Europe, 2018. Medicines reimbursement policies in Europe, World Health Organization. Regional Office for Europe, Kopenhagen. https://iris.who.int/handle/10665/342220 (abgerufen am 1.4.2025).

WHO, (World Health Organization), 2024. Global Health Expenditure Database. https://apps.who.int/nha/database/ViewData/Indicators/en (abgerufen am 2.4.2025).

Wouters, O. J., Kanavos, P. G., 2017. A comparison of generic drug prices in seven European countries: a methodological analysis. BMC Health Serv Res 17, 1, S. 242. https://doi.org/10.1186/s12913-017-2184-5

Wouters, O. J., Kanavos, P. G., McKEE, M., 2017. Comparing Generic Drug Markets in Europe and the United States: Prices, Volumes, and Spending. Milbank Quarterly 95, 3, S. 554–601. https://doi.org/10.1111/1468-0009.12279

3 Europäischer Kontext

3.1 EU-Kompetenzen in der Arzneimittelregulierung

121. Zu den geltenden **EU-Rechtsvorschriften**, die alle EU-Mitgliedstaaten in Bezug auf die Zulassung und Überwachung von Arzneimitteln einhalten müssen, gehört die Richtlinie 2001/83/EG zur Schaffung eines Gemeinschaftskodexes für Humanarzneimittel. Sie regelt die Herstellung, das Inverkehrbringen und die Überwachung dieser Arzneimittel in der EU und soll deren Sicherheit, Qualität und Wirksamkeit sicherstellen. Die Entwicklung, die Zulassung und die Überwachung von *Orphan Drugs*, Kinderarzneimitteln und Arzneimitteln für neuartige Therapien (ATMPs, *Advanced Therapy Medicinal Products*), werden in den Verordnungen (EG) Nr. 141/2000, Nr. 1901/2006 und Nr. 1394/2007 näher spezifiziert.

122. Die Verordnung (EG) Nr. 726/2004 zur Festlegung von Gemeinschaftsverfahren für die Genehmigung und Überwachung von Human- und Tierarzneimitteln und zur Errichtung einer **Europäischen Arzneimittel-Agentur** (EMA, European Medicines Agency) regelt das **zentralisierte Verfahren** zur Zulassung von Arzneimitteln innerhalb der EU. Pharmazeutische Unternehmen (pU) haben für das Inverkehrbringen ihrer Produkte innerhalb der EU grundsätzlich verschiedene Möglichkeiten. Sie können in vielen Fällen zwischen zentralem und nationalem/dezentralisiertem Verfahren wählen (siehe auch Kapitel 2).[43] Im Rahmen des zentralen Zulassungsverfahrens wird ein Antrag auf Genehmigung für das Inverkehrbringen bei der EMA eingereicht. Dort wird im Ausschuss für Humanarzneimittel, in dem Wissenschaftler*innen aus allen europäischen Zulassungsbehörden zusammenarbeiten, eine Beurteilung des Antrags durchgeführt und eine Empfehlung zur Erteilung oder Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen an die Europäische Kommission ausgesprochen. Sobald die zentralisierte Zulassungsgenehmigung von der Europäischen Kommission erteilt wurde, gilt sie – in der Regel zunächst für fünf Jahre – in allen EU-Mitgliedstaaten (BfArM, 2024; EMA, 2023). Eine Marktzulassung, also die Erlaubnis, ein Arzneimittel in Verkehr zu bringen, führt nicht zwangsläufig zu einer Markteinführung in allen Mitgliedstaaten, d. h. EU-weit zugelassene Arzneimittel sind nicht unbedingt in allen EU-Mitgliedstaaten verfügbar.

123. Gemäß der Kompetenzverteilung in der Gesundheitspolitik zwischen der EU und ihren Mitgliedstaaten (siehe Exkurs in Textziffer 125) werden die **Entscheidungen über die Erstattungspreise von Arzneimitteln, anders als die Zulassungsentscheidungen, nicht zentral** (oder

[43] Für bereits im europäischen Wirtschaftsraum zugelassene Produkte gibt es zudem das Verfahren der gegenseitigen Anerkennung.

dezentral mit Wirkung für die gesamte EU-Ebene), sondern in jedem der einzelnen Mitgliedstaaten mit Wirkung nur für den jeweiligen Mitgliedstaat getroffen. Abbildung 3-1 gibt einen Überblick über die Zuständigkeiten aus deutscher Sicht.

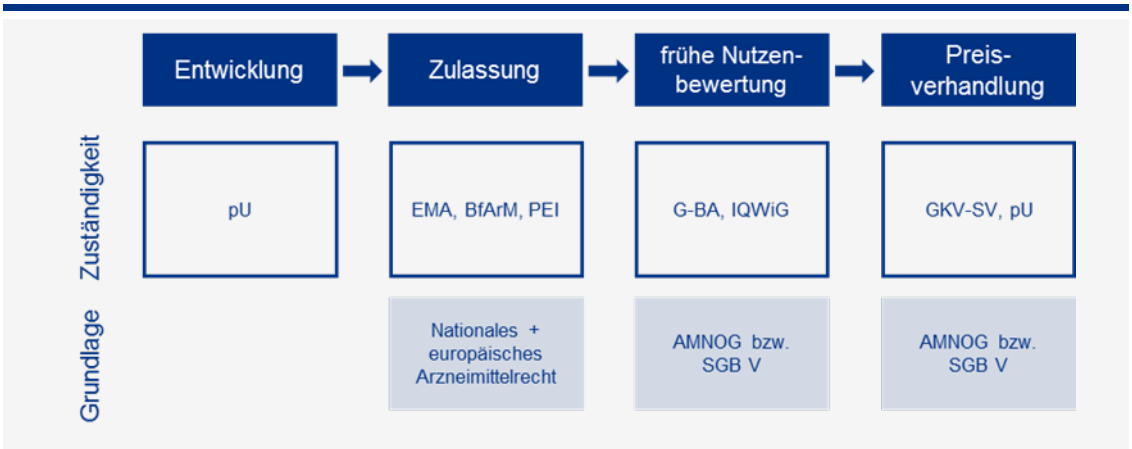

Abbildung 3-1: Nationale und europäische Zuständigkeiten bei Entwicklung, Zulassung, Bewertung und Bepreisung von Arzneimitteln

AMNOG = Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz; BfArM = Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte; EMA = European Medicines Agency; G-BA = Gemeinsamer Bundesausschuss; GKV-SV = GKV-Spitzenverband; IQWiG = Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen; PEI = Paul-Ehrlich-Institut; pU = pharmazeutisches Unternehmen.

Quelle: Eigene Darstellung in Anlehnung an IQWiG (2025a).

124. Im Zuge der SARS-CoV-2-Pandemie wurde die **Rolle der EMA bei der Krisenvorsorge und -bewältigung** in Bezug auf Arzneimittel und Medizinprodukte mit der Verordnung (EU) 2022/123 gestärkt (siehe dazu auch SVR, 2023, Abschnitt 4.2.3). Dabei wurde die „Lenkungsgruppe für Engpässe bei Arzneimitteln“ eingerichtet. Der Gruppe gehören Vertreter*innen der EMA, der Mitgliedstaaten und der Europäischen Kommission an (Artikel 3 Abs. 2 der Verordnung (EU) 2022/123).[44] Sie überwacht Angebot und Nachfrage bei kritischen Arzneimitteln, um potentielle oder tatsächliche Engpässe festzustellen. Hinsichtlich möglicher Koordinierungsmaßnahmen auf EU-Ebene gibt sie zudem Empfehlungen, mit denen Engpässe verhindert oder ihre Auswirkungen abgemildert werden können. Die EMA überwacht in Zusammenarbeit mit den Mitgliedstaaten außerdem laufend Vorkommnisse, die zu einem Großereignis oder einer Notlage im Bereich der öffentlichen Gesundheit führen können (EMA, 2023).

Exkurs: Rechtsetzungskompetenzen der EU im Arzneimittel-Bereich

125. Der Vertrag über die Arbeitsweise der Europäischen Union (AEUV) definiert die Kompetenzen der EU im Bereich Gesundheit. In vielen Bereichen kann die EU die Gesundheitspolitik der Mitgliedstaaten ergänzen und fördern (Artikel 168 Abs. 1 AEUV) bzw. koordinieren (Artikel 5 AEUV). Grundsätzlich aber liegt die Zuständigkeit für die Gesundheitspolitik bei den Mitgliedstaaten (Artikel 2 Abs. 5 AEUV i. V. m. Artikel 6 Buchstabe a AEUV); eine

[44] Für Deutschland nimmt ein Vertreter des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte teil (EMA, 2025a).

EU-rechtliche Harmonisierung „der medizinischen Versorgung sowie [der] Zuweisung der dafür bereitgestellten Mittel“ ist insofern ausgeschlossen (Artikel 168 Abs. 7 AEUV).

Von dem Harmonisierungsverbot ausgenommen sind gemäß Artikel 168 Abs. 4 AEUV Maßnahmen zur Festlegung hoher Qualitäts- und Sicherheitsstandards für Organe und Substanzen menschlichen Ursprungs, für Blut und Blutderivate sowie für Arzneimittel und Medizinprodukte und Maßnahmen in den Bereichen Veterinärwesen und Pflanzenschutz, die unmittelbar den Schutz der Gesundheit der Bevölkerung zum Ziel haben. Dabei handelt es sich um Bereiche der geteilten Zuständigkeit (Artikel 2 Abs. 2 AEUV i. V. m. Artikel 4 Abs. 2 Buchstabe k AEUV). Für „gemeinsame Sicherheitsanliegen im Bereich der öffentlichen Gesundheit“ öffnet Artikel 4 Abs. 2 Buchstabe k AEUV eine Harmonisierungsoption „hinsichtlich der in diesem Vertrag genannten Aspekte“; Artikel 168 Abs. 4 AEUV benennt diese Aspekte konkreter – u. a. eben Arzneimittel – mit der Maßgabe, bei ihrer Harmonisierung „den gemeinsamen Sicherheitsanliegen Rechnung zu tragen.“

Bereits seit den 1960er Jahren gab es in der damaligen EWG (dann EG, jetzt EU) Gesetzgebung zur Regulierung von Arzneimitteln, um den grenzüberschreitenden Handel mit diesen zu ermöglichen bzw. zu erleichtern. Das vorrangige Ziel dieser Maßnahmen war „die Verwirklichung des Binnenmarktes“ (zuvor: des Gemeinsamen Marktes). „Rechtsgrundlage war demnach in vielen Fällen der ‚Binnenmarkt-Artikel‘ 114 AEUV.“ Allerdings enthielt dieser Artikel, auch in vorhergehenden Fassungen (Artikel 95 EGV), die Verpflichtung, dass die Kommission in ihren auf ihn gestützten „Vorschlägen ‚in den Bereichen Gesundheit, Sicherheit, Umweltschutz und Verbraucherschutz von einem hohen Schutzniveau‘ ausgeht, und dass Rat und Europäisches Parlament ‚im Rahmen ihrer jeweiligen Befugnisse dieses Ziel ebenfalls [anstreben]‘.“ (Niggemeier, 2015, Rn 4).

Ein eigener Artikel zu *Public Health* – in der deutschen Fassung missverständlich mit „Gesundheitswesen“ übertitelt (siehe Niggemeier, 2015, Rn 10 ff.) – wurde erstmals im Vertrag von Maastricht 1993 eingeführt und enthält seit dem Vertrag von Amsterdam aus dem Jahr 1999 (in den Verträgen von Nizza 2003 und Lissabon 2009 insoweit nicht geändert) in seinem ersten Absatz die Verpflichtung, „bei der Festlegung und Durchführung aller Unionspolitiken und -maßnahmen [in den Vertragsfassungen vor 2009: Gemeinschaftspolitiken und -maßnahmen] […] ein hohes Gesundheitsschutzniveau“ sicherzustellen (Artikel 168 Abs. 1 AEUV).

Der an ablehnenden Referenden in Frankreich und den Niederlanden gescheiterte EU-Verfassungsvertrag von 2004 hätte eine explizite (nicht mehr aus dem Binnenmarktartikel herauszulesende) Rechtsetzungskompetenz „zur Festlegung hoher Qualitäts- und Sicherheitsstandards für Arzneimittel und Medizinprodukte“ eingeführt – und zwar im vorgesehenen Gesundheitsartikel III-278 Abs. 4. Diese Formulierung wurde im Vertrag von Lissabon unter Buchstabe c) textidentisch in Artikel 168 Abs. 4 AEUV übernommen (siehe Niggemeier, 2015, Rn 47). Ihren Vorschlag einer Verordnung über die Bewertung von Gesundheitstechnologien (HTA, *Health Technology Assessment*) hatte die Kommission allein auf den Binnenmarktartikel als Rechtsgrundlage gestützt, da es nicht um die Regulierung von Sicherheits- und Qualitätsstandards ging.[45] Im Gesetzgebungsverfahren zwischen Rat und Europäischem Parlament wurde Artikel 168 AEUV als gleichberechtigte Rechtsgrundlage

[45] Zur HTA-Verordnung (EU) 2021/2282 siehe Abschnitt 3.3.

hinzugefügt (siehe dazu die Erläuterung in Erwägungsgrund 11 der endgültigen Fassung der Verordnung).

EU-rechtlich reguliert ist auch der Austausch zwischen der EMA und den Mitgliedstaaten u. a. zur Überwachung klinischer Prüfungen und Durchführung von Inspektionen bei Arzneimittelherstellern sowie über Meldungen von unerwünschten Arzneimittelwirkungen, der durch gemeinsame Vorschriften und Anforderungen erleichtert wird (EMA, 2023). Meldungen zu Verdachtsfällen von Arzneimittelnebenwirkungen, die vor und/oder nach der Zulassung eines Arzneimittels beobachtet werden, werden über die von der EMA betriebene Datenbank EudraVigilance übermittelt. Die Verantwortung für ggf. umzusetzende regulatorische Maßnahmen liegt bei den europäischen und den nationalen Arzneimittelbehörden. Mögliche Maßnahmen umfassen z. B. Warnhinweise, Änderungen in der Produktinformation oder sogar das Zurückziehen eines Arzneimittels vom Markt zur Gewährleistung der Patientensicherheit (EMA, 2024).[46]

3.2 Möglichkeiten der gemeinsamen Arzneimittelbeschaffung in der EU

126. Eine staatenübergreifende Beschaffung von Arzneimitteln kann die Verhandlungsmacht der Nachfrageseite stärken und somit niedrigere Preise begünstigen. In der EU wurden Rahmenbedingungen für eine gemeinsame Beschaffung durch die Vereinbarung über die **gemeinsame Beschaffung von medizinischen Gegenmaßnahmen für grenzüberschreitende Gesundheitsverfahren** (JPA, Joint Procurement Agreement, C(2014) 2258 final) aus dem Jahr 2014 geschaffen, die bisher von 38 Staaten unterzeichnet wurde – darunter alle EU-Staaten und die des europäischen Wirtschaftsraumes, Albanien, Bosnien und Herzegowina, Kosovo, Moldau, Montenegro, Nordmazedonien, Serbien sowie UK. Auslöser für die Entwicklung dieses Verfahrens war die H1N1-Influenzapandemie im Jahr 2009, bei der sich die Beschaffung von Impfstoffen und anderen Arzneimitteln gegen die sogenannte Schweinegrippe aufgrund unterschiedlicher Kaufkraft und Verhandlungsstärke insbesondere für einige Mitgliedstaaten als schwierig erwiesen hatte (Europäische Kommission, 2025a). Ziele der gemeinsamen Beschaffung waren laut Beschluss Nr. 1082/2013/EU[47] des Europäischen Parlaments und des Rates günstigere Preise und höhere Flexibilität. Zudem sollte ein gleichberechtigter Zugang der Mitgliedstaaten angesichts weltweit begrenzter Produktionskapazitäten gewährleistet werden, um so z. B. den Impfbedarf der Bürger*innen während einer Pandemie besser decken zu können (siehe Erwägungsgrund 13 des

[46] Zur umfassenden Gewährleistung der Patientensicherheit, insbesondere zur Detektierung von seltenen unerwünschten Arzneimittelwirkungen und von Langzeitwirkungen, ist darüber hinaus die stärkere Nutzung von Registern empfehlenswert (siehe dazu Abschnitt 3.4 und Kapitel 4).

[47] Der Beschluss wurde mit der Verordnung (EU) 2022/2371 des Rates und des Europäischen Parlamentes vom 23. November 2022 zu schwerwiegenden grenzüberschreitenden Gesundheitsgefahren aufgehoben; die gemeinsame Beschaffung ist nunmehr in Artikel 12 (zuvor Artikel 5) weiterhin als Kann-Bestimmung geregelt. Für den Fall einer akuten „gesundheitlichen Notlage auf Unionsebene“ wurde ferner, gestützt auf Artikel 122 AEUV, die Verordnung (EU) 2022/2372 des Rates erlassen. Diese schafft einen „Notfallrahmen“ (Artikel 1 der Verordnung) mit verschiedenen Handlungsoptionen, deren situationsabhängige Aktivierung u. a. (in Artikel 8) „Beschaffung, Ankauf und Herstellung medizinischer Gegenmaßnahmen“ ermöglicht.

Beschlusses Nr. 1082/2013/EU). Das JPA bezieht sich auf **medizinische Gegenmaßnahmen wie Impfstoffe und antivirale Mittel** (Europäische Kommission, 2025a).[48]

127. Das JPA ist ein **freiwilliger Mechanismus**: Ein gemeinsames Vergabeverfahren kann eingeleitet werden, wenn sich mindestens vier Mitgliedstaaten sowie die Kommission dafür aussprechen und am Verfahren teilnehmen, wobei jeder Teilnehmerstaat den anderen Staaten einen Vorschlag zur gemeinsamen Beschaffung medizinischer Gegenmaßnahmen unterbreiten kann (Artikel 13 C(2014) 2258 final). Parallel zu einem gemeinsamen Beschaffungsverfahren können die Teilnehmerstaaten weiterhin nationale Beschaffungsverfahren einleiten. Dabei können sie mit denselben Unternehmen verhandeln, die an einem gemeinsamen Beschaffungsverfahren beteiligt sind. Mit dem JPA wird somit versucht, die Vorteile einer gemeinsamen Beschaffung ohne die Nachteile der Aufgabe von Souveränität zu erlangen. Das bedeutet jedoch u. a., dass Situationen entstehen können, in denen die EU in Konkurrenz zu den Mitgliedstaaten als Nachfrager auftritt (Sachverständigenrat zur Begutachtung der gesamtwirtschaftlichen Entwicklung, 2020, Seite 205).

128. Bei der Bekämpfung der SARS-CoV-2-Pandemie war das JPA-Verfahren von großer Bedeutung und trug dazu bei, dass bis zu 36 Teilnehmerstaaten im Rahmen von zwölf gemeinsamen Beschaffungsverfahren Zugang zu Impfstoffen, innovativen Arzneimitteln, Tests sowie Schutz- und medizinischer Ausrüstung erhielten (Europäische Kommission, 2025a). Tabelle 3-1 bietet einen Überblick über die gemeinsamen Beschaffungsverfahren für Arzneimittel während der SARS-CoV-2-Pandemie. Seit dem Jahr 2021 liegt die Umsetzung des Mechanismus bei der im Zusammenhang mit der Pandemie neu eingerichteten **Behörde für die Krisenvorsorge und -reaktion bei gesundheitlichen Notlagen** (Health Emergency Preparedness and Response Agency; siehe dazu auch SVR, 2023, Abschnitt 4.2.3).

129. Die Nutzung des JPA für die gemeinsame Beschaffung hochpreisiger Medikamente wie *Orphan Drugs*, rheumatologischer oder onkologischer Medikamente ist bisher nicht möglich, da die aktuelle rechtliche Grundlage des JPA ausschließlich die Beschaffung medizinischer **Gegenmaßnahmen gegen grenzüberschreitende Gesundheitsbedrohungen** erlaubt (Vogler et al., 2022).

[48] „Gegenmaßnahmen“ ist in den einschlägigen EU-Texten der Oberbegriff für verschiedene Maßnahmen, die helfen sollen, grenzüberschreitende Gesundheitskrisen zu bewältigen, z. B. Arzneimittel, Impfstoffe, Masken u. Ä.

Produkt	Verfügbarkeit	Auftragsvolumen	Finanzielle Obergrenze
Arzneimittel für Intensivstationen	Oktober 2020 bis September 2022	103 Mio. Flaschen von 19 Arzneimitteln (Analgetika, Antibiotika, Muskelrelaxantien, Anästhetika, Reanimation und andere)	543 Mio. Euro
Remdesivir (Veklury)*	Oktober 2020 bis April 2022	Über 500 000 Behandlungseinheiten	3 400 Mio. Euro
Monoklonale Antikörper	April 2021 bis Ende 2021	220 000 Behandlungseinheiten von VIR-7831 (Sotrovimab) 220 000 Behandlungseinheiten von einer Kombination aus Bamlanivimab und Etesevimab 55 000 Behandlungseinheiten von Regn-COV2 (Kombination aus Casirivimab und Imdevimab)	937 Mio. Euro

Tabelle 3-1: Gemeinsame Beschaffungsverfahren für Arzneimittel in der EU während der SARS-CoV-2-Pandemie

* Zwei Vertragsverlängerungen.

Quelle: Eigene Darstellung auf Basis von Europäische Kommission (2025b).

3.3 EU-Verordnung zur Bewertung von Gesundheitstechnologien

130. **Health Technology Assessments** (HTAs), d. h. die Bewertung von Wirksamkeit, Sicherheit sowie von ökonomischen, sozialen und ethischen Aspekten von Gesundheitstechnologien wie Arzneimitteln, Medizinprodukten, Diagnose- und Behandlungsmethoden oder Rehabilitations- und Präventionsmethoden, zielen darauf ab, **den Nutzen einer neuen Gesundheitstechnologie systematisch mit bestehenden Alternativen zu vergleichen**. Auf der Grundlage von HTAs kann die Qualität und Kosteneffizienz gesundheitspolitischer Entscheidungen erhöht werden. So bilden HTAs in vielen Gesundheitssystemen die Grundlage für Entscheidungen über Leistungen und Strukturen eines Gesundheitswesens (IQWiG, 2025b).

131. Bisher wurden HTA-Verfahren **auf nationaler Ebene** durchgeführt, wobei im Rahmen des European Network for Health Technology Assessment (EUnetHTA) bereits seit einigen Jahren eine Zusammenarbeit und ein Wissensaustausch über HTA-Prozesse und Methoden stattfanden (Europäische Kommission, 2025c). Die für HTA-Verfahren erforderlichen Ressourcen werden bislang parallel in verschiedenen Staaten und somit mehrfach aufgewendet. Auch für die Hersteller von Gesundheitstechnologien, welche die für die HTA-Verfahren erforderlichen Daten für mehrere Mitgliedstaaten aufbereiten und einreichen, entstehen mehrfach Kosten.[49] Die nationalen HTA-Berichte führen z. T. zu unterschiedlichen Entscheidungen in den Mitgliedstaaten (Erwägungsgrund 6 der Verordnung (EU) 2021/2282).

[49] Im Entwurf des AMNOG wurden die Kosten der Unternehmen für die Erstellung von (angenommenen) 100 Dossiers im Jahr seinerzeit auf 125 000 Euro geschätzt (Bundesregierung, 2010).

Ziel und Inhalt der EU-HTA-Verordnung

132. Im Dezember 2021 wurde die **Verordnung (EU) 2021/2282** über die Bewertung von Gesundheitstechnologien (HTA-Verordnung) verabschiedet, die eine vergleichende Analyse von Gesundheitstechnologien auf europäischer Ebene vorsieht. Damit soll eine „Verbesserung der für die informierte klinische Entscheidungsfindung verwendeten wissenschaftlichen Evidenz und des Zugangs der Patienten zu Gesundheitstechnologien“ erreicht werden (Erwägungsgrund 5 der Verordnung (EU) 2021/2282). Die HTA-Verordnung sieht die Einrichtung einer **Koordinierungsgruppe** vor (Artikel 3), die die Bewertung von Gesundheitstechnologien auf europäischer Ebene sowie die Zusammenarbeit zwischen Staaten, Unternehmen und Verbänden koordinieren soll. Mitglieder der Koordinierungsgruppe sind von den Mitgliedstaaten ernannte Repräsentanten. Die Kommission fungiert als Sekretariat (Artikel 28).

133. Kernstück der HTAs auf europäischer Ebene sind **gemeinsame klinische Bewertungen** (JCAs, Joint Clinical Assessments) des zusätzlichen Nutzens neuer Gesundheitstechnologien gegenüber bestehenden Therapiealternativen (Artikel 7–15 der Verordnung (EU) 2021/2282). Entwickler neuer Gesundheitstechnologien sind verpflichtet, ein detailliertes Dossier mit allen für die Bewertung relevanten Informationen, Daten und Analysen einzureichen.[50] Die Koordinierungsgruppe legt hierfür gemeinsame methodische Standards fest und bestellt unabhängige Gutachter*innen, die die Daten anhand dieser Standards analysieren und bewerten. Das Ergebnis der Bewertung ist ein **EU-HTA-Bericht** über klinische Aspekte[51], der den Mitgliedstaaten zur Verfügung gestellt wird. Eine Einstufung des Zusatznutzens wird nicht vorgenommen. Seit Januar 2025 sind JCAs zunächst für onkologische Medikamente und ATMPs verpflichtend. Im Jahr 2028 wird die Regelung auf *Orphan Drugs* ausgeweitet, und ab dem Jahr 2030 werden alle neuen Zulassungen den EU-HTA-Bewertungen unterzogen. Die Koordinierungsgruppe hat zudem die Aufgabe, neu entstehende Gesundheitstechnologien im Hinblick auf zukünftige JCAs kontinuierlich zu beobachten.[52]

134. Entwickler von Gesundheitstechnologien können sich von den nationalen HTA-Organisationen und der EMA außerdem **wissenschaftlich beraten** lassen (Joint Scientific Consultations), um eine robuste Datengrundlage für ein späteres JCA, d. h. für einen aussagekräftigen EU-HTA-Bericht, generieren zu können (Artikel 16–21 der Verordnung (EU) 2021/2282). Auch über die gemeinsamen klinischen Bewertungen und wissenschaftlichen Beratungen hinaus strebt die Europäische Kommission eine verstärkte Zusammenarbeit zwischen den Mitgliedstaaten in Bezug auf neue Gesundheitstechnologien an. Die HTA-Verordnung sieht z. B. die Schaffung einer IT-Plattform vor, die den Zugang zu Informationen über die neuen Gesundheitstechnologien erleichtern und die Koordination der Bewertungen verbessern soll.

---

[50] Gemäß der Verordnung muss das Dossier folgenden Anforderungen genügen: Vollständigkeit der vorgelegten Nachweise in Bezug auf die für die Bewertung relevanten verfügbaren Studien und Daten; Eignung der Analysemethoden zur Beantwortung aller im Rahmen der Bewertung zu untersuchenden Fragen; gut strukturierte und transparente Darstellung der Daten und Bereitstellung der den vorgelegten Informationen zugrunde liegenden Dokumentationen (Artikel 9 Abs. 3 der Verordnung (EU) 2021/2282).

[51] Gemäß der Verordnung umfassen die klinischen Bewertungsbereiche „die Feststellung eines gesundheitlichen Problems und die Ermittlung bestehender Gesundheitstechnologie, die Prüfung der technischen Eigenschaften der zu bewertenden Gesundheitstechnologie, ihre relative Sicherheit und ihre relative klinische Wirksamkeit“ (Erwägungsgrund 4 der Verordnung (EU) 2021/2282).

[52] Gemäß der Verordnung ist u. a. ein sogenanntes *horizon scanning* vorzusehen (Erwägungsgrund 42 der Verordnung (EU) 2021/2282). Unter *horizon scanning* werden Maßnahmen zur frühen Erkennung und Bewertung neuer Technologien sowie zur Identifizierung fehlender Technologien zusammengefasst.

Bedeutung der HTA-Verordnung für das deutsche AMNOG-Verfahren

135. Der EU-HTA-Bericht soll die EU-Mitgliedstaaten bei ihren länderspezifischen Entscheidungen zum Zusatznutzen und zur Erstattung neuer Gesundheitstechnologien durch eine koordinierte und standardisierte Bewertung unterstützen. Dabei verbleibt die ausschließliche **Zuständigkeit für Entscheidungen über die Preisgestaltung und Erstattungsfähigkeit bei den Mitgliedstaaten**. Gemäß der HTA-Verordnung sollen die Mitgliedstaaten den klinischen EU-HTA-Bericht „in angemessener Weise" berücksichtigen. Die Zuständigkeit der Mitgliedstaaten, „ihre eigenen Schlussfolgerungen über den gesamten klinischen Zusatznutzen einer Gesundheitstechnologie im Kontext ihres spezifischen Gesundheitssystems" zu ziehen, bleibe unberührt (Artikel 13 Abs. 1 Buchstabe a der Verordnung (EU) 2021/2282). Nicht-klinische (d. h. wirtschaftliche, ethische, organisatorische, soziale und rechtliche) Aspekte bewerten die Mitgliedstaaten weiterhin selbst. Für die Bewertung des Zusatznutzens dürfen sie zudem bei Bedarf ergänzende klinische Analysen durchführen. Dafür sind von den Herstellern ggf. weitere Nachweise vorzulegen. Studien, die für das EU-Verfahren bereits eingereicht wurden, dürfen allerdings nicht ein weiteres Mal angefordert werden. Einschlägige Berichte, die von den nationalen HTA-Behörden erstellt werden, müssen wiederum an die Koordinierungsgruppe weitergeleitet werden (Schnake, 2023). Damit die nationalen Behörden bzw. Institutionen ihre Aufgaben bestmöglich erfüllen können, sollte sichergestellt werden, dass der Informationsfluss zwischen allen Akteuren möglichst lücken- und reibungslos erfolgt.

136. Die HTA-Bewertung durch das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) und den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) bestimmt in Deutschland nicht die Entscheidung über die Erstattungsfähigkeit eines Arzneimittels. Sie bildet aber – gemeinsam mit anderen Aspekten – die Basis für die Verhandlung über den Erstattungsbetrag (siehe Kapitel 2). Abbildung 3-2 stellt dar, wie sich das EU-HTA-Verfahren in den **bisherigen Prozess von Entwicklung, Zulassung, Bewertung und Bepreisung** in Deutschland einfügen könnte. Dabei ist zu beachten, dass die Frist für den Abschluss des EU-HTA-Verfahrens bereits kurz nach der Zulassung endet. Das bedeutet, dass Zulassung und Bewertung auf europäischer Ebene z. T. gleichzeitig ablaufen. Der europäische Nutzenbewertungsbericht wird voraussichtlich 40 Tage nach der Zulassungsentscheidung verfügbar sein. Die EU-HTA-Verfahren werden somit bereits laufen, bevor die Zulassungsentscheidungen vorliegen, die Informationen hinsichtlich Kontraindikationen, etwaiger Sicherheitsbedenken oder bestehender Datenlücken umfassen. In der Anfangsphase der Umsetzung der EU-HTA-Verordnung ist davon auszugehen, dass auch die Bewertung der klinischen Parameter parallel auf nationaler und EU-Ebene erfolgt (Behring, 2023).

137. Das europäische Verfahren wird in methodischer Hinsicht als **grundsätzlich vergleichbar mit dem bisherigen deutschen Verfahren** angesehen. In beiden Verfahren fußt die Evidenz vorrangig auf vergleichenden klinischen Studien und liegt der Fokus auf patientenrelevanten Outcomes (Lange, 2023).[53] Es bestehen allerdings Unsicherheiten darüber, welche Elemente des nationalen HTA-Verfahrens das europäische Verfahren perspektivisch ersetzen kann. Zu beachten ist, dass in den Mitgliedstaaten unterschiedliche Therapiestandards etabliert sind – viele in Deutschland erhältliche Arzneimittel sind nicht in allen anderen europäischen Staaten verfügbar. Das hat Implikationen für den Bewertungsrahmen – vor allem in Bezug auf die Auswahl der Vergleichstherapien (*comparator*) –, der so gesteckt werden sollte, dass der EU-HTA-Bericht in den einzelnen Mitgliedstaaten zur Entscheidungsfindung nutzbar ist. Vorgesehen ist, dass die relevanten

[53] In Kapitel 4 gibt der Rat Empfehlungen zur Weiterentwicklung der Evidenzbasis.

Fragestellungen gemäß dem PICO-Schema (*population, intervention, comparator, outcome*) bei den Mitgliedstaaten abgefragt werden und diese ihre Bewertungsfragen gemäß der jeweils relevanten Population, dem als Vergleich anzuwendenden Therapiestandard und den akzeptierten Endpunkten spezifizieren (Behring, 2023).

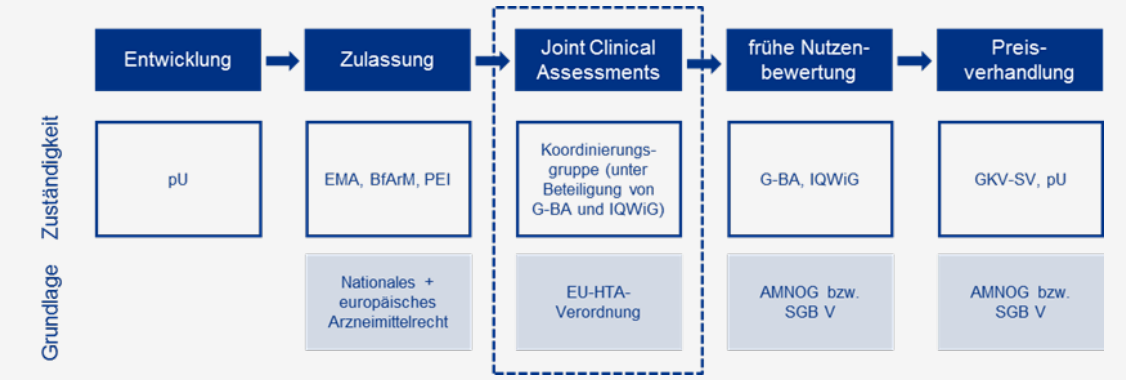

Abbildung 3-2: Deutsche und europäische Zuständigkeiten unter Berücksichtigung der EU-HTA-Verordnung

AMNOG = Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz; BfArM = Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte; EMA = European Medicines Agency; G-BA = Gemeinsamer Bundesausschuss; GKV-SV = GKV-Spitzenverband; HTA = Health Technology Assessment; IQWiG = Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen; PEI = Paul-Ehrlich-Institut; pU = pharmazeutisches Unternehmen.

Quelle: Eigene erweiterte Darstellung in Anlehnung an IQWiG (2025a).

3.4 Forschungsnetzwerke und -strukturen auf EU-Ebene

138. Das European medicines regulatory network identifiziert als Gremium der nationalen und europäischen Zulassungsbehörden die wichtigsten Herausforderungen und strategischen Ziele für eine effiziente und versorgungsorientierte Arzneimittelregulierung. In einem Strategiepapier des Netzwerks wird zu Recht die Bedeutung der **europäischen Gesundheitsdateninfrastruktur** betont (EMA & HMA, 2020).

139. Die Gesundheitsdateninfrastruktur soll durch die Etablierung eines **europäischen Gesundheitsdatenraums** (EHDS, European Health Data Space) weiterentwickelt werden. Mit dem EHDS[54] soll u. a. der Austausch von Gesundheitsversorgungsdaten in der EU erleichtert, der Binnenmarkt für elektronische Patientendatensysteme gefördert sowie ein geeignetes System für die Sekundärnutzung von Gesundheitsdaten für Forschung, Innovation, Politik und Regulierung geschaffen werden (Europäische Kommission, 2025d). Durch die Implementierung des EHDS werden perspektivisch insbesondere die Zugangs- und Verknüpfungsmöglichkeiten von nationalen Gesundheitsdatenbeständen vereinheitlicht (siehe dazu Kapitel 4).

[54] Die einschlägige Verordnung (EU) 2025/327 über den europäischen Gesundheitsdatenraum sowie zur Änderung der Richtlinie 2011/24/EU und der Verordnung (EU) 2024/2847 trat am 26. März 2025 in Kraft und ist in den nächsten Jahren (gestaffelt bis 2035) umzusetzen.

140. Neben dem in Abschnitt 3.3 erwähnten EUnetHTA gibt es weitere **europäische Forschungsnetzwerke und -strukturen**, die für die Bewertung und Bepreisung von Arzneimitteln direkt oder indirekt relevant sein können. Dazu zählen u. a. das Data Analysis and Real World Interrogation Network (DARWIN EU®) und EU-weite Register für seltene Erkrankungen.

Data Analysis and Real World Interrogation Network (DARWIN EU®)

141. Das DARWIN EU® wurde im Jahr 2021 initiiert. Ziel des Netzwerks ist es, versorgungsnahe Daten (VeDa) als ergänzende Informationsquellen für den Zulassungsprozess nutzbar zu machen. Das DARWIN EU® Coordination Centre hat **drei Aufgaben**: 1) Die Erstellung und Pflege einer (Meta-)Datenbank für potentiell geeignete VeDa-Quellen, 2) die Bereitstellung von qualitätsgeprüften und standardisierten VeDa und 3) die Auswertung von VeDa im Rahmen von Studien zur Beantwortung konkreter Fragestellungen (DARWIN EU® Coordination Centre, 2024a).

142. Zur Erfüllung dieser Aufgaben rekrutiert DARWIN EU® sogenannte **Datenpartner**. Dabei handelt es sich um private oder öffentliche Akteure bzw. Institutionen, die Zugang zu relevanten Gesundheitsdaten haben, die bestimmte Auswahlkriterien[55] erfüllen (DARWIN EU® Coordination Centre, 2024b, 2024c). Die Datenquellen durchlaufen eine Qualitäts- und Kompatibilitätsprüfung. Patientenbezogene Daten verbleiben bei den jeweiligen Datenpartnern, können aber für die Durchführung von Beobachtungsstudien genutzt werden (DARWIN EU® Coordination Centre, 2023). Zum Beispiel ist der IQVIA Disease Analyzer Germany Teil des Netzwerks (DARWIN EU® Coordination Centre, 2025).

143. Die **Initiierung von Studien**, die auf der so entstehenden Datengrundlage beruhen, obliegt der EMA, die im Rahmen der Zulassung Evidenzlücken identifiziert, entsprechende Forschungsfragen konkretisiert und – grundsätzliche Machbarkeit vorausgesetzt – das DARWIN EU® Coordination Centre mit der Durchführung beauftragt (DARWIN EU® Coordination Centre, 2023). Perspektivisch sollen auch HTA-Organisationen die Möglichkeit erhalten, Studien (über die EMA) in Auftrag zu geben (EMA, 2025b; zur Bedeutung von VeDa für die Arzneimittelbewertung siehe Kapitel 4).

EU-weite Register für seltene Erkrankungen

144. Für seltene Erkrankungen ist die Durchführung klinischer Studien aufgrund niedriger Fallzahlen und häufig fehlender Therapiealternativen besonders herausfordernd. Die Rekrutierung einer ausreichenden Anzahl von Teilnehmer*innen würde z. T. mehrere Jahre dauern (Videnovic et al., 2023). Abhilfe **können Indikationsregister für seltene Leiden** schaffen (siehe dazu Kapitel 4).

145. Durch die **staatenübergreifende Zusammenarbeit nationaler Register und eine staatenübergreifende Datenerhebung** kann die Datengrundlage perspektivisch verbessert werden. Mit Orphanet und der European Platform on Rare Disease Registration existieren bereits zwei Metaregister auf europäischer Ebene, die Transparenz und Vernetzung innerhalb der Registerstrukturen fördern. Aktuell sind 11 % der in der EU vorhandenen Register an einer europaweiten und 12 % an einer globalen Datenerhebung beteiligt (Orphanet, 2024). Zudem wurden sogenannte Europäische Referenznetzwerke für seltene oder weniger weitverbreitete Krankheiten

[55] Repräsentativ für Versorgungskontext, breite geografische Abdeckung, pseudonymisierte Daten auf Ebene individueller Patient*innen, detaillierte Informationen zur Arzneimitteleinnahme und zu klinischen Ereignissen (inklusive genauen Datumsangaben, Dosis, korrekte Codierung etc.); Daten sind in einem standardisierten Format vorhanden oder sollen in dieses konvertiert werden.

und komplexe Leiden ins Leben gerufen, die ebenfalls Patientenregister auf europäischer Ebene betreiben. Zum Zeitpunkt der Gutachtenfertigstellung (Januar 2025) gab es 24 solcher Referenznetzwerke in der EU und Norwegen (Europäische Kommission, 2025e).

3.5 Arzneimittelstrategie der EU

146. Im Jahr 2020 wurde eine „Arzneimittelstrategie für Europa“ veröffentlicht, **die vielfältige legislative und nichtlegislative Maßnahmen** vorsieht. Diese Strategie soll dazu beitragen, den fairen Zugang zu wesentlichen Arzneimitteln zu gewährleisten, unerfüllten medizinischen Bedarf zu decken, Wettbewerbsfähigkeit, Innovation und Nachhaltigkeit der Arzneimittelindustrie in der EU sowie die Entwicklung hochwertiger, sicherer, wirksamer und umweltfreundlicherer Arzneimittel zu fördern, die Mechanismen zur Krisenvorsorge und -reaktion sowie Lieferketten[56] zu verbessern, Arzneimittelengpässe zu beheben und der EU eine „starke Stimme“ zu verleihen (Europäische Kommission, 2020).

147. Zum Zeitpunkt der Gutachtenerstellung wird über die **Reform des EU-Arzneimittelrechts** verhandelt. Diese Reform gilt als wichtigste Leitinitiative der Arzneimittelstrategie (Europäische Kommission, 2023a). Die Europäische Kommission hat im April 2023 Reformvorschläge vorgelegt (das sogenannte „Pharma-Paket“). Es handelt sich um ein umfangreiches Reformpaket, mit dem verschiedene bestehende Verordnungen ersetzt oder geändert würden. Die vorgeschlagenen Maßnahmen betreffen u. a. den Unterlagenschutz, der grundsätzlich verkürzt, aber unter bestimmten Umständen verlängert werden soll, womit stärkere Innovationsanreize gesetzt werden sollen.[57] Als Kriterien für eine Verlängerung sind die Markteinführung eines Arzneimittels in allen Mitgliedstaaten, die Deckung bislang unbefriedigter medizinischer Bedarfe, die Durchführung klinischer Prüfungen und die Entwicklung neuer therapeutischer Indikationen vorgesehen. Zudem ist eine Incentivierung der Bekämpfung antimikrobieller Resistenzen und der Entwicklung von *Orphan Drugs* vorgesehen, die z. B. über Anpassungen der Marktexklusivitätsregelungen erreicht werden soll (Europäische Kommission, 2023c). Das Europäische Parlament hat sich darüber hinaus u. a. dafür ausgesprochen, das Erreichen bestimmter Forschungs- und Entwicklungsziele, die zur Bekämpfung von antimikrobiellen Resistenzen beitragen, noch vor Marktzulassung finanziell zu belohnen (Europäisches Parlament, 2024). Weitere Kernelemente der Kommissionsvorschläge umfassen u. a. Maßnahmen zur Erhöhung der Transparenz bei der öffentlichen Finanzierung der Arzneimittelentwicklung, zur Vereinfachung und Beschleunigung der Zulassungsverfahren, zur stärkeren Überwachung von Arzneimittelengpässen und für einen verstärkten Umweltschutz (Europäische Kommission, 2023c). Wie die hier exemplarisch genannten und die vielen weiteren vorgeschlagenen Maßnahmen im Einzelnen umgesetzt werden, ist zum Zeitpunkt der Gutachtenerstellung nicht abschließend absehbar.

---

56 Für Empfehlungen zur Stärkung der Lieferketten siehe auch SVR (2023), Kapitel 8.

57 Fast zeitgleich mit den Reformvorschlägen für das EU-Arzneimittelrecht hat die Kommission Vorschläge für neue Patentvorschriften vorgelegt, woraus sich ebenfalls Änderungen für Humanarzneimittel ergeben würden (Europäische Kommission, 2023b).

3.6 Externe Preisreferenzierung in der EU

148. Während die Zulassung sowie zukünftig das HTA-Verfahren auf europäischer Ebene durchgeführt werden (können), sollen die Verhandlungen über den Preis eines Arzneimittels weiterhin den zuständigen Institutionen in den einzelnen Mitgliedstaaten obliegen. Wie in Kapitel 1 dargestellt, weisen die Arzneimittelpreise in Europa deutliche Unterschiede auf. Deutschland gilt als ein Staat mit hohen Arzneimittelpreisen und einem besonders hohen Anteil an in der EU zugelassenen Arzneimitteln, die tatsächlich in Verkehr gebracht werden. Bei der Preisbildung ziehen die meisten Mitgliedstaaten den Preis in einem oder mehreren anderen Staaten als **Referenzpreis** heran (sogenanntes *external price referencing*; siehe z. B. Busse et al., 2016; Vogler, 2021). Zum Beispiel dürfen die Erstattungspreise in Österreich den europäischen Durchschnitt nicht überschreiten (Leopold et al., 2023). Auch in Deutschland waren die Arzneimittelpreise anderer Staaten bislang ein Kriterium, das in den Preisverhandlungen Berücksichtigung fand; allerdings sind zum relativ frühen Zeitpunkt der Preisverhandlungen in Deutschland nur wenige Preisinformationen aus anderen Staaten verfügbar (siehe Kapitel 2).

149. Umgekehrt spielt Deutschland eine wichtige Rolle als **Referenzpreisland**. Deutschland war zuletzt in etwas mehr als der Hälfte der sogenannten Länderkörbe anderer europäischer Staaten vertreten.[58] Auch in vielen nicht-europäischen Staaten wird auf den deutschen Preis referenziert, so z. B. in Japan (JPMA, 2024). Andere Staaten entscheiden sich möglicherweise aufgrund des hohen deutschen Preisniveaus gegen eine Referenzierung auf Deutschland; so begründete jedenfalls die niederländische Regierung kürzlich die Streichung Deutschlands als Referenzland (Government of the Netherlands, 2025).

150. Der internationale Preisvergleich und die Preisreferenzierung werden dadurch erschwert, dass in den meisten Staaten Rabatte auf die öffentlich einsehbaren Listenpreise gewährt werden, deren Höhe geheim ist. Der internationale Preisvergleich wird vor allem dann verzerrt, wenn die **geheimen Rabatte** unterschiedlich hoch sind. Die unterschiedliche Höhe der Rabatte kann nicht eindeutig belegt werden, aber Anhaltspunkte sprechen für relevante Unterschiede (Vogler, 2021, Seite 127). So dokumentiert z. B. eine Studie über Preise von Krebsmedikamenten sowohl bei Listenpreisen als auch bei den darauf gewährten Nachlässen große Unterschiede zwischen einigen ausgewählten europäischen Staaten (Van Harten et al., 2016).

151. Deutschland galt bislang als ein Staat mit **vergleichsweise transparenten Arzneimittelpreisen**. Öffentlich bekannt waren sowohl die zwischen GKV-Spitzenverband (GKV-SV) und pU ausgehandelten Erstattungsbeträge als auch die Höhe der gesetzlich vorgegebenen Herstellerrabatte, die in Abhängigkeit vom Status (u. a. Patentschutz) eines Arzneimittels gewährt werden müssen (siehe dazu Kapitel 2). Einschränkungen der Transparenz können sich auch in Deutschland aus geheimen Rabattverträgen ergeben. Diese spielen vor allem auf dem Generikamarkt eine Rolle, der in diesem Gutachten nicht im Fokus steht. Auch für patentgeschützte Arzneimittel können gemäß § 130c SGB V Selektivverträge über Rabatte zwischen Krankenkassen und pU geschlossen werden. Praktisch spielt das Instrument jedoch im patentgeschützten Bereich keine große Rolle (siehe dazu auch Kapitel 1 und 2).

[58] Übersichten der Länderkörbe europäischer Staaten, d. h. der Zusammenstellung von Gesundheitssystemen, auf die dort jeweils referenziert wird, finden sich z. B. in Busse et al. (2015), Rémuzat et al. (2015) oder Schneider & Vogler (2019); seither haben sich z. T. Änderungen der Länderkörbe ergeben.

152. Aus dem **Medizinforschungsgesetz** (MFG) haben sich wichtige Änderungen ergeben; insbesondere erhalten die pU die Möglichkeit, für innovative Arzneimittel vertrauliche Erstattungsbeträge zu vereinbaren (siehe dazu Kapitel 2). Die Regelungen des MFG laufen langjährigen Bemühungen auf europäischer bzw. internationaler Ebene entgegen, bei der Arzneimittelbepreisung mehr Transparenz für die Bürger*innen zur Nachvollziehbarkeit des Einsatzes ihrer Sozialversicherungsbeiträge zu erreichen. Entsprechende Initiativen gab es u. a. von der WHO (Vogler, 2021, Seite 131). Auch in der Arzneimittelstrategie der EU (siehe dazu Abschnitt 3.5) ist das Ziel festgehalten, die Transparenz über nationale Preisentscheidungen zu fördern (Europäische Kommission, 2020). Viele Staaten beteiligen sich bereits an Datenbanken zu Arzneimittelpreisen oder anderen Mechanismen für den Informationsaustausch zwischen den zuständigen Behörden. Eine Studie der Organisation für wirtschaftliche Zusammenarbeit und Entwicklung (OECD, Organisation for Economic Co-operation and Development) aus dem Jahr 2022 dokumentiert 30 solcher staatenübergreifenden Initiativen zum Austausch von Preisinformationen. Allerdings würden nur in sehr wenigen Fällen die tatsächlichen Preise offengelegt (Barrenho & Lopert, 2022, Seite 17 ff.).

153. In vielen Gesundheitssystemen besteht ein Interesse daran, vertrauenswürdige Preisinformationen aus anderen Staaten zu erhalten. Damit werden vor allem die Ziele verbunden, eine stärkere Verhandlungsposition der öffentlichen Kostenträger gegenüber pU in Preisverhandlungen, eine größere öffentliche Rechenschaftspflicht sowie eine höhere Legitimität von Entscheidungen zu erlangen. Manche sehen auch mögliche Risiken einer höheren Preistransparenz, z. B. hinsichtlich des Parallelhandels mit Arzneimitteln (siehe dazu Abschnitt 3.7). Es gibt zu den möglichen Vor- und Nachteilen von Preistransparenz keine eindeutige Studienlage (Barrenho & Lopert, 2022, Seite 6 f.). Bei dem Versuch, mehr Preistransparenz zu erreichen, geraten die Entscheidungsträger möglicherweise in ein **Dilemma**: Aus der Perspektive des einzelnen Gesundheitssystems kann es trotz der möglichen Vorteile von Preistransparenz lohnend sein, die tatsächlich gezahlten Preise geheim zu halten, um im jeweils eigenen System bessere Ergebnisse in den Preisverhandlungen mit pU erzielen zu können. Diese könnten eher bereit sein, Rabatte in einem Staat zu gewähren, wenn sie nicht befürchten müssen, in der Folge durch Preisreferenzierung auch in anderen Staaten niedrigere Preise hinnehmen zu müssen. Das mögliche Dilemma spiegelt sich in einer Befragung der OECD wider, an der 34 Staaten teilgenommen haben: Während 24 Staaten ihr Interesse an Informationen über die in anderen Staaten gezahlten Nettopreise bekundeten, antworteten nur sieben Staaten, dass sie bereit und in der Lage wären, selbst solche Informationen weiterzugeben. Häufig wurde auf rechtliche Restriktionen verwiesen, die die Informationsweitergabe verhinderten. Tendenziell ist die Bereitschaft größer, Informationen in geschlossenen Netzwerken zu teilen, als sie öffentlich zu machen. Die Mehrheit der befragten Staaten bekundete Interesse an der Teilnahme an einem entsprechenden Pilotmechanismus (Moens et al., 2024, Seite 7 f.).

3.7 Perspektiven für eine stärkere Zusammenarbeit auf europäischer Ebene

154. Die Verfügbarkeit von Arzneimitteln unterscheidet sich bislang deutlich zwischen den einzelnen EU-Mitgliedstaaten (Gamba et al., 2023). Angesichts der unterschiedlichen Wirtschaftskraft und Zahlungsbereitschaft der Staaten lassen sich die Unterschiede in der Arzneimittelverfügbarkeit nicht unbedingt problematisieren. Eine Behebung der Unterschiede steht

z. T. nicht im Einklang mit nationalen Interessen. Aus Sicht des Rats wäre wünschenswert, dass alle Patient*innen in der EU (und möglichst darüber hinaus) zumindest Zugang zu essenziellen neuen Arzneimitteln haben. Durch eine verstärkte Zusammenarbeit auf europäischer Ebene kann es gelingen, dem Ziel einer möglichst wirtschaftlichen und bedarfsgerechten Arzneimittelversorgung in der EU ein Stück näherzukommen. In diesem Abschnitt werden daher Perspektiven für eine intensivere Zusammenarbeit im Bereich der Preisbildung, der Beschaffung und des Wissensaustauschs auf europäischer Ebene beleuchtet. Darüber hinaus können punktuell Instrumente wie Umsatzgarantien eingesetzt werden, um die Verfügbarkeit von bestimmten Arzneimitteln möglichst flächendeckend sicherzustellen, wie es derzeit zunächst für ein Antibiotikum erprobt wird (Chiappa, 2024).

Preisbildung

155. Arzneimittel sind in den EU-Mitgliedstaaten **unterschiedlich teuer** (Gamba et al., 2023). Die bestehenden Preisunterschiede führen zu einem **Parallelhandel mit Arzneimitteln**. Unter bestimmten Umständen[59] können Zwischenhändler Arzneimittel in Staaten mit niedrigeren Preisen kaufen und in Staaten mit höheren Preisen wieder verkaufen. Aus Sicht der Staaten mit höheren Preisen können durch Importe Einsparungen erreicht werden. Vor diesem Hintergrund gibt es in Deutschland Vorgaben für Apotheken zur Abgabe von preisgünstigen Import-Arzneimitteln; sie sind in § 129 Abs. 1 Satz 1 Nr. 2 SGB V geregelt.

156. Derzeit erscheint eine **gemeinsame europäische Preisbildung nicht durchsetzbar**, da die Preisbildung für Arzneimittel nicht in die Zuständigkeit der EU fällt. Das EU-HTA-Verfahren (siehe dazu Abschnitt 3.3) kann allenfalls insofern als ein Schritt in diese Richtung gewertet werden, als eine gemeinsame Informationsgrundlage für die Festlegung von Erstattungsbeträgen geschaffen wird. Die Preisbildung selbst erfolgt jedoch weiterhin in den Mitgliedstaaten. Zu beachten ist auch, dass – insbesondere aufgrund der unterschiedlichen wirtschaftlichen Leistungsfähigkeit der Staaten – unterschiedliche Preisniveaus nicht unbedingt einer wohlfahrtsoptimalen Arzneimittelbepreisung widersprechen (Mahlich et al., 2014). Eine einheitliche Preisbildung wäre aufgrund der unterschiedlichen Zahlungsfähigkeit der Mitgliedstaaten vermutlich nur dann umsetzbar, wenn sich wohlhabende Staaten stärker an der Finanzierung beteiligen würden als weniger wohlhabende Staaten.

157. Aus Sicht des Rats ist die **Stärkung der Preistransparenz** in der EU anzustreben, wenn möglichst viele Länder teilnehmen. Mögliche Ansatzpunkte hierzu sind in Abschnitt 3.6 beschrieben.

Gemeinsame Beschaffung

158. Ein vielversprechender Ansatzpunkt der stärkeren Zusammenarbeit auf europäischer Ebene ist die **Ausweitung der gemeinsamen Beschaffung**. Durch gemeinsame Beschaffung lässt sich die Verhandlungsmacht auf der Nachfrageseite bündeln. Das kann zur Durchsetzung niedrigerer Preise beitragen, was sich wiederum möglicherweise in manchen Staaten positiv auf den Zugang zu Arzneimitteln auswirken kann. Bei der Auswahl der Arzneimittel, die gemeinsam beschafft werden sollen, sowie bei der Vertragsgestaltung sollten jedoch gleichzeitig mögliche Nachteile öffentlicher

[59] Zu den Einzelheiten von Parallelimporten bzw. -vertrieb nach Deutschland siehe z. B. PEI (2025).

Beschaffung, z. B. das Risiko einer Fehleinschätzung der benötigten Menge eines Arzneimittels, nicht außer Acht gelassen werden.

159. Für die Ausweitung der gemeinsamen Beschaffung gibt es in einzelnen Mitgliedstaaten und auf europäischer Ebene einige Fürsprecher. Erst kürzlich forderte der sogenannte „Draghi-Report", staatenübergreifende Initiativen für gemeinsame Preis- und Erstattungsverhandlungen für bestimmte Arzneimittel zu verstärken und zu prüfen, inwieweit der Anwendungsbereich der gemeinsamen Beschaffung in der EU über die Reaktion auf grenzüberschreitende Gesundheitsbedrohungen hinaus erweitert werden kann (Draghi, 2024, Seite 201). Auch seitens des Europäischen Parlaments wurden in der Vergangenheit Forderungen laut, das Verfahren der gemeinsamen Beschaffung zukünftig intensiver zu nutzen, damit die Verhandlungsposition der EU gestärkt, Arzneimittelengpässe verhindert und die Verfügbarkeit medizinischer Produkte für alle in der EU ansässigen Personen unabhängig von ihrem Heimatmitgliedstaat sichergestellt werden kann (Europäisches Parlament, 2023). Die Kommission betont, dass die gemeinsame Beschaffung eine erfolgreiche Form der verstärkten Zusammenarbeit sein kann, „um die Erschwinglichkeit sowie den Zugang zu Arzneimitteln und die Versorgungssicherheit zu verbessern". Mitgliedstaaten, die an einer gemeinsamen Beschaffung von Arzneimitteln interessiert seien, könnten dafür die im Rahmen der geltenden EU-Vorschriften verfügbaren Regulierungsinstrumente nutzen (Europäische Kommission, 2023d).

160. Der Rat befürwortet, eine **Anwendung des gemeinsamen Beschaffungsverfahrens auch außerhalb von grenzüberschreitenden Gesundheitsbedrohungen** durch die ggf. nötigen rechtlichen Änderungen zu ermöglichen. Ähnlich wie auf nationaler Ebene könnten Ausschreibungen im EU-Rahmen ein nützliches Instrument sein. Auch die OECD hat kürzlich Empfehlungen vorgelegt, wie Ausschreibungsverfahren zu einer effizienteren Verwendung der Mittel für Arzneimittel beitragen könnten (Barrenho et al., 2023). Wenn das bestehende Instrument der gemeinsamen Beschaffung nicht ausgeweitet werden kann, sollten alternative Möglichkeiten geprüft werden, verstärkt Einkaufsgemeinschaften oder ähnliche Kooperationen zu bilden. Dabei könnte die Teilnahme Deutschlands an internationalen Einkaufsgemeinschaften durch die Vereinbarung von vertraulichen Erstattungsbeträgen zwischen pU und GKV-SV, wie sie im MFG vorgesehen ist (siehe dazu Abschnitt 3.6 und Kapitel 2), erschwert werden (Greiner et al., 2024, Seite 23).

161. Viele Staaten arbeiten bereits im Rahmen freiwilliger Initiativen zusammen, um den Zugang zu Arzneimitteln zu verbessern. Neben Initiativen zum Informationsaustausch oder zur gemeinsamen Arzneimittelbewertung gibt es auch solche, die sich auf die Preis- bzw. Erstattungsverhandlungen oder die Beschaffung beziehen. So kaufen die baltischen Staaten einige Arzneimittel und Impfstoffe gemeinsam ein (WHO, 2020). Ein weiteres Beispiel für eine verstärkte Zusammenarbeit zwischen europäischen Mitgliedstaaten ist die Beneluxa Initiative, der sich inzwischen Belgien, die Niederlande, Luxemburg, Österreich und Irland angeschlossen haben. Sie umfasst u. a. einen stärkeren Austausch in Bezug auf HTAs und Preisbildung sowie gemeinsames *horizon scanning*. Zweck der Zusammenarbeit ist es auch, die Preisverhandlungen mit den pU zu erleichtern. In diesem Rahmen ist die Möglichkeit gemeinsamer Preis- bzw. Erstattungsverhandlungen vorgesehen, von der die Niederlande und Belgien bei Spinraza® Gebrauch gemacht haben (Beneluxa initiative, 2024; WHO, 2020).[60]

[60] Spinraza® wird zur Behandlung der spinalen Muskelatrophie angewendet.

Europäische Forschungsdateninfrastruktur und Wissensaustausch

162. Um den komplexen Herausforderungen bei der Bewertung und Bepreisung von Arzneimitteln bestmöglich begegnen zu können, sollte der **mitgliedstaatenübergreifende Wissensaustausch** weiter gestärkt werden. Dabei sollten alle relevanten Akteursgruppen einbezogen werden. Auch hierfür gibt es bereits vielversprechende Ansätze: Dazu zählt die im April 2024 gegründete Allianz für kritische Arzneimittel. Sie vereint nationale Behörden, die Industrie, Organisationen des Gesundheitswesens, Vertreter der Zivilgesellschaft, die Europäische Kommission und EU-Agenturen und soll dazu beitragen, mehr strategische Autonomie im Arzneimittelsektor zu erlangen und gemeinsam über Maßnahmen zur Bewältigung und Vermeidung von Engpässen bei kritischen Arzneimitteln zu beraten (Europäische Kommission, 2024).[61] Zu prüfen ist auch, welche Rolle öffentlich-private Partnerschaften (*public private partnerships*) zur Finanzierung von Gesundheitsforschung und Innovation zukünftig spielen können.[62]

163. Dem Rat ist die **Stärkung der Forschungs(daten)infrastruktur** ein wichtiges Anliegen. In Kapitel 4 wird ausgeführt, welche Aspekte in diesem Zusammenhang besonders wichtig sind. Dabei sollten die europäische Verankerung und Vernetzung der Strukturen konsequent mitgedacht werden. Neben der konsequenten Implementierung des EHDS gehören hierzu z. B. die Stärkung europäischer Register für seltene Erkrankungen und die Teilnahme deutscher Institutionen an europäischen Netzwerken (siehe dazu Abschnitt 3.4).

3.8 Zusammenfassung der Empfehlungen

164. Der Rat befürwortet eine stärkere Zusammenarbeit auf europäischer Ebene, die zu einer wirtschaftlichen und bedarfsgerechten Arzneimittelversorgung beitragen kann.

165. Ein wichtiger Ansatzpunkt ist die Stärkung der Verhandlungsmacht gegenüber den pU – insbesondere durch die gemeinsame Beschaffung ausgewählter Arzneimittel. Der Rat empfiehlt, die rechtlichen Voraussetzungen zur stärkeren Nutzung dieses Instruments zu schaffen und dabei die Erfahrungswerte zu berücksichtigen, die andere Staaten im Rahmen etablierter Kooperationen zur gemeinsamen Beschaffung gesammelt haben.

166. Weitere wichtige Ansatzpunkte sind die effiziente Generierung und der Austausch von Wissen. Der Rat begrüßt die Weiterentwicklung der dafür erforderlichen Strukturen. Der Ausbau der Forschungs(daten)infrastruktur auf nationaler und europäischer Ebene sollte konsequent weiter vorangetrieben werden. Der Rat empfiehlt insbesondere, die Kooperation zwischen nationalen und europäischen Registern zu stärken.

3.9 Literatur

Barrenho, E., Lopert, R., 2022. Exploring the consequences of greater price transparency on the dynamics of pharmaceutical markets (OECD Health Working Papers Nr. 146), Organisation for Economic Co-operation and Development. https://www.oecd.org/en/publications/exploring-the-

61 Zur EU-Liste kritischer Arzneimittel siehe EMA (2025c).

62 Siehe exemplarisch die Innovative Health Initiative (IHI, 2025).

consequences-of-greater-price-transparency-on-the-dynamics-of-pharmaceutical-markets_c9250e17-en.html (abgerufen am 25.3.2025).

Barrenho, E., Moens, M., Waagstein, L., Lopert, R., 2023. Enhancing competition in on-patent markets (OECD Health Working Papers Nr. 156), Organisation for Economic Co-operation and Development. https://www.oecd-ilibrary.org/docserver/413f2820-en.pdf?expires=1733173485&id=id&accname=guest&checksum=D9174A1E0C7C7E6364D708BD4FF5080A (abgerufen am 25.3.2025).

Behring, A., 2023. Welche Auswirkungen wird EU-HTA auf das AMNOG-Verfahren haben? Interdisziplinäre Plattform zur Nutzenbewertung, Auswirkungen von EU HTA auf das AMNOG-Verfahren, 17, S. 16–23. https://www.aerztezeitung.de/Dateien/Auswirkungen-von-EU-HTA-auf-das-AMNOG-Verfahren-d-679.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Beneluxa initiative, 2024. About Beneluxa initiative. https://beneluxa.org/collaboration (abgerufen am 25.3.2025).

BfArM, (Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte), 2024. Arzneimittel. Zulassung. Zulassungsverfahren. Zentralisiertes Verfahren. https://www.bfarm.de/DE/Arzneimittel/Zulassung/Zulassungsverfahren/Zentralisiertes-Verfahren/_node.html#:~:text=Zwingend%20%C3%BCber%20das%20Zentralen%20Verfahren,und%20monoklonalen%20Antik%C3%B6rpern%20hergestellt%20wurden (abgerufen am 25.3.2025).

Bundesregierung, 2010. Entwurf eines Gesetzes zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung (Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz – AMNOG), BT-Drs. 17/3116.

Busse, R., Panteli, D., Henschke, C., 2015. Arzneimittelversorgung in der GKV und 15 anderen europäischen Gesundheitssystemen – ein systematischer Vergleich (Working papers in health policy and management Band 11), Universitätsverlag der TU Berlin, Berlin. https://www.gkv-spitzenverband.de/media/dokumente/presse/pressekonferenzen_gespraeche/2015_2/pk_20150615_arzneimittel/06_Studie_Arzneimittelversorgung_Juni_2015.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Busse, R., Panteli, D., Schaufler, J., Schröder, H., Telschow, C., Weiss, J., 2016. Preise patentgeschützter Arzneimittel im europäischen Vergleich. Die deutschen Arzneimittelpreise im Vergleich zu den Listenpreisen in fünf ausgewählten europäischen Ländern, Wissenschaftliches Institut der AOK, Technische Universität Berlin, Berlin. https://www.wido.de/fileadmin/Dateien/Dokumente/Forschung_Projekte/Arzneimittel/wido_arz_preise_eu_vergleich_2016.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

Chiappa, C., 2024. EU signs first revenue guarantee deal for novel antibiotic. Politico.

DARWIN EU® Coordination Centre, 2025. The DARWIN EU® Data Network. https://darwin-eu.org/data/data-network (abgerufen am 25.3.2025).

DARWIN EU® Coordination Centre, 2024a. Home. https://darwin-eu.org/ (abgerufen am 25.3.2025).

DARWIN EU® Coordination Centre, 2024b. DARWIN EU® Network requirements. https://darwin-eu.org/index.php/data/network-requirements (abgerufen am 25.3.2025).

DARWIN EU® Coordination Centre, 2024c. Methods: Data Interoperability. https://darwin-eu.org/index.php/methods/improving-interoperability (abgerufen am 25.3.2025).

DARWIN EU® Coordination Centre, 2023. Methods: Study Execution. https://darwin-eu.org/index.php/methods/federated-study-execution (abgerufen am 25.3.2025).

Draghi, M., 2024. The future of European competitiveness – In-depth analysis and recommendations (Part B). https://commission.europa.eu/document/download/ec1409c1-d4b4-4882-8bdd-3519f86bbb92_en?filename=The%20future%20of%20European%20competitiveness_%20In-depth%20analysis%20and%20recommendations_0.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

EMA, (European Medicines Agency), 2025a. Executive Steering Group on Shortages and Safety of Medicinal Products. https://www.ema.europa.eu/en/about-us/what-we-do/crisis-preparedness-management/executive-steering-group-shortages-medicinal-products (abgerufen am 25.3.2025).

EMA, (European Medicines Agency), 2025b. Data Analysis and Real World Interrogation Network (DARWIN EU). https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/big-data/data-analysis-real-world-interrogation-network-darwin-eu (abgerufen am 25.3.2025).

EMA, (European Medicines Agency), 2025c. Availability of medicines before and during crises. https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/post-authorisation/medicine-shortages-availability-issues/availability-medicines-during-crises#union-list-of-critical-medicines-64278 (abgerufen am 25.3.2025).

EMA, (European Medicines Agency), 2024. Europäische Datenbank gemeldeter Verdachtsfälle von Arzneimittelnebenwirkungen. https://www.adrreports.eu/de/faqs.html (abgerufen am 25.3.2025).

EMA, (European Medicines Agency), 2023. Das Europäische Arzneimittelregulierungssystem. Die Einführung neuer sicherer und wirksamer Arzneimittel für Patienten in der gesamten Europäischen Union, Amsterdam. https://www.ema.europa.eu/de/documents/leaflet/european-regulatory-system-medicines_de.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

EMA, (European Medicines Agency), HMA, (Heads of Medicines Agencies), 2020. European medicines agencies network strategy to 2025: Protecting public health at a time of rapid change. https://www.ema.europa.eu/en/documents/report/european-union-medicines-agencies-network-strategy-2025-protecting-public-health-time-rapid-change_en.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Europäische Kommission, 2025a. Bereitschafts- und Reaktionsplanung. https://health.ec.europa.eu/health-security-and-infectious-diseases/preparedness-and-response-planning_de#:~:text=Bis%20April%202020%20wurde%20die,Bosnien%20und%20Herzegowina%20sowie%20Kosovo* (abgerufen am 25.3.2025).

Europäische Kommission, 2025b. Sicherstellung der Materialversorgung. https://commission.europa.eu/strategy-and-policy/coronavirus-response/public-health/ensuring-availability-supplies-and-equipment_de#:~:text=Gemeinsame%20Beschaffungsverfahren%20helfen%20den%20Mitgliedstaaten,mehr%20als%20200%20Vertr%C3%A4gen%20f%C3%BChrten (abgerufen am 25.3.2025).

Europäische Kommission, 2025c. EU-Zusammenarbeit vor 2021. https://health.ec.europa.eu/health-technology-assessment/behind-hta-regulation_de (abgerufen am 25.3.2025).

Europäische Kommission, 2025d. European Health Data Space. https://health.ec.europa.eu/ehealth-digital-health-and-care/european-health-data-space_en (abgerufen am 25.3.2025).

Europäische Kommission, 2025e. Europäische Referenznetzwerke. https://health.ec.europa.eu/rare-diseases-and-european-reference-networks/european-reference-networks_de (abgerufen am 25.3.2025).

Europäische Kommission, 2024. Kommission ruft Allianz für kritische Arzneimittel zwecks Prävention und Behebung von Engpässen bei kritischen Arzneimitteln ins Leben (Pressemitteilung), Brüssel. https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/de/IP_24_2229 (abgerufen am 25.3.2025).

Europäische Kommission, 2023a. Eine Arzneimittelstrategie für Europa. https://health.ec.europa.eu/medicinal-products/pharmaceutical-strategy-europe_de (abgerufen am 25.3.2025).

Europäische Kommission, 2023b. Schutz des geistigen Eigentums: EU-Kommission legt Vorschlag für neue Patentvorschriften vor. https://germany.representation.ec.europa.eu/news/schutz-des-geistigen-eigentums-eu-kommission-legt-vorschlag-fur-neue-patentvorschriften-vor-2023-04-27_de (abgerufen am 25.3.2025).

Europäische Kommission, 2023c. Europäische Gesundheitsunion: Kommission schlägt Arzneimittelreform für leichter zugängliche, erschwinglichere und innovativere Arzneimittel vor. https://luxembourg.representation.ec.europa.eu/actualites-et-evenements/actualites/europaische-gesundheitsunion-kommission-schlagt-arzneimittelreform-fur-leichter-zugangliche-2023-04-26_de?prefLang=de (abgerufen am 25.3.2025).

Europäische Kommission, 2023d. Mitteilung der Kommission an das Europäische Parlament, den Rat, den Europäischen Wirtschafts- und Sozialausschuss und den Ausschuss der Regionen. Reform des Arzneimittelrechts und Maßnahmen zur Bekämpfung antimikrobieller Resistenzen (Nr. COM(2023) 190 final), Brüssel. https://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/PDF/?uri=CELEX:52023DC0190 (abgerufen am 25.3.2025).

Europäische Kommission, 2020. Mitteilung der Kommission an das Europäische Parlament, den Rat, den Europäischen Wirtschafts- und Sozialausschuss und den Ausschuss der Regionen – Eine Arzneimittelstrategie für Europa (Nr. COM/2020/761 final), Brüssel. https://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/PDF/?uri=CELEX:52020DC0761 (abgerufen am 25.3.2025).

Europäisches Parlament, 2024. Parlament positioniert sich zur EU-Arzneimittelreform. https://www.europarl.europa.eu/news/de/press-room/20240408IPR20308/parlament-positioniert-sich-zur-eu-arzneimittelreform (abgerufen am 25.3.2025).

Europäisches Parlament, 2023. Erkenntnisse aus der COVID-19-Pandemie und Empfehlungen für die Zukunft. Entschließung des Europäischen Parlaments vom 12. Juli 2023 zu Erkenntnissen aus der COVID-19-Pandemie und Empfehlungen für die Zukunft (2022/2076(INI)). https://www.europarl.europa.eu/doceo/document/TA-9-2023-0282_DE.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Gamba, S., Magazzini, L., Pertile, P., 2023. Improving access to medicines and promoting pharmaceutical innovation, European Parliament: Directorate-General for Parliamentary Research Services. https://data.europa.eu/doi/10.2861/131056 (abgerufen am 25.3.2025).

Government of the Netherlands, 2025. Keeping medicines affordable. https://www.government.nl/topics/medicines/keeping-medicines-affordable (abgerufen am 25.3.2025).

Greiner, W., Witte, J., Gensorowsky, D., 2024. AMNOG-Kurzreport 2024: Vertrauliche Erstattungsbeträge. Fluch oder Segen?, Beiträge zur Gesundheitsökonomie und Versorgungsforschung 46. medhochzwei Verlag, Heidelberg.

IHI, (Innovative Health Initiative), 2025. Innovative Health Initiative. https://www.ihi.europa.eu/ (abgerufen am 25.3.2025).

IQWiG, (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), 2025a. Arzneimittel im deutschen Gesundheitssystem. https://www.iqwig.de/presse/mediathek/grafiken/arzneimittel-im-deutschen-gesundheitssystem/ (abgerufen am 25.3.2025).

IQWiG, (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), 2025b. Health Technology Assessment. https://www.iqwig.de/sonstiges/glossar/health-technology-assessment.html (abgerufen am 25.3.2025).

JPMA, (Pharmaceutical Industrial Policy Committee), 2024. Japan's NHI Pricing System.

Lange, S., 2023. EU HTA & AMNOG – Stand zur Methodenentwicklung. Interdisziplinäre Plattform zur Nutzenbewertung, Auswirkungen von EU HTA auf das AMNOG-Verfahren, 17, S. 60–65. https://www.aerztezeitung.de/Dateien/Auswirkungen-von-EU-HTA-auf-das-AMNOG-Verfahren-d-679.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Leopold, C., Poblete, S., Vogler, S., 2023. How to Price and to Reimburse Publicly Funded Medicines in Latin America? Lessons Learned from Europe. J. Law. Med. Ethics 51, S1, S. 76–91. https://doi.org/10.1017/jme.2023.114

Mahlich, J., Sindern, J., Suppliet, M., 2014. Vergleichbarkeit internationaler Arzneimittelpreise: Internationale Preisreferenzierung in Deutschland durch das AMNOG (Ordnungspolitische Perspektiven Nr. 60). https://d-nb.info/1051765374/34 (abgerufen am 25.3.2025).

Moens, M., Barrenho, E., Paris, V., 2024. Exploring the feasibility of sharing information on medicine prices across countries (OECD Health Working Papers Nr. 171), Organisation for Economic Co-operation and Development. https://www.oecd-ilibrary.org/docserver/5e4a7a47-en.pdf?expires=1733262980&id=id&accname=guest&checksum=40AA3978E80CF36FBD3EA8045956948A (abgerufen am 25.3.2025).

Niggemeier, F., 2015. Art. 168 AEUV, in: von der Groeben, H., Schwarze, J., Hatje, A. (Hrsg.), Europäisches Unionsrecht. Vertrag Über Die Europäische Union – Vertrag Über Die Arbeitsweise Der Europäischen Union – Charta Der Grundrechte Der Europäischen Union, 7. Auflage, NomosKommentar. Nomos, Baden-Baden.

Orphanet, 2024. Rare Disease Registries, cohorts and databases, Orphanet Report Series. https://www.orpha.net/pdfs/orphacom/cahiers/docs/GB/Rare_Disease_Registries.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

PEI, (Paul-Ehrlich-Institut), 2025. Parallelhandel. https://www.pei.de/DE/regulation/zulassung-human/parallelhandel/parallelhandel-node.html (abgerufen am 25.3.2025).

Rémuzat, C., Urbinati, D., Mzoughi, O., El Hammi, E., Belgaied, W., Toumi, M., 2015. Overview of external reference pricing systems in Europe. J. Mark. Access Health Policy 3, 1, S. 27675. https://doi.org/10.3402/jmahp.v3.27675

Sachverständigenrat zur Begutachtung der gesamtwirtschaftlichen Entwicklung, 2020. Jahresgutachten. 2020/2021: Corona-Krise gemeinsam bewältigen, Resilienz und Wachstum stärken, Wiesbaden. https://www.sachverstaendigenrat-wirtschaft.de/fileadmin/dateiablage/gutachten/jg202021/JG202021_Gesamtausgabe.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Schnake, A., 2023. Health Technology Assessment in Europa: Neue Impulse für die Versorgung? www.aok.de. https://www.aok.de/pp/gg/versorgung/health-technology-assessment-europa/ (abgerufen am 25.3.2025).

Schneider, P., Vogler, S., 2019. Practice of External Price Referencing, in: Vogler, S. (Hrg.), Medicine Price Surveys, Analyses and Comparisons. Elsevier, S. 345–368. https://doi.org/10.1016/B978-0-12-813166-4.00018-8

SVR, (Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen), 2023. Resilienz im Gesundheitswesen. Wege zur Bewältigung künftiger Krisen. Gutachten 2023. Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft, Berlin.

Van Harten, W. H., Wind, A., De Paoli, P., Saghatchian, M., Oberst, S., 2016. Actual costs of cancer drugs in 15 European countries. Lancet Oncol. 17, 1, S. 18–20. https://doi.org/10.1016/S1470-2045(15)00486-6

Videnovic, A., Pfeiffer, H. C. V., Tylki-Szymańska, A., Berry-Kravis, E., Ezgü, F., Ganju, J., Jurecka, A., Lang, A. E., 2023. Study design challenges and strategies in clinical trials for rare diseases: Lessons learned from pantothenate kinase-associated neurodegeneration. Front. Neurol. 14, S. 1098454. https://doi.org/10.3389/fneur.2023.1098454

Vogler, S., 2021. Preisregulierungen im internationalen Vergleich, in: Schröder, H., Thürmann, P., Telschow, C., Schröder, M., Busse, R. (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2021. Springer Berlin, Heidelberg, S. 125–138. https://doi.org/10.1007/978-3-662-63929-0_9

Vogler, S., Salcher-Konrad, M., Habimana, K., 2022. Study on best practices in the public procurement of medicines: final report, European Commission: European Health and Digital Executive Agency, Gesundheit Österreich Beratungs GmbH, Tetra Tech. https://data.europa.eu/doi/10.2925/044781 (abgerufen am 25.3.2025).

WHO, (World Health Organization), 2020. Cross-country collaborations to improve access to medicines and vaccines in the WHO European Region, Kopenhagen. https://jasmin.goeg.at/id/eprint/1491/1/WHO_CrossCountryCollaborations_Report_2020.pdf (abgerufen am 25.3.2025)

4 Instrumente für eine evidenzbasierte Bewertung innovativer Arzneimittel

4.1 Herausforderungen für eine evidenzbasierte Bewertung innovativer Arzneimittel

167. In Deutschland wird ein **schneller Marktzugang für innovative Arzneimittel** dadurch ermöglicht, dass diese bereits ab ihrer Markteinführung prinzipiell erstattungsfähig sind (siehe Kapitel 1 und 2). Als Grundlage für die anschließende Preisverhandlung im Rahmen des AMNOG-Verfahrens dient die Bewertung des Zusatznutzens, der auf Basis der verfügbaren Evidenz durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) ermittelt wird (siehe Kapitel 2). Ziel der gründlichen und umfassenden Analysen der Datenlage ist, die Arzneimittelpreise so zu regulieren, dass höhere Ausgaben nur für einen tatsächlichen, patientenrelevanten Zusatznutzen anfallen. Zugleich soll eine bedarfsgerechte und evidenzbasierte Versorgung sichergestellt werden.

168. Die Auswahl der in die Bewertung des Zusatznutzens einzubeziehenden Daten erfolgt auftragsbezogen für jedes Bewertungsverfahren individuell. Wie in § 35b Abs. 1 SGB V festgelegt, soll sich die Auswahl an den „in den jeweiligen Fachkreisen anerkannten internationalen Standards der evidenzbasierten Medizin und der Gesundheitsökonomie“ orientieren.[63] Zum Zeitpunkt der frühen Nutzenbewertung nach § 35a SGB V besteht jedoch **oftmals eine unzureichende Evidenzlage** und somit eine substanzielle Unsicherheit über den tatsächlichen (Zusatz-)Nutzen eines Arzneimittels. So enden gemäß den Daten des AMNOG-Monitors des Instituts für Pharmakologie und präventive Medizin ca. 50 % der Nutzenbewertungsverfahren mit dem Ergebnis „Zusatznutzen nicht belegt“. Betrachtet man die Patientenebene, gilt dies sogar für ca. 70 % (siehe Abbildung 2-2). Laut einer Analyse der Nutzenbewertungsverfahren zwischen den Jahren 2011 und 2017 war in der Mehrheit der Fälle (85 %) fehlende Evidenz der Grund für dieses Bewertungsergebnis: Entweder vergleichende Studien fehlten gänzlich, oder es wurden für das Anwendungsgebiet unpassende Therapien als Vergleich herangezogen (Wieseler et al., 2019).

169. Die **Gründe für fehlende bzw. methodisch unzureichende Studien sind vielfältig**. Vergleichende Studien sind für die Zulassung nicht obligatorisch und teilweise mangelt es an Anreizen für pharmazeutische Unternehmen (pU), solche Studien durchzuführen. In bestimmten

[63] Für eine detaillierte Beschreibung der Anforderungen an die Evidenzgrundlage der Nutzenbewertung siehe Kapitel 5 § 5 VerfO G-BA.

Indikationsgebieten kann es zudem aufgrund niedriger Fallzahlen und/oder ethischer Bedenken besonders herausfordernd sein, vergleichende randomisierte kontrollierte Studien (RCTs, *Randomised Controlled Trials*) mit niedrigem Risiko von systematischen Verzerrungen (*risk of bias*) durchzuführen. Darüber hinaus gibt es Fragestellungen, die zum Zeitpunkt der frühen Nutzenbewertung im Rahmen des AMNOG-Prozesses nicht abschließend beurteilbar sind. Diese betreffen insbesondere den komparativen Nutzen innovativer Arzneimittel in der Regelversorgung. Unsicherheiten in diesem Bereich ergeben sich insbesondere a) aus Unterschieden zwischen den Rahmenbedingungen von Studien und Versorgungsprozessen innerhalb der Regelversorgung (z. B. relevante Unterschiede zwischen den untersuchten Studienpopulationen und den Zielpopulationen) und b) aus der Weiterentwicklung von Behandlungsmöglichkeiten im Indikationsgebiet. Diesen Herausforderungen muss bei der Generierung und der Auswahl von Evidenz sowie der Bewertung des Zusatznutzens innovativer Arzneimittel über ihren gesamten Lebenszyklus hinweg Rechnung getragen werden.

170. Um eine bedarfsgerechte und wirtschaftliche Versorgung mit innovativen Arzneimitteln langfristig gewährleisten zu können, ist es aus Sicht des Rats essenziell, die **Bepreisung innovativer Arzneimittel stärker an den *evidenzbasierten Nachweis* eines Zusatznutzens zu koppeln**. Dies kann nur erreicht werden, wenn die Generierung belastbarer Evidenz – für die frühe Nutzenbewertung sowie für etwaige Reevaluationen – u. a. durch eine geeignete Incentivierung systematisch gefördert wird.

4.2 Studienevidenz

171. Grundsätzlich können alle Arten von Studien für die Nutzenbewertung herangezogen werden, wobei laut Kapitel 5 § 5 VerfO G-BA direkt vergleichende RCTs vorrangig einzubeziehen sind. Die Qualität der Studien, die sich aus der Qualität des Studiendesigns und der zugrunde liegenden Daten zusammensetzt, ist in jedem Fall zu berücksichtigen. Eine allgemeine Grundlage der Beurteilung von Studienevidenz ist das Gütekriterium der **internen Validität**, also die Frage, ob die gemessenen Effekte tatsächlich der untersuchten Intervention (hier dem untersuchten Arzneimittel) zuzuschreiben oder auf andere Faktoren zurückzuführen sind. Verschiedene Studientypen unterscheiden sich in ihrem Risiko der systematischen Verzerrung, die sich negativ auf die interne Validität auswirken kann. Doppelblinde randomisierte kontrollierte Studien (DBRCTs, *Double-Blind Randomised Controlled Trials*) gelten in der evidenzbasierten Medizin (EBM) als methodischer Goldstandard, da sich u. a. durch das Untersuchen strukturgleicher Populationen systematische Verzerrungen vergleichsweise gut kontrollieren lassen. Ein zweites grundlegendes Bewertungskriterium für Studienevidenz ist die **externe Validität**, also die Übertragbarkeit der Studienergebnisse auf die Zielpopulation. Die externe Validität kann durch die Selektion von Studienpopulationen (anhand strenger Ein- und Ausschlusskriterien) und durch Unterschiede in den Versorgungsprozessen zwischen dem Studienkontext und dem Versorgungskontext beeinträchtigt sein. Experimentelle Studien wie DBRCTs weisen oftmals ein vergleichsweise hohes Risiko für eine eingeschränkte externe Validität auf (Rothwell, 2005).

172. Um eine hohe interne und externe Validität zu gewährleisten, misst das Konzept der EBM Plus der Kombination von quantitativen, qualitativen und mechanistischen Studien (Methodenpluralismus) einen hohen Stellenwert bei. Insbesondere in Fällen, in denen qualitativ hochwertige RCTs fehlen, zielt EBM Plus darauf ab, die Evidenzbasis für Allokationsentscheidungen

durch die kombinierte Berücksichtigung klinischer Evidenz aus nicht randomisierten Studien mit Studien zu biologischen Mechanismen, theoretischen Modellen und experimentellen Daten zu verbessern (Aronson et al., 2018). Qualitative Studien, mechanistische Studien oder theoretische Modelle allein bieten nach Auffassung des Rats keine ausreichende Entscheidungsbasis für Allokationsentscheidungen im Arzneimittelbereich.

4.2.1 Datengrundlagen

173. Daten zur Beurteilung und Bewertung von Arzneimitteln – und auch zur medizinischen (Versorgungs-)Forschung ganz allgemein – können gezielt im Rahmen der Bearbeitung einer konkreten Studienfrage erhoben (**primäre Datenerhebung**) oder aus vorhandenen Daten (z. B. Routinedaten) gewonnen werden (**sekundäre Datennutzung**).

174. In der Entwicklung und Zulassung von Arzneimitteln sind **Daten aus RCTs** im Sinne einer klinischen Prüfung nach dem Arzneimittelgesetz unverzichtbar (BfArM, 2025a). Aus ihnen wird, neben primären Daten zur Sicherheit des jeweiligen Arzneimittels, insbesondere dessen experimentelle Wirksamkeit (*efficacy*) abgeleitet.

175. Für die ganzheitliche Beurteilung eines innovativen Arzneimittels muss jedoch auch die Wirksamkeit bzw. der Nutzen unter Alltagsbedingungen (*effectiveness*, abgeleitet aus Studien im Versorgungskontext) berücksichtigt werden. Die *efficacy* und die *effectiveness* können sich deutlich unterscheiden (sogenanntes **efficacy-effectiveness gap**). Als ursächlich für diese mögliche Diskrepanz werden verschiedene Einflussfaktoren beschrieben: So ist davon auszugehen, dass u. a. das Verhalten der Patient*innen und der behandelnden Akteure im Alltag von der stark kontrollierten Studiensituation abweicht. Hierdurch werden die Anwendung und damit verbunden die Wirkung eines Arzneimittels beeinflusst. Ebenso können die Ein- und Ausschlusskriterien der Studie zu diesem Unterschied beitragen. Beispiele hierfür sind in der Realität kaum vorkommende hochselektive und homogene Studienpopulation ohne relevante Nebendiagnosen oder gegenüber der Studie abweichende Therapieregime (Dosierung, Einnahmezeitpunkt) im Versorgungsalltag (Nordon et al., 2016). All diese Faktoren führen dazu, dass die externe Validität einer klinischen Studie – auch bei hoher interner Validität – limitiert sein kann.

176. Nicht immer sind klinische Studien, insbesondere DBRCTs, machbar bzw. ethisch vertretbar. So können z. B. niedrige Prävalenzen einer Erkrankung dazu beitragen, dass die Rekrutierung einer ausreichenden Zahl von Patient*innen für eine RCT nicht oder nur schwer erreichbar ist. Dazu kommt, dass bei kleiner Fallzahl die Gleichverteilung von unbekannten Störgrößen (*confounder*) durch Randomisierung nicht zuverlässig gelingt. Des Weiteren geht die Durchführung klinischer Studien mit einem hohen bürokratischen, zeitlichen und finanziellen Aufwand einher und führt gerade bei zeitkritischen Fragestellungen zu einer ggf. nicht ausreichend schnellen Verfügbarkeit der benötigten Evidenz.

177. Versorgungsnahe Daten (VeDa)[64] sind Daten, die unter allgemeinen Versorgungsbedingungen, also im Kontext der Regelversorgung, gewonnen werden. VeDa umfassen sowohl primär erhobene Daten (z. B. aus medizinischen Registern) als auch Sekundärdaten (z. B. Abrechnungsdaten von Krankenkassen, Daten von Klinik- und Praxisverwaltungssystemen und Daten aus elektronischen Patientenakten (ePA)). Neben klinischen und administrativen Informationen können VeDa auch patientenberichtete Daten beinhalten (Klinkhammer-Schalke et al., 2020). Analysen der US-amerikanischen Zulassungsbehörden zeigen eine zunehmende Berücksichtigung von VeDa bei der Zulassung von neuen Arzneimitteln: In öffentlichen Bewertungsberichten der US-amerikanischen Arzneimittelbehörde wird beschrieben, dass rund 85 % der Anträge der zwischen Januar 2019 und Juni 2021 neu zugelassenen Arzneimittel eine Form von VeDa enthielten. Bei der Auswertung der Anträge dienten 61 % der VeDa der Kontextualisierung des Therapiegebiets, 56 % wurden in die Risiko-Nutzen-Abwägung einbezogen (Mehrfachnutzung einer VeDa-Quelle war möglich; Purpura et al., 2022).

178. VeDa zeichnen sich oft durch **große Studienpopulationen** sowie durch die Möglichkeiten eines **langen Nachbeobachtungszeitraums** aus. Sie eignen sich daher insbesondere für das Erkennen von seltenen oder spät auftretenden Nebenwirkungen (Klinkhammer-Schalke et al., 2020). Wenn VeDa eine hohe Qualität aufweisen, haben sie ein großes Potential, z. B. in Registern zur (langfristigen) Bewertung des Nutzens von Arzneimitteln beizutragen.

179. Da VeDa nicht unter streng standardisierten Rahmenbedingungen (wie etwa experimentelle Studien) und ohne Randomisierung erhoben werden, kann es beispielsweise aufgrund von Datenlücken, selektiver Erfassung (*information bias*) und/oder fehlender Berücksichtigung wichtiger Einfluss- bzw. Störgrößen (*confounder*) zu **Verzerrungen** kommen. Entsprechend können Studien auf der Basis von VeDa eine geringere interne Validität aufweisen. Zwar kann für bekannte *confounder* häufig auch in nicht-randomisierten Studien angemessen kontrolliert werden, mögliche Einschränkungen der internen Validität können sich jedoch durch bisher nicht bekannte oder im Datensatz nicht erfasste *confounder* ergeben. Sowohl das Verzerrungsrisiko als auch Korrekturmöglichkeiten sind – soweit methodisch möglich – im Einzelfall zu prüfen.[65]

180. Es ist zu erwarten, dass **VeDa durch die fortschreitende Digitalisierung künftig einfacher nutzbar** gemacht werden können, z. B. im Kontext der ePA. Beispiele aus dem Ausland zeigen, dass Studien auf der Basis einheitlich dokumentierter Behandlungsdaten durchaus umsetzbar sind: So werden im britischen Nationalen Gesundheitsdienst (NHS, National Health Service) codierte ePA-Informationen aus Hausarztpraxen – wie Diagnosen und verordnete Medikamente – in pseudonymisierter Form in einer Datenbank (Clinical Practice Research Datalink) gesammelt und mit weiteren gesundheitsbezogenen Daten, z. B. aus Registern oder Krankenhausdaten, verknüpft (NIHR, 2025; Thiel et al., 2020). Bei erfolgreicher flächendeckender Implementierung der ePA und vollständiger Funktionsfähigkeit des Forschungsdatenzentrums Gesundheit (FDZ Gesundheit) wäre in Deutschland z. B. durch Nutzung maschinellen Lernens ein automatisiertes Monitoring der

---

64 „Versorgungsnahe Daten“ ist ein vergleichsweise neuer Ausdruck für „*real world data*“. Die Bezeichnung *real world data* wird international häufig genutzt, suggeriert aber potentiell eine Überlegenheit von „*real world evidence*“ gegenüber klinischen Studien, was irreführend sein kann, da Datengrundlage und Studiendesign hierdurch vermischt werden (Pacheco et al., 2022). Vor diesem Hintergrund findet der Rat die Rede von *real world data* missverständlich und benutzt in diesem Gutachten den Begriff „Versorgungsnahe Daten“.

65 Dazu können beispielsweise das Ausmaß der Varianzaufklärung durch bekannte *confounder* oder *directed acyclic graphs* (Tennant et al., 2020) eingesetzt werden.

Daten(verfügbarkeit) zu besonders ausgaben- und/oder versorgungsrelevanten Arzneimitteln möglich. Auf dieser Basis könnten zielgerichtet Fragestellungen für Studien priorisiert und diese initiiert werden.

181. Erste Schritte des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) in Richtung einer Berücksichtigung verschiedener Datenquellen und Studiendesigns zeigen sich einem „Rapid Report" zur Erhebung und Nutzung von VeDa (IQWiG, 2020). Im Rahmen der Bepreisung innovativer Arzneimittel wurden VeDa bisher vor allem in der anwendungsbegleitenden Datenerhebung (AbD) genutzt (siehe Abschnitt 4.4.2); nur äußerst selten und zumeist fakultativ wurden VeDa in Deutschland bislang für die Nutzenbewertung eingesetzt. Beispielsweise wurden Registerdaten im Anhang des erneuten Nutzenbewertungsverfahrens (nach Fristablauf) des *Orphan Drug* Cerliponase alfa aufgeführt (G-BA, 2022). Im internationalen Vergleich weicht Deutschland mit dem zurückhaltenden Einsatz von VeDa vom Vorgehen anderer europäischer Länder deutlich ab. So werden z. B. in Schweden, Frankreich, Italien und England – unter Einhaltung hoher methodischer Anforderungen und Beachtung möglicher Verzerrungen der Daten – VeDa deutlich häufiger zur Bewertung und Beurteilung von Arzneimitteln herangezogen als in Deutschland (De Pouvourville et al., 2023).

4.2.2 Studienendpunkte

Core Outcome Sets

182. Sowohl im Hinblick auf die Aussagekraft und Qualität einzelner Studien als auch in Bezug auf die Vergleichbarkeit verschiedener Studien kommt der **Auswahl der Endpunkte und Zielparameter große Bedeutung** zu. Die Nutzung unterschiedlicher Endpunkte kann Vergleiche oder Zusammenführungen verschiedener Studien zu gleichen Indikationsgebieten – z. B. im Rahmen von Metaanalysen – deutlich erschweren oder sogar unmöglich machen. Dies gilt insbesondere für indirekte Vergleiche zwischen zwei Therapieoptionen (auf Basis verschiedener Studien). Diese werden von pU häufig als Teil ihres Dossiers für eine frühe Nutzenbewertung eingereicht, wenn RCTs, die einen direkten Vergleich mit der zweckmäßige Vergleichstherapie (zVT) beinhalten, fehlen. Indirekte Vergleiche werden derzeit – auch aufgrund fehlender Vergleichbarkeit der Endpunkte – in der Nutzenbewertung jedoch kaum berücksichtigt (Werner et al., 2019).

183. Als **international anerkanntes Instrument zur einheitlichen Endpunkterfassung haben sich Core Outcome Sets (COS)** etabliert. Ihr Einsatz wird u. a. von der WHO in der „Leitlinie für die bestmögliche Durchführung klinischer Studien" empfohlen (WHO, 2024). Ein COS ist ein definiertes Set an Endpunkten für einen bestimmten klinischen Anwendungsbereich, das im Sinne eines Kerndatensatzes in allen Studien zu diesem Anwendungsbereich erfasst werden sollte (Williamson et al., 2017). Ein COS umfasst in der Regel verschiedene Kategorien von *outcomes* wie Mortalität, klinische Parameter (z. B. Schweregradscores), bio-psycho-soziale Faktoren (z. B. gesundheitsbezogene Lebensqualität) und die Inanspruchnahme von Versorgungsleistungen (z. B.

Hospitalisierungsraten; Boers et al., 2014; Dodd et al., 2018; Schmitt et al., 2019). Konsentierte COS[66] liegen inzwischen für mehrere hundert Entitäten vor und sind in Datenbanken einsehbar.[67]

184. Neben der einheitlichen Erfassung von objektivierbaren klinischen Parametern sollten in klinischen Studien immer auch patientenberichtete Endpunkte genutzt werden (Kluzek et al., 2022). So findet die Perspektive von Patient*innen bei Allokationsentscheidungen Berücksichtigung. Bei sogenannten **Patient-Reported Outcome Measures (PROMs)** werden Patient*innen direkt befragt, z. B. in Bezug auf empfundene Schmerzen, Lebensqualität oder die Teilhabe am Sozialleben (Kluzek et al., 2022). Als weitere patientenzentrierte Parameter werden **Patient-Reported Experience Measures (PREMs)** eingesetzt. Diese erheben Daten zu persönlichen Erfahrungen der Patient*innen im Versorgungsalltag, z. B. inwieweit sie die eigenen Werte und Präferenzen in der Arzt-Patienten-Kommunikation oder in bestimmten Therapieschemata respektiert sehen. In der Untersuchung von Arzneimitteln werden PREMs z. B. in der Beurteilung von Hormonpräparaten in der Kinderwunschbehandlung eingesetzt (Lankreijer et al., 2016). Dem hohen Stellenwert von patientenberichteten Endpunkten wird auch in der Erstellung von COS Rechnung getragen: PROMs werden schon jetzt regelhaft u. a. zur Erfassung von Lebensqualität in COS eingesetzt. Es wurden bereits Leitlinien zur systematischen Identifikation und Auswahl passender PROMs in der Entwicklung von COS erarbeitet und auch PREMs werden zunehmend integriert (Burgess et al., 2021; Macefield et al., 2014).

185. Die Verwendung eines COS gewährleistet Konsistenz und Vergleichbarkeit über verschiedene Studien hinweg und könnte mittels indirekter Vergleiche die Evidenzbasis für die Bewertung innovativer Arzneimittel ohne erheblichen Ressourceneinsatz deutlich verbessern (Williamson et al., 2017). Das COS-Konzept impliziert keine Exklusivität, d. h., es können weitere *outcomes* über das COS hinaus genutzt werden, auch als primäres Studienoutcome. Der Rat **empfiehlt die Nutzung von international konsentierten COS für die Studiendurchführung** in Deutschland. Falls auf die Erhebung der international konsentierten COS als Zielparameter verzichtet wird, sollte hierfür eine Begründung im Studienprotokoll und Dossier formuliert werden. Um die konsequente Anwendung von COS zu fördern, sollte das IQWiG beauftragt werden, zu prüfen, inwiefern COS in den „Allgemeinen Methoden", dem Methodenleitfaden des IQWiG, Berücksichtigung finden können, auch im Hinblick auf indirekte Vergleiche.

Indikationsübergreifende Endpunkte

186. Neben der Vergleichbarkeit innerhalb eines Indikationsgebiets ist ebenso die Vergleichbarkeit zwischen verschiedenen Indikationsgebieten wichtig für eine differenzierte Bepreisung des Zusatznutzens. Eine Analyse aus dem Jahr 2023 weist darauf hin, dass die Kosten pro klinisch relevantem Nutzengewinn zwischen Indikationsgebieten durchaus variieren (Büssgen & Stargardt, 2023). Die Aussagekraft der Analyse ist jedoch limitiert, da **in Deutschland kein indikationsübergreifendes Maß** für therapeutischen Nutzen eingesetzt wird.

187. International hat sich als indikationsübergreifender Endpunkt insbesondere die Erfassung von Lebensqualität in Kombination mit der Lebensdauer als Maßeinheit des Gesundheitszustands in

[66] In den Konsentierungsprozess werden neben Gesundheitsfachpersonen und Wissenschaftler*innen immer auch betroffene Patient*innen einbezogen (Kearney et al., 2023; Williamson et al., 2017).

[67] Beispielsweise auf der Webseite der COMET Initiative (Core Outcome Measures in Effectiveness Trials Initiative): https://www.comet-initiative.org.

Form von **qualitätsadjustierten Lebensjahren** (**QALYs**, *Quality-adjusted Life Years*)[68] bewährt (IQWiG, 2025). Die Differenz zwischen den QALYs vor und nach sowie mit und ohne Intervention kann zur Quantifizierung der Auswirkung der Intervention herangezogen werden.

188. In Ergänzung zum flächendeckenden Einsatz von COS spricht sich der Rat für die **Erhebung von QALYs als indikationsübergreifendem Endpunkt** aus. Die dadurch gewonnenen zusätzlichen Informationen können für weitere Analysen genutzt (z. B. Kosten-Nutzwert-Bewertungen, siehe dazu Kapitel 2) und in Preisverhandlungen fakultativ herangezogen werden und so die Informationsgrundlage und Verhandlungsposition des GKV-Spitzenverbandes (GKV-SV) stärken. Zusätzliche Vorteile wären eine verbesserte Transparenz sowie eine Angleichung an internationale methodische Standards der Gesundheitsökonomie, wie sie nach § 35a Abs. 1 SGB V gesetzlich gefordert sind (siehe Textziffer 168).

4.2.3 Innovative Studientypen

Registerbasierte Studien

189. Registerdaten werden typischerweise unter **allgemeinen Versorgungsbedingungen** erhoben, entsprechen also VeDa. In der wissenschaftlichen Untersuchung von Arzneimitteln nehmen Registerstudien international einen zunehmend wichtigen Platz ein (Eriksson et al., 2022; Jonker et al., 2022; Olmo et al., 2019). In Deutschland kommen sie im Kontext der Arzneimittelbewertung aktuell nur eingeschränkt zum Einsatz. Beispielsweise werden aus Registern Informationen über den natürlichen Krankheitsverlauf und bisher angewandte Therapien gewonnen. Dies kann die Festlegung der zVT oder Abschätzung der Anzahl von Patient*innen, die von einem spezifischen Arzneimittel profitieren könnten, erleichtern (Griesinger & Jänicke, 2022; Wicherski et al., 2022).

190. Die Nutzbarkeit der Daten aus medizinischen Registern ist immer in Abhängigkeit von deren **Qualität** – z. B. in Bezug auf die Standardisierung der Datenerfassung (siehe Abschnitt 4.5.1) – zu beurteilen. Hierfür wurden vom IQWiG **Anforderungskriterien** zusammengestellt: Neben auf die jeweilige Fragestellung bezogenen Kriterien, wie der Repräsentativität der Stichprobe oder der Vollständigkeit der erhobenen *confounder*, werden Maßnahmen zur Sicherstellung und Prüfung der Datenqualität (z. B. durch die Verwendung von Standard-Klassifikationen und validierten Erhebungsinstrumenten) sowie die wissenschaftliche Unabhängigkeit des Registers gefordert (IQWiG, 2020).

191. Auf Basis von Registerstrukturen und -daten kann Studienevidenz generiert werden. Erfolgt dies durch vergleichende Untersuchungen von Interventionseffekten, kann die so gewonnene Evidenz Aussagen über die komparative Effektivität und Sicherheit einer Behandlung – ggf. auch für Subgruppen der Patientengruppen – befördern und damit als Datenquelle für die Bewertung des Zusatznutzens dienen (Stausberg et al., 2020; Wicherski et al., 2022).

---

[68] Zur Berechnung von QALYs wird die gesundheitsbezogene Lebensqualität auf einer Skala zwischen -1 und 1 erfasst (wobei 1 der vollen Lebensqualität, 0 gleichwertig zum Tod und negative Zahlen Zuständen entsprechen, die schlimmer als der Tod bewertet wurden) und anschließend mit der (Rest-)Lebensdauer multipliziert (Schneider, 2022). Dabei entspricht ein QALY einem Lebensjahr bei voller Lebensqualität (Kaplan & Hays, 2022). Die Berechnung von QALYs beinhaltet eine Modellierung von gesundheitlichen Langzeit-Effekten. Dies bringt einerseits zusätzliche Informationen mit sich, andererseits jedoch statistische und strukturelle Unsicherheiten (für eine ausführliche methodische Diskussion siehe z. B. Drummond et al., 2015).

192. Register können eine effiziente Basis für die Einbettung von RCTs darstellen (*Registry Embedded Trials*, **registerbasierte RCTs**; Stausberg et al., 2020; Wicherski et al., 2022; Zuidgeest et al., 2017). Ein Vorteil registerbasierter RCTs liegt in der hohen externen Validität der Ergebnisse aufgrund der Datenerhebung im Versorgungskontext bei gleichzeitig hoher internen Validität. Auch eine Nachbeobachtung ist im Falle registerbasierter RCTs logistisch besonders einfach umsetzbar, da die Verknüpfung von RCT-Daten mit Registerdaten bereits gegeben ist. Dies ermöglicht einen zusätzlichen Informationsgewinn zu langfristigen Krankheitsverläufen, seltenen Nebenwirkungen und Therapieerfolgen (Doherty et al., 2023). Wenn die Möglichkeit bestünde, verschiedene Datenquellen einzelner Patient*innen über eine individuelle Identifikationsnummer (*unique identifier)* miteinander zu verknüpfen (siehe Exkurs in Textziffer 224), könnte dies – eine möglichst flächendeckende Registerinfrastruktur und/oder ePA-Daten vorausgesetzt – auch für herkömmliche RCTs möglich sein. In skandinavischen Ländern und UK ist das bereits seit mehreren Jahren gängige Praxis (Fitzpatrick et al., 2018).

193. Neben eingebetteten interventionellen Studien können Register auch zur Durchführung von Beobachtungsstudien genutzt werden. Dabei stellt die sogenannte **Target Trial Emulation (TTE)** ein relativ neues und im Kontext der Arzneimittelbewertung besonders interessantes Studiendesign dar. Bei TTEs werden vorhandene Datensätze – etwa eines Registers – genutzt, um ein RCT nachzubilden, d. h. zu emulieren (Hernán & Robins, 2016; Jakobs et al., 2023). Grundsätzlich ist eine TTE prospektiv und retrospektiv möglich. Für die Durchführung einer TTE wird zunächst ein Studienplan erstellt, der klar definierte Studienfrage(n) und das Studiendesign beinhaltet. Für Letzteres müssen u. a. Ein- und Ausschlusskriterien, zu berücksichtigende Störgrößen, klare Endpunkte, Fallzahlplanung und -begründung, der Umgang mit fehlenden Daten, definierte Auswertungsprotokolle (z. B. *intention to treat*) und ein präspezifizierter statistischer Analyseplan festgelegt werden (Hernán & Robins, 2016; Jakobs et al., 2023). Dabei ist die Emulierung der Randomisierung (*random treatment assignment*) eine Voraussetzung, um Selektionsverzerrungen in TTEs zu minimieren, und somit ein wichtiges Qualitätskriterium von TTEs (Zuo et al., 2023). Werden grundsätzliche methodische Qualitätskriterien wie dieses erfüllt, gelten TTEs aufgrund ihres vergleichsweise geringeren *risk of bias* gegenüber herkömmlichen Beobachtungsstudien als überlegen (Braitmaier & Didelez, 2022).

Exkurs: Target Trial Emulation – ein Anwendungsbeispiel

194. Yiu et al. verglichen die Wirksamkeit der zwei Antikörper Secukinumab und Ustekinumab zur Behandlung von Psoriasis anhand von Daten des britischen multizentrischen „British Association of Dermatologists Biologics and Immunomodulators Register*"* (Yiu et al., 2021). Dabei **emulierten sie die DBRCT „CLEAR"**, welche die Wirksamkeit und Sicherheit von Secukinumab gegenüber Ustekinumab untersucht hatte (Thaçi et al., 2015). Ziel der TTE war es, zu überprüfen, ob die Wirksamkeit der medikamentösen Therapien unter Alltagsbedingungen genauso hoch ist wie in der CLEAR-Studie berichtet (siehe *efficacy-effectiveness gap*, Textziffer 175). Ausgewertet wurde der Psoriasis Area and Severity Index (PASI). Der primäre Endpunkt war ein PASI-Wert von zwei oder weniger nach zwölf Monaten Therapie.

Die Ergebnisse dieser Studie zeigten, wie auch die bereits durchgeführte DBRCT (CLEAR-Studie), dass die Behandlung mit Secukinumab der mit Ustekinumab in Bezug auf den primären Endpunkt überlegen war. Der Anteil an Patient*innen, die einen PASI-Wert von zwei oder weniger nach zwölf Monaten Therapie erreichte, war jedoch für beide Behandlungen geringer als in der

CLEAR-Studie berichtet. Folglich wird beiden Therapieansätzen **unter Alltagsbedingungen eine geringere Wirksamkeit** zugeschrieben als in der randomisierten kontrollierten CLEAR-Studie (Yiu et al., 2021).

195. Ein Vorteil von TTEs auf Basis von medizinischen Registern ist deren **hohe Effizienz** in Bezug auf die zeitlichen und finanziellen Ressourcen. Daher gelten TTEs als vielversprechendes Studiendesign (Antoine et al., 2023; Braitmaier & Didelez, 2022). Auch vonseiten des IQWiG werden TTEs auf Basis qualitativ hochwertiger Register als empfehlenswert eingestuft (IQWiG, 2020). Trotzdem sollte den Limitationen von TTEs insofern Rechnung getragen werden, dass TTEs im Rahmen der frühen Nutzenbewertung nur dann zum Einsatz kommen, wenn RCTs – z. B. aus ethischen, zeitlichen oder finanziellen Gründen – nicht umsetzbar sind. Im Rahmen der Evidenzgenerierung für erneute Nutzenbewertungen, die der Reevaluation innovativer Arzneimittel dienen, sieht der Rat TTEs als nützliche Ergänzung (siehe auch Tabelle 4-1).

196. Der Einsatz von Registerstudien im Produktlebenszyklus eines Arzneimittels unterscheidet sich außerdem je nach Art des Arzneimittels. Insbesondere für *Orphan Drugs* könnte die Generierung von Evidenz aus registerbasierten Studien die frühe Nutzenbewertung verbessern. Bei **seltenen Erkrankungen empfiehlt der Rat daher, eine registerbasierte Datenerhebung ab Markteintritt** zu etablieren und in der (frühen) Nutzenbewertung zu berücksichtigen (siehe auch Textziffer 205). Darüber hinaus könnte eine bessere Registerinfrastruktur die Evidenzgenerierung für spätere Reevaluationen auch für häufige Erkrankungen deutlich erleichtern.

Plattformstudien

197. Plattformstudien sind ebenfalls eine vergleichsweise neue Studienart, die in den vergangenen Jahren international zunehmend Verbreitung gefunden hat. Plattformstudien erlauben es, mehrere Arzneimitteltherapien und/oder Patientengruppen gleichzeitig (innerhalb derselben Studie) zu untersuchen (Roustit et al., 2023). Plattformstudien verfolgen einen **adaptiven Ansatz**; das Studiendesign ist flexibel und kann im Verlauf angepasst werden. Beispielsweise können neue Therapieoptionen (Studienarme) hinzugefügt und andere abgesetzt werden. Häufig wird eine gemeinsame Kontrollgruppe genutzt, was die Zahl der insgesamt benötigten Studienpatient*innen verringert (Roustit et al., 2023). Die Zuteilung der Patient*innen zu einem Studienarm erfolgt in der Regel randomisiert. Dieser dynamische Ansatz wird durch eine regelmäßige Analyse von Zwischenergebnissen ergänzt und kann so zu einem raschen Erkenntnisgewinn führen (Burki, 2023). So können Plattformstudien die Kosteneffektivität der Evidenzgenerierung verbessern und Zeitersparnisse erzielen. Ein Beispiel einer erfolgreichen Plattformstudie ist die britische RECOVERY-Studie, die während der SARS-CoV-2-Pandemie innerhalb eines kurzen Zeitraums den Nutzen von Dexamethason in der Therapie von COVID-19 aufzeigte (The RECOVERY Collaborative Group, 2021).

198. Die Planung und das Management von Plattformstudien sind komplex und bedürfen einer umfassenden Zusammenarbeit von Kliniker*innen, Daten- und Methodenexpert*innen. Als Struktur- und Datenbasis für Plattformstudien können ebenfalls Register genutzt werden (**registerbasierte Plattformstudien**), was sich – bei vorbestehenden belastbaren Registerstrukturen – wiederum positiv auf Kosten und Geschwindigkeit der Evidenzgenerierung auswirkt. In Deutschland gilt die Studienplanung u. a. aufgrund des nicht ausreichend harmonisierten, föderalen Antragswesens als besonders herausfordernd (Laschet, 2022). Als eines der ersten Modellprojekte im Bereich der

Plattformstudien baut das Nationale Pandemie Kohorten Netz momentan eine therapeutische Interventionsplattform auf, die künftig auch klinische Prüfungen von Arzneimitteln mittels adaptiven Studiendesigns ermöglichen soll (NAPKON, 2024).

199. Plattformstudien können die Evidenzgenerierung insbesondere für Therapiegebiete verbessern, in denen mehrere Arzneimittel gleichzeitig oder kurz hintereinander auf den Markt kommen. In diesen Fällen ist es auf Basis klassischer Zulassungsstudien, die häufig ältere Therapien oder ein Placebo als Vergleich heranziehen, besonders schwierig, versorgungsrelevante Vergleiche anzustellen. Die Durchführung einer Plattformstudie nach Zulassung z. B. in Form einer industrieunabhängigen Studie (IIT*, Investigator Initiated Trial*) könnte die Generierung aussagekräftiger Evidenz für eine erneute Nutzenbewertung im Vergleich zu einzelnen Beobachtungsstudien **um viele Monate beschleunigen** (IQWiG, 2022a). Darüber hinaus könnte das Format der Plattformstudie auch die Durchführung randomisierter Studien für Erkrankungen mit niedriger Prävalenz, aber einer ausgeprägten Dynamik in der Entwicklung neuer Therapieformen erleichtern (z. B. bei der spinalen Muskelathrophie der Fall). Aufgrund der relativ hohen Initiierungskosten und -dauer empfiehlt der Rat, Plattformstudien gezielt einzusetzen und für die hier skizzierten Anwendungsfälle bereits frühzeitig adaptive Studienkonzepte und Strukturen zu entwickeln.

200. Insgesamt sieht der Rat signifikantes Potential in den oben beschriebenen neuen Studientypen für eine effiziente Bewertung von innovativen Arzneimitteln und spricht die Empfehlung aus, regulatorische **Rahmenbedingungen für die Durchführung registerbasierter RCTs, TTEs und (registerbasierter) Plattformstudien konstruktiv zu gestalten**. Bereits im Digitalisierungsgutachten aus dem Jahr 2021 forderte der Rat die Förderung medizinischer Register für die patientenorientierten Forschung (SVR, 2021, Textziffer 549). In Anbetracht der breiten Nutzungsmöglichkeiten sind qualitativ hochwertige Register für die Generierung hochwertiger Evidenz aus Sicht des Rats auch im Kontext der Arzneimittelbewertung besonders förderungswürdig; ihr Ausbau wird empfohlen. Dabei sollte insbesondere den vom IQWiG vorgeschlagenen Maßnahmen zur Sicherung der Datenqualität (siehe Textziffer 190) Rechnung getragen werden. Die vom Rat empfohlene Ausgestaltung der Registerstrukturen wird in Abschnitt 4.5.1 erörtert.

4.3 Einsatz und Bewertung von Evidenz im Kontext verschiedener Arzneimittelgruppen und ihres Produktlebenszyklus

201. Die in Abbildung 4-1aufgeführten unterschiedlichen Studientypen bzw. Datenarten werden im **Produktlebenszyklus eines Arzneimittels** zu unterschiedlichen Zeitpunkten eingesetzt. Während Laborstudien bereits ab der frühen Phase der Entwicklung eines neuen Wirkstoffs genutzt werden, stehen in Bezug auf die frühe Nutzenbewertung von Arzneimitteln klinische Studien im Vordergrund. Ab dem Zeitpunkt der Markteinführung können auch VeDa generiert und darauf basierende Studien durchgeführt werden. Somit ist die Auswahl der adäquaten Daten immer im Kontext des Produktlebenszyklus zu treffen und zu beurteilen.

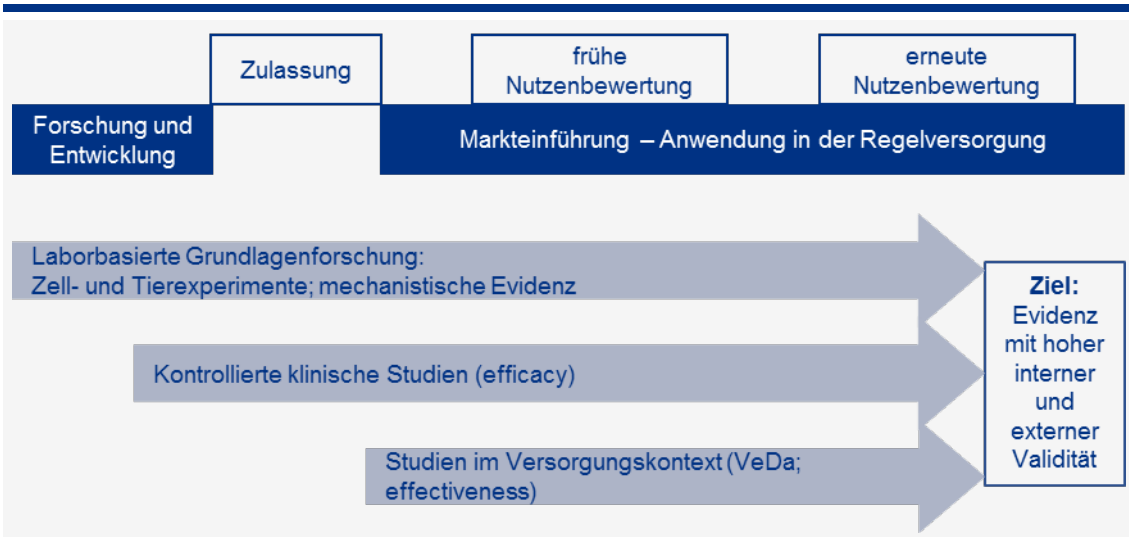

Abbildung 4-1: Einsatz verschiedener Studientypen und Datenarten über den Produktlebenszyklus eines Arzneimittels

VeDa = Versorgungsnahe Daten.

Quelle: Eigene Darstellung.

202. Der Rat erkennt an, dass die **Bewertung von Arzneimitteln** vor dem Hintergrund des raschen pharmakologischen Fortschritts **zunehmend komplexer** wird. So trägt die Personalisierung von Therapieansätzen dazu bei, dass herkömmliche Studiendesigns in der Folge schwerer umsetzbar werden (Schork, 2018). Beispielsweise kann die Stratifizierung in der personalisierten Medizin zu sehr kleinen Subgruppen führen und damit die Durchführung von klassischen DBRCTs nicht oder nur unter sehr hohem Aufwand zulassen. Ebenso ist bei *Orphan Drugs* die Durchführung von DBRCTs aufgrund der geringen Anzahl von Patient*innen bisweilen erschwert oder führt zu unbefriedigenden Verzerrungen. Gleichwohl zeigte eine Analyse des IQWiG zur regulären Nutzenbewertung von *Orphan Drugs* (im Rahmen einer erneuten Nutzenbewertung; siehe Abschnitt 2.2.4), dass für 80 % (16 von 20) der Wirkstoffe mindestens eine RCT durchgeführt wurde. Für 28 der insgesamt 78 versorgungsrelevanten Fragestellungen (36 %) – über alle untersuchten Anwendungsgebiete und

Subgruppen hinweg – lagen Daten aus (vergleichenden) RCTs vor (IQWiG, 2021).[69] Dieser Anteil könnte durch die Nutzung von Registerstrukturen und eine bessere (europäische) Vernetzung weiter gesteigert werden (Wieseler et al., 2023). Dahingehende Maßnahmen unterstützt der Rat ausdrücklich. Der Rat geht davon aus, dass bei einem regulären Einbezug von *Orphan Drugs* in die frühe Nutzenbewertung (siehe Kapitel 2) innovative Studiendesigns – wie Plattformstudien oder TTEs – für die Nutzenbewertung verstärkt an Bedeutung gewinnen werden (siehe Abschnitt 4.2.3).

203. Auch **Arzneimittel für neuartige Therapien** (**ATMPs**, *Advanced Therapy Medicinal Products*; siehe auch Kapitel 1) sind in diesem Kontext zu nennen, insbesondere solche, die als Einmaltherapie appliziert werden und auf Heilung ausgerichtet sind. Die Art der durch ATMPs bisher behandelbaren Erkrankungen und die oft geringe Anzahl betroffener Patient*innen führen dazu, dass ATMPs häufig lediglich in nicht-randomisierten, teils einarmigen Studien mit sehr kleinen Fallzahlen untersucht werden. Bisher wird nur ein kleiner Anteil der mit ATMPs behandelten Patient*innen in Register eingeschlossen, obwohl gerade bei diesen innovativen Arzneimitteln mit neuen, bisher weitestgehend unbekannten Wirkmechanismen eine langfristige Beobachtung der Wirkungen und möglicher Nebenwirkungen und Langzeitfolgen wichtig wäre (Schüßler-Lenz et al., 2022).

204. Ziel ist es, für die Nutzenbewertung ein Evidenzniveau mit hoher interner und externer Validität zu erreichen. Der Rat unterstreicht in diesem Kontext die Bedeutung **doppelblinder randomisierter kontrollierter Studien** (mit geringer statistischer Unsicherheit und engem Konfidenzintervall) **als methodischen Goldstandard** für die frühe Nutzenbewertung von Arzneimitteln. Grundsätzlich gilt dies für Arzneimittel zur Behandlung häufiger Erkrankungen wie für Arzneimittel seltener Erkrankungen (*Orphan Drugs*) gleichermaßen. Jedoch empfiehlt der Rat in Anbetracht der oben skizzierten Herausforderungen, bei der Bewertung der verfügbaren Evidenz zwischen häufigen und seltenen Indikationen zu differenzieren (siehe Tabelle 4-1).

205. Wenn für eine vergleichsweise **seltene Indikation** (für die ein *Orphan Drug* oder eine individualisierte Therapie infrage käme) keine oder nur unter erheblichem Aufwand und langem Zeitverlauf RCTs durchgeführt werden können, sollten z. B. registerbasierte TTE, ggf. in Verbindung mit mechanistischer Evidenz, für die frühe Nutzenbewertung herangezogen werden (siehe Tabelle 4-1). Um aussagekräftige registerbasierte TTEs zu seltenen Therapiegebieten zuverlässig und mit vertretbarem Aufwand durchführen zu können, bedarf es Indikationsregister mit nationaler (oder europäischer) Abdeckung (siehe Abschnitt 4.5.1 und Kapitel 3).

[69] Eine Limitation der Analyse besteht darin, dass hier nur *Orphan Drugs* untersucht wurden, die im Verlauf ihres Lebenszyklus auch eine (erneute) reguläre Nutzenbewertung, beispielsweise aufgrund des Überschreitens der Umsatzgrenze von 30 Millionen Euro pro Jahr, durchliefen. Diese Vorselektion kann die Übertragbarkeit der Ergebnisse einschränken.

Indikationsgebiet (Prävalenz)	Frühe Nutzenbewertung (obligatorisch)	Erneute Nutzenbewertungen (fakultativ)
Häufig	RCT; keine grundsätzliche Anpassung der Prozesse notwendig	pragmatische (registerbasierte) RCT oder registerbasierte TTE Plattformstudie
Selten oder individualisierter Therapieansatz (Orphan Drugs, ATMPs)	(registerbasierte) RCT oder registerbasierte TTE PLUS mechanistische Evidenz	Pragmatische (registerbasierte) RCT oder registerbasierte TTE Plattformstudie

Tabelle 4-1: Empfehlungen zur Nutzung verschiedener Studientypen in der Bewertung innovativer Arzneimittelgruppen nach Prävalenz des Indikationsgebiets

ATMP = Advanced Therapy Medicinal Products; RCT = Randomised Controlled Trial; TTE = Target Trial Emulation.

Quelle: Eigene Darstellung.

206. Neben der regulären frühen Nutzenbewertung ist unter bestimmten Voraussetzungen ebenso eine **spätere Reevaluation des Zusatznutzens** (erneute Nutzenbewertung, siehe Kapitel 2 und Kapitel 5) möglich und sinnvoll. Diese kann dazu dienen, neue Studienevidenz (z. B. aus IITs und/oder einer AbD) einzubeziehen und so offene Fragen zum Nutzen in der Regelversorgung zu beantworten (siehe auch *efficacy-effectiveness gap*, Textziffer 175). Im Rahmen einer erneuten Nutzenbewertung sollten neben traditioneller Studienevidenz auch verstärkt pragmatische[70] RCTs und innovative Studiendesigns auf Basis von VeDa Beachtung finden (siehe Tabelle 4-1).

207. Der Rat empfiehlt, für die oben erläuterten Anwendungsfälle (siehe Tabelle 4-1) bei der Auswahl und Generierung von Evidenz für die Nutzenbewertung, eine **erweiterte Basis von Daten- und Studienarten** zu nutzen. Dabei versteht der Rat die interne und die externe Validität grundsätzlich nicht als konkurrierende Ziele. Vielmehr sollte angestrebt werden, durch die Art der Fragestellung und die Auswahl des bzw. der Studiendesigns und damit einhergehend der genutzten Datenarten beiden Zielen bestmöglich gerecht zu werden. Dafür empfiehlt der Rat, das IQWiG zu beauftragen, innovative Methoden (siehe Abschnitt 4.2.3) auf Anwendbarkeit im AMNOG-Verfahren zu prüfen, ggf. in die „Allgemeinen Methoden" des Instituts aufzunehmen und diese um Empfehlungen für spätere Reevaluationen (erneute Nutzenbewertungen bei neuer Evidenz) zu ergänzen.

4.4 Anreizsetzung zur Evidenzgenerierung

208. Die aktuelle Systematik des Bewertungs- und Preisbildungsverfahrens trägt zu Lücken in der zur Verfügung stehenden Evidenz bei. So ist es z. B. bis zur Zulassung bzw. zum Markteintritt eines neuen Arzneimittels nur dem pU möglich, Studien mit dem Arzneimittel durchzuführen. Die Solidargemeinschaft ist darauf angewiesen, dass das pU für eine frühe Nutzenbewertung relevante

[70] Pragmatische Studien zielen darauf ab, die Wirksamkeit und Sicherheit von Arzneimitteln unter (möglichst) realen Versorgungsbedingungen zu untersuchen. Dazu dienen beispielsweise möglichst breite Einschlusskriterien, versorgungsnahe Therapiesituationen und patientenrelevante Endpunkte (Ford & Norrie, 2016).

Studien durchgeführt hat. Außerdem sind die im Rahmen der Entwicklung innovativer Arzneimittel gewonnenen Erkenntnisse bis zum Zeitpunkt der Zulassung zumeist nicht vollständig öffentlich zugänglich. Es besteht also ein gewisses **Wissensmonopol**, welches auch mit Beginn des Zulassungsverfahrens eines Arzneimittels nur teilweise aufgehoben wird. Auch das Monopol der Generierung von Wissen liegt vor der Zulassung beim pU. Es wird erst im Zeitverlauf z. B. durch **industrieunabhängige Studien** schrittweise abgebaut. Entsprechend basiert die frühe Nutzenbewertung im AMNOG-Verfahren maßgeblich auf Studienevidenz, die das pU selbst durchgeführt oder veranlasst hat. Diese Informationsasymmetrie kann Preisverhandlungen nachteilig beeinflussen (siehe Abschnitt 2.4.1 in Kapitel 2).

209. Auch **strukturelle Herausforderungen in der Evidenzgenerierung** führen im Rahmen des AMNOG-Prozesses zu Evidenzlücken. Zum einen können Langzeitfolgen, sowohl erwünschte Wirkungen als auch (seltene) Nebenwirkungen, zum Zeitpunkt der frühen Nutzenbewertung nicht ausreichend erfasst werden. Zum anderen bleiben Fragen zur Wirksamkeit in der Regelversorgung offen (siehe auch *efficacy-effectiveness gap,* Textziffer 175). Die Möglichkeit einer beschleunigten Zulassung (*conditional approval* und *exceptional circumstance*) kann diese Evidenzlücken – insbesondere zum Zeitpunkt der frühen Nutzenbewertung – weiter verstärken (Haas et al., 2021; Hulstaert et al., 2021). Bei der beschleunigten Zulassung wird der Marktzugang nach initialer Nutzen-Risiko-Bewertung trotz ausstehender klinischer Phase-III-Studien gewährt (EMA, 2025a; vfa, 2025). Diese Form der Zulassung ist grundsätzlich befristet und die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA, European Medicines Agency) ordnet in diesen Fällen die Durchführung von weiteren, meist randomisierten Studien an.[71] Häufig kommt es jedoch zu Verzögerungen, sodass Studienergebnisse selbst nach mehreren Jahren fehlen können (Bloem et al., 2019; Haas et al., 2021).

4.4.1 Anreize im Rahmen der frühen Nutzenbewertung

210. Eine wichtige Grundlage des AMNOG-Systems ist die Pflicht der pU, die Evidenz für den Nachweis eines etwaigen Zusatznutzens ihres Produktes selbst bereitzustellen: „Arzneimittelpreise müssen sich am therapeutischen Zusatznutzen für die Patienten orientieren, der in jedem Einzelfall **vom Hersteller nachzuweisen** ist“ (BMG, 2010; Hervorhebung: SVR). Durch die im AMNOG-System grundsätzlich vorgesehene Koppelung zwischen Preis und Zusatznutzen soll die Generierung der hierfür benötigten Evidenz incentiviert werden. Die im Jahr 2022 im Rahmen des GKV-Finanzstärkungsgesetz (GKV FinStG) eingeführten sogenannten Leitplanken hatten dieses Prinzip weiter gestärkt: Hierüber wurde gesetzlich verankert, dass Arzneimittel, für die kein Zusatznutzen belegt werden konnte, nicht höher bepreist werden dürfen als die zVT, sondern vielmehr ein Abschlag in Höhe von 10 % anfällt (Näheres zu den Leitplanken in Kapitel 2). Mit den beschriebenen Leitplanken dürfte für die pU der Anreiz verstärkt werden, für die frühe Nutzenbewertung ausreichend aussagekräftige Evidenz vorzulegen, um das Ergebnis „Zusatznutzen nicht belegt“ zu vermeiden.

211. Die **fortbestehenden Evidenzlücken** lassen sich u. a. dadurch erklären, dass aus Sicht des pU die Durchführung weiterer Studien vor allem von Interesse ist, wenn sich daraus wirtschaftliche

[71] Für Arzneimittel, die eine Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen (*exceptional circumstances*) erhalten haben, können Anordnungen abweichen oder ausgesetzt werden, da umfassende Daten nicht bereitgestellt werden können: „*Comprehensive data cannot be provided specific reasons foreseen in the legislation*“ (EMA, 2025b, Seite 26).

Vorteile ergeben.[72] Dabei hängt vom Ergebnis der Studien mutmaßlich nicht nur der verhandelbare Preis, sondern auch das Verschreibungsverhalten und damit die absetzbare Menge ab. Umgekehrt betrachtet: Wenn für ein innovatives Arzneimittel ein relativ geringer Zusatznutzen erwartbar ist, wäre aus Sicht des pU die Bereitstellung weiterer (hochwertiger) Evidenz möglicherweise kontraproduktiv, da die Verhandlungsposition des GKV-SV gestärkt würde. Hinzu kommt, dass in der Folge nicht nur Preisabschläge im deutschen System, sondern in weiteren Gesundheitssystemen möglich sind, wenn dort auf den deutschen Preis referenziert wird oder die Evidenz, deren Gültigkeit üblicherweise nicht auf den nationalen Kontext beschränkt ist, für eine dortige Nutzenbewertung verwendet wird.[73]

212. Hinzu kommt, dass im AMNOG-System selbst die **eigentlich dort vorgesehenen Anreize nicht konsequent angewendet** werden: Eine für den AMNOG-Report der DAK-Gesundheit durchgeführte Analyse aus dem Jahr 2020 zeigte, dass auch Arzneimittel ohne belegten Zusatznutzen im Durchschnitt ca. 60 % höhere Erstattungspreise erzielen als die zVT[74] (Greiner et al., 2020, Analyse/Daten teilweise unveröffentlicht). Die Kosten der zVT wurden auf Basis von Annahmen geschätzt; offizielle Angaben zu den in den Preisverhandlungen zugrunde gelegten Kosten der zVT gibt es (bisher) nicht. Es kommt also zu einer Ausgabensteigerung ohne zusätzlichen Nutzen für die Bevölkerung. Die so erzielten Arzneimittelpreise stehen somit im direkten Gegensatz zu den Grundanforderungen des SGB V. Außerdem wurden die Leitplanken (siehe Kapitel 2) mit dem Inkrafttreten der im Medizinforschungsgesetz (MFG) verabschiedeten Ausnahmeregelungen stark aufgeweicht: Wenn im Rahmen der klinischen Prüfung eines neuen Arzneimittels mindestens 5 % der Proband*innen in Deutschland rekrutiert wurden[75], wird die Leitplankenregelung für dieses Präparat außer Kraft gesetzt (§ 35 Abs. 3 Satz 4 SGB V). Entsprechend werden die Leitplanken in Zukunft vermutlich nur noch eingeschränkt zur Anwendung kommen. Um die Koppelung zwischen nachgewiesenem Zusatznutzen und Preisniveau abzusichern, empfiehlt der Rat die Beibehaltung und **konsequente Anwendung der Leitplanken in ihrer ursprünglichen Form**, also ohne Ausnahmeregelungen für standortspezifische Forschungsaktivität (zur wirtschaftspolitischen Einordnung siehe auch Kapitel 6).

213. Zusätzlich sollte in Erwägung gezogen werden, die **Vorlage belastbarer Evidenz zur zwingenden Voraussetzung für eine Preisverhandlung** nach der frühen Nutzenbewertung zu machen. Zu diesem Zweck könnte ein ab Markteintritt geltender Interimspreis auf Höhe der zVT-Kosten festgesetzt werden, um für das pU möglichst starke Anreize zur Generierung von Evidenz

---

[72] Dies dürfte dann der Fall sein, wenn die abzüglich der Studienkosten möglichen Umsätze, die unter Berücksichtigung der Wahrscheinlichkeit bestimmter Studienergebnisse erzielt werden können, den Umsatz übersteigen, der ohne weitere Evidenzgenerierung erzielt wird.

[73] Dabei ist auch zu beachten, dass es sich bei der Evidenz um ein sogenanntes öffentliches Gut handelt. Öffentliche Güter sind dadurch gekennzeichnet, dass 1) ihr Nutzen sich nicht verringert, wenn sie von anderen genutzt werden (Nicht-Rivalität), und 2) niemand von ihrer Nutzung ausgeschlossen werden kann (Nicht-Ausschließbarkeit). Neues Wissen kann in anderen Gesundheitssystemen beliebig ohne Beteiligung an den Kosten der Wissensgenerierung genutzt werden. Öffentliche Güter können mit Trittbrettfahrerproblemen einhergehen. Das spricht für die internationale Koordinierung von Health-Technology-Assessments, wie sie derzeit vorangetrieben wird (siehe dazu Kapitel 3).

[74] Der Durchschnittswert lag bei +61 % im Vergleich zur zVT (−77 % bis +589 %). Die numerische Auswertung zeigte, dass 16 von 69 analysierten Arzneimitteln ohne Zusatznutzen einen Aufschlag von mehr als +20 % erzielen konnten. Dabei handelte es sich in der Hälfte der Fälle um einen sehr hohen Aufschlag – mehr als +100 %. Es kam ebenso häufig zu Abschlägen unter 20 % im Vergleich zur zVT, allerdings unterschritten diese nie −100 %.

[75] Eine so geringe Anzahl lokal rekrutierter Patient*innen dürfte kaum Aufschlüsse über mögliche internationale Heterogenität zulassen.

zu setzen. Der Interimspreis würde bis zur Preisverhandlung nach früher Nutzenbewertung – und gemäß Leitplanken bei nicht belegtem Zusatznutzen darüber hinaus – bestehen bleiben. Die Vor- und Nachteile der Einführung eines Interimspreises, sowie mögliche Maßnahmen, um potentielle Nachteile abzumildern, sind in Kapitel 2 dargestellt.

4.4.2 Anreize zur Reevaluation im Rahmen erneuter Nutzenbewertungen

214. Auch für die **Evidenzgenerierung nach der frühen Nutzenbewertung** sind im AMNOG-System bereits Anreizstrukturen angelegt. Es besteht die Möglichkeit, eine erneute Nutzenbewertung mit anschließender Preisverhandlung durchzuführen. Ein solches Verfahren kann sowohl der G-BA als auch das pU anstoßen (siehe Kapitel 2 und 5).[76] Dadurch soll ein indirekter Anreiz für das pU entstehen, nach Marktzugang weitere Studienevidenz zu generieren. Hier stellt sich allerdings erneut das Problem, dass eine Reevaluation mit dem Ergebnis „nicht belegter", „geringer" oder „nicht quantifizierbarer" Zusatznutzen mit einer antizipierbaren Preisreduktion einhergehen dürfte. Außer für Produkte, für die zumindest ein „beträchtlicher" Zusatznutzen erwartbar ist, würde das pU mit der Durchführung weiterer Studien eine Preissenkung riskieren (Haas et al., 2021; siehe auch Textziffer 211).

215. Um Evidenzlücken bei fraglichem Zusatznutzen zu schließen, werden auch Preisaufschläge für hochqualitative, bereits in der Durchführung befindliche Studien diskutiert. Solche Aufschläge könnten die Generierung besonders aussagekräftiger Evidenz – unabhängig vom Studienergebnis – fördern. Dieser Ansatz ist aus Sicht des Rats jedoch nicht zu befürworten: Im derzeitigen Bepreisungssystem würden derartige Preisaufschläge, die nicht durch einen belegten Zusatznutzen begründet sind, zu Preisverzerrungen darauf referenzierender Arzneimittelpreise führen. Außerdem würden Preisaufschläge für die Durchführung robuster Studien den Grundsatz untergraben, dass das pU die Evidenz über den Zusatznutzen eines neuen Produktes selbstständig zu generieren und vorzulegen hat. In der Evidenzgenerierung für Reevaluationen bei fraglichem (Zusatz-)Nutzen (in der Regelversorgung) misst der Rat daher industrieunabhängiger Forschung einen hohen Stellenwert zu, die das Wissens(generierungs)monopol der pU effektiver abbauen kann.

216. Zusätzlich gibt es die Möglichkeit, bedingte Erstattungsmodelle[77] als Anreize für die Evidenzgenerierung vonseiten des pU einzusetzen. Das in Deutschland etablierte Modell ist die **anwendungsbegleitende Datenerhebung**. Diese kann seit dem Jahr 2019 durch den G-BA auf der gesetzlichen Grundlage von § 35a Abs. 3b SGB V und nach ausführlicher Erforderlichkeitsprüfung[78] für innovative Arzneimittel mit a) bedingter Zulassung, b) Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen und c) *Orphan Drugs* angeordnet werden, wenn substanzielle Evidenzlücken bestehen (siehe auch untenstehenden Exkurs). Das pU muss der Anordnung einer AbD nachkommen und der G-BA kann zusätzlich festlegen, ob die Verordnung des Arzneimittels verpflichtend an die Mitwirkung

[76] Wie in Kapitel 5 Textziffer 263 erläutert, steht die Möglichkeit des G-BA, bei Vorliegen neuer Evidenz eine erneute Nutzenbewertung zu initiieren, aktuell (Stand April 2025) in Frage. Aus Sicht des Rats sollte diese Möglichkeit dringend gesetzlich gesichert werden.

[77] Eine Untergruppe leistungsbezogener Erstattungsmodelle, die auch in Kapitel 5 erörtert werden.

[78] Die Beurteilung der Erforderlichkeit basiert insbesondere auf Informationen aus dem Zulassungsverfahren der EMA, Studienregistern zu laufenden und geplanten Studien und der abgeschlossenen Nutzenbewertung. Das IQWiG kann zusätzlich mit einer systematischen Recherche und einer Einschätzung von Patientenzahlen beauftragt werden.

an der AbD zu knüpfen ist (G-BA, 2025a). Die Kosten und Administration der Datenerhebung liegen beim pU.

Exkurs: Anwendungsbegleitende Datenerhebung – das Beispiel Zolgensma®

217. Die Gentherapie Onasemnogen-Abeparvovec (Zolgensma®) kann bei Kindern zur Behandlung einer Form der spinalen Muskelatrophie eingesetzt werden. In Deutschland werden jährlich ca. 80 bis 120 Kinder mit der Erkrankung geboren (G-BA, 2025b).[79] Die Betroffenen leiden an Muskelschwäche und Skelettverformungen und in ihrer schwersten Form verläuft die Erkrankung (ohne Behandlung) tödlich (Eger et al., 2003). Als das bei Zulassung teuerste Arzneimittel der Welt hatte Zolgensma® die öffentliche Diskussion über die Finanzierung hochpreisiger Arzneimittel befeuert (Buch et al., 2021).

Zolgensma® erhielt mittels beschleunigtem Zulassungsverfahren eine bedingte Zulassung und kam Anfang Juli 2020 auf den deutschen Markt (G-BA, 2025b). Am 16. Juli 2020 stellte der G-BA (unter Berücksichtigung noch laufender Studien) fest, dass für eine frühe Nutzenbewertung unzureichende Daten verfügbar waren. Insbesondere fehlten Daten zu Langzeitfolgen, zu Patient*innen im Alter über sechs Monate und zur Wirksamkeit im Vergleich mit anderen (medikamentösen) Therapien wie Spinraza® (G-BA, 2020). Um diese Evidenzlücken zu schließen, wurde die Durchführung einer AbD angeordnet.

Seit dem 1. Februar 2022 müssen Ärzt*innen, die Zolgensma® einsetzen, an einer AbD mitwirken (G-BA, 2021). Dabei sollen alle Patient*innen im SMArtCare-Register erfasst werden, einem auf Initiative der betroffenen Patientenorganisation und Fachgesellschaft gegründeten und von der Universitätsklinik Freiburg betriebenen Indikationsregister (Novartis Gene Therapies Inc., 2024). Das IQWiG hatte das SMArtCare-Register als prinzipiell für eine AbD geeignet befunden, da nicht nur Krankheits- und Therapieverläufe unter Zolgensma® erfasst werden, sondern auch Patient*innen, deren Behandlung mit anderen Arzneimitteln erfolgt. Es wurden jedoch auch Limitationen festgestellt (z. B. keine Datenerhebung zur Lebensqualität; IQWiG, 2020). Das Register wird vornehmlich durch die pharmazeutische Industrie finanziert, die Datenhoheit obliegt dennoch dem SMArtCare-Netzwerk (Universitätsklinikum Freiburg, 2025). Das pU (Novartis Gene Therapie EU Ltd.), das Zolgensma® vertreibt, ist verpflichtet, die (anonymen) Daten regelmäßig auszuwerten und die Auswertung spätestens im Jahr 2027 an den G-BA zu übermitteln. Ziel ist eine erneute Nutzenbewertung von Zolgensma® gegenüber der Vergleichstherapie (G-BA, 2025b).

218. Zwar stellt die AbD eine direkte Möglichkeit dar, die Generierung von Evidenz zu fördern. Erste Anwendungsbeispiele zeigen jedoch, dass dieser Prozess durch mehrfache Feedbackschleifen und eine unzureichende Forschungsinfrastruktur äußerst langwierig ist. Beispielsweise werden die Ergebnisse des AbD-Verfahrens für Zolgensma®, das bereits im Juli 2020 begann, erst im Jahr 2027 erwartet (G-BA, 2025b).[80] Außerdem bestehen Einschränkungen im Studiendesign, da per Definition eine Randomisierung im Rahmen der AbD nicht möglich ist (G-BA, 2024). Es ist zudem auf das Risiko hinzuweisen, dass die pU die Durchführung von Studien verzögern, wenn sie befürchten müssen,

[79] Die Erkrankung tritt in Deutschland mit einer Häufigkeit von ca. 1:7 000 unter Neugeborenen auf; weltweit liegt die Häufigkeit bei 1:10 000 (Kölbel & Müller-Felber, 2020).

[80] Zwar kann ein langer Beobachtungszeitraum gerade bei gentherapeutischen Arzneimitteln sinnvoll sein, jedoch sollte dies der Auswertung kurzfristiger Endpunkte nicht im Wege stehen.

dass die Studienergebnisse zu einem Preisabschlag führen könnten (Garrison et al., 2013, Seite 711; Zeitler et al., 2022). In ihrer **derzeitigen Form ist die AbD insgesamt dysfunktional**.

219. Wenn die AbD weiterhin für die Evidenzgenerierung genutzt werden sollen, bedarf es aus Sicht des Rats einer umfassenden Neugestaltung dieses Instruments: Zunächst sollte die Möglichkeit genutzt werden, die Versorgungsbefugnis auf Leistungserbringer zu beschränken, „die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken" (§ 35a Abs. 2 SGB V). Außerdem muss der AbD-Prozess vereinfacht und beschleunigt werden. Dazu sollte es dem G-BA ermöglicht werden, für bestimmte Arzneimittelgruppen zunächst eine **Verpflichtung**[81] **zur Aufnahme in Indikationsregister** auszusprechen in denen prädefinierte, relevante Endpunkte erfasst werden (siehe *Core Outcome Sets*, Textziffern 182 ff.). Die Aufnahme sollte idealerweise bereits mit Markteintritt erfolgen. So könnte bereits ab Zulassung eine weitgehend lückenlose Datenerhebung gewährleistet werden. Außerdem sollten auch (pragmatische) randomisierte Studien als AbD ermöglicht werden (mit Einbettung in ein Register). Für dynamische Indikationsgebiete, in denen absehbar innerhalb kurzer Zeit mehrere neue Wirkstoffe auf den Markt kommen werden, sollte die Durchführung (registerbasierter) Plattformstudien geprüft werden, die zu beträchtlichen Zeitersparnissen bei hohem Evidenzgrad führen können. Nicht zuletzt sollte in Erwägung gezogen werden, (in besonderen Fällen) AbD-Studien per Ausschreibung durch den G-BA bei unabhängigen Institutionen oder Wissenschaftler*innen in Auftrag zu geben. Die Finanzierungspflicht der Studien durch das pU bliebe bestehen. Unabhängig vom AbD-Verfahren können auch Evaluationsmaßnahmen innovativer Arzneimittel in anderem Rahmen (s. u.) durchgeführt werden.

220. Das Instrument der AbD alleine kann aus Sicht des Rats nicht alle für die Solidargemeinschaft relevanten Evidenzlücken schließen und das Wissens(generierungs)monopol der pU abbauen. Daher empfiehlt der Rat, zusätzlich die **Voraussetzungen für industrieunabhängige Evidenzgenerierung zu stärken**. Es sollte insbesondere der Ausbau einer öffentlichen Forschungs(daten)infrastruktur (siehe Abschnitt 4.5) mit vernetzten Gesundheitsregistern erfolgen, um Effizienzgewinne zu erzielen und die Anwendung innovativer Studiendesigns zu ermöglichen. Die Nutzung dieser Gesundheitsregister würde auch die AbD zu einem funktionaleren Instrument machen.

4.5 Etablierung einer integrierten Forschungs(daten)infrastruktur für ein lernendes Bewertungssystem innovativer Arzneimittel

221. Voraussetzung für eine effiziente Evidenzgenerierung[82] und eine evidenzbasierte Arzneimittelbepreisung ist eine funktionsfähige und praxisorientierte Forschungs(daten)infrastruktur. Diese sollte von wissenschaftlichen Einrichtungen wie auch – unter noch festzulegenden Nutzungsbedingungen – von pU genutzt werden können. Grundlagen dafür sind

[81] Die Verpflichtung könnte z. B. angelehnt an die aktuelle Regelung zur AbD gestaltet werden: Die Verschreibung des Arzneimittels würde an die Registeraufnahme bzw. ein entsprechendes ärztliches Aufklärungsgespräch geknüpft werden.

[82] Chalmers & Glasziou (2009) schätzen, dass bis zu 85 % der Forschungsergebnisse durch Mängel in der (methodischen) Planung, Durchführung, Berichterstattung und Veröffentlichung verloren gehen und so ein beträchtlicher finanzieller Schaden entsteht.

eine Gesundheitsregisterlandschaft mit funktionalen digitalen Prozessen und einem patientenwohlorientierten, ermöglichendem Datenschutz sowie eine bessere Vernetzung zwischen und Nutzbarkeit der vielfältigen bereits vorhandenen Gesundheitsdatenbeständen.

4.5.1 Gesundheitsregisterlandschaft

222. Eine **ausreichend große, möglichst repräsentative Registerpopulation** ist im Kontext von Arzneimittelstudien sowohl für eine hohe externe Validität als auch für eine hohe statistische Aussagekraft von registerbasierten Studien von großer Bedeutung (Mathes, 2024). Miteinander verknüpfbare, indikationsbezogene Register sollten daher zukünftig das Rückgrat einer auch für die Arzneimittelbewertung geeigneten Forschungs(daten)infrastruktur bilden. Diese Kriterien realisieren die dänischen Gesundheitsregister durch die fast vollständige Erfassung der Gesamtbevölkerung (siehe Exkurs in Textziffer 224). Für Arzneimittelstudien erfüllt in Deutschland derzeit nur ein sehr kleiner Teil der Register die Anforderungen an ausreichend großen und repräsentativen Patientenpopulationen (IQWiG, 2020; Mathes, 2024). Um den umfassenden Einsatz von Registerdaten in der Arzneimittelbewertung zu ermöglichen, fehlt es den in Deutschland vorhandenen Registern zudem häufig an der erforderlichen (Daten-)Qualität und Koordination (IQWiG, 2020, 2022b).

223. In Anlehnung an die hochfunktionale dänische Registerinfrastruktur (siehe Exkurs in Textziffer 224), wird die hier für die Zukunft anvisierte Infrastruktur im Folgenden als **Gesundheitsregisterlandschaft** bezeichnet. Diese umfasst a) Indikationsregister, in denen klinische und patientenbezogene Daten zu bestimmten Erkrankungen oder Erkrankungsgruppen erhoben werden und b) populationsbezogene Register, wie die nationale Todesursachenstatistik (BfArM, 2025b), die epidemiologische Daten möglichst mit bundesweiter Abdeckung erfassen. Unbedingtes Ziel muss die Verknüpfbarkeit verschiedener Registerdatenbestände sein, da so Datenlücken geschlossen und Doppeldokumentation vermieden werden können (siehe Textziffern 235 ff.). Die Gesundheitsregisterlandschaft sollte perspektivisch außerdem verschiedene Settings einschließen, wie z. B. die Langzeitpflege oder den ambulanten Sektor.

Exkurs: Best Practice – Fallstudie Dänemark

224. Seit über 40 Jahren werden in Dänemark die Behandlungsdaten aller Patient*innen kontinuierlich von der Geburt bis zum Lebensende („*from cradle to grave*“) in aktuell 28 nationalen Gesundheitsregistern erfasst (Danish Health Data Authority, 2025a, 2025b). Die Gesundheitsregister basieren hauptsächlich auf administrativen, demografischen und epidemiologischen Daten und dokumentieren u. a. anfallende Kosten und Arzneimittelverbrauch. Außerdem existieren 80 klinische Register (Indikationsregister), welche von klinischen Versorgungszentren geführt werden (RKKP, 2025). Neben diesen strukturierten Registerdaten, werden auch unstrukturierte Behandlungsdaten (aus der nationalen ePA) und biologische Daten (z. B. Labordaten und genetische Daten) digital gespeichert (Danish Health Data Authority, 2025c). Die Daten der verschiedenen Register wie auch der ePA können über eine individuelle Identifikationsnummer (*unique identifier*) problemlos miteinander verknüpft werden.

Die standardisierte, digitale Dokumentation durch Gesundheitsfachpersonen sowie hohe Sicherheitsstandards führen zu einer besonders **hohe Datenqualität**. Da die Registerdaten aus

dem staatlich finanzierten Gesundheitssystem ohne Zugangshürden gleichsam die Gesamtbevölkerung abbilden, sind sie überaus repräsentativ und wenig anfällig für systematische Verzerrungen aufgrund beispielsweise sozio-ökonomischer Faktoren. Die Qualität der Daten und die Verlinkungsmöglichkeiten machen die Gesundheitsregister zu einer wertvollen Ressource für die Wissenschaft, für staatliche Institutionen (z. B. nationaler Gesundheitsdienst, Gesundheitsministerium) sowie für (internationale) pharmazeutische Unternehmen (Danish Health Data Authority, 2023). Die Nutzung der Daten erfolgt projektbasiert über das nationale Datenportal eSundhed und kann nach Antrag sowohl privatwirtschaftlichen als auch öffentlichen Akteuren gewährt werden, sofern die Antragssteller für ihr Forschungsprojekt einen Nutzen für das Gemeinwohl nachweisen (Danish Health Data Authority, 2025d; Sundhedsdatastyrelsen, 2025).

Die bei der Danish Health Data Authority angesiedelten 28 nationalen Gesundheitsregister werden, wie auch der Gesundheitsdienst selbst, vornehmlich durch **Steuergelder finanziert**, wodurch ein hohes Maß an Kontinuität gewährleistet wird. Zusätzlich werden für die Aufbereitung der Daten (die Rohdaten erhalten Antragsteller nicht) **Bearbeitungsgebühren** erhoben. Die Daten selbst sind nicht käuflich erwerbbar. Die 80 klinischen Register werden über Forschungsgelder klinischer Zentren betrieben, was deren Kontinuität einschränkt.

Diese Registerinfrastruktur wurde z. B. für eine große, von der dänischen Aufsichtsbehörde in Auftrag gegebenen *„real world study“* genutzt, um die **Effektivität von Lenalidomid** als Erhaltungstherapie für Patient*innen mit Multiplem Myelom nach autologer Stammzelltransplantation **in der Regelversorgung zu überprüfen** (Medicinrådet, 2024). Hierbei wurden Patient*innen, die mit einer Lenalidomid-Erhaltungstherapie behandelt wurden, über das nationale Knochenmarktransplantationsregister für die prospektive Datenerfassung (ab Marktzugang von Lenalidomid im Juni 2019) rekrutiert (Harsløf et al., 2024). Aus Datensätzen zweier weiterer Register (dem Zivilregister und dem dänischen Multiples Myelom Register) wurde ein historischer Vergleichsarm erstellt (Harsløf et al., 2024). Die Studie konnte zeigen, dass der Einsatz von Lenalidomid in der Regelversorgung nicht zu einer Verbesserung der klinischen Endpunkte führte, unabhängig davon aber ca. die Hälfte der Patient*innen die Erhaltungstherapie aufgrund von erhöhter Toxizität abbrachen (Harsløf et al., 2024). In Anbetracht der neuen Evidenz wird die zuständige Aufsichtsbehörde die Erstattungsempfehlung für Lenalidomid reevaluieren (Medicinrådet, 2024).

Schaffung einer Zentralstelle für Gesundheitsregister

225. Laut der vom Institut für Qualität und Patientensicherheit (BQS) betriebenen Registerdatenbank existieren in Deutschland aktuell 419 Register (Stand 11. November 2024, BQS & TMF, 2025). Neben einer Vielzahl an einrichtungsgeführten Registern verschiedener Zielrichtungen gibt es eine geringe Anzahl an Registern, die bundesgesetzlich vorgegeben sind, z. B. durch das Implantateregistergesetz (IRegG) oder das Bundeskrebsregisterdatengesetz (BKRG). Hinter der auf den ersten Blick großen Anzahl an Registern in Deutschland verbirgt sich eine äußerst kleinteilige und heterogene Datenlandschaft. Es existieren z. B. vier Indikationsregister zum Krankheitsbild Herzinfarkt, davon zwei mit regionalem Fokus auf das Land Brandenburg, die anderen zwei mit lokalem Fokus (Freiburg und Augsburg; BQS & TMF, 2025). Hier bestehen also sowohl Doppelungen als auch substanzielle Lücken in der strukturellen Datenerhebung. Ein ähnliches Bild zeigt sich für

verschiedene seltene Erkrankungen (BQS & TMF, 2025).[83] Dies führt dazu, dass in einzelnen Registern häufig nur relativ geringe Patientenzahlen erfasst werden. Bei gleichzeitig fehlender Verknüpfbarkeit verschiedener Registerdatenbestände und fehlenden populationsbezogenen Registern für gesundheitsrelevante Daten führt dies zu kaum nutzbaren **Datensilos**.

226. Um dem entgegenzuwirken, bedarf es einer besseren Koordination der deutschen Gesundheitsregisterlandschaft. Der Rat empfiehlt daher die Schaffung einer **Zentralstelle für Gesundheitsregister**. Diese sollte zunächst die zentrale Erfassung bestehender medizinischer Register langfristig institutionalisieren und um eine Auditierung der Qualität bzw. des Reifegrades einzelner Register ergänzen (Niemeyer et al., 2021). Auf Basis eines kontinuierlichen Bestandsmonitorings und unter Einbeziehung externer fachlicher Expertise (z. B. der medizinischen Fachgesellschaften und des IQWiG) könnten Lücken und Doppelstrukturen identifiziert und perspektivisch geschlossen respektive abgebaut werden; beispielsweise durch strategische Investitions- bzw. Förderentscheidungen. Der Rat empfiehlt, die Zentralstelle für Gesundheitsregister bei einer effizient operierenden, unabhängigen Institution des öffentlichen Rechts anzusiedeln.

Regulatorik von Registern

227. Regulatorische und rechtliche Rahmenbedingungen für den Betrieb, den Ausbau und die Koordinierung der Register sollten so gestaltet werden, dass sie aktiv dazu beitragen, die Prozess- und Strukturqualität von Gesundheitsregistern zu fördern. Über diese Maßnahmen könnten Register zunehmend für innovative Studiendesigns genutzt werden. Zielführend wäre eine Verknüpfung von Qualitätssicherungs-, Finanzierungs- und Datenschutzmechanismen. Verschiedene Fachgesellschaften und Expert*innen haben bereits erste Entwürfe für eine strukturierte Qualitätsprüfung erarbeitet und diese zum Teil für die praktische Anwendung operationalisiert (IQWiG, 2020; Niemeyer et al., 2021; Stausberg et al., 2020). Der Rat empfiehlt, die Zentralstelle für Gesundheitsregister mit der Durchführung der Qualitätsprüfung von Gesundheitsregistern im Sinne einer **Zertifizierung anhand eines Reifegradmodells** zu betrauen (Niemeyer et al., 2021). Die Zertifizierung kann **für die weitere Planung und Steuerung** genutzt werden. Beispielsweise wäre es sinnvoll, die Erfüllung eines gewissen Reifegrads als Voraussetzung für den Zugang zu öffentlichen Finanzmitteln[84] festzulegen. Die Kontrolle (also Registerführung) würde bei diesem Modell weiterhin den Wissenschaftler*innen, Fachgesellschaften oder Universitäten obliegen.

228. Auch die Aufnahme von Patient*innen in Register könnte durch den Einsatz einer zentralen Qualitätsprüfung vereinfacht werden. Aktuell bestehen weiterhin grundlegende Unterschiede zwischen gesetzlich verankerten und nicht gesetzlich verankerten Registern. So gelten für gesetzliche Register Meldepflichten[85], welche die Erhebung einwilligungsfrei ermöglichen. Für alle anderen

---

[83] Für die amyotrophe Lateralsklerose existieren beispielsweise drei epidemiologische Register, die je durch ein Universitätsklinikum betrieben werden und (grob) ein Bundesland abdecken; für die restlichen 13 Bundesländer existieren derzeit keine Register (BQS & TMF, 2025).

[84] Der Rat empfahl bereits in seinem Gutachten zur Digitalisierung des Gesundheitswesens ein an das Modell der schwedischen „Qualitätsregister“ angelehntes Finanzierungssystem (SVR, 2021, Textziffern 540 ff.). In diesem Modell müssen Register zertifiziert sein, um gefördert zu werden, wobei die Höhe der Förderung nach Qualitätsstufen gestaffelt ist. Die Qualitätsstufen werden anhand transparenter Kriterien regelmäßig evaluiert. Initial, z. B. bei einer Neugründung eines Registers, kann auch ein Kandidatenstatus vergeben werden.

[85] Durch das Krebsregistergesetz ist die Erfassung von Patientenstammdaten, Erkrankungs- und Therapieverlauf onkologischer Patient*innen gesetzlich vorgeschrieben und wird regelhaft durch die behandelnden Ärzt*innen durchgeführt (KBV, 2024).

Register ist der Einschluss von Patient*innen derzeit ausschließlich nach expliziter Einwilligung möglich. Um den damit verbundenen bürokratischen Aufwand möglichst abzubauen, wäre eine *Opt-out*-Regelung (siehe SVR, 2021, Textziffer 547) denkbar und/oder die Schaffung von Erlaubnistatbeständen – also die gesetzlich geregelte Möglichkeit der Datenübermittlung und -nutzung ohne informierte Einwilligung. Dabei sollten diese an die Erfüllung bestimmter Reifegrade der Register und/oder spezieller Schutzvorkehrungen für Datensicherheit geknüpft und von der Zentralstelle für Gesundheitsregister geprüft werden, um auf gesellschaftlicher Ebene Akzeptanz für die Anwendung von Erlaubnistatbeständen zu gewährleisten (Niemeyer et al., 2021). Zudem sind wirksame Kontrollmechanismen zu schaffen bzw. zu verstärken und Sanktionen bei unbefugtem Zugriff auf und Missbrauch von Gesundheitsdaten zu verhängen.

229. Zur Nutzbarmachung von Registern für innovative Studiendesigns (siehe Abschnitt 4.2.3) empfiehlt der Rat insbesondere gesetzliche Regelungen zu vereinheitlichen, die die **Rekrutierung registrierter Patient*innen für interventionelle Studien** auf Basis der hinterlegten Daten ermöglichen. Derzeit führen unterschiedliche gesetzliche Regelungen auf Landesebene dazu, dass Patient*innen nur in einem Teil der Bundesländer die Teilnahme an einer klinischen Studie angeboten werden darf. Die Harmonisierung der Regularien ist also dringend geboten und muss sowohl gesetzlich verpflichtende Register als auch einrichtungsgeführte Indikationsregister umfassen. So könnte die Planung und Durchführung randomisierter Studien selbst in Indikationsgebieten mit niedriger Prävalenz deutlich vereinfacht werden (Wieseler et al., 2023).

Verbesserung der Datenqualität bei gleichzeitiger Effizienzsteigerung

230. Für die interne Validität von registerbasierten Studien – und deren Einsatz in der Nutzenbewertung – ist eine lückenlose und korrekte Datenerhebung auf Ebene der individuellen Patient*innen inklusive der detaillierten Erfassung möglicher *Bias*-Quellen bzw. *confounder* besonders wichtig (IQWiG, 2020; Mathes, 2024). In Anbetracht des hohen Zeitdrucks des Personals im Gesundheitswesen wird eine koordinierte Ausweitung der Registerlandschaft unter Wahrung einer sorgfältigen Datenerhebung nur dann möglich sein, wenn der **Mehraufwand durch doppelte (und dreifache) Dokumentation abgebaut wird** und vorhandene Dokumentationsinhalte effizient (möglichst automatisiert) in die Datenerfassung der Register einfließen können.

231. Grundlage für eine schlanke digitale Datenerhebung ist die **Interoperabilität zwischen Gesundheitsregistern und digitalen Dokumentationssystemen** der klinischen Versorgung (wie den Krankenhausinformations-, Praxisverwaltungs- und Pflegedokumentationssystemen und der zu Redaktionsschluss im Roll-out befindlichen ePA). Ist Interoperabilität gegeben, könnte durch eine Schnittstelle die automatische Weitergabe von routinemäßig erhobenen Patientendaten an das Gesundheitsregister erfolgen. Allerdings setzt dies eine weitgehend standardisierte Dokumentation voraus. Hier könnten mittelfristig auf künstlicher Intelligenz (KI) basierende Anwendungen unterstützen, z. B. sind bereits Spracherkennungsmodelle zur Codierung und Registerdatenerfassung in Erprobung (Meyer et al., 2024).

232. Der Rat empfiehlt dahin gehend, die **Dokumentation bzw. Datenerhebung für Gesundheitsregister zunehmend zu standardisieren**. Mit der Festlegung eines einheitlichen onkologischen Basisdatensatzes hat die Standardisierung der Dokumentation für die gesetzlichen Landeskrebsregister bereits begonnen (ADT, 2021). Um das volle Potential der Krebsregister für die Arzneimittelbewertung auszuschöpfen, bedarf es jedoch weiterer Maßnahmen zur Förderung einer vollständigen Datenerhebung (Vervölgyi & Kaiser, 2024; siehe auch Exkurs in Textziffer 233). Die

Erarbeitung allgemeingültiger Dokumentationsstandards muss hierzu in allen Versorgungsebenen (stationär, ambulant, Langzeitpflege etc.) weiter vorangetrieben werden. Dies könnte unter der Federführung der Zentralstelle für Gesundheitsregister erfolgen unter Einbeziehung der Expertise der medizinisch-wissenschaftlichen Fachgesellschaften sowie des bei der gematik angesiedelten Kompetenzzentrums für Interoperabilität im Gesundheitswesen. Hierbei sollten die Anforderungen der Arzneimittelbewertung eine zentrale Rolle spielen (z. B. systematische Erhebung von Nebenwirkungen und Lebensqualität durch COS siehe Abschnitt 4.2.2) und die Kompatibilität mit der klinischen Routinedokumentation und Projekten auf europäischer Ebene von Anfang beachtet werden (z. B. durch Nutzung des Observational Medical Outcomes Partnership Common Data Model). Die Einhaltung dieser Standards könnte im Rahmen etwaiger Zertifizierungen geprüft werden und ggf. für öffentlich finanzierte Register verpflichtend sein. Ziel ist es, mittel- bis langfristig ein hohes Maß an Interoperabilität zu erreichen und so ein Verknüpfen verschiedener Datenquellen, ein sogenanntes Datenlinkage (*data linkage* oder auch *record linkage*), zwischen verschiedenen Gesundheitsregistern zu erleichtern.

Exkurs: Gesetzliche Krebsregister für die Arzneimittelbewertung nutzbar machen

233. Bereits heute entfällt ein überproportionaler Anteil der Arzneimittelausgaben auf Onkologika (Ludwig & Vokinger, 2021; Mühlbauer & Ludwig, 2023). In Anbetracht der Tatsache, dass Onkologika ca. 50 % der in Entwicklung befindlichen ATMPs ausmachen, könnten die Ausgaben für Onkologika in den kommenden Jahren weiter zunehmen (PhRMA, 2020). Außerdem bestehen in diesem Indikationsgebiet häufig Evidenzlücken: Zwischen den Jahren 2006 und 2016 waren 57 % (17 von 30) der Präparate mit bedingter Zulassung Onkologika (EMA, 2017), und 9 von 19 (47 %) aktuell laufenden AbD-Verfahren betreffen onkologische Arzneimittel (G-BA, 2025c).

Eine Datenressource existiert bereits in Form der gesetzlichen Krebsregister. Durch die gesetzliche Meldepflicht werden die Vollzähligkeit und Vollständigkeit der erfassten Daten sichergestellt. Darüber hinaus wurden bereits einige digitale Richtigkeitsprüfungen etabliert (Vervölgyi & Kaiser, 2024). Zusätzlich gibt es für viele Krebserkrankungen parallel geführte Spezialregister, die entweder indikationsbezogen oder auf bestimmte Therapien ausgerichtet sind. So wurden im Rahmen der Konzepterstellung für eine AbD vier Register identifiziert, die Patient*innen mit Mantelzell-Lymphom erfassen (IQWiG, 2022b). Jedoch war keines dieser Register (ohne beträchtliche strukturelle Erweiterungen) für die Durchführung einer prospektiven AbD geeignet. Ebenso wenig waren die bereits vorhandenen regelmäßig erhobenen Kerndatensätze der Register für eine sekundäre Auswertung oder zumindest einen historischen Vergleichsarm geeignet.

Es bietet sich also an, die gesetzlichen Krebsregister dergestalt weiterzuentwickeln, dass sie routinemäßig für AbD und Zusatznutzenbewertungen genutzt werden können (Vervölgyi & Kaiser, 2024). Zu den wichtigsten Maßnahmen, um diesen Prozess anzustoßen, gehören: a) die regelhafte Erfassung relevanter Endpunkte, möglichst mittels COS einschließlich PROMs, die Erfassung von Nebenwirkungen (mittels Codierung anhand des Medical Dictionary for Regulatory Activities Systems) und genauen Datumsangaben, b) die Erfassung relevanter *confounder* und/oder Verknüpfung mit populationsbezogenen Registern und schließlich c) die bundesweite Harmonisierung des Meldewesens und Datenschutzes (IQWiG, 2020, 2022b; Vervölgyi & Kaiser, 2024). Viele dieser praktischen Empfehlungen sind überdies auf Gesundheitsregister im Allgemeinen übertragbar.

4.5.2 Strukturelle Vernetzung und Nutzbarmachung von Gesundheitsdaten

234. Zur **Nutzung des vollen Potentials** der bereits vorhandenen und zukünftig entstehenden Gesundheitsdatenbestände für die Bewertung und Bepreisung sowie die Entwicklung innovativer Arzneimittel sind aus Sicht des Rats zwei Aspekte zentral: Erstens sollte darauf hingearbeitet werden, alle vorhandenen Datenbestände miteinander verknüpfbar zu machen. Zweitens sollten Gesundheitsdaten im Rahmen von Forschungsprojekten für interessensberechtigte Dritte zugänglich und nutzbar werden, sofern diese dem Interesse der Solidargemeinschaft dienlich sind. Im Sinne eines ermöglichenden Datenschutzes ist stets sicherzustellen, dass durch rechtliche, technische und strukturelle Maßnahmen die Sicherheit von Gesundheitsdaten bzw. Datengebern gewahrt wird (siehe dazu auch SVR, 2021, Textziffern 74 f., 80, 132 ff.).

235. Es bedarf einer **Verknüpfung von Datenquellen auf Fall- bzw. Personenebene (Datenlinkage)**, um sie für qualitativ hochwertige wissenschaftliche Untersuchungen umfassend nutzen zu können (Schmitt et al., 2024). Datenlinkage kann auch die Qualität und Nutzbarkeit vorhandener Datenquellen erhöhen. So würde das *linkage* von Registerdaten miteinander und mit anderen Datenbeständen, insbesondere mit GKV-Routinedaten (und perspektivisch auch ePA-Daten), helfen, Datenlücken zu schließen und die interne Validität von Registerstudien zu erhöhen.

236. Um Datenlinkage für Studien zur Bewertung innovativer Arzneimittel regelhaft einsetzen zu können, werden klare rechtliche Rahmenbedingungen benötigt. In § 4 des Gesundheitsdatennutzungsgesetzes (GDNG) wurde die Möglichkeit verankert, die beim FDZ Gesundheit gespeicherten Abrechnungsdaten (und zukünftig auch ePA-Daten) mit den gesetzlichen Krebsregisterdaten zu verknüpfen. Um möglichst hohe Sicherheitsstandards zu gewährleisten, erfolgt das Datenlinkage ausschließlich auf den Servern des FDZ Gesundheit. In einer gesicherten Umgebung auf diesen Servern arbeiten Forscher*innen anschließend mit den Daten, können diese jedoch nicht herunterladen. Dies erschwert derzeit, ja, verhindert nicht selten die Möglichkeit, Daten des FDZ Gesundheit mit externen Gesundheitsdaten zu verknüpfen (Schmitt et al., 2023b). Darüber hinaus ist das **Datenlinkage mit oder zwischen nicht-gesetzlichen Indikationsregistern bisher nicht klar gesetzlich geregelt. Der Rat empfiehlt dringend, dies nachzuholen**. Auch ein *linkage* von Studiendaten, z. B. aus RCTs mit GKV-Abrechnungs- oder Registerdaten, sollte mittelfristig gesetzlich geregelt und technisch ermöglicht werden, da so insbesondere hochqualitative Langzeitbeobachtungen möglich würden.

237. Solange keine gesetzliche Befugnisnorm im Sinne von Artikel 9 Abs. 2 Buchstaben h)–j) der EU-DSGVO geschaffen wurde (siehe SVR, 2021, Textziffer 547), sollte der Gesetzgeber klarstellen: Sofern Patient*innen in ein Datenlinkage ihrer versorgungsnahen Daten einwilligen, sollte dies als Rechtsgrundlage für die Datennutzung im Sinne der informationellen Selbstbestimmung als ausreichend erachtet werden. In Bezug auf GKV-Routinedaten bedeutet dies, dass § 75 SGB X so geändert werden sollte, dass eine behördliche Prüfung bei Vorliegen eines gültigen Ethikvotums und einer informierten Einwilligung nicht erforderlich ist (Schmitt et al., 2023a).

238. Ergänzend braucht es technische Weiterentwicklungen, vornehmlich die Etablierung einer **individuellen Identifikationsnummer** (*unique identifier*), um Datenlinkage flächendeckend umsetzbar zu machen. Für das in § 4 GDNG geregelte *linkage* von FDZ Gesundheit und gesetzlichen Krebsregisterdaten ist die Erstellung einer pseudonymisierten „Forschungskennziffer“ auf Basis der Krankenkassennummer vorgesehen. Der Rat empfiehlt, die **Praxistauglichkeit und Übertragbarkeit der „Forschungskennziffer“ durch einen zeitnahen Roll-out zu testen** und anschließend für das

linkage weiterer Gesundheitsdatenbestände anwendbar zu machen. Dies ist auch dringend erforderlich in Anbetracht der bevorstehenden Implementierung des europäischen Raums für Gesundheitsdaten (EHDS, *European Health Data Space;* siehe auch Kapitel 3), der die Verknüpfbarkeit von Gesundheitsdatenbeständen auf nationaler Ebene voraussetzt (Kapitel IV Abschnitt 2 Artikel 57, Abs. 1, Buchstabe b) der Verordnung (EU) 2025/327.)

239. Investitionen in den Ausbau einer Forschungs(daten)infrastruktur mit einer flächendeckenden Registerstruktur sind nur dann sinnvoll, wenn die erhobenen Daten breit genutzt werden können. Auch hier hat das GDNG begrüßenswerte Schritte angestoßen: Durch § 6 GDNG wurde Gesundheitseinrichtungen die **Sekundärnutzung** ihrer eigenen Datenbestände zur Eigenforschung ermöglicht. Das dürfte zur Förderung von IITs beitragen. Die Möglichkeit, bei länderübergreifenden Forschungsvorhaben eine federführende Datenschutzbehörde zu benennen (§ 5 GDNG) wie auch die *Opt-out*-Regelung zur Sekundärnutzung von ePA-Daten für medizinische Forschung bauten ebenfalls regulatorische und rechtliche Hürden ab. Auch die im GDNG festgehaltene Zweckbindung der Zugangs- und Nutzungsberechtigung, die sich von einer „Positivliste" nutzungsberechtigter Institutionen abwendet, ist aus Sicht des Rats zu begrüßen. Dadurch werden sowohl pU als auch industrieunabhängige Studien unterstützt. Zugleich besteht **weiterhin Harmonisierungsbedarf** insbesondere im Hinblick auf die gesetzlichen Regelungen zur Sekundärnutzung von Registerdaten und die häufig uneinheitliche Auslegung der Datenschutzgrundverordnung durch einzelne Datenschutzbehörden. Der Rat empfiehlt eine transparente wie einheitliche rechtliche Regelung zur (sekundären) Nutzung aller Gesundheitsdatenbestände in einem kontrollierten und genehmigungspflichtigen Kontext.

240. Für eine effiziente Nutzung sollte außerdem das Antragswesen praktikabel sein und möglichst zentralisiert werden, während die Daten selbst weiterhin dezentral erhoben und gelagert werden können. Der Aufbau einer „zentralen Zugangs- und Koordinierungsstelle" beim Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) dürfte die Sekundärnutzung und das *linkage* von Krebsregisterdaten und FDZ Gesundheit-Daten (GKV-Abrechnungsdaten und perspektivisch ePA-Daten) zukünftig vereinfachen bzw. ermöglichen. In Zukunft soll diese Stelle darüber hinaus als erster deutscher Health Data Access Body des EHDS fungieren, also Anträge zur Sekundärnutzung von allen möglichen Gesundheitsdatenbeständen – auch über die FDZ Gesundheit- und Krebsregisterdaten hinaus – auf EU-Ebene bearbeiten und (sofern stattgegeben) die Daten über eine sichere Bearbeitungsumgebung nutzbar machen. Derzeit fehlt jedoch weiterhin eine **zentrale Anlaufstelle sowie ein zentralisiertes, praktikables Antragswesen** für die Nutzung der verschiedenen Datenquellen (u. a. von medizinischen Registern, klinischen Studien, Daten aus der stationären, ambulanten und pflegerischen Regelversorgung). Der Rat empfiehlt – auch für die Umsetzung der EHDS-Verordnung –, zeitnah kompatible Strukturen aufzubauen, um eine sichere, für Forschende barrierefreie und effiziente Sekundärdatennutzung zu ermöglichen.

4.5.3 Stärkung der Transparenz und Auffindbarkeit durch Studienregistrierung

241. Es ist besonders wichtig, die Auffindbarkeit von Studienevidenz sicherzustellen, damit **neue Erkenntnisse systematisch zur Reevaluation von Arzneimitteln genutzt** werden und die oben beschriebenen Förderinstrumente nicht ins Leere laufen. Zentrale Studienregister sind dafür ein wichtiges Instrument und tragen zur Reduktion von Publikationsbias und *selective outcome reporting* bei (Bradley et al., 2020; DeVito & Goldacre, 2019). Bereits seit dem Jahr 2004 ist auf EU-Ebene eine

Registrierung von interventionellen klinischen Zulassungsstudien verpflichtend. Seit dem Jahr 2014 gilt daneben eine Veröffentlichungspflicht[86] für Studienergebnisse, der innerhalb eines Jahres nach Abschluss der Studie nachzukommen ist (EMA, 2014). Außerdem existiert auf EU-Ebene ein Register für nicht-interventionelle klinisch-pharmakologische Studien, der „HMA-EMA Catalouge of real-world data and studies" (EMA, 2025c). Nicht-kommerzielle klinische Studien können freiwillig seit dem Jahr 2008 in Deutschland im „Deutschen Register klinischer Studien" (DRKS) erfasst werden, welches beim BfArM angesiedelt und ebenfalls öffentlich zugänglich ist (BfArM, 2025c). Der Rat empfiehlt die **Zentralisierung von Studienregistern** möglichst voranzutreiben und sicherzustellen, dass Inhalte maschinenlesbar (also automatisch auswertbar) sind.[87] So könnte eine (KI-gestützte) automatisierte Sichtung der verfügbaren Evidenz als Teil eines systematischen Monitorings (siehe Kapitel 5) eingerichtet werden.

242. Der Rat spricht sich ferner dafür aus, die **Auffindbarkeit und Transparenz industrieunabhängiger Studien strukturell zu stärken** (Naudet et al., 2024). Mit der Nutzbarmachung von registerbasierten Studien für die Nutzenbewertung sollte unbedingt eine verpflichtende, prospektive Registrierung nicht nur von RCTs, sondern auch von registerbasierten Vergleichsstudien wie TTEs erfolgen. Dies könnte über eine Verschärfung der Förderkriterien erreicht werden, indem die Vergabe öffentlicher Forschungsgelder an den Nachweis einer prospektiven Studienregistrierung und die Veröffentlichung der Ergebnisse in einem zentralen Studienregister (z. B. einem WHO Primärregister) geknüpft wird. Außerdem könnte eine Registrierungs- und Veröffentlichungspflicht zur Bedingung für den Zugang und die Sekundärnutzung von Forschungsdaten[88], insbesondere Registerdaten, gemacht werden.

243. Weiterhin sollte sichergestellt werden, dass sonstige **bürokratische Hürden für industrieunabhängige Studien möglichst gering** gehalten werden. Insbesondere sollten die Entscheidungskriterien der Ethikkommissionen zur Bewertung nicht-interventioneller Studien vereinheitlicht werden. Der Rat empfiehlt, **rein beobachtende Studien** (wie z. B. TTEs), bei denen keine individuelle therapeutische Intervention erfolgt, grundsätzlich **nicht unter die Regelungen des Arzneimittelgesetzes** zu stellen.

4.6 Dauerhafte Finanzierungsmöglichkeiten

244. Die in diesem Kapitel aufgeführten Vorschläge zum Aufbau einer integrierten, digitalen Forschungsinfrastruktur in Deutschland beinhalten zahlreiche, z. T. kostenintensive und vor allem mittel- bis langfristige Investitionen. Umso wichtiger erscheint es, hervorzuheben, dass diese Investitionen mutmaßlich **nachhaltige Verbesserungen auf mehreren Ebenen** bewirken werden: a) die Möglichkeit, Arzneimittelpreise so zu regulieren, dass höhere Ausgaben nur für einen

[86] Der Terminus Veröffentlichung bezeichnet hier explizit nicht die Publikation eines Artikels in einem Fachjournal, sondern die Bereitstellung/Veröffentlichung der Ergebnisse in einem Studienregister. Dadurch können Verzögerungen durch Reviewprozesse, sowie eine Selektion vermeintlich irrelevanter Ergebnisse durch die Redaktionen vermieden werden.

[87] Ähnliche Maßnahmen wurden auch für das britische Gesundheitssystem im kürzlich veröffentlichten sogenannten Lord O'Shaughnessy review empfohlen (O'Shaughnessy, 2023).

[88] In § 8 des GDNG ist eine Registrierungspflicht vorgeschrieben für Forschungsvorhaben, die beim FDZ Gesundheit hinterlegte Gesundheitsdaten nutzen. Auf Basis dieser gesetzlichen Regelung könnte auch eine Registrierungspflicht z. B. für Registerstudien eingeführt werden.

tatsächlichen, patientenrelevanten Zusatznutzen anfallen, b) eine Arzneimittel-Nutzenbewertung, die mit dem Tempo des medizinischen Fortschritts Schritt hält, sowie c) Effizienzsteigerungen in der Forschung und damit einhergehend Attraktivitätssteigerung des Forschungs- und Industriestandorts Deutschland (siehe auch Kapitel 6).

245. Der Ausbau der Forschungs(daten)infrastruktur und die damit einhergehende verbesserte Nutzung von Gesundheitsdaten geht über den Anwendungsbereich der Arzneimittelregulation hinaus, kommt also auch auf anderer Ebene dem Patienten-, letztlich dem Allgemeinwohl zugute (siehe SVR, 2021, Textziffer 31). Daher sollte die Finanzierung der erforderlichen (institutionellen) **Infrastruktur maßgeblich aus öffentlicher Hand** erfolgen. Viele der Maßnahmen aus dem Bereich Digitalisierung (z. B. Förderung der Interoperabilität im Gesundheitswesen) sind Teil der Digitalisierungsstrategie des Bundesministeriums für Gesundheit und teilweise bereits finanziert. Außerdem könnte es durch den Abbau von Doppelstrukturen mittelfristig zu Einsparungen kommen.

246. Der Rat empfiehlt, die staatliche Finanzierung der Forschungs(daten)infrastruktur durch die **Erhebung gestaffelter Nutzungsgebühren** zu ergänzen. So könnten die langfristige Pflege der Forschungs(daten)infrastruktur zusammen mit einer guten Servicequalität finanziell abgesichert werden. Den Nutzungsmöglichkeiten der Forschungs(daten)infrastruktur entsprechend, würden über diesen Weg sowohl pU als auch industrieunabhängige Institutionen und Wissenschaftler*innen angemessen an der Finanzierung beteiligt.

247. Die Kosten für die Durchführung von **Studien, die der Zulassungsprüfung** (Evidenz zur Sicherheit, Wirksamkeit und Qualität) **und/oder der frühen Nutzenbewertung** dienen, sollen weiterhin von den pU getragen werden. In diesem Sinne sollten AbD, auch wenn die Durchführung öffentlich ausgeschrieben würde, weiterhin durch die pU finanziert werden. Angesichts des inhärenten Interessenskonflikts[89] müssen Anreizstrukturen verbessert werden, um die Generierung angemessener Evidenz zu fördern (siehe Abschnitt 4.4).

248. Für **Fragestellungen, deren Bearbeitung potentielle Einsparungen für Krankenkassen** bietet, sollte dem G-BA die Möglichkeit eröffnet werden, nach der frühen Nutzenbewertung Studien in Auftrag zu geben, die durch den Systemzuschlag finanziert werden.

249. Außerdem sollten **finanzielle Benachteiligungen interventioneller IITs** gegenüber beobachtenden IITs abgebaut werden. Momentan werden im ambulanten Sektor Kosten für Arzneimittel, die im Rahmen von interventionellen IITs nach Zulassung anfallen, von den Krankenkassen nicht erstattet.[90] Zwar gibt es dazu keine explizite gesetzliche Regelung, jedoch wird in diesem Fall mit dem Wirtschaftlichkeitsgebot argumentiert, wonach bei zwei gleichwertigen Therapieoptionen die kostengünstigere gewählt werden muss. Aus Sicht des Rats gibt es jedoch durchaus Fälle, in denen selbst nach erfolgter Nutzenbewertung nicht abschließend geklärt ist, welche Therapieoption einen größeren Nutzen hat. Eine Kostenübernahme entsprechender Arzneimittel durch die GKV wäre in diesem Fall durchaus gerechtfertigt. Darüber hinaus bleiben Fragen zur Kosteneffektivität vergleichbarer Arzneimittel im deutschen Gesundheitssystem regelhaft offen. Um den zweckmäßigen Einsatz finanzieller Ressourcen sicherzustellen, könnte der Erstattungsentscheidung eine Prüfung durch den G-BA hinsichtlich der Relevanz des

[89] Die Durchführung klinischer Studien ist aus Sicht der pU mit hohen Kosten und zeitlicher Verzögerung des Markteintritts verbunden und angesichts eines zeitlich begrenzten Patent- und Unterlagenschutzes mit Einnahmeeinbußen.

[90] Im stationären Sektor fallen Arzneimittelkosten auch bei Studienteilnahme unter das Entgelt.

Studienvorhabens für die Bewertung des Arzneimittels vorausgehen. Dadurch würde außerdem sichergestellt, dass der G-BA frühzeitig über aktuelle Studienvorhaben informiert ist.

4.7 Zusammenfassung der Empfehlungen

250. Der Rat empfiehlt, die im AMNOG-System vorgesehene **Verknüpfung von Preis und *nachgewiesenem* Zusatznutzen zu stärken** (siehe auch Kapitel 2). Dazu bedarf es einer besseren Evidenzbasis, die sowohl der frühen Nutzenbewertung als auch etwaigen erneuten Bewertungen, also Reevaluationen des Zusatznutzen mit konsekutiver Preisanpassung, dienen kann (siehe Kapitel 5). Für die Förderung der Evidenzgenerierung empfiehlt der Rat, verschiedene regulatorische und infrastrukturelle Maßnahmen zu kombinieren.

251. Derzeit ist die Generierung vergleichender Evidenz zum Nutzen innovativer Arzneimittel in der Regelversorgung nicht ausreichend. Maßnahmen, um dem entgegenzuwirken, sind in Abbildung 4-2 dargestellt: Der Rat empfiehlt, sicherzustellen, dass **ausreichend systemische Anreize zur Vorlage aussagekräftiger Evidenz seitens der pU** bestehen. Auch eine neugestaltete, in Registerstrukturen eingebettete AbD könnte dazu beitragen. Ergänzend empfiehlt der Rat, die **Rahmenbedingungen für industrieunabhängige Forschung zu verbessern**. Dazu sollen bürokratische Hürden abgebaut und finanzielle Fördermöglichkeiten, auch durch den G-BA, sichergestellt werden. So könnten über den gesamten Lebenszyklus eines Arzneimittels hinweg Erkenntnisse gewonnen und darauf basierend Zusatznutzen und Preis regelmäßig(er) überprüft sowie ggf. angepasst werden.

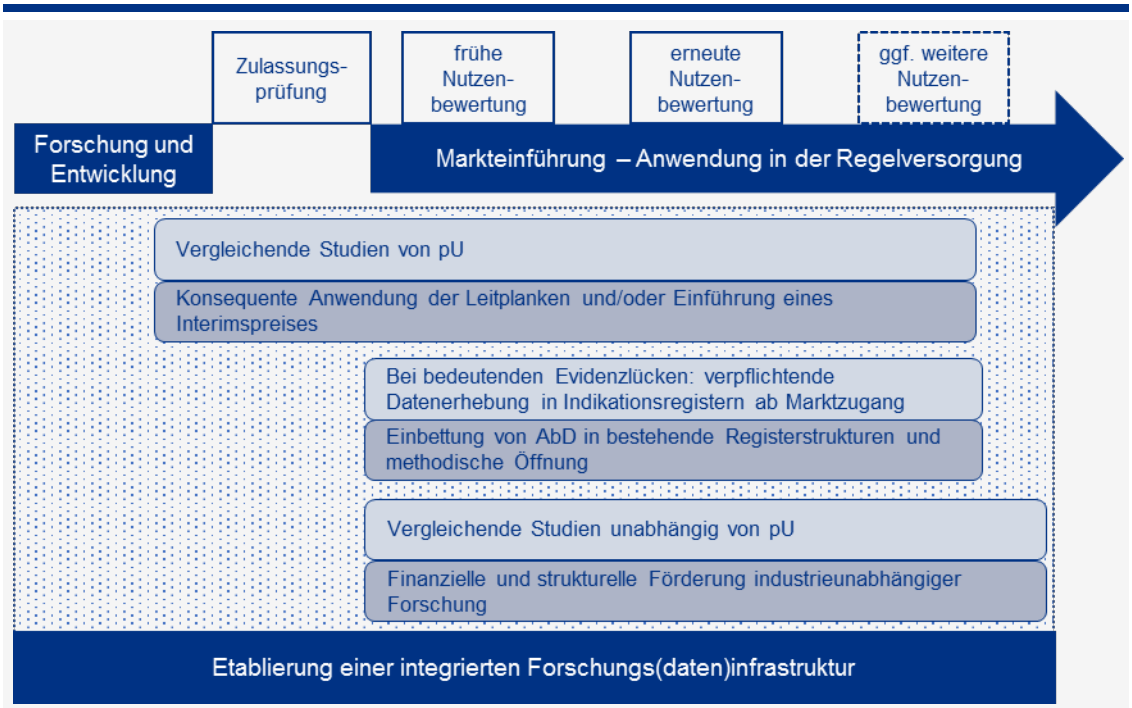

Abbildung 4-2: Maßnahmen für eine kontinuierliche Evidenzgenerierung

AbD = anwendungsbegleitende Datenerhebung; pU = pharmazeutisches Unternehmen.

Quelle: Eigene Darstellung.

252. Die Evidenzgenerierung sollte so effizient wie möglich und für eine Nutzenbewertung aussagekräftig gestaltet werden. Der Rat empfiehlt in diesem Zusammenhang die Nutzung innovativer Studientypen, insbesondere **registerbasierte RCTs sowie Plattformstudien und TTEs**. Um die Vergleichbarkeit zu erhöhen, empfiehlt der Rat zudem den regelhaften Einsatz von **Core Outcome Sets inklusive PROMs und PREMs sowie QALYs** in Arzneimittelstudien.

253. Die Grundlage einer effizienten Studiendurchführung und Nutzung vorhandener Datenbestände ist der Auf- und Ausbau einer **patientenwohlorientierten Forschungs(daten)infrastruktur**. Der Rat empfiehlt erneut (SVR, 2021, Kapitel 5), die Hürden für die wissenschaftliche Datennutzung in Deutschland zu beseitigen und so qualitativ hochwertige versorgungsrelevante Forschung auch hierzulande zu ermöglichen. Dazu zählt insbesondere ein ermöglichender Datenschutz, mit entsprechend abgesicherten Möglichkeiten zur Sekundärnutzung von VeDa und (kommerziellen) RCT-Daten. Für eine bessere Evidenzgenerierung im Bereich der Arzneimittelbewertung kommt dem **Ausbau einer Gesundheitsregisterlandschaft und der Verknüpfbarkeit verschiedener Gesundheitsdatenbestände** (Datenlinkage) ein besonderer Stellenwert zu. Beide Maßnahmen sind zentral, um die Qualität, Aussagekraft und Einsetzbarkeit vorhandener Datenbestände zu verbessern.

4.8 Literatur

ADT, (Arbeitsgemeinschaft Deutscher Tumorzentren), 2021. Einheitlicher onkologischer Basisdatensatz 2021. Bundeseinheitlicher onkologischer Basisdatensatz. https://basisdatensatz.de/basisdatensatz (abgerufen am 6.3.2025).

Antoine, A., Pérol, D., Robain, M., Delaloge, S., Lasset, C., Drouet, Y., 2023. Target trial emulation to assess real-world efficacy in the Epidemiological Strategy and Medical Economics metastatic breast cancer cohort. JNCI: Journal of the National Cancer Institute 115, 8, S. 971–980. https://doi.org/10.1093/jnci/djad092

Aronson, J. K., La Caze, A., Kelly, M. P., Parkkinen, V.-P., Williamson, J., 2018. The use of mechanistic evidence in drug approval. J Eval Clin Pract 24, 5, S. 1166–1176. https://doi.org/10.1111/jep.12960

BfArM, (Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte), 2025a. Klinische Prüfung: Wirksamkeit nachweisen. Verträglichkeit feststellen. https://www.bfarm.de/DE/Arzneimittel/Klinische-Pruefung/_node.html (abgerufen am 6.3.2025).

BfArM, (Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte), 2025b. Todesursachenstatistik. https://www.bfarm.de/DE/Kodiersysteme/Klassifikationen/ICD/ICD-10-WHO/Todesursachenstatistik/_node.html (abgerufen am 6.3.2025).

BfArM, (Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte), 2025c. Deutsches Register klinischer Studien – Wir über uns. https://www.bfarm.de/DE/Das-BfArM/Aufgaben/Deutsches-Register-Klinischer-Studien/Wir-ueber-uns/_node.html (abgerufen am 6.3.2025).

Bloem, L. T., Mantel-Teeuwisse, A. K., Leufkens, H. G. M., De Bruin, M. L., Klungel, O. H., Hoekman, J., 2019. Postauthorization Changes to Specific Obligations of Conditionally Authorized Medicines in the European Union: A Retrospective Cohort Study. Clin Pharmacol Ther 105, 2, S. 426–435. https://doi.org/10.1002/cpt.1169

BMG, (Bundesministerium für Gesundheit), 2010. Die Spreu vom Weizen trennen: Das Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG), Bundesministerium für Gesundheit, Berlin/Bonn. https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/5_Publikationen/Gesundheit/Broschueren/Broschuere_Die_Spreu_vom_Weizen_trennen_-_Das_Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz.pdf (abgerufen am 6.3.2025).

Boers, M., Kirwan, J. R., Gossec, L., Conaghan, P. G., D'Agostino, M.-A., Bingham, C. O., Brooks, P. M., Landewé, R., March, L., Simon, L., Singh, J. A., Strand, V., Wells, G. A., Tugwell, P., 2014. How to Choose Core Outcome Measurement Sets for Clinical Trials: OMERACT 11 Approves Filter 2.0. J Rheumatol 41, 5, S. 1025–1030. https://doi.org/10.3899/jrheum.131314

BQS, (Institut für Qualität und Patientensicherheit), TMF, (Technologie- und Methodenplattform für die ver-netzte medizinische Forschung), 2025. Registerdatenbank der medizinischen Register in Deutschland. https://registersuche.bqs.de/search.php (abgerufen am 6.3.2025).

Bradley, S. H., DeVito, N. J., Lloyd, K. E., Richards, G. C., Rombey, T., Wayant, C., Gill, P. J., 2020. Reducing bias and improving transparency in medical research: a critical overview of the problems, progress and suggested next steps. J R Soc Med 113, 11, S. 433–443. https://doi.org/10.1177/0141076820956799

Braitmaier, M., Didelez, V., 2022. Emulierung von „target trials" mit Real-world-Daten: Ein allgemeines Prinzip, um den Herausforderungen von Beobachtungsdaten zu begegnen. Präv Gesundheitsf. https://doi.org/10.1007/s11553-022-00967-9

Buch, C., Schildmann, J., Zerth, J., 2021. Risk-sharing schemes to finance expensive pharmaceuticals: Interdisciplinary analyses, in: Schildmann, J., Buch, C., Zerth, J. (Hrsg.), Defining the Value of Medical Interventions: Normative and Empirical Challenges, Wellcome Trust–Funded Monographs and Book Chapters. W. Kohlhammer GmbH, Stuttgart.

Burgess, R., Lewis, M., McRobert, C., Hill, J. C., 2021. Developing a core outcome set for community and primary care musculoskeletal services: A consensus approach. Musculoskeletal Science and Practice 55, S. 102415. https://doi.org/10.1016/j.msksp.2021.102415

Burki, T., 2023. Platform trials: the future of medical research? The Lancet Respiratory Medicine 11, 3, S. 232–233. https://doi.org/10.1016/S2213-2600(23)00052-8

Büssgen, M., Stargardt, T., 2023. 10 Years of AMNOG: What is the Willingness-to-Pay for Pharmaceuticals in Germany? Appl Health Econ Health Policy 21, 5, S. 751–759. https://doi.org/10.1007/s40258-023-00815-7

Chalmers, I., Glasziou, P., 2009. Avoidable waste in the production and reporting of research evidence. The Lancet 374, 9683, S. 86–89. https://doi.org/10.1016/S0140-6736(09)60329-9

Danish Health Data Authority, 2025a. Health Data Denmark. https://english.sundhedsdatastyrelsen.dk/health-data-and-registers/health-data-denmark (abgerufen am 25.3.2025).

Danish Health Data Authority, 2025b. National health registers. https://english.sundhedsdatastyrelsen.dk/health-data-and-registers/national-health-registers (abgerufen am 25.3.2025).

Danish Health Data Authority, 2025c. Slides about Danish health data. https://english.sundhedsdatastyrelsen.dk/health-data-and-registers/health-data-denmark/slides-about-danish-health-data (abgerufen am 25.3.2025).

Danish Health Data Authority, 2025d. How to apply for access. https://english.sundhedsdatastyrelsen.dk/health-data-and-registers/health-data-denmark/how-to-apply-for-access (abgerufen am 25.3.2025).

Danish Health Data Authority, 2023. Danish health data – we call it 'Data for Life'. Streamio. https://www.streamio.com/api/v1/videos/63c4fbbc6f8d8d51d8000001/public_show?player_id=63cfbf1a6f8d8d641b000002 (abgerufen am 25.7.2024).

De Pouvourville, G., Cunningham, D., Fricke, F.-U., Lindgren, P., Mantovani, L., Murphy, L. A., Solà-Morales, O., Mestre-Ferrandiz, J., Akehurst, R., 2023. Across-Country Variations of Real-World Data and Evidence for Drugs: A 5-European-Country Study. Value in Health 26, 4, S. 3–10. https://doi.org/10.1016/j.jval.2023.01.009

DeVito, N. J., Goldacre, B., 2019. Catalogue of bias: publication bias. BMJ Evidence-Based Medicine 24, 2, S. 53–54. https://doi.org/10.1136/bmjebm-2018-111107

Dodd, S., Clarke, M., Becker, L., Mavergames, C., Fish, R., Williamson, P. R., 2018. A taxonomy has been developed for outcomes in medical research to help improve knowledge discovery. Journal of Clinical Epidemiology 96, S. 84–92. https://doi.org/10.1016/j.jclinepi.2017.12.020

Doherty, D. A., Tong, S. Y. C., Reilly, J., Shrapnel, J., McDonald, S., Ahern, S., Harris, I., Tam, C. S., Brennan, A. L., Hodgson, C., Wilcox, L., Balagurunathan, A., Butcher, B. E., Reid, C. M., 2023. Registry randomised trials: a methodological perspective. BMJ Open 13, 3, S. e068057. https://doi.org/10.1136/bmjopen-2022-068057

Drummond, M. F., Sculpher, M., Claxton, K., Stoddart, G. L., Torrance, G. W., 2015. Chapter 5 Measuring and valuing effects: health gain, in: Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes. Oxford University Press, Oxford, S. 123–180.

Eger, K., Traufeller, K., Deschauer, M., Neudecker, St., Dengler, R., 2003. 14 Spinale Muskelatrophien (SMA), in: Zierz, S., Jerusalem, F. (Hrsg.), Muskelerkrankungen. Georg Thieme Verlag, Stuttgart, S. b-002-44922. https://doi.org/10.1055/b-002-44922

EMA, (European Medicines Agency), 2025a. Conditional marketing authorisation. https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/marketing-authorisation/conditional-marketing-authorisation (abgerufen am 7.3.2025).

EMA, (European Medicines Agency), 2025b. European Medicines Agency pre-authorisation procedural advice for users of the centralised procedure. https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/european-medicines-agency-pre-authorisation-procedural-advice-users-centralised-procedure_en.pdf (abgerufen am 7.3.2025).

EMA, (European Medicines Agency), 2025c. Catalogue of RWD studies: HMA-EMA Catalogue of real-world data sources and studies. https://catalogues.ema.europa.eu/catalogue-rwd-studies (abgerufen am 7.3.2025).

EMA, (European Medicines Agency), 2017. Conditional marketing authorisation: Report on ten years of experience at the European Medicines Agency, EMA, London. https://www.ema.europa.eu/en/documents/report/conditional-marketing-authorisation-report-ten-years-experience-european-medicines-agency_en.pdf (abgerufen am 7.3.2025).

EMA, (European Medicines Agency), 2014. Posting of clinical trial summary results in European Clinical Trials Database (EudraCT) to become mandatory for sponsors as of 21 July 2014. https://www.ema.europa.eu/en/news/posting-clinical-trial-summary-results-european-clinical-trials-database-eudract-become-mandatory-sponsors-21-july-2014 (abgerufen am 7.3.2025).

Eriksson, J. W., Eliasson, B., Bennet, L., Sundström, J., 2022. Registry-based randomised clinical trials: a remedy for evidence-based diabetes care? Diabetologia 65, 10, S. 1575–1586. https://doi.org/10.1007/s00125-022-05762-x

Fitzpatrick, T., Perrier, L., Shakik, S., Cairncross, Z., Tricco, A. C., Lix, L., Zwarenstein, M., Rosella, L., Henry, D., 2018. Assessment of Long-term Follow-up of Randomized Trial Participants by Linkage to Routinely Collected Data. JAMA Netw Open 1, 8, S. e186019. https://doi.org/10.1001/jamanetworkopen.2018.6019.

Ford, I., Norrie, J., 2016. Pragmatic Trials. N Engl J Med 375, 5, S. 454–463. https://doi.org/10.1056/NEJMra1510059

Garrison, L. P., Towse, A., Briggs, A., De Pouvourville, G., Grueger, J., Mohr, P. E., Severens, J. L. (Hans), Siviero, P., Sleeper, M., 2013. Performance-Based Risk-Sharing Arrangements – Good Practices for Design, Implementation, and Evaluation: Report of the ISPOR Good Practices for Performance-Based Risk-Sharing Arrangements Task Force. Value in Health 16, 5, S. 703–719. https://doi.org/10.1016/j.jval.2013.04.011

G-BA, (Gemeinsamer Bundesausschuss), 2025a. Anwendungsbegleitende Datenerhebung bei neuen Arzneimitteln. https://www.g-ba.de/themen/arzneimittel/arzneimittel-richtlinie-anlagen/anwendungsbegleitende-datenerhebung/ (abgerufen am 7.3.2025).

G-BA, (Gemeinsamer Bundesausschuss), 2025b. Anwendungsbegleitende Datenerhebung bei Onasemnogen-Abeparvovec (Zolgensma®). https://www.g-ba.de/studien/abd/zolgensma/#:~:text=Die%20anwendungsbegleitende%20Datenerhebung%20f%C3%BCr%20die,und%20die%20geforderten%20Daten%20dokumentieren (abgerufen am 7.3.2025).

G-BA, (Gemeinsamer Bundesausschuss), 2025c. Anwendungsbegleitende Datenerhebungen und Beschränkungen der Versorgungsbefugnis. https://www.g-ba.de/anwendungsbegleitende-datenerhebung-verfahren/ (abgerufen am 7.3.2025).

G-BA, (Gemeinsamer Bundesausschuss), 2024. Foliensatz: Workshop Anwendungsbegleitende Datenerhebung, Berlin. https://www.g-ba.de/downloads/17-98-5700/Foliensatz_Workshop_AbD_final.pdf (abgerufen am 7.3.2025).

G-BA, (Gemeinsamer Bundesausschuss), 2022. Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V. Bewertung von Arzneimitteln für seltene Leiden nach § 35a Absatz 1 Satz 11 i. V. m. Kapitel 5 § 12 Nr. 1 Satz 2 VerfO. Wirkstoff: Cerliponase alfa, Gemeinsamer Bundesausschuss, Berlin. https://www.g-ba.de/downloads/92-975-5866/2022-07-01_Nutzenbewertung-G-BA_Cerliponase-alfa_D-849.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

G-BA, (Gemeinsamer Bundesausschuss), 2021. Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie: Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V Onasemnogen-Abeparvovec (spinale Muskelatrophie); Beschränkung der Versorgungsbefugnis, Berlin. https://www.g-ba.de/downloads/39-261-4703/2021-02-04_AM-RL-XII_Versorgungsbefugnis_Onasemnogen-Abeparvovec_D-549_BAnz.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

G-BA, (Gemeinsamer Bundesausschuss), 2020. Tragende Gründe zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung gemäß § 35a Absatz 3b SGB V: Onasemnogen-Abeparvovec (spinale Muskelatrophie), Berlin. https://www.g-ba.de/downloads/40-268-6735/2020-07-16_AM-RL_Onasemnogen-Abeparvovec_Einleitung-Verfahren_TrG.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

Greiner, W., Witte, J., Gensorowsky, D., Pauge, S., 2020. AMNOG Report 2020: 10 Jahre AMNOG - Rückblick und Ausblick, AMNOG-Report. medhochzwei Verlag, Heidelberg.

Griesinger, F., Jänicke, M., 2022. Was können Register leisten?: Warum Real World Data zur Versorgungsrealität aus Registern so wichtig sind. Präv Gesundheitsf. https://doi.org/10.1007/s11553-022-00969-7

Haas, A., Mayer, T., Tebinka-Olbrich, A., Blindzellner, M., Beggerow, E., Nickel, A., 2021. Beschleunigte Zulassung von Arzneimitteln: Herausforderungen für Patient:innen, Datenqualität und faire Preise, in: Schröder, H., Thürmann, P., Telschow, C., Schröder, M., Busse, R. (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2021: Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderung und Perspektiven. Springer, Berlin, Heidelberg, S. 105–124. https://doi.org/10.1007/978-3-662-63929-0_8

Harsløf, M., Chanchiri, I., Silkjær, T., Frølund, U. C., Teodorescu, E. M., Nielsen, K. B., Nielsen, P. I., Pedersen, P. T., Iversen, K. F., Lund, T., Grønbæk, K., Thorsteinsdottir, S., Vangsted, A., Szabo, A. G., 2024. Nationwide implementation of lenalidomide maintenance in multiple myeloma: A retrospective, real-world study. EJHaem 5, 2, S. 316. https://doi.org/10.1002/jha2.881

Hernán, M. A., Robins, J. M., 2016. Using Big Data to Emulate a Target Trial When a Randomized Trial Is Not Available. Am J Epidemiol 183, 8, S. 758–764. https://doi.org/10.1093/aje/kwv254

Hulstaert, F., Pouppez, C., Primus-de Jong, C., Harkin, K., Neyt, M., 2021. Evidence gaps for drugs and medical devices at market entry in Europe and potential solutions (Nr. KCE Reports 347), Health Services Research (HSR) Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE), BE. https://doi.org/10.57598/R347C (abgerufen am 10.3.2025).

IQWiG, (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), 2025. 2. Arzneimittel-Zulassung und -Nutzenbewertung in anderen Ländern. https://www.iqwig.de/presse/im-fokus/neue-arzneimittel-zulassung-nutzenbewertung-erstattung/2-arzneimittel-zulassung-und-nutzenbewertung-in-anderen-laendern/ (abgerufen am 10.3.2025).

IQWiG, (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), 2022a. Wissenschaftliche Ausarbeitung eines Konzeptes zur Generierung versorgungsnaher Daten und deren Auswertung zum Zwecke der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V in der Situation des Marktzugangs mehrerer Arzneimittel einer Wirkstoffklasse (Rapid Report A21-37), Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, IQWiG-Berichte – Nr. 1339. https://www.iqwig.de/download/a21-37_abd-bei-marktzugang-mehrerer-arzneimittel-einer-wirkstoffklasse_rapid-report_v1-0.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

IQWiG, (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), 2022b. Konzept für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung – Brexucabtagen autoleucel (Rapid Report A21-130), IQWiG-Berichte – Nr. 1323. https://www.iqwig.de/download/a21-130_anwendungsbegleitende-datenerhebung-brexucabtagen-autoleucel_rapid-report_v1-0.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

IQWiG, (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), 2021. Evidenz zu Orphan Drugs (Arbeitspapier GA21-01), Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, Köln, IQWiG-Berichte – Nr. 1269. https://www.iqwig.de/download/ga21-01_evidenz-zu-orphan-drugs_arbeitspapier_v1-0.pdf (abgerufen am 1.4.2025).

IQWiG, (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), 2020. Konzepte zur Generierung versorgungsnaher Daten und deren Auswertung zum Zwecke der Nutzenbewertung von Arzneimitteln nach § 35a SGB V (Rapid Report A19-43), IQWiG-Berichte – Nr. 863. https://www.iqwig.de/download/a19-43_versorgungsnahe-daten-zum-zwecke-der-nutzenbewertung_rapid-report_v1-1.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

Jakobs, J., Kerßenboom, R., Schulat, C., Sindern, J., 2023. Die „Target Trial Emulation“ zu CAR-T im AMNOG. MVF 16, 06, S. 46–49. https://doi.org/10.24945/MVF.06.23.1866-0533.2563

Jonker, C. J., Bakker, E., Kurz, X., Plueschke, K., 2022. Contribution of patient registries to regulatory decision making on rare diseases medicinal products in Europe. Front. Pharmacol. 13. https://doi.org/10.3389/fphar.2022.924648

Kaplan, R. M., Hays, R. D., 2022. Health-Related Quality of Life Measurement in Public Health. Annu. Rev. Public Health 43, 1, S. 355–373. https://doi.org/10.1146/annurev-publhealth-052120-012811

KBV, (Kassenärztliche Vereinigung), 2024. Themen: Klinische Krebsregister. KBV - Klinische Krebsregister. https://www.kbv.de/html/krebsregister.php (abgerufen am 24.7.2024).

Kearney, A., Gargon, E., Mitchell, J. W., Callaghan, S., Yameen, F., Williamson, P. R., Dodd, S., 2023. A systematic review of studies reporting the development of core outcome sets for use in routine care. Journal of Clinical Epidemiology 158, S. 34–43. https://doi.org/10.1016/j.jclinepi.2023.03.011

Klinkhammer-Schalke, M., Kaiser, T., Apfelbacher, C., Benz, S., Dreinhöfer, K. E., Geraedts, M., Hauptmann, M., Hoffmann, F., Hoffmann, W., Koller, M., Kostuj, T., Kowalski, C., Mugele, K., Ortmann, O., Schmitt, J., Schünemann, H., Veit, C., Wesselmann, S., Bierbaum, T., 2020. Manual für Methoden und Nutzung versorgungsnaher Daten zur Wissensgenerierung. Das Gesundheitswesen 82, S. 716–722. https://doi.org/10.1055/a-1237-4011

Kluzek, S., Dean, B., Wartolowska, K. A., 2022. Patient-reported outcome measures (PROMs) as proof of treatment efficacy. BMJ EBM 27, 3, S. 153–155. https://doi.org/10.1136/bmjebm-2020-111573

Kölbel, H., Müller-Felber, W., 2020. S1-Leitlinie: Spinale Muskelatrophie (SMA), Diagnostik und Therapie, Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften, AWMF-Register-Nr. 022-030. https://register.awmf.org/assets/guidelines/022-030l_S1_Spinale-Muskelatropie-SMA-Diagnostik-Therapie_2021-07_1.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

Lankreijer, K., D’Hooghe, T., Sermeus, W., Van Asseldonk, F. P. M., Repping, S., Dancet, E. A. F., 2016. Development and validation of the FertiMed questionnaire assessing patients’ experiences with hormonal fertility medication. Hum. Reprod. 31, 8, S. 1799–1808. https://doi.org/10.1093/humrep/dew111

Laschet, H., 2022. Was klinische Studien in Deutschland bremst. AerzteZeitung.de. https://www.aerztezeitung.de/Kooperationen/Was-klinische-Studien-in-Deutschland-bremst-428202.html (abgerufen am 10.3.2025).

Ludwig, W.-D., Vokinger, K. N., 2021. Hochpreisigkeit bei Onkologika, in: Schröder, H., Thürmann, P., Telschow, C., Schröder, M., Busse, R. (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2021: Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderung und Perspektiven. Springer, Berlin, Heidelberg, S. 79–92. https://doi.org/10.1007/978-3-662-63929-0_6

Macefield, R. C., Jacobs, M., Korfage, I. J., Nicklin, J., Whistance, R. N., Brookes, S. T., Sprangers, M. A., Blazeby, J. M., 2014. Developing core outcomes sets: methods for identifying and including patient-reported outcomes (PROs). Trials 15, 1, S. 49. https://doi.org/10.1186/1745-6215-15-49

Mathes, T., 2024. Anforderung an die Daten für die Target-Trial-Emulation: Eine Diskussion unter Betrachtung von Patientenregistern. GMS Med Inform Biom Epidemiol 20, S. Doc03. https://doi.org/10.3205/mibe000259

Medicinrådet, 2024. Mindre effekt end forventet: Medicinrådet revurderer anbefaling af lægemiddel mod knoglemarvskræft [Weniger wirksam als erwartet: Medizinrat überdenkt Empfehlung für Medikament bei Knochenmarkkrebs]. https://medicinraadet.dk/nyheder/2024/mindre-effekt-end-forventet-medicinradet-revurderer-anbefaling-af-laegemiddel-mod-knoglemarvskraeft (abgerufen am 10.3.2025).

Meyer, M., Giesselbach, S., Antweiler, D., Defosse, J., Hensen, S., Iser, H., Salge, T. O., Stead, S., Tjardes, T., Waloßek, N., 2024. Künstliche Intelligenz im Schockraum. Wie Agenten und Foundation-Modelle bei der Versorgung Schwerverletzter helfen, Fraunhofer-Institut für Intelligente Analyse- und Informationssysteme IAIS. https://publica-rest.fraunhofer.de/server/api/core/bitstreams/58d0a52f-8323-4100-a1c3-051b143c882d/content (abgerufen am 10.3.2025).

Mühlbauer, B., Ludwig, W.-D., 2023. Arzneiverordnungen 2022 im Überblick, in: Ludwig, W.-D., Mühlbauer, B., Seifert, R. (Hrsg.), Arzneiverordnungs-Report 2023. Springer Berlin Heidelberg, S. 3–28. https://doi.org/10.1007/978-3-662-68371-2_1

NAPKON, (Nationales Pandemie Kohorten Netz), 2024. NAPKON-TIP. https://napkon.de/napkon-tip/ (abgerufen am 10.3.2025).

Naudet, F., Patel, C. J., DeVito, N. J., Le Goff, G., Cristea, I. A., Braillon, A., Hoffmann, S., 2024. Improving the transparency and reliability of observational studies through registration. BMJ 384, S. e076123. https://doi.org/10.1136/bmj-2023-076123

Niemeyer, A., Semler, S., Veit, C., Hoffmann, W., van den Berg, N., Röhring, R., Gurisch, C., Schlünder, I., Beckedorf, I., 2021. Gutachten zur Weiterentwicklung medizinischer Register zur Verbesserung der Dateneinspeisung und -anschlussfähigkeit, Institut für Qualität und Patientensicherheit (BQS), Technologie- und Methodenplattform für die vernetzte medizinische Forschung e.V. (TMF), Hamburg / Berlin. https://www.bqs.de/aktuelles/meldungen/REG-GUT-2021_Registergutachten_BQS-TMF-Gutachtenteam_2021-10-29.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

NIHR, (National Institute for Health and Care Research), 2025. Clinical Practice Research Datalink. https://www.cprd.com/ (abgerufen am 10.3.2025).

Nordon, C., Karcher, H., Groenwold, R. H. H., Ankarfeldt, M. Z., Pichler, F., Chevrou-Severac, H., Rossignol, M., Abbe, A., Abenhaim, L., 2016. The “Efficacy-Effectiveness Gap”: Historical Background and Current Conceptualization. Value in Health 19, 1, S. 75–81. https://doi.org/10.1016/j.jval.2015.09.2938

Novartis Gene Therapies Inc., 2024. Routine data collection and evaluations of onasemnogene abeparvovec in Germany. Study Protocol Version 4.01. https://www.g-ba.de/downloads/40-268-10961/2024-06-06_AM-RL-XII_Onasemnogen-Abeparvovec_2020-AbD-001_Ueberpruefung-SP-SAP_Studienunterlagen.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

Olmo, C. A., McGettigan, P., Kurz, X., 2019. Barriers and Opportunities for Use of Patient Registries in Medicines Regulation. Clin Pharmacol Ther 106, 1, S. 39–42. https://doi.org/10.1002/cpt.1414

O’Shaughnessy, J., 2023. Commercial clinical trials in the UK: the Lord O’Shaughnessy review – final report, National Archives UK, London. https://www.gov.uk/government/publications/commercial-clinical-trials-in-the-uk-the-lord-oshaughnessy-review/commercial-clinical-trials-in-the-uk-the-lord-oshaughnessy-review-final-report (abgerufen am 10.3.2025).

Pacheco, R. L., Martimbianco, A. L. C., Riera, R., 2022. Let’s end “real-world evidence” terminology usage: A study should be identified by its design. Journal of Clinical Epidemiology 142, S. 249–251. https://doi.org/10.1016/j.jclinepi.2021.11.013

PhRMA, (Pharmaceutical Research and Manufacturers of America®), 2020. MEDICINES IN DEVELOPMENT | 2020 UPDATE: CELL AND GENE THERAPY, America´s Biopharmaceutical Companies, Washington D.C. https://cdn.aglty.io/phrma/Attachments/MIDReport_Cell_Gene_Therapy_2020_FINAL.pdf (abgerufen am 8.10.2024).

Purpura, C. A., Garry, E. M., Honig, N., Case, A., Rassen, J. A., 2022. The Role of Real-World Evidence in FDA-Approved New Drug and Biologics License Applications. Clin Pharma and Therapeutics 111, 1, S. 135–144. https://doi.org/10.1002/cpt.2474

RKKP, (Regionernes Kliniske Kvalitetsudviklingsprogram), 2025. Find database. https://www.sundk.dk/kliniske-kvalitetsdatabaser/ (abgerufen am 10.3.2025).

Rothwell, P. M., 2005. External validity of randomised controlled trials: “To whom do the results of this trial apply?” The Lancet 365, 9453, S. 82–93. https://doi.org/10.1016/S0140-6736(04)17670-8

Roustit, M., Demarcq, O., Laporte, S., Barthélémy, P., Chassany, O., Cucherat, M., Demotes, J., Diebolt, V., Espérou, H., Fouret, C., Galaup, A., Gambotti, L., Gourio, C., Guérin, A., Labruyère, C., Paoletti, X., Porcher, R., Simon, T., Varoqueaux, N., 2023. Platform trials. Therapie 78, 1, S. 29–38. https://doi.org/10.1016/j.therap.2022.12.003

Schmitt, J., Bierbaum, T., Geraedts, M., Gothe, H., Härter, M., Hoffmann, F., Ihle, P., Kramer, U., Klinkhammer-Schalke, M., Kuske, S., March, S., Reese, J.-P., Schoffer, O., Swart, E., Vollmar, H. C., Walther, F., Hoffmann, W., 2023a. Das Gesundheitsdatennutzungsgesetz – Potenzial für eine bessere Forschung und Gesundheitsversorgung. Gesundheitswesen 85, 04, S. 215–222. https://doi.org/10.1055/a-2050-0429

Schmitt, J., Ihle, P., Hoffmann, W., Reese, J.-P., Schoffer, O., 2023b. Record Linkage der Daten des FDZ Gesundheit mit extern gehaltenen Forschungsdaten anhand des Beispiels einer Verknüpfung mit

Daten einer Kohorte des NAPKON (Gutachten im Auftrag des BMG), Bundesministerium für Gesundheit. https://www.uniklinikum-dresden.de/de/das-klinikum/universitaetscentren/zegv/news/GA_NAPKON_FDZ_V2_1.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

Schmitt, J., Ihle, P., Schoffer, O., Reese, J.-P., Ortmann, S., Swart, E., Hanß, S., Hoffmann, F., Stallmann, C., Kraus, M., Semler, S. C., Heyder, R., Vehreschild, J. J., Heuschmann, P., Krefting, D., Sedlmayr, M., Hoffmann, W., 2024. Datennutzung für eine bessere Gesundheitsversorgung–Plädoyer für eine kooperative Forschungsdatenplattform der gesetzlichen und privaten Krankenversicherung und dem Netzwerk Universitätsmedizin (NUM). Gesundheitswesen , S. a-2438-0670. https://doi.org/10.1055/a-2438-0670

Schmitt, J., Lange, T., Kottner, J., Prinsen, C. A. C., Weberschock, T., Hahnel, E., Apfelbacher, C., Brandstetter, S., Dreher, A., Stevens, G., Burden-Teh, E., Rogers, N., Spuls, P., Grainge, M. J., Williams, H. C., Jacobi, L., 2019. Cochrane Reviews and Dermatological Trials Outcome Concordance: Why Core Outcome Sets Could Make Trial Results More Usable. Journal of Investigative Dermatology 139, 5, S. 1045–1053. https://doi.org/10.1016/j.jid.2018.11.019

Schneider, P., 2022. The QALY is ableist: on the unethical implications of health states worse than dead. Qual Life Res 31, 5, S. 1545–1552. https://doi.org/10.1007/s11136-021-03052-4

Schork, N. J., 2018. Randomized clinical trials and personalized medicine: A commentary on deaton and cartwright. Soc Sci Med 210, S. 71–73. https://doi.org/10.1016/j.socscimed.2018.04.033

Schüßler-Lenz, M., Scherer, J., Müller-Berghaus, J., 2022. Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMP): Ankunft in der Versorgung. Pharmakon 10, 5, S. 337–343. https://doi.org/10.1691/pn.20220034

Stausberg, J., Maier, B., Bestehorn, K., Gothe, H., Groene, O., Jacke, C., Jänicke, M., Kostuj, T., Mathes, T., Niemeyer, A., Olbrich, K., Schmitt, J., Neugebauer, E., 2020. Memorandum Register für die Versorgungsforschung: Update 2019. Das Gesundheitswesen 82, S. e39–e66. https://doi.org/10.1055/a-1083-6417

Sundhedsdatastyrelsen, 2025. eSundhed. https://www.esundhed.dk/ (abgerufen am 25.3.2025).

SVR, (Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen), 2021. Digitalisierung für Gesundheit: Ziele und Rahmenbedingungen eines dynamisch lernenden Gesundheitssystems. Gutachten 2021. Hogrefe Verlag, Bern.

Tennant, P. W. G., Murray, E. J., Arnold, K. F., Berrie, L., Fox, M. P., Gadd, S. C., Harrison, W. J., Keeble, C., Ranker, L. R., Textor, J., Tomova, G. D., Gilthorpe, M. S., Ellison, G. T. H., 2020. Use of directed acyclic graphs (DAGs) to identify confounders in applied health research: review and recommendations. Int J Epidemiol 50, 2, S. 620–632. https://doi.org/10.1093/ije/dyaa213

Thaçi, D., Blauvelt, A., Reich, K., Tsai, T.-F., Vanaclocha, F., Kingo, K., Ziv, M., Pinter, A., Hugot, S., You, R., Milutinovic, M., 2015. Secukinumab is superior to ustekinumab in clearing skin of subjects with moderate to severe plaque psoriasis: CLEAR, a randomized controlled trial. Journal of the American Academy of Dermatology 73, 3, S. 400–409. https://doi.org/10.1016/j.jaad.2015.05.013

The RECOVERY Collaborative Group, 2021. Dexamethasone in Hospitalized Patients with Covid-19. N Engl J Med 384, 8, S. 693–704. https://doi.org/10.1056/NEJMoa2021436

Thiel, R., Stroetmann, K., Deimel, L., 2020. Sekundärnutzung von Daten in elektronischen Patientenakten, Bertelsmann Stiftung. https://www.bertelsmann-stiftung.de/de/publikationen/publikation/did/sekundaernutzung-von-daten-in-elektronischen-patientenakten-all (abgerufen am 10.3.2025).

Universitätsklinikum Freiburg, 2025. SMArtCare: Verlaufsbeobachtung und Therapieevaluation bei Spinaler Muskelatrophie. https://www.uniklinik-freiburg.de/smartcare/ueber-uns.html (abgerufen am 10.3.2025).

Vervölgyi, V., Kaiser, T., 2024. Datenerhebungen zu Arzneimitteln – eine Perspektive für die Krebsregister. Onkologie 30, 4, S. 289–295. https://doi.org/10.1007/s00761-023-01443-5

vfa, (Verband Forschender Arzneimittelhersteller), 2025. Häufigkeit beschleunigter Wege zur Zulassung. https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/so-funktioniert-pharmaforschung/beschleunigter-weg-zur-zulassung-nicht-haeufiger-als-frueher (abgerufen am 10.3.2025).

Werner, S., Lechterbeck, L., Rasch, A., Merkesdal, S., Ruof, J., 2019. Untersuchung der Akzeptanz und der Ablehnungsgründe indirekter Vergleiche in IQWiG-Nutzenbewertungen. Gesundheitsökonomie & Qualitätsmanagement 25, S. 24–36. https://doi.org/10.1055/a-0890-7985

WHO, (World Health Organization), 2024. Guidance for best practices for clinical trials, Genf. https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/378782/9789240097711-eng.pdf?sequence=1 (abgerufen am 10.3.2025).

Wicherski, J., Schneider, K., Zinserling, J., Heß, S., Haenisch, B., Broich, K., 2022. Real-world-Daten in der Arzneimittelregulation – aktuelle Entwicklungen und Ausblick. Präv Gesundheitsf. https://doi.org/10.1007/s11553-022-01010-7

Wieseler, B., McGauran, N., Kaiser, T., 2019. New drugs: where did we go wrong and what can we do better? BMJ , S. l4340. https://doi.org/10.1136/bmj.l4340

Wieseler, B., Neyt, M., Kaiser, T., Hulstaert, F., Windeler, J., 2023. Replacing RCTs with real world data for regulatory decision making: a self-fulfilling prophecy? BMJ 380, S. e073100. https://doi.org/10.1136/bmj-2022-073100

Williamson, P. R., Altman, D. G., Bagley, H., Barnes, K. L., Blazeby, J. M., Brookes, S. T., Clarke, M., Gargon, E., Gorst, S., Harman, N., Kirkham, J. J., McNair, A., Prinsen, C. A. C., Schmitt, J., Terwee, C. B., Young, B., 2017. The COMET Handbook: version 1.0. Trials 18, Suppl 3, S. 280. https://doi.org/10.1186/s13063-017-1978-4

Yiu, Z. Z. N., Mason, K. J., Hampton, P. J., Reynolds, N. J., Smith, C. H., Lunt, M., Griffiths, C. E. M., Warren, R. B., 2021. Randomized Trial Replication Using Observational Data for Comparative Effectiveness of Secukinumab and Ustekinumab in Psoriasis. JAMA Dermatol 157, 1, S. 1–8. https://doi.org/10.1001/jamadermatol.2020.4202

Zeitler, E. P., Gilstrap, L. G., Coylewright, M., Slotwiner, D. J., Colla, C. H., Al-Khatib, S. M., 2022. Coverage With Evidence Development: Where Are We Now? Am J Manag Care 28, 8, S. 382–389. https://doi.org/10.37765/ajmc.2022.88870

Zuidgeest, M. G. P., Welsing, P. M. J., Van Thiel, G. J. M. W., Ciaglia, A., Alfonso-Cristancho, R., Eckert, L., Eijkemans, M. J. C., Egger, M., 2017. Series: Pragmatic trials and real world evidence: Paper 5. Usual

care and real life comparators. Journal of Clinical Epidemiology 90, S. 92–98. https://doi.org/10.1016/j.jclinepi.2017.07.001

Zuo, H., Yu, L., Campbell, S. M., Yamamoto, S. S., Yuan, Y., 2023. The implementation of target trial emulation for causal inference: a scoping review. Journal of Clinical Epidemiology 162, S. 29–37. https://doi.org/10.1016/j.jclinepi.2023.08.003

5 Weiterentwicklung der Preisbildungsinstrumente

254. Das Ziel des AMNOG-Verfahrens ist die Ermittlung eines fairen Preises, der sowohl die finanziellen Interessen der pharmazeutischen Unternehmen (pU) als auch die Interessen der Solidargemeinschaft berücksichtigt. Dabei besteht **Verhandlungsspielraum**. Dieser Spielraum kann jedoch für die Verhandlungsführer der Solidargemeinschaft eingeschränkt sein: zum einen aufgrund von Informationsasymmetrien, zum anderen aufgrund der grundsätzlichen Erstattungsfähigkeit verschreibungspflichtiger Arzneimittel, die lediglich wenige Ausnahmen zulässt (siehe Kapitel 2).

255. Die Rahmenbedingungen der Preisverhandlungen lassen sich auf unterschiedliche Arten weiterentwickeln, um eine hochwertige, bedarfsgerechte und wirtschaftliche Versorgung mit Arzneimitteln weiterhin zu gewährleisten. In diesem Kapitel werden verschiedene **Instrumente** beleuchtet, die eingesetzt werden könnten, um Preise dynamisch an neue Evidenz und sich verändernde Marktsituationen anzupassen, Ausgaben für (Einmal-)Therapien einzuschränken, wenn diese sich als nicht oder weniger effektiv als angenommen erweisen, das Risiko einer rapiden Ausgabensteigerung zulasten der Solidargemeinschaft zu begrenzen und eine transparente Debatte über den Maximalpreis von Arzneimitteln zu ermöglichen. Die beschriebenen Mechanismen kommen vielfach bereits in anderen Gesundheitssystemen sowie vereinzelt in Deutschland zum Einsatz, sodass Erfahrungswerte zur Wirksamkeit der Instrumente auf die Preisentwicklung herangezogen werden können.

5.1 Preisanpassung im Zeitverlauf

256. Im AMNOG-Verfahren werden die Preise innovativer Arzneimittel in Verhandlungen zwischen GKV-Spitzenverband (GKV-SV) und pU vereinbart (siehe dazu Kapitel 2). Die Rahmenvereinbarung nach § 130b Abs. 9 SGB V legt Genaueres zu diesen Verhandlungen fest. Sie sieht vor, dass der Erstattungsbetrag auf Grundlage folgender Kriterien vereinbart wird: Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) zum Zusatznutzen, Dossier des pU, die Jahrestherapiekosten vergleichbarer Arzneimittel und – bis zum Inkrafttreten des Medizinforschungsgesetzes (MFG)[91] – die Referenzpreise in anderen europäischen Ländern. Er soll

[91] Artikel 6 MFG, in dem der Wegfall der Mitteilungspflicht geregelt ist, trat am 1. Januar 2025 in Kraft.

als Aufschlag auf die Kosten der zweckmäßigen Vergleichstherapie (zVT) verhandelt werden. Die Ausprägungen der Preisbildungskriterien (z. B. der Preis der zVT) können sich im Produktlebenszyklus ändern. Dadurch können die Annahmen, die zu einer Preisfestlegung geführt haben, wesentlich verändert werden. In diesem Fall wird die initial ausgehandelte Balance zwischen der Renditeerwartung des pU und der Zahlungsbereitschaft der Solidargemeinschaft infrage gestellt. Der Rat spricht sich für die Einführung einer **dynamischen Preisanpassungssystematik** aus, welche die Wirtschaftlichkeit der Versorgung mit innovativen Arzneimitteln über den Zeitverlauf vor Ablauf deren Patentschutzes oder ihrer Einordnung in Festbetragsgruppen stärken soll. Grundsätzlich kann eine solche dynamische Anpassung die Erstattungspreise und die damit verbundenen Gesundheitsausgaben sowohl senken als auch erhöhen.

257. Wenn der Preis eines Arzneimittels im Zeitverlauf sinkt, wirkt sich dies nicht nur **direkt kostensenkend** aus. Durch die Preissenkung entstehen darüber hinaus **indirekte Einsparungen**, wenn bei der Bepreisung anderer Arzneimittel auf den niedrigeren Preis referenziert wird. Eine dynamische Preisanpassungssystematik schwächt somit das Problem ab, dass die Einführung innovativer Arzneimittel im Rahmen der selbstreferenziellen AMNOG-Logik fast zwangsläufig zu kontinuierlichen Ausgabensteigerungen führt („Turmtreppeneffekt“; siehe dazu auch Kapitel 2).

258. Bereits heute können **erneute Preisverhandlungen** geführt werden. Dazu kommt es vor allem nach einer erneuten Nutzenbewertung, die wiederum verschiedene Auslöser haben kann (siehe dazu Abschnitt 5.1.1). Der Rat empfiehlt zudem die Einführung regelhafter Preisanpassungen, die sich nach der Preisentwicklung der zVT, den Absatzmengen und den europäischen Referenzpreisen richten (siehe dazu Abschnitt 5.1.2). Hierbei wird **beiden Verhandlungspartnern die Möglichkeit eingeräumt, nach einer Preisanpassung wieder an den Verhandlungstisch zurückzukehren**, wenn die adjustierten Preise nicht zufriedenstellend sind. Abbildung 5-1 fasst die Empfehlungen des Rats zu diesem Themenkomplex zusammen. Diese werden in den folgenden Abschnitten näher ausgeführt.

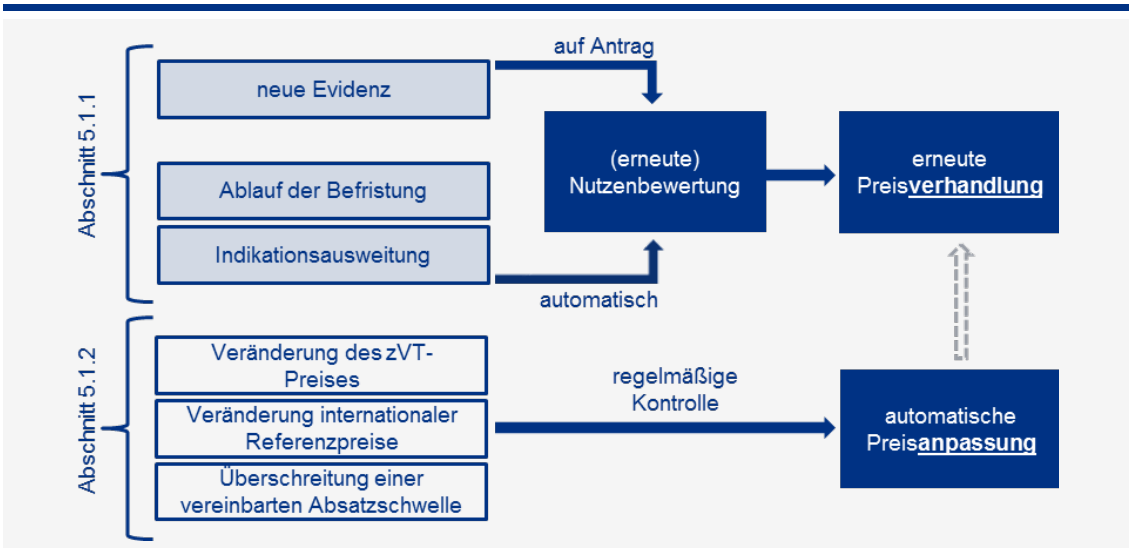

Abbildung 5-1: Auslöser für dynamische Preisanpassungen

zVT = zweckmäßige Vergleichstherapie.

Quelle: Eigene Darstellung.

5.1.1 Erneute Preisverhandlungen nach Reevaluation

259. Unzureichende Evidenz über den Zusatznutzen eines Arzneimittels erschwert sowohl eine bedarfsgerechte Versorgung als auch eine angemessene Preisfindung. Zum Zeitpunkt der Zulassung und der nachfolgenden, initialen Preisverhandlung ist die Evidenzbasis zumeist noch lückenhaft (beispielsweise für bestimmte Altersgruppen oder für die Erkennung von Langzeitnebenwirkungen). Im Zeitverlauf können durch neue klinische Studien sowie Erfahrungen aus der Regelversorgung neue Erkenntnisse hinzukommen, die die bisherige Einschätzung wesentlicher Parameter verändern. Auch kann sich das Einsatzspektrum eines Arzneimittels wandeln. In Kapitel 4 wurde dargestellt, wie die Generierung von Evidenz in Deutschland über das Zulassungsverfahren und die frühe Nutzenbewertung hinaus incentiviert und unterstützt werden soll. Eine gut entwickelte Evidenzbasis ist eine Grundvoraussetzung für eine hohe Versorgungsqualität und Ausdruck eines kontinuierlich lernenden Gesundheitssystems. Verändert sich die Evidenzbasis nach der frühen Nutzenbewertung deutlich, sollte eine Reevaluation des Zusatznutzens vorgenommen werden, welche dann auch Anlass für erneute Preisverhandlungen wäre.

260. Schon heute kann eine Nutzenbewertung im Rahmen des AMNOG-Verfahrens unter bestimmten Umständen und aufgrund verschiedener Anlässe gemäß Kapitel 5 VerfO G-BA erneut durchgeführt werden. Tabelle 5-1 gibt einen Überblick über die Häufigkeit der verschiedenen Anlässe für AMNOG-Verfahren in den Jahren 2011 bis 2023.[92] Demnach gab es in diesem Zeitraum 472 Erstbewertungen neuer Arzneimittel und 342 Bewertungen, die auf Zulassungserweiterungen zurückzuführen waren. Erneute Nutzenbewertungen im Sinne von Reevaluationen gab es deutlich weniger. In manchen Fällen resultiert eine erneute Nutzenbewertung aus der Aufhebung eines Sonderstatus oder der Überschreitung einer bestimmten Umsatzschwelle, wie sie insbesondere für *Orphan Drugs* relevant ist (siehe Kapitel 2). In 20 Fällen wurde eine erneute Nutzenbewertung auf Antrag des pU durchgeführt. Nur neun Verfahren gehen auf einen Beschluss des G-BA wegen neuer wissenschaftlicher Erkenntnisse zurück; hinzu kommen weitere Fälle, in denen der Beschluss von vornherein befristet wurde.

261. Eine **Befristung des Beschlusses zum Zusatznutzen** erfolgt bislang vor allem dann, wenn zum Zeitpunkt der Bewertung zwar Evidenzlücken bestehen, jedoch anzunehmen ist, dass neue Evidenz in absehbarer Zeit folgt. Dies kann z. B. der Fall sein, wenn die Europäische Arzneimittel-Agentur im Rahmen einer konditionalen Zulassung weitere Studien gefordert oder der G-BA eine anwendungsbegleitende Datenerhebung beschlossen hat (siehe Kapitel 4). Ungefähr 16 % der Verfahren (126 von 790 Beschlüssen), die bis zum Jahr 2022 mit einem Beschluss zum Zusatznutzen abgeschlossen wurden, endeten mit einem befristeten Beschluss. Die durchschnittliche Dauer der Befristung lag bei 2,7 Jahren; die längste Befristung bei acht Jahren. Ein großer Teil der befristeten Beschlüsse betraf Arzneimittel zur Behandlung von Krebserkrankungen. Betrachtet man die Ergebnisse der erneuten Nutzenbewertung nach Ablauf der Befristung (bis zum Jahr 2022) differenziert nach den betrachteten Subgruppen, zeigt sich, dass die Verfahren häufig (für 68 % der betrachteten Gruppen) mit unveränderter Nutzenbewertung endeten. In 19 % der Fälle erfolgte eine bessere, in 13 % der Fälle eine schlechtere Bewertung des Zusatznutzens im Vergleich zur ursprünglichen Bewertung (IGES Institut, 2023).

[92] Einige Arzneimittel, insbesondere Onkologika, werden in der Tabelle mehrfach aufgeführt, da sie z. B. aufgrund diverser Zulassungserweiterungen, dem Ablaufen einer Befristung sowie neuer Evidenz bewertet wurden.

262. Erneute Nutzenbewertungen erzeugen einen nicht unerheblichen Mehraufwand für die pU sowie die bewertenden Institutionen. Eine solche Reevaluation sollte daher nur durchgeführt werden, wenn die Wahrscheinlichkeit der Gewinnung relevanter neuer Erkenntnisse ausreichend hoch erscheint. Unter diesem Gesichtspunkt befürwortet der Rat die derzeit **gültigen Anlässe für eine (erneute) Nutzenbewertung**: Ablauf einer Befristung, Indikationserweiterung und neue Evidenz z. B. mit Hinblick auf komparative Wirksamkeit (siehe Abbildung 5-1).[93] Das Überschreiten der Umsatzschwelle als Anlass einer ersten regulären Nutzenbewertung von *Orphan Drugs* würde bei Aufhebung des Privilegs eines „fiktiven Zusatznutzens" künftig wegfallen (siehe Empfehlung in Abschnitt 2.2.4 in Kapitel 2). Es ist sinnvoll, dass abgelaufene Befristungen und Indikationserweiterungen automatisch zu einer (erneuten) Nutzenbewertung führen und das pU in diesen Fällen verpflichtet ist, ein aktualisiertes bzw. auf das neue Indikationsgebiet zugeschnittenes Dossier einzureichen. Das Vorliegen neuer Evidenz sollte nach Ansicht des Rats hingegen nur nach Antrag des pU bzw. Beschluss des G-BA zu einer Reevaluation führen. Bei gegebenen Auslösern ist dies auch mehrfach für ein Arzneimittel möglich.

263. Sowohl das pU als auch die Mitglieder des G-BA konnten bislang bei Vorliegen neuer Evidenz eine **erneute Nutzenbewertung beantragen**. Der G-BA nutzte in den Jahren 2011 bis 2022 nur neun Mal diese Möglichkeit. Auf Antrag von pU erfolgten 20 erneute Nutzenbewertungen. Erwartungsgemäß verbesserte sich die Bewertung häufiger in Verfahren, die durch die Hersteller angestrebt wurden: Für 34,5 % der betrachteten Subgruppen (19 von 55), für die nach Antrag der Hersteller erneute Nutzenbewertungen durchgeführt wurden, mündete diese in einer höheren Einschätzung des Zusatznutzens (IGES Institut, 2023). Betrachtet man die vom G-BA aufgrund neuer Evidenz veranlassten erneuten Nutzenbewertungen, ergaben drei eine schlechtere Bewertung, die anderen sechs ergaben keine Änderung des Zusatznutzens, z. T. jedoch eine indikationsbezogene Einschränkung der Bewertung (G-BA, 2024). Durch ein Urteil des Landessozialgerichts Berlin-Brandenburg (L 1 KR 267/22 KL) im Dezember 2024 wurde die in der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung genannte, aber nicht im SGB V verankerte Möglichkeit des G-BA, eine erneute Bewertung aufgrund neuer Evidenz zu veranlassen, grundsätzlich in Frage gestellt. Es fehle „§ 3 Abs. 1 Nr. 4 AM-NutzenV an einer tauglichen Ermächtigungsgrundlage". Der Rat empfiehlt, umgehend gesetzlich klarzustellen, dass auch der G-BA bei Vorliegen neuer Evidenz eine erneute Nutzenbewertung anstoßen kann.[94]

---

[93] Erneute Bewertungen bei Überschreiten der Umsatzgrenze von 1 Million Euro oder zur Prüfung des „Status Reserveantibiotikum" scheinen unproblematisch, wenn auch nicht zentral im Hinblick auf den Umgang mit Evidenzlücken.

[94] In Kapitel 5 § 13 VerfO G-BA wird dazu näher ausgeführt: „Der Gemeinsame Bundesausschuss kann auf Antrag seiner Mitglieder oder der in § 139b Abs. 1 Satz 2 SGB V genannten Organisationen und Institutionen wegen neuer wissenschaftlicher Erkenntnisse frühestens ein Jahr nach dem Beschluss über eine Nutzenbewertung nach § 20 eine erneute Nutzenbewertung eines nach den Vorschriften dieses Abschnitts bewerteten Arzneimittels beschließen. Dies gilt auch, wenn das Anwendungsgebiet des Arzneimittels durch die zuständigen Zulassungsbehörden eingeschränkt worden ist.". § 139b Abs. 1 Satz 2 SGB V lautet: „Die den Gemeinsamen Bundesausschuss bildenden Institutionen, das Bundesministerium für Gesundheit und die für die Wahrnehmung der Interessen der Patientinnen und Patienten und der Selbsthilfe chronisch kranker und behinderter Menschen maßgeblichen Organisationen sowie die oder der Beauftragte der Bundesregierung für die Belange der Patientinnen und Patienten können die Beauftragung des Instituts beim Gemeinsamen Bundesausschuss beantragen.".

Anlass der Verfahren	Grundlage	Anzahl
Erstbewertung wegen Launch		449
Erstbewertung aus anderen Gründen		23
Bewertung wegen Zulassungserweiterung	Kapitel 5 § 1 VerfO G-BA	342
Erneute Nutzenbewertung nach Fristablauf	Kapitel 5 § 1 VerfO G-BA	71
Erneute Nutzenbewertung nach Beschluss des G-BA wegen neuer wissenschaftlicher Erkenntnisse	Kapitel 5 § 13 VerfO G-BA	9
Erneute Nutzenbewertung nach Antrag des pU	Kapitel 5 § 14 VerfO G-BA	20
Erneute Nutzenbewertung von Orphan Drugs wegen Überschreiten der Umsatzgrenze*	Kapitel 5 § 12 VerfO G-BA	35
Erneute Nutzenbewertung wegen Aufhebung des Orphan-Drug-Status	Kapitel 5 § 1 VerfO G-BA	6
Erneute Nutzenbewertung wegen Überschreiten der Umsatzgrenze von 1 Million Euro**	Kapitel 5 § 15 VerfO G-BA	1
Prüfung des Status „Reserveantibiotikum“	Kapitel 5 § 12a VerfO G-BA	7

Tabelle 5-1: Anzahl der Nutzenbewertungsverfahren in den Jahren 2011 bis 2023 nach Anlass

AMNOG = Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz; G-BA = Gemeinsamer Bundesausschuss; pU = pharmazeutisches Unternehmen; VerfO = Verfahrensordnung.
* Die Umsatzgrenze, bis zu der der Zusatznutzen von Orphan Drugs als belegt gilt, lag bis Ende des Jahres 2021 bei 50 Millionen Euro; seitdem liegt sie bei 30 Millionen Euro. ** Arzneimittel, für die ein Umsatz < 1 Million Euro zu erwarten ist, können sich von der Dossierpflicht befreien lassen (unabhängig vom Orphan-Drug-Status).
Das IGES Institut weist darauf hin, dass das Verfahren zu Olmesartanmedoxomil/Amlodipin/Hydrochlorothiazid mit dem Hinweis „Kein Status“ nicht berücksichtigt wurde.

Quelle: IGES Institut (2024) auf Grundlage von Daten des G-BA.

264. Die seltene Nutzung der Möglichkeit einer erneuten Nutzenbewertung auf Antrag der G-BA-Mitglieder kann verschiedene Ursachen haben. In vielen Fällen dürfte es aufgrund der unzureichenden Anreize zur Studiendurchführung nach Zulassung schlicht keine neue relevante Evidenz geben. So wurde in Frankreich die Praxis einer regelmäßigen Reevaluation einzelner Arzneimittel nicht zuletzt deshalb ausgesetzt, weil sie aufgrund fehlender neuer Evidenz oftmals zu unveränderten Ergebnissen führte (siehe Kapitel 2). In Deutschland sind die Anreize zur Generierung weiterer Evidenz aufgrund der geringen Kopplung der Preise an den belegten Zusatznutzen besonders schwach (siehe dazu Kapitel 2 und 4). Zudem kann das Monitoring neuer, für eine erneute Nutzenbewertung potentiell relevanter wissenschaftlicher Erkenntnisse einen beträchtlichen Aufwand bedeuten. Dieser soll künftig durch den Ausbau und die konsequente Nutzung geeigneter Studienregister bewältigt werden (siehe dazu ebenfalls Kapitel 4). Das Instrument der erneuten Nutzenbewertung unter Einbeziehung neuer Evidenz läuft in Deutschland derzeit noch weitgehend ins Leere bzw. birgt das Risiko einer einseitigen Evidenzgenerierung und -nutzung zugunsten der Interessen der pU. Neben der Stärkung der Anreize und den neuen bzw. komplementären Wegen zur Evidenzgenerierung mit den in Kapitel 4 beschriebenen Instrumenten empfiehlt der Rat daher die Ausarbeitung einer **Reevaluationsstrategie**. Diese soll anhand von expliziten Kriterien transparent festlegen: a) für welche Arzneimittel(-gruppen) ein systematisches Monitoring der eventuell generierten Evidenz erfolgen und b) welche Evidenzcharakteristika eine erneute Nutzenbewertung

triggern sollen. Ein mögliches Kriterium für a) könnte der kumulative Gesamtumsatz nach Markteintritt in Deutschland sein, der mit einem Arzneimittel bereits erzielt wurde. So ließe sich erreichen, dass die begrenzten Ressourcen zum Monitoring besonders ausgabenwirksamer Arzneimittel eingesetzt würden.[95] Die Umsetzung einer Reevaluationsstrategie wird sich nach Ansicht des Rats nur lohnen, wenn auch die in Kapitel 4 empfohlenen Maßnahmen zur Incentivierung von Evidenzgenerierung konsequent umgesetzt werden.

265. Die **Preiseffekte** der Implementierung der hier vorgeschlagenen Reevaluationsstrategie lassen sich nicht ohne Weiteres abschätzen. Die Anpassungen der Erstattungsbeträge, die in der Vergangenheit nach erneuten Bewertungen erfolgten, bieten Anhaltspunkte. Gemäß Daten des AMNOG-Monitors des Instituts für Pharmakologie und präventive Medizin (Stand Ende 2024) führten erneute Bewertungen aufgrund neuer Evidenz (Kapitel 5 § 13 VerfO G-BA) durchschnittlich zu einem Preisabschlag von 7,9 %. Für *Orphan Drugs*, die aufgrund einer Überschreitung der Umsatzschwelle erneut bewertet wurden, wurde in der Folge durchschnittlich eine Preisreduktion[96] von 14,3 % verzeichnet.[97]

5.1.2 Regelhafte Preisanpassung nach festgelegten Kriterien

266. Das AMNOG-Verfahren sieht vor, dass der Erstattungsbetrag als **Aufschlag auf die Jahrestherapiekosten** der zVT verhandelt wird, der sich vor allem nach dem Ausmaß des Zusatznutzens bemisst (*value-based pricing*). Der für die Solidargemeinschaft relevante Erstattungspreis der zVT kann sich im Zeitverlauf ändern, z. B. weil nach Ablauf eines Patentschutzes

95 Zukünftig könnte der Aufwand (zur Identifizierung von Reevaluations- und Neubepreisungsbedarf anhand bestimmter „Trigger-Punkte“) durch auf künstliche Intelligenz gestütztes Monitoring von Studien und perspektivisch auch von Behandlungs- und Abrechnungsdaten (z. B. aus der elektronischen Patientenakte) reduziert werden.

96 Eine Auswertung des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) (mit einem etwas kürzeren Betrachtungszeitraum) dokumentiert, dass die Preisveränderungen eine hohe Varianz aufweisen. Bei einem durchschnittlichen Preisabschlag für *Orphan Drugs* nach erneuter Nutzenbewertung aufgrund einer Überschreitung der Umsatzgrenze von 12,6 % lag der höchste Abschlag bei 40,3 %. Preisaufschläge sind seltener; der höchste Aufschlag betrug 14,2 % (IQWiG, 2024).

97 Auch Bewertungen, die aufgrund von Zulassungserweiterungen durchgeführt werden, können Preisanpassungen mit sich bringen, wenngleich sie keine Reevaluationen im engeren Sinne darstellen und nur Evidenz im Bereich des neuen Anwendungsgebietes betrachtet wird. Preisanpassungen nach Zulassungserweiterungen gelten für alle bestehenden Indikationsgebiete, da es in Deutschland keine indikationsspezifischen Arzneimittelpreise gibt. Stattdessen werden sogenannte Mischpreise gebildet, welche gemäß den Daten des AMNOG-Monitors im Durchschnitt 6,2 % niedriger sind als die bisherigen Preise vor Indikationserweiterungen. Dies dürfte damit zusammenhängen, dass für das erste Indikationsgebiet häufiger ein höherer Zusatznutzen attestiert wird als für hinzukommende Gebiete (Vokinger et al., 2023). Im Rahmen der Mischpreisbildung wird also nach Indikationserweiterung oft ein geringerer durchschnittlicher Zusatznutzen bepreist. Es ist davon auszugehen, dass Preisabschläge nach Indikationsausweitung meist durch Volumenausweitungen (über)kompensiert werden, sodass der Gesamtumsatz steigt. Demgegenüber steht jedoch auch ein höherer absoluter Nutzen für die Solidargemeinschaft, da nun mehr Patient*innen mit einer effektiven Therapieoption behandelt werden können. Somit lassen sich die Wohlfahrtseffekte einer Indikationsausweitung nicht ohne Weiteres abschätzen.

der Wettbewerb auf dem entstehenden Generika-Markt die Preise drückt[98] oder weil die zVT in eine Festbetragsgruppe eingeordnet wird. In der derzeitigen Praxis wird der Erstattungspreis des neueren Arzneimittels jedoch typischerweise nicht angepasst bzw. neu verhandelt, wenn sich der Erstattungspreis der zVT verändert. Wenn der Preis der zVT sinkt, der Preis des neueren Arzneimittels aber unverändert bleibt, impliziert dies, dass der gleiche Zusatznutzen nun de facto höher vergütet wird. Die Solidargemeinschaft profitiert somit nur sehr eingeschränkt von einer Senkung des Preises der Therapiealternative, welche oftmals bis vor wenigen Jahren noch die Standardtherapie darstellte. Der Rat empfiehlt, **den Erstattungspreis des neuen Medikaments dauerhaft an den jeweils aktuellen Erstattungspreis der zVT[99] zu koppeln**, wenn die zVT über *best supportive care* o. Ä. hinausgeht.[100] Dabei sollen nur Senkungen des zVT-Preises, nicht aber Erhöhungen des zVT-Preises z. B. aufgrund des Inflationsausgleichs, eine entsprechende Anpassung des neueren Arzneimittelpreises auslösen. Der verhandelte Preis wäre als Summe zweier Komponenten auszuweisen: a) der Erstattungspreis der zVT und b) der Preisaufschlag, der sich am Zusatznutzen des Arzneimittels gegenüber der zVT orientiert.[101] Dies erfordert eine eindeutige Festlegung der zVT. Werden mehrere Therapiealternativen als zVT herangezogen, muss eine Gewichtung festgelegt werden, die ebenfalls Bestandteil des G-BA-Beschlusses sein sollte. Abbildung 5-2 veranschaulicht das vorgeschlagene Prinzip. Zur Umsetzung des Vorschlages bedarf es einer regelmäßigen Überprüfung des zVT-Erstattungspreises in festgelegten Intervallen durch den GKV-SV. Der dafür benötigte Aufwand für die Selbstverwaltung soll reduziert werden durch die modernen Methoden der Datensammlung, -verarbeitung und -bewertung, ggf. unterstützt durch künstliche Intelligenz. Etwaigen Möglichkeiten der pU, strategisch auf die zVT-Preise einzuwirken, sollte mit geeigneten wettbewerbsrechtlichen Instrumenten entgegengetreten werden. Die Preiskopplung an die zVT verspricht die in Textziffer 257 beschriebenen direkten und indirekten Einsparungen für die Solidargemeinschaft. Diese ergeben sich vor allem für Arzneimittel, deren zVT zum Zeitpunkt der Preisverhandlungen noch patentgeschützt bzw. nicht in eine Festbetragsgruppe eingeordnet ist und somit Preisanpassungsspielraum nach unten vermuten lässt. Die Möglichkeit, erneute Preisverhandlungen zu beginnen, wird durch dieses Instrument nicht eingeschränkt (siehe Textziffer 258).

---

98 In der Phase generischen Wettbewerbs ist davon auszugehen, dass Wirkstoffe günstiger werden. Das gilt auch dann, wenn der Preis des ursprünglich geschützten Arzneimittels nicht bedeutsam sinkt. Eine systematische Literaturauswertung aus dem Jahr 2018 dokumentiert, dass die Preisentwicklungen bei diesen Arzneimitteln unterschiedlich sein können; auch Preiserhöhungen waren in der Vergangenheit möglich (Vondeling et al., 2018). Die Preisbildung wird in der Phase des generischen Wettbewerbs auch durch gesetzliche Regelungen gesteuert. Unter anderem ist seit dem Jahr 2020 in § 130b Abs. 8a SGB V geregelt, dass der Abgabepreis ab dem Zeitpunkt, zu dem der Unterlagen- bzw. der Patentschutz eines Arzneimittels wegfällt, den zuletzt gültigen Erstattungsbetrag nicht mehr überschreiten darf. Anbieter von wirkstoffgleichen Arzneimitteln müssen diese unter Berücksichtigung sogenannter Preis-Struktur-Modelle bepreisen, die zwischen dem Originalanbieter und dem GKV-SV vereinbart werden (zu den Einzelheiten und für exemplarische Abgabepreisentwicklungen siehe Andres & Erdmann, 2022).

99 Damit ist der für die Solidargemeinschaft relevante Erstattungsbetrag nach Abzug aller gesetzlichen Rabatte gemeint. Er bezieht sich auf die jeweils wirtschaftlichste Alternative eines Wirkstoffs.

100 Wenn keine zVT identifiziert werden kann, werden Arzneimittel im Rahmen der Nutzenbewertung mit *best supportive care* oder anderen bisher angewandten Strategien verglichen (siehe Kapitel 2).

101 Ein positiver Nebeneffekt der hier vorgeschlagenen expliziten Bepreisung von Zusatznutzen wäre eine größere Transparenz in der Preissetzung. Insbesondere könnten Preisaufschläge zwischen Indikationsgebieten verglichen werden.

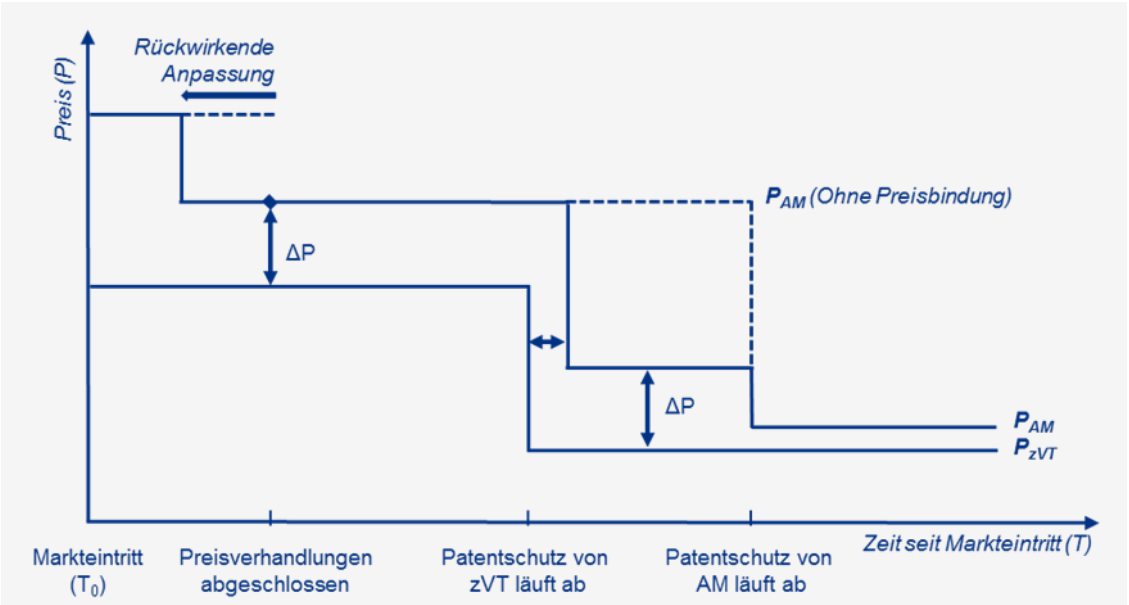

Abbildung 5-2: Regelhafte Preisanpassung bei Arzneimitteln mit zunächst patentgeschützter zVT

AM = Arzneimittel; P = Preis; P_{AM} = Preis des neuen Arzneimittels; P_{zVT} = Preis der zweckmäßigen Vergleichstherapie; T = Zeit; zVT = zweckmäßige Vergleichstherapie.

Quelle: Eigene Darstellung.

267. Die Arzneimittelpreise in anderen Gesundheitssystemen bieten wichtige Einsichten in das Preisniveau, das für das pU akzeptabel ist. Vor diesem Hintergrund waren die pU bislang verpflichtet, vor den Preisverhandlungen die Abgabepreise in anderen europäischen Staaten mitzuteilen. Mit dem MFG entfielen die europäischen Referenzpreise als Kriterium in den Preisverhandlungen.[102] Zum Zeitpunkt der Preisverhandlungen liegen in Deutschland ohnehin nur wenige Informationen zu internationalen Referenzpreisen vor, was u. a. auf den schnellen Marktzugang im Rahmen des AMNOG-Verfahrens zurückzuführen ist. Im Zeitverlauf werden jedoch in zunehmend mehr Gesundheitssystemen Erstattungsbeträge festgelegt. Der Rat schlägt daher vor, Arzneimittelpreise in Deutschland **dynamisch auf die (kaufkraftbereinigten) Preise im Ausland zu referenzieren und den deutschen Preis ggf. im Zeitverlauf nach unten anzupassen**. In Österreich z. B. werden für bestimmte Arzneimittel europäische Durchschnittspreise herangezogen, welche in den ersten Jahren nach der initialen Preisfestsetzung mehrmals überprüft werden (Leopold et al., 2023). Allerdings wird die Preisreferenzierung durch die fehlende Preistransparenz aufgrund von geheimen Rabatten erschwert (siehe dazu z. B. Busse et al., 2016; Vogler, 2021; sowie Kapitel 1 und 3). In Österreich werden zur Annäherung an die tatsächlichen Abgabepreise Annahmen über die Höhe der Rabatte auf die

[102] Der Wegfall der europäischen Referenzpreise als Kriterium in den Preisverhandlungen steht in Zusammenhang mit der Einführung vertraulicher Erstattungsbeträge (siehe dazu Kapitel 2 und 3). Der GKV-SV sieht den Wegfall des Kriteriums insofern als folgerichtig an, als dass zu befürchten ist, dass auch nach Einführung vertraulicher Erstattungspreise (zunächst) weiter auf die hohen Listenpreise in Deutschland referenziert würde. Damit würden diese über das Kriterium europäischer Referenzpreise in die deutschen Erstattungsbetragsverhandlungen „zurückreflektiert“ (GKV-SV, 2024, Seite 26).

gelisteten Preise getroffen.[103] Ein erster Schritt in Richtung dynamischer Referenzierung auf internationale Preise in Deutschland wäre es, die Mitteilungspflicht der pU über die Abgabepreise in anderen europäischen Staaten zu stärken, indem die pU verpflichtet würden, die Angaben in regelmäßigen Abständen zu aktualisieren. In Orientierung an Österreich könnte im Bedarfsfall eine Überprüfung der pU-Angaben durch nationale Einrichtungen erfolgen (Leopold et al., 2023). Für das zuständige österreichische Institut werden Informationen über Arzneimittelpreise durch das Netzwerk Pharmaceutical Pricing and Reimbursement Information zusammengetragen (Gesundheit Österreich, 2025). Auch Erfahrungswerte aus anderen Staaten sollten bei der Preisreferenzierung herangezogen werden. So zeigt sich in der Gesamtschau u. a., dass internationale Preisreferenzierung in Kombination mit anderen Preisbildungsinstrumenten eingesetzt werden sollte, und dass Unterschiede in der Kaufkraft und den Preisregulierungssystemen bei der internationalen Preisreferenzierung nicht außer Acht gelassen werden sollten (Schneider & Habl, 2017). Sollte es gelingen, in internationaler Koordination mehr Preistransparenz zu erreichen, wie es der Rat in Kapitel 2 und 3 befürwortet, wäre das hier vorgeschlagene Modell der dynamischen Preisanpassung mit internationaler Referenzierung leichter umsetzbar.

268. Dynamische Preisanpassungen können sich auch aus Überschreitung einer zuvor vereinbarten Absatzschwelle ergeben. Seit Inkrafttreten des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes im Jahr 2022 ist in § 130b Abs. 1a SGB V geregelt, dass in den AMNOG-Preisverhandlungen mengenbezogene Aspekte, wie eine mengenbasierte Preisstaffelung oder ein jährliches Gesamtvolumen, vereinbart werden müssen; zuvor war dies nicht obligatorisch. Solche Instrumente erscheinen besonders hilfreich bei Arzneimitteln, bei denen die zukünftige Absatzmenge schwierig abzuschätzen, jedoch potentiell sehr hoch ist. **Mengenbasierte Preisstaffelungen** können die Planbarkeit der Ausgabenentwicklung erhöhen. Die ausschlaggebende Absatzschwelle kann dabei so gewählt werden, dass sich die Fixkosten der Arzneimittelentwicklung bis zu ihrem Erreichen amortisiert haben. Eine mengenbezogene Preisstaffelung hat konzeptionell großen Bezug zu dem in Abschnitt 5.3 beschriebenen Instrument der Budgetierung.

5.2 Erfolgsabhängige Vergütung

269. In Abschnitt 5.1.1 wurden Möglichkeiten beleuchtet, Preise prospektiv nach erneuter Bewertung anzupassen. Dabei geht es insbesondere darum, zu erkennen, bei welchen Arzneimitteln die Zusatznutzenbewertung erneut durchgeführt und folglich der Preis(-aufschlag) aufgrund neuer Informationen angepasst werden sollte. Ist die Wahrscheinlichkeit des Therapieerfolgs auf Individualebene auch nach der Zusatznutzenbewertung schwer zu prognostizieren, kommen Vereinbarungen in Betracht, die **retrospektive Preisanpassungen nach zuvor festgelegten Kriterien** auslösen. Bei erfolgsabhängigen Vergütungsmodellen wird der gezahlte Preis an das Therapieergebnis gekoppelt (*Pay-for-Performance*-Modelle, auch genannt P4P-Modelle). Die Modelle können sowohl auf Gruppen- als auch auf Individualebene ansetzen. Wenn sich eine Therapie als weniger wirksam erweist als vertraglich festgeschrieben, fallen geringere Kosten für die Versichertengemeinschaft an. Bei höherer Wirksamkeit als erwartet können die Ausgaben allerdings auch steigen. Somit koppeln erfolgsabhängige Vergütungsmodelle den gezahlten Preis stärker an den

[103] Dies ist in Österreich in der Regelung für die Vorgehensweise der Preiskommission für die Ermittlung des EU-Durchschnittspreises gemäß § 351c Abs. 6 und Abs. 9a des Allgemeinen Sozialversicherungsgesetzes näher beschrieben.

beobachteten Nutzen – und generieren zudem selbst Evidenz, die im Sinne eines lernenden Gesundheitssystems wieder in die Versorgung zurückgespielt werden kann (zur Evidenzgenerierung siehe auch Kapitel 4). Erfolgsabhängige Vergütungsmodelle haben in den letzten Jahren international an Bedeutung gewonnen und werden auch in Deutschland vereinzelt eingesetzt. In diesem Abschnitt wird unter Beachtung der bisherigen Erfahrungswerte hergeleitet, warum **der Rat den Einsatz erfolgsabhängiger Vergütungsmodelle vor allem für teure Einmalgaben befürwortet**.

Abgrenzung von anderen Vertragsmodellen

270. In der einschlägigen Literatur werden unterschiedliche Taxonomien sogenannter *managed entry agreements*, *performance-based* oder *risk-sharing schemes* vorgeschlagen, worunter auch erfolgsabhängige Vergütungsmodelle fallen (siehe z. B. Carlson et al., 2010; Garrison et al., 2013; Hanna et al., 2018; Kanavos et al., 2017). Abbildung 5-3 gibt in Anlehnung an diese Literatur einen Überblick über verschiedene Arten von Vereinbarungen zwischen Herstellern und Kostenträgern; die Vertragsarten, auf die in diesem Abschnitt fokussiert wird, sind blau hinterlegt.[104] Dabei ist zunächst zwischen finanziellen und leistungsbezogenen Vereinbarungen zu unterscheiden. Zu den leistungsbezogenen Vereinbarungen zählen neben erfolgsabhängigen Vergütungsmodellen auch bedingte Erstattungsmodelle, die in diesem Kapitel nicht weiter beleuchtet werden. Ein Beispiel für ein bedingtes Erstattungsmodell ist die anwendungsbegleitende Datenerhebung, die in Kapitel 4 näher betrachtet wurde.[105]

[104] Einige Autor*innen schlagen vor, neben leistungsbezogenen und finanziellen Vereinbarungen dienstleistungsbezogene Vereinbarungen (*service-based agreements*) als weitere Kategorie zu führen. Dazu zählen z. B. Vereinbarungen über die Durchführung von Schulungen für Patient*innen und Leistungserbringer oder andere Informationsangebote (Dabbous et al., 2020).

[105] Bei bedingten Erstattungsmodellen werden Modelle, bei denen die Erstattung von der individuellen Studienteilnahme der behandelten Patient*innen abhängt (*only in research*) von Modellen unterschieden, bei denen die Erstattung unabhängig von der individuellen Teilnahme an die Durchführung weiterer Studien durch das pU gekoppelt ist (*only with research*). In der bisherigen Ausgestaltung wäre die anwendungsbegleitende Datenerhebung zu Letzteren zu zählen.

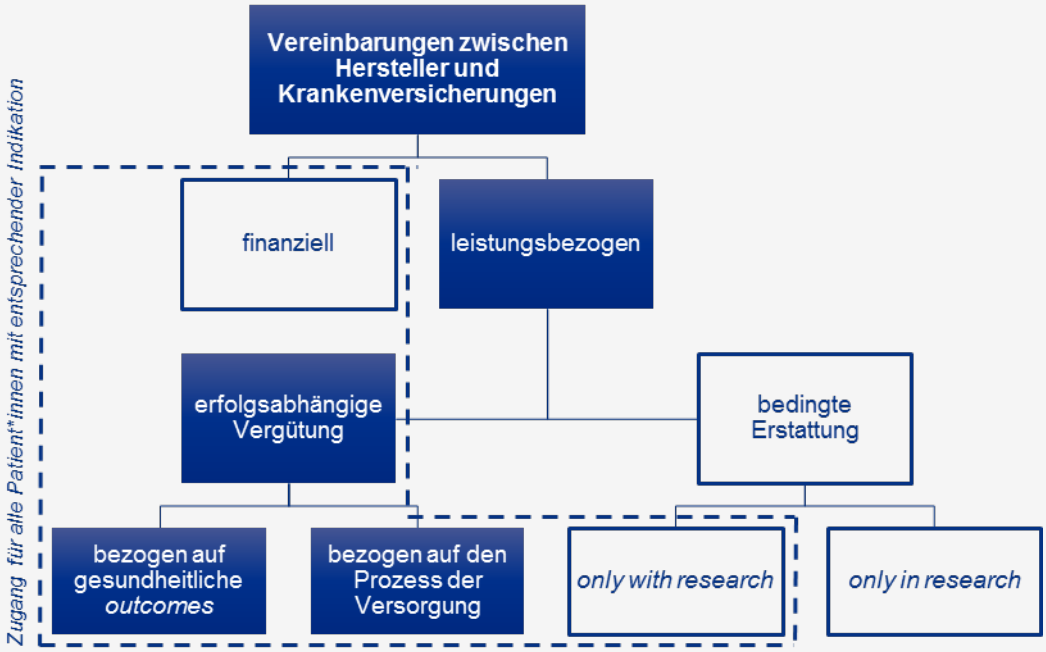

Abbildung 5-3: Vereinbarungen zwischen Hersteller und Krankenversicherungen

Quelle: Eigene Darstellung in Anlehnung an Garrison et al. (2013).

Wirkung von erfolgsabhängigen Vergütungsmodellen

271. In dem bisherigen Vergütungsmodell ohne erfolgsabhängige Preiskomponente übernimmt die Solidargemeinschaft **vollständig das Risiko**, dass sich ein Arzneimittel als weniger effektiv erweist, als zum Zeitpunkt der frühen Nutzenbewertung angenommen. In einem erfolgsabhängigen Vergütungsmodell teilen sich die Solidargemeinschaft und das pU dieses Risiko. Das kann vor allem für hochpreisige Einmalgaben attraktiv sein (so bei neuartigen Gentherapien, wie sie z. B. im Bereich der Hämatologie eingesetzt werden), bei denen die Evidenz zum Zeitpunkt des Markteintritts naturgemäß begrenzt ist und bei denen auch bei individuellem Therapieversagen keine Therapieänderung, sondern nur eine Therapieerweiterung möglich ist.

272. Erfolgsabhängige Modelle könnten die Akzeptanz für die Zahlung hoher Preise in der Solidargemeinschaft erhöhen. Es ist jedoch zu beachten, dass durch erfolgsabhängige Vergütungsmodelle nicht zwingend Ausgabensenkungen zu erwarten sind. Die **Preiseffekte von erfolgsabhängigen Vergütungsmodellen** müssen im Kontext der Preisverhandlungen betrachtet werden: Die Risikoübernahme durch das pU wirkt sich zuerst einmal negativ auf dessen Umsatz aus. Daher ist davon auszugehen, dass das pU dieses Risiko nur dann akzeptieren dürfte, wenn es durch einen entsprechenden Preisaufschlag im Erfolgsfall kompensiert wird. Das wäre dann der Fall, wenn die erfolgsabhängige Zahlung im Erwartungswert[106] zumindest gleich hoch oder höher ausfällt als

[106] Der Erwartungswert ergibt sich als Preis bei Therapieerfolg × Wahrscheinlichkeit des Therapieerfolgs + Preis bei Therapieversagen × Wahrscheinlichkeit des Therapieversagens.

der andernfalls verhandelbare Preis ohne erfolgsabhängige Komponente.[107] Eine empirische Analyse von Gamba et al. (2020) deutet darauf hin, dass die möglichen Preiseffekte von *managed entry agreements*, zu denen u. a. erfolgsabhängige Vergütungen zählen, zum Teil eingepreist werden. Das pU dürfte vor allem dann bereit sein, eine erfolgsabhängige Vereinbarung zu schließen, wenn es von der Wirksamkeit seines Arzneimittels überzeugt ist, aber zunächst keinen oder nur einen geringen Zusatznutzen nachweisen kann. In diesem Fall kann durch eine erfolgsabhängige Vergütung ein höherer Effektivpreis erzielt werden.

273. P4P-Modelle erzeugen **Transaktionskosten**, d. h. Kosten des Vertragsabschlusses, der Verwaltung und des Monitorings der vereinbarten Konditionen zur Durchsetzung der Verträge. Für den wirtschaftlichen Einsatz von P4P-Modellen ist entscheidend, dass die Verträge auch durchgesetzt werden, da die Solidargemeinschaft andernfalls standardmäßig einen höheren Preis zahlt, als sie ohne erfolgsabhängiges Vergütungsmodell gezahlt hätte. Die zur Durchsetzung der Verträge erforderlichen zuverlässigen Monitoring-Instrumente sind aus Sicht der Vertragsbeteiligten besonders wichtig, wie z. B. eine Studie aus Katalonien zeigt (Clopes et al., 2017). Eine Erhebung aus England deutet darauf hin, dass die Ressourcen, die zur Nachverfolgung und Verwaltung erforderlich sind, ein wesentliches Implementierungshindernis für erfolgsabhängige Vergütungsmodelle darstellen. In einer Befragung von Personal des National Health Service (NHS) England bezüglich der Evaluation von *risk-sharing schemes* für Krebsmedikamente gaben 73 % der Teilnehmer*innen an, keine Ressourcen für das Management weiterer Verträge zu haben (Williamson et al., 2010). Es ist davon auszugehen, dass nur ein Teil dieser Transaktionskosten fix ist und ein signifikanter Teil variabel mit der Anzahl der Fälle steigt, weil erfolgsabhängige Vergütungsmodelle mit fallspezifischen Monitoring-Herausforderungen verbunden sein dürften. Insofern sind nur begrenzt positive Skaleneffekte bei größeren Patientenpopulationen zu erwarten. Es gibt Anhaltspunkte, dass die hohen administrativen Kosten auch in Deutschland den Einsatz von langfristigen, erfolgsabhängigen Vergütungsmodellen hemmen (siehe zu diesem und weiteren Hemmnissen Textziffer 279 ff.).

274. Eine besondere Herausforderung bei der Implementierung erfolgsabhängiger Vergütungsmodelle ist die **rechtssichere Festlegung und Messung der relevanten outcomes**. Auch das hat sich in der Vergangenheit als ein mögliches Hindernis für die Implementierung solcher Modelle erwiesen (siehe dazu z. B. Neumann et al., 2011, Seite 2333). Die zunehmende Verbreitung von *Core Outcome Sets* kann die Festlegung relevanter Endpunkte vereinfachen (siehe dazu Kapitel 4). Für die rechtssichere Umsetzung von erfolgsabhängigen Vergütungsmodellen muss jedoch auch gewährleistet sein, dass die Messung der *outcomes* zur Vertragsdurchsetzung geeignet ist. Während dies für Parameter wie Mortalität, Therapieabbruch oder Nutzung anderer Gesundheitsdienstleistungen noch weitgehend problemlos sein dürfte, erscheint z. B. die Vertragsdurchsetzung auf Grundlage von patientenberichteten Endpunkten wie der gesundheitsbezogenen Lebensqualität potentiell herausfordernder.[108]

---

[107] Es ist davon auszugehen, dass pU am Kapitalmarkt, an dem sie sich üblicherweise finanzieren, höhere Zinsen zahlen müssen, wenn die Renditeerwartungen für die Investoren mit größeren Risiken behaftet sind. Daher dürfte es sogar teurer sein, wenn das pU das Risiko trägt, als wenn dieses bei der Solidargemeinschaft verbleibt, die sich in der Regel nicht über Hochzins-Segmente des Kapitalmarktes finanziert.

[108] Im NHS England werden Krankenhäuser für Hüft- und Knieoperationen z. T. auf Basis des gemessenen Zuwachses an patientenberichteter Lebensqualität entlohnt (NHS England, 2024, Seite 15 ff.). Inwiefern die dafür erhobenen Daten von den hiesigen Gerichten als hinreichend bewertet werden bzw. ob eine rechtliche Einschätzung bereits erfolgte, ist dem Rat nicht bekannt.

275. Bei der Nutzung von erfolgsabhängigen Vergütungsmodellen ergibt sich im Kontext des AMNOG-Verfahrens eine weitere Herausforderung aus der Referenzierung auf den Preis der zVT. Wurde für die zVT eine erfolgsabhängige Vergütung vereinbart, muss sichergestellt werden, dass nicht auf den hohen Erfolgspreis Bezug genommen wird. Stattdessen sollte sich die Preisbildung des neuen Arzneimittels auf den Preis stützen, der **für die zVT im Erwartungswert** gezahlt wird. Hier ist eine eindeutige Regelung auch insofern wichtig, als der Rat empfiehlt, die Bindung des Preises an die zVT noch zu stärken und im Zeitverlauf beizubehalten, wie in Abschnitt 5.1.2 ausgeführt wurde.

276. Erfolgsabhängige Vertragsmodelle sollten nur nach einer sorgfältigen Abwägung aller Kosten und des monetären Werts der zu erwartenden Risikoreduktion eingesetzt werden. Lohnend dürften sie vor allem bei **teuren Einmalgaben** sein, bei denen eine spätere Therapieänderung nicht möglich ist (siehe Textziffer 271).

Internationale Verbreitung und Erfahrungswerte leistungsbezogener Vereinbarungen

277. Gemäß einer internationalen Auswertung von Vogler (2021) nutzten Stand 2021 fast zwei Drittel (35 von 55) der betrachteten Gesundheitssysteme *managed entry agreements*, zu denen neben leistungsbezogenen auch finanzielle Vereinbarungen wie z. B. Preis-Mengen-Abkommen gezählt werden (siehe Abbildung 5-3). Carlson et al. (2010) listen über 50 **internationale Beispiele** leistungsbezogener Vereinbarungen auf, die in den Jahren 1998 bis 2009 üblicherweise für einzelne oder kleine Gruppen von Arzneimitteln geschlossen wurden. Seitdem hat die Verbreitung leistungsorientierter Vergütung im Arzneimittelbereich weiter zugenommen. Carlson et al. (2017) dokumentieren einen deutlichen Anstieg leistungsbezogener Vereinbarungen zwischen den Jahren 1993 und 2016, der zu einem großen Teil auf die zunehmende Verbreitung erfolgsabhängiger Vergütungsmodelle zurückzuführen ist. Besonders viele leistungsbezogene Vereinbarungen wurden in Australien, Italien, Schweden, UK und den USA verzeichnet.[109]

278. Die Evaluation von leistungsbezogenen Vergütungsmodellen wird u. a. durch die Vertraulichkeit der Verträge erschwert (Wenzl & Chapman, 2019). In der Literatur finden sich gleichwohl einige **Kriterien für Best Practices**, die u. a. auf Experteninterviews beruhen (siehe z. B. Adamski et al., 2010; Garrison et al., 2013; Wenzl & Chapman, 2019). In der Gesamtschau scheinen insbesondere folgende Aspekte wichtig zu sein: umfassende Berücksichtigung aller relevanten Kosten und Nutzen der Vertragsverhandlung und -implementierung; eindeutige Identifikation der adressierten Unsicherheiten bzw. Risiken und daran ausgerichtete Datenerhebung bzw. *Outcome*-Messung; Gewährleistung einer geeigneten fachlichen Betreuung und technischen Unterstützung der Prozesse; Transparenz der erhobenen Daten, der verwendeten Methoden und der Vertragsinhalte, sofern sie keine Geschäftsgeheimnisse berühren, sowie Ex-post-Evaluationen zur Verbesserung zukünftiger Entscheidungen über den Einsatz leistungsbezogener Vergütungsmodelle.

Einsatz erfolgsabhängiger Vergütungsmodelle in Deutschland

279. In Deutschland bestehen gemäß §§ 130a Abs. 8, 130a Abs. 8a und 130c Abs. 1 SGB V verschiedene Möglichkeiten für Krankenkassen bzw. ihre Verbände, Verträge über erfolgsabhängige

[109] Auch für diagnostische Verfahren und Medizinprodukte werden zunehmend solche Vereinbarungen geschlossen, wie Chen & Carlson (2022) in einem *systematic review* für die USA zeigen. Bei Medizinprodukten ist der Einsatz bedingter Erstattungsmodelle einerseits besonders attraktiv, weil bislang häufig langfristige Evidenz fehlt. Andererseits bestehen besondere Herausforderungen, z. B. ist die *Outcome*-Messung besonders anspruchsvoll (Reckers-Droog et al., 2020).

Vergütungen mit den pU abzuschließen. Eine Meldepflicht für Verträge über erfolgsabhängige Vergütungen besteht nicht. Um einen Überblick über den Einsatz dieser Modelle zu bekommen, hat das Bundesamt für Soziale Sicherung (BAS) im Jahr 2021 über den GKV-SV die Nutzung solcher Verträge bei den Krankenkassen abgefragt.[110] Zum Stichtag 1. Juli 2019 wurden 58 Verträge über erfolgsabhängige Vergütungen gemeldet, zwei Jahre später waren es bereits 85 Verträge. Schätzungsweise wurde ein Betrag im mittleren dreistelligen Millionenbereich über die Verträge abgerechnet. Die Vereinbarungen entfielen zu einem leicht überwiegenden Teil auf Arzneimittel, die im stationären Sektor eingesetzt wurden. Die maximale Nachbeobachtungszeit, d. h. der Zeitraum, über den hinweg der Therapieerfolg überwacht wurde, betrug fünf Jahre. Dass keine längeren Nachbeobachtungszeiten vereinbart wurden, könnte u. a. auf den hohen administrativen Aufwand erfolgsabhängiger Vergütungsmodelle zurückzuführen sein (BAS, 2022, Seite 26 f.).

280. Ein weit überwiegender Teil der Verträge, für die dem BAS Informationen übermittelt wurden, war als Rückerstattungsmodell ausgestaltet; bei höchstens fünf der Verträge handelte es sich um Ratenzahlungsverträge.[111] Dabei ist ungewiss, ob die Meldungen vollständig erfolgten. Im Rahmen eines Rückerstattungsmodells wird zunächst der volle Preis der Behandlung gezahlt und bei Therapieversagen ein Teil zurückerstattet. Dahingegen wird der Preis im Rahmen von Ratenzahlungsmodellen in vorab festgelegten Raten gezahlt, die bei Therapieversagen reduziert oder gestrichen werden. Vor dem Hintergrund des Risikopools, der im Jahr 2021 wieder eingeführt wurde und ergänzend zum Risikostrukturausgleich die Zuweisungen aus dem Gesundheitsfonds an die Krankenkassen bestimmt, bestehen **unerwünschte Anreizwirkungen bei der Nutzung von erfolgsabhängigen Vergütungsmodellen**, wie das BAS im Jahr 2022 näher analysiert hat. Die geltenden Regelungen incentivieren die Nutzung von Rückerstattungs- gegenüber Ratenzahlungsmodellen. Die Zuweisungen aus dem Risikopool setzen voraus, dass die Ausgaben innerhalb eines Jahres einen bestimmten Schwellenwert überschreiten. Zudem verbleibt der Erstattungsbetrag, den eine Krankenkasse bei Therapieversagen von dem pU erhält, unter Umständen vollständig bei ihr, d. h., er wird ggf. nicht mit den Zuweisungen aus dem Risikopool verrechnet (BAS, 2022, Seite 20 ff.). Auch aus Sicht der pU dürften Rückerstattungsmodelle attraktiver sein, weil die Vorauszahlungen der Kassen die Kapitalkosten der pU reduzieren.

281. Die derzeit bestehenden Fehlanreize bergen das Risiko, dass erfolgsabhängige Vergütungsmodelle auch dann vereinbart werden, wenn die damit verbundenen Kosten den Nutzen in der gesamtgesellschaftlichen Betrachtung überschreiten. Das BAS hat einen Vorschlag vorgelegt, wie den Anreizproblemen des Risikopools begegnet werden könnte. Es schlägt vor, eine neue Datenmeldung einzuführen, die es u. a. erlauben würde, erfolgsabhängige Leistungsausgaben über mehrere Jahre hinweg zu verknüpfen. Auf dieser Grundlage könnten Ausgleichszahlungen bzw. Rückerstattungen berechnet werden (zu den Einzelheiten dieses sogenannten P4P-Ausgleichsverfahrens siehe BAS, 2022, Seite 34 ff.). Der Rat plädiert dafür, die Vorschläge des BAS zeitnah umzusetzen. Nach Umsetzung der Vorschläge des BAS wäre die Vertragsgestaltung – ohne Verzerrungen – Teil der Verhandlungen zwischen Krankenkassen und pU.

---

[110] Das BAS weist auf einige Schwierigkeiten bei der Datenerhebung hin, die u. a. teilweise unvollständig ausgefüllte Bögen und aggregierte Rückmeldungen betreffen (BAS, 2022, Seite 24 f.).

[111] Nach Angaben des BAS waren Letztere als Optionsverträge ausgestaltet, sodass sie sowohl als Ratenzahlungs- als auch als Rückerstattungsverträge verwendet werden könnten. Die tatsächlich ausgeübte Option ist dem BAS nicht bekannt (BAS, 2022, Seite 26).

282. Bei der Anwendung von erfolgsabhängigen Modellen weisen **selektiv- und kollektivvertragliche**[112] **Vereinbarungen** jeweils eigene Vor- und Nachteile auf. So können selektivvertragliche Regelungen den Wettbewerb zwischen Krankenkassen stärken. Kollektivvertragliche Regelungen können hingegen die Verhandlungsmacht der Krankenkassen stärken und positive Skaleneffekte erzeugen, wenn es dadurch gelingt, die Fixkosten der Verträge zu reduzieren. Der Rat empfiehlt, durch den Abbau etwaiger Umsetzungshürden sicherzustellen, dass jeweils die Variante implementiert werden kann, die im Einzelfall vorteilhafter erscheint.

5.3 Budgetierung

283. Die prospektive Bestimmung von Arzneimittelbudgets ist in **vielen Staaten ein etabliertes Instrument der Ausgabenkontrolle**. Budgets legen die maximalen Gesamtausgaben für Arzneimittel fest, die durch die Solidargemeinschaft innerhalb eines definierten Zeitraums (typischerweise ein Jahr) finanziert werden sollen. Bei Überschreitung des Ausgabenbudgets greifen vorab definierte Kontrollfunktionen, wie z. B. ein prozentualer Abschlag auf die Erstattungspreise aller budget-relevanten Arzneimittel. Die Budgetierung kann auf unterschiedlichen Ebenen erfolgen. Es gibt internationale Beispiele für globale, regionale, indikations- und produktspezifische Budgets sowie solche, die bei den verschreibenden Leistungserbringern ansetzen. Mancherorts werden verschiedene Arten von Budgets kombiniert, z. B. gibt es im UK sowohl globale als auch indikationsspezifische Budgets, während in Frankreich neben den globalen Ausgaben auch die Ausgaben für einzelne Präparate gedeckelt werden (für einen Länderüberblick siehe Mills & Kanavos, 2020 und Tabelle 5-2).

284. Die Effektivität von Arzneimittelbudgets zur Begrenzung der Ausgabenentwicklung hängt von den **Konsequenzen einer Budgetüberschreitung** ab. Es ist davon auszugehen, dass indikative Budgets, deren Überschreitung keine Konsequenzen nach sich ziehen, kaum eine finanzstabilisierende Wirkung entfalten dürften. Anders ist dies bei einer verbindlichen Budgetierung. So lösen Budgetüberschreitungen in Frankreich deutliche Preisreduktionen bzw. Rückerstattungspflichten für die pU aus (Mills & Kanavos, 2020; Rodwin, 2019). Je nach Ausgestaltung können Arzneimittelbudgets somit per Definition Ausgabenentwicklungen vollständig deckeln.

[112] Ein Beispiel für ein kollektives Modell ist das sogenannte ergebnisbasierte prospektive Kohortenmodell für eine Gentherapie bei Hämophilie (Roctavian®), auf das sich der GKV-SV und BioMarin im Dezember 2023 geeinigt haben. Es sieht eine regelmäßige Anpassung des Erstattungsbetrags vor, die auf Registerdaten zum Therapieerfolg bzw. -versagen basiert (GKV-SV, 2023). Das Modell weicht von der hier zugrunde gelegten Definition eines erfolgsabhängigen Vergütungsmodells insofern ab, als nur prospektive Preisanpassungen vorgesehen sind.

Ebene	Staat	Ausgewählte Merkmale
Globale Budgets	Griechenland	Jährliches Budget für ambulante Arzneimittelausgaben (an das BIP gekoppelt); vollständige Rückzahlung gemäß Marktanteil bei Budgetüberschreitung
	Portugal	Jährliches Budget für alle Arzneimittelausgaben (an das BIP gekoppelt); in der Vergangenheit teilweise Rückzahlungen bei Budgetüberschreitung
	Spanien	Wachstum der Ausgaben für Arzneimittel an BIP-Wachstum gekoppelt
	Italien	Arzneimittelbudget an Gesundheitsausgaben gekoppelt; anteilige Rückzahlungen durch Industrie, Apotheken und Großhandel sowie durch Regionen bei Budgetüberschreitung
	Frankreich	Jährliches Arzneimittelbudget, das durch das französische Parlament auf der Grundlage des BIP-Wachstums, der Defizite des öffentlichen Sektors und anderen Makro-Kriterien festgelegt wird; bei Budgetüberschreitung Rückzahlungen gemäß Marktanteil und Beitrag zum Wachstum; Ausnahmen für innovative Arzneimittel, Generika und Orphan Drugs
	UK	Fixiertes jährliches Wachstum der maximalen Arzneimittelausgaben; bei Überschreitung vollständige Rückzahlung gemäß Marktanteil; Ausnahmen für bestimmte Unternehmen/Produkte
Regionale Budgets	Italien	Budgetierung in Orientierung an Ausgabenhistorie; Regionen haften für Budgetüberschreitungen
	Spanien	Budgetierung in Orientierung an Ausgabenhistorie und demografischen Unterschieden zwischen den Regionen
Budgets für therapeutische Bereiche	England	Budgetierung für onkologische Präparate; zeitweise Rückzahlung der Hersteller bei Budgetüberschreitung
	Schottland	Budgetierung u. a. für Orphan Drugs; kein Rückzahlungsmechanismus
Produktspezifische Budgets	Frankreich	Preis-Mengen-Vereinbarung; Rückzahlungen in Abhängigkeit von der Erreichung verschiedener Ausgaben-Schwellenwerte
	Litauen	Preis-Mengen-Vereinbarung; teilweise oder vollständige Rückzahlung von Mehrausgaben
Verschreibungsbudgets	Deutschland	Ex-ante-Richtgrößen für ärztliche Verschreibungen in Orientierung an Ausgabenhistorie
	UK	Feste Vergütung pro Patient*in für Hausärzt*innen; Verschreibungsverhalten determiniert somit Einkommen; zusätzlich Setzung von Qualitätsanreizen

Tabelle 5-2: Beispiele für Budgets im Arzneimittelbereich

BIP = Bruttoinlandsprodukt; UK = United Kingdom, Vereinigtes Königreich.
Informationen sind gemäß Mills & Kanavos (2020) dargestellt; eine Aktualisierung ist nicht erfolgt.

Quelle: Mills & Kanavos (2020) und die dort aufgeführten Quellen.

285. Im deutschen Gesundheitssystem gibt es bislang **kaum prospektiv festgelegte Arzneimittelbudgets**, d. h. die Ausgabenentwicklung bei innovativen Arzneimitteln wird nach der initialen Preisverhandlung maßgeblich durch das aus dem Verschreibungsverhalten der

Leistungserbringer resultierenden Volumen determiniert.[113] Das Verschreibungsverhalten von ambulant tätigen Ärzt*innen wiederum unterlag in der Vergangenheit durchaus unterschiedlichen individuellen oder kollektiven Budgetregelungen (zu deren ausgabensenkender Wirkung siehe Schreyögg & Busse, 2005). Auch darüber hinaus sind Budgets im deutschen Gesundheitswesen kein unbekanntes Instrument. So wird beispielsweise die Vergütung im ambulanten Sektor in der morbiditätsbedingten Gesamtvergütung budgetiert.

286. Damit Budgets (oder andere mengenbezogene Regelungen) umfassend genutzt werden können, muss die **Datengrundlage** verbessert und systematisch ausgebaut werden. Informationen über die abgegebenen Arzneimittelmengen sollten möglichst zuverlässig und zeitnah verfügbar sein und alle Sektoren umfassen, da sonst Verschiebungseffekte zu erwarten sind. Derzeit fehlen vor allem Daten, die zum Monitoring der Abgabemengen im stationären Sektor erforderlich wären (siehe dazu Kapitel 1).

287. Der Rat sieht großes Potential in der Nutzung von Arzneimittelbudgets zur Sicherstellung der Systemstabilität. Er empfiehlt insbesondere **die Einführung eines globalen Budgets für innovative Arzneimittel**, nach dessen Überschreitung im Nachhinein anteilige Rückzahlungen durch alle pU auf Grundlage der abgegebenen Arzneimittel zu leisten wären. Dabei sollten die Erfahrungswerte einbezogen werden, die in Frankreich mit globalen Budgets gemacht wurden (siehe dazu auch Kapitel 2). Wirkstoffe, bei denen Marktmechanismen zu Wettbewerbspreisen führen (z. B. im Generikamarkt), oder die als besonders förderungsbedürftig angesehen werden (z. B. *Orphan Drugs*) könnten von der Budgetierung ausgenommen werden, um eine hohe Zielgenauigkeit der Maßnahme zu gewährleisten. Ähnliche Ausnahmen gibt es auch in anderen Gesundheitssystemen (Mills & Kanavos, 2020). Das globale Budget sollte jährlich angepasst werden; es könnte sich an der Veränderung des Bruttoinlandsprodukts (BIP) orientieren. Im Vergleich zu produktspezifischen Budgets haben globale Arzneimittelbudgets den Vorteil, dass die Preisrelationen zwischen den einzelnen Arzneimitteln auch nach der Preisbereinigung konstant blieben. Somit würde die vom Gesetzgeber intendierte Bindung an den Zusatznutzen nicht unterlaufen. Produktspezifische Budgets bergen zudem das Risiko von Preisverzerrungen und ungewollten Verschiebungen, die aus Fehleinschätzungen der für einzelne Arzneimittel erforderlichen Budgets resultieren können. Gleichwohl sollten weiterhin produktspezifische, mengenbasierte Preisstaffelungen für bestimmte umsatzstarke Arzneimittel vorgesehen werden, bei denen das Risiko einer nicht absehbaren Mengen- und Ausgabenausweitung besonders groß ist. Wenn die Überschreitung einer bestimmten Menge automatisch Preisabschläge mit sich bringt, ist die Solidargemeinschaft zumindest teilweise gegen dieses Risiko abgesichert (siehe dazu auch Abschnitt 5.1.2).

5.4 Preiskorridor und alternative Preisbildungsstrategien

288. Die deutsche Systematik der Preisbildung bei innovativen Arzneimitteln basiert auf einer Verhandlungslösung zwischen dem pU und der Solidargemeinschaft, vertreten durch den GKV-SV. Die möglichen Ergebnisse dieser Verhandlungen liegen in einem Korridor (siehe Abbildung 2-5 in Kapitel 2). Dieser wird nach unten durch den **Minimalpreis** begrenzt, der mindestens erreicht sein

[113] Seit Inkrafttreten des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes im Jahr 2022 ist in § 130b Abs. 1a SGB V geregelt, dass in den AMNOG-Preisverhandlungen mengenbezogene Aspekte, wie eine mengenbasierte Preisstaffelung oder ein jährliches Gesamtvolumen, vereinbart werden müssen. Jedoch fokussiert die aktuelle Auslegung dieser Regelung maßgeblich auf die Wachstumsrate des Volumens, nicht auf das abgegebene Volumen selbst.

muss, damit die pU bereit sind, ihr Arzneimittel weiter anzubieten (siehe Abschnitt 5.4.1). Der **Maximalpreis**, d. h. die Obergrenze des Preissetzungsspielraums, ergibt sich aus der Zahlungsbereitschaft der Solidargemeinschaft für das Arzneimittel, welche sich am Zusatznutzen gegenüber bestehenden Therapieoptionen orientiert (siehe Abschnitt 5.4.2).

289. Auf Wettbewerbsmärkten, wie dem Generikamarkt, nähern sich die Preise dem Minimalpreis an. Auf dem Markt für innovative Arzneimittel kommen Wettbewerbsmechanismen jedoch kaum zum Tragen, wie in Kapitel 1 ausgeführt wurde. Die **Verhandlungssituation**, in der die Preisbildung für diese Arzneimittel stattdessen erfolgt, ist dadurch charakterisiert, dass der Minimalpreis nur dem pU bekannt ist. Den Maximalpreis kennen hingegen – wenn überhaupt – nur die Verhandlungsführer des GKV-SV. Welcher Preis tatsächlich erzielt wird, hängt von der jeweiligen Verhandlungsmacht sowie den gesetzlichen Rahmenbedingungen der Verhandlungen ab.

290. Aufgrund von Informationsdefiziten hinsichtlich der Kostenstruktur und Profiterwartungen der Arzneimittelhersteller sowie der Zahlungsbereitschaft der Solidargemeinschaft lässt sich nicht ohne Weiteres ausmachen, wo die bisherigen Arzneimittelpreise in dem so beschriebenen Preiskorridor zu verorten sind. Es gibt jedoch Anhaltspunkte, dass die Bepreisung auf dem deutschen Arzneimittelmarkt oftmals noch **Spielraum nach unten** bietet. Dafür spricht vor allem das hohe Preisniveau Deutschlands im internationalen Vergleich (siehe Kapitel 1). Auch die Tatsache, dass sich bislang nur wenige pU für eine Marktrücknahme ihrer Arzneimittel im Rahmen des AMNOG-Prozesses (*Opt-out* oder Außervertriebnahme) entscheiden, deutet in diese Richtung (siehe Abbildung 2-4 in Kapitel 2).

5.4.1 Bestimmung des Minimalpreises und Cost-Plus-Regulierung

291. Bei der Bepreisung von innovativen Arzneimitteln in Deutschland wird auf Zusatznutzenbewertungen abgestellt, d. h. auf den patientenrelevanten Wert einer Innovation. Eine alternative Art der Bepreisung ist die **kostenbasierte Preisbildung**. Hierbei wird der Preis des Arzneimittels so festgelegt, dass er die anteiligen Entwicklungs-, Herstellungs-, Vertriebs- und Vermarktungskosten des pU deckt[114] und zuzüglich einen Profitaufschlag gewährt (*Cost-Plus*-Regulierung). Der Aufschlag kann sich auch an der Ausprägung des Zusatznutzens orientieren. Die kostenbasierte Preisbildung wird z. B. von der Techniker Krankenkasse und dem Internationalen Verband der Krankenkassenverbände und Krankenversicherungen auf Gegenseitigkeit befürwortet (Hendrickx & Kanga-Tona, 2021; Techniker Krankenkasse, 2024).

292. Kostenbasierte Regulierungsansätze wurden in Deutschland bereits zur Bepreisung der bereitgestellten Strom- und Gasnetze (Bundesnetzagentur, 2025) sowie auf anderen monopolistischen Märkten angewendet. Internationale Erfahrungswerte zur Nutzung von kostenbasierten Ansätzen zur Bepreisung von Arzneimitteln gibt es jedoch wenige: Bisher nutzt nach Kenntnis des Rats **nur Japan einen konsequenten Cost-Plus-Ansatz**. Dort müssen Hersteller von Arzneimitteln ohne Vergleichspräparat ein Dossier inklusive der Herstellungs-, Vertriebs- und Vermarktungskosten sowie des geplanten Profits vorlegen. Zusätzlich zum kostenbasierten Preis werden in Abhängigkeit vom Nutzen des Arzneimittels und von weiteren Kriterien, z. B. vom

[114] Aufgrund hoher Fixkosten, vor allem für Forschung und Entwicklung, liegen die Durchschnittskosten von Arzneimitteln über ihren Grenzkosten und sinken mit steigender Produktionsmenge (positive Skaleneffekte). Damit die pU ihre Produkte kostendeckend anbieten und weiterhin einen hinreichenden Profit erwirtschaften können, muss der festgelegte Preis demnach über den Grenzkosten der Produktion liegen.

Anwendungsgebiet, prozentuale Aufschläge gewährt (siehe auch Techniker Krankenkasse, 2024, Seite 60 sowie zum japanischen System auch Kapitel 2).

293. In der ökonomischen Forschung zur Monopolregulierung werden eine Reihe von **konzeptionellen Problemen** diskutiert, die mit kostenbasierten Preisbildungsansätzen einhergehen. Eine Kernherausforderung besteht darin, die Kosten der Unternehmen gerecht auf einzelne Produkte und Märkte umzulegen. Ein großer Teil der Kosten von pU sind sogenannte Gemeinkosten, die produktübergreifend z. B. für Forschung und Entwicklung (inklusive gescheiterter Forschungsanstrengungen), Marketing und Vertrieb anfallen. Die Ermittlung der Kosten eines Produktes wird auch dadurch erschwert, dass Stückkosten mengenabhängig sind und die Absatzmenge von der Geschwindigkeit der Marktdiffusion abhängt. Die jedoch kann zum Zeitpunkt der Preisfestlegung nur ungenau geschätzt werden.[115] Dies macht eine regelmäßige Neuermittlung der Kosten erforderlich. Am gravierendsten dürfte sein, dass sich bei global agierenden Unternehmen die Kosten oftmals nur unzureichend geografisch definierten Absatzmärkten zuordnen lassen. Für eine kostenbasierte Preissetzung in Deutschland wäre eindeutig zu definieren, welcher Anteil der Kosten auf den hiesigen Absatzmarkt entfällt. Hierzu bedürfte es belastbarer Zahlen zu nationalen und globalen Absatzmengen.

294. Aus den Informationsdefiziten ergibt sich ein **Kontrollproblem**, das umso gravierender ist, je schwieriger sich die Plausibilitätsprüfung der anfallenden Kosten gestaltet. Es ist kaum möglich, den Informationsvorsprung der pU hinsichtlich ihrer tatsächlichen Kostenstruktur vollständig abzubauen, da die interne Kostenstruktur eines Unternehmens typischerweise nicht durch beispielsweise externe Wirtschaftsprüfer als Teil des Jahresabschlusses kontrolliert wird. Wie stark das Kontrollproblem ins Gewicht fällt, hängt auch davon ab, welche Folgen es hat, wenn die zuständigen Institutionen die von den pU angegebenen Kosten als nicht plausibel ansehen. Dabei dürfen die mit der Kontrolle der Unternehmen verbundenen Regulierungskosten nicht außer Acht gelassen werden (wie z. B. Haucap & Kruse, 2023, Seite 9, für netzgebundene Industrien hervorheben).

295. Schlussendlich erzeugt *Cost-Plus*-Regulierung **Anreizprobleme**, die zu einem ineffizienten und unproduktiven Einsatz von Ressourcen führen können (Greiner et al., 2024). Wenn Kosten vollständig erstattet werden, besteht kein Anreiz, diese möglichst gering zu halten. Ähnliche Schwierigkeiten bestehen bei anderen Ansätzen der Monopolregulierung, z. B. solchen, die die Unternehmensrendite direkt zu regulieren versuchen (siehe z. B. Averch & Johnson, 1962).

5.4.2 Zahlungsbereitschaft der Solidargemeinschaft für Zusatznutzen

296. In der öffentlichen Debatte in Deutschland wird deutlich weniger als andernorts darüber diskutiert, **was Zusatznutzen maximal kosten darf** – und das, obwohl die Dringlichkeit der Frage angesichts der hohen Preise einzelner Arzneimittel sowie der zu erwartenden Entwicklung von neuen, hocheffektiven, aber potentiell auch hochpreisigen Medikamenten zur Behandlung großer Patientenpopulationen (z. B. Demenz) zunimmt. Die fehlende Debatte darf nicht darüber hinwegtäuschen, dass sowohl die Leistungsfähigkeit des Gesundheitssystems als auch die Zahlungsfähigkeit der Solidargemeinschaft begrenzt sind. Es gilt, durch Abwägungsentscheidungen

[115] Die Problematik ist als „Zirkelschluss vollkostenbasierter Kosten-Plus-Bestimmung“ beschrieben (Homburg, 2017, Seite 743).

sicherzustellen, dass möglichst viele konkurrierende Bedarfe zum Zug kommen. Die Einhaltung des im SGB V festgeschriebenen Wirtschaftlichkeitsprinzips ist insofern **sowohl aus ökonomischen als auch ethischen Gründen** geboten (Deutscher Ethikrat, 2016, Seite 37 f.; siehe dazu auch Kapitel 1). Abwägungsentscheidungen betreffen nicht nur den Arzneimittelbereich, sondern sollten idealerweise unabhängig von der Art der Leistungsausgaben getroffen werden.

297. Angesichts der in Deutschland geltenden **Versicherungspflicht** mit weitgehend einheitlichem Leistungskatalog kommt den Verhandlungsergebnissen zwischen GKV-SV und pU besondere Bedeutung zu. Schließlich haben die Versicherten weder eine Möglichkeit, sich der Finanzierung von Arzneimitteln zu entziehen, noch können sie die Verhandlungsmodalitäten mitbestimmen oder die verhandelnden Vertreter der Solidargemeinschaft (ab-)wählen. Derzeit ist es dem Rat nicht möglich, zu evaluieren, inwiefern die Verhandlungsergebnisse in Einklang mit den Interessen der Versicherten stehen. Weder lässt sich derzeit überprüfen, ob die verhandelten Erstattungspreise die gesellschaftliche Zahlungsbereitschaft überschreiten, noch lässt sich bislang anhand eines geeigneten Maßstabs beurteilen, ob eine Einheit Zusatznutzen indikationsübergreifend gleich bepreist wird. Auch eine indikationsabhängige Bepreisung von Zusatznutzen sollte transparent zur Diskussion gestellt werden, um gesellschaftlich nicht gewünschte Benachteiligungen einzelner Indikationsgebiete zu vermeiden.

298. Im **internationalen Kontext** wird die Debatte über Maximalpreise deutlich ergebnisoffener und transparenter geführt als in Deutschland. Die Gesundheitssysteme in vielen OECD-Ländern (z. B. in Australien, den Niederlanden oder Norwegen) arbeiten mit impliziten Maximalpreisen pro Einheit von Zusatznutzen.[116] Nur wenige Gesundheitssysteme (z. B. in England, Irland oder Polen) weisen einen expliziten Maximalpreis für eine zusätzliche Einheit Zusatznutzen aus. Teilweise gelten unterschiedliche Maximalpreise für bestimmte Patientengruppen. So wird in manchen Systemen nach Schweregrad oder Seltenheit einer Erkrankung differenziert (Zhang & Garau, 2020).

299. Ein gesellschaftlicher Konsens über Maximalpreise bedeutet nicht zwangsläufig, dass diese als starre Entscheidungsregel für die Erstattung herangezogen werden müssen. Maximalpreise stellen vielmehr einen Referenzpunkt in den Erstattungsverhandlungen dar. Auch für Deutschland sollte nach Ansicht des Rats **keine starre Entscheidungsregel** für die Erstattung von Arzneimitteln festgelegt werden. Vielmehr gilt es, einen Maßstab zu entwickeln, der eine Überprüfung der Verhandlungsergebnisse erlaubt. Dabei geht es weniger darum, die verhandelten Preise einzelner Medikamente zu hinterfragen, als darum, die im AMNOG angelegte Verhandlungslösung und die Verhandlungsergebnisse der Vertreter der Solidargemeinschaft insgesamt zu evaluieren. Ein ex ante transparenter Maximalpreis in Kombination mit starren Entscheidungsregeln würde stattdessen womöglich zusätzliche Verhandlungsprobleme für die Solidargemeinschaft erzeugen: Wenn die maximale Zahlungsbereitschaft für ein Arzneimittel bekannt wäre und die Verhandler sich bei jeder einzelnen Verhandlung strikt daran zu halten hätten, müsste man erwarten, dass die pU dies bei der Preissetzung ausschöpfen würden. Ein gewisser Verhandlungsspielraum ist im Einzelfall somit wünschenswert.

300. Es gibt **verschiedene Möglichkeiten**, sich Maximalpreisen zu nähern. Grundsätzlich lassen sich Maximalpreise für verschiedene *Outcome*-Parameter festlegen. Praktikabler ist es jedoch, ein

[116] Als implizite Maximalpreise gelten nach Zhang & Garau (2020) solche, die aus früheren Erstattungsentscheidungen oder Empfehlungen abgeleitet oder von Entscheidungsträgern informell akzeptiert werden.

zusammenfassendes Maß zu nutzen, das indikationsübergreifende Vergleiche erlaubt. Qualitätsadjustierte Lebensjahre (QALYs, *Quality-adjusted Life Years*) haben sich als ein solches Maß international etabliert (siehe dazu Kapitel 4). Es gibt außerdem verschiedene Ansätze zur Bemessung des gesellschaftlichen Wertes einer zusätzlichen *Outcome*-Einheit. Diese Ansätze werden im Folgenden erläutert.

301. Ein Ansatzpunkt zur Bestimmung des Maximalpreises ist die **Messung der gesellschaftlichen Zahlungsbereitschaft** für einen Nutzwertzuwachs. Die Messung der tatsächlichen Zahlungsbereitschaft in Befragungen ist herausfordernd, weil die Befragten mit hypothetischen Szenarien konfrontiert werden, zu denen sie nicht unbedingt realistische Einschätzungen äußern (können). Es bestehen vielfältige methodische Fallstricke und Risiken für Verzerrungen. So weisen Ahlert et al. (2014), die eine repräsentative Befragung in Deutschland zur Zahlungsbereitschaft für Nutzwertzuwächse durchgeführt haben, darauf hin, dass z. B. die Position einer Frage zur Zahlungsbereitschaft im Fragebogen die Antworten beeinflusst. Zudem sind sehr differenzierte Erhebungen erforderlich: In der Literatur sind z. B. höhere Zahlungsbereitschaften für einen QALY-Zuwachs dokumentiert, der aus einer Lebensverlängerung und nicht aus einer Verbesserung der Lebensqualität stammt. Auch hängt die marginale Zahlungsbereitschaft von der Größe des Nutzwertzuwachses ab (Ahlert et al., 2014; Ryen & Svensson, 2015). Alternativen zur Abfrage von Zahlungsbereitschaften (*stated preferences*) sind Analysen des beobachteten Verhaltens bzw. indirekt aussagekräftiger Befragungsdaten (z. B. *revealed preferences* oder *well-being valuation approach*[117]), die wiederum eigene methodische Herausforderungen mit sich bringen.

302. Der Maximalpreis kann auch über die **Opportunitätskosten** hergeleitet werden, die mit der Finanzierung eines Arzneimittels (oder einer anderen Gesundheitsleistung) einhergehen. Angesichts endlicher Ressourcen sind alle Konsumentscheidungen mit Opportunitätskosten verbunden. Wo diese anfallen, hängt vor allem davon ab, ob das Budget für Gesundheitsleistungen fix („geschlossenes System“) oder variabel („offenes System“) ist (Walker et al., 2012). In geschlossenen Systemen, wie dem englischen NHS, entstehen die Opportunitätskosten von zusätzlichen Ausgaben daraus, dass andere Gesundheitsleistungen nicht mehr vollständig erbracht werden können. Das deutsche System ist ein offenes System, d. h. die Budgets der GKV und PKV passen sich (mit zeitlicher Verzögerung) den Gesamtausgaben an. Die steigenden Versicherungsbeiträge erzeugen aber Opportunitätskosten in Form von reduziertem privaten Konsum sowie gesteigerten Lohnnebenkosten und damit verbundenen gesamtwirtschaftlichen Konsequenzen. In der internationalen Literatur gibt es einige Studien zu den Opportunitätskosten der Finanzierung eines gesundheitlichen Nutzenzuwachses (siehe z. B. Claxton et al., 2015; Edney et al., 2022). Die Übertragbarkeit auf andere Staaten kann durch Unterschiede in der Ausgestaltung der Gesundheitssysteme stark eingeschränkt sein.[118] Eine deutsche Studie von Gandjour (2023) beziffert die durchschnittlichen Kosten zur Generierung eines zusätzlichen Lebensjahres in der deutschen Bevölkerung auf ca. 88 000 Euro.

303. In Gesundheitssystemen, in denen die Kostenträger sich gegen die Erstattung eines Arzneimittels entscheiden können, ergeben sich aus diesen Entscheidungen **implizite**

[117] Siehe dazu z. B. Himmler et al. (2020, 2021).

[118] Zum Beispiel können sich die Opportunitätskosten in den USA dadurch ergeben, dass der Versicherungsschutz durch Finanzierung zusätzlicher Leistungen teurer wird und sich in der Folge weniger Menschen versichern (Vanness et al., 2021). In Deutschland wird dieser Effekt hingegen durch die Krankenversicherungspflicht unterbunden.

Maximalpreise. In vielen Staaten, z. B. in Schweden, wurde so in der Rückschau indikationsübergreifend der Maximalpreis einer Nutzwerteinheit hergeleitet (Zhang & Garau, 2020). Da verschreibungspflichtige Arzneimittel in Deutschland (mit wenigen Ausnahmen) mit Markteintritt erstattungsfähig sind und die Erstattungsfähigkeit im AMNOG-Prozess nicht infrage gestellt wird (siehe dazu Kapitel 2), lässt sich in Deutschland kein impliziter Maximalpreis aus Erstattungsentscheidungen ableiten. Die bisherigen Verhandlungsergebnisse zwischen den pU und dem GKV-SV können also nur sehr begrenzt als Anhaltspunkt dienen. Büssgen & Stargardt (2023) haben sie dahin gehend ausgewertet: Sie interpretieren ihre Ergebnisse als Hinweis auf unterschiedliche Zahlungsbereitschaften des GKV-SV für gesundheitliche Verbesserungen in bestimmten Indikationsgebieten. Der Vergleich zwischen Indikationsgebieten ist mit zusätzlichen methodischen Herausforderungen behaftet. Die Etablierung eines indikationsübergreifenden Maßes in Deutschland könnte die Aussagekraft solcher Analysen erhöhen.

304. Eine weitere Möglichkeit besteht darin, einen Maximalpreis in Orientierung an der Wirtschaftskraft eines Staates festzulegen. So definieren z. B. Polen, Südkorea oder Taiwan Schwellenwerte in **Abhängigkeit vom nationalen BIP pro Kopf**. In der Vergangenheit gab es Empfehlungen der WHO, den Maximalpreis bei dem Ein- bis Dreifachen des BIP pro Kopf für ein QALY anzusetzen (Zhang & Garau, 2020).

305. Diese verschiedenen möglichen Ansätze zur Herleitung des maximalen Preises von Zusatznutzen können für die **weitere Forschung** genutzt werden. Um eine ausgewogene und gut informierte Debatte zu ermöglichen, scheint es empfehlenswert, mehrere Ansätze parallel zu verfolgen und die Ergebnisse abzugleichen. Dabei sind erste Herleitungen von Maximalpreisen vorsichtig zu betrachten. Erst im Laufe der Zeit wird sich herauskristallisieren, welche Zahlungsbereitschaft für Zusatznutzen in Deutschland tatsächlich besteht. Zudem ist davon auszugehen, dass die Zahlungsbereitschaft von gesellschaftlichen und wirtschaftlichen Entwicklungen abhängt und sich somit im Zeitverlauf verändert. Sie wird somit perspektivisch immer wieder zu überprüfen sein.

5.5 Zusammenfassung der Empfehlungen

306. In diesem Kapitel hat der Rat eine Vielfalt an Möglichkeiten zur Weiterentwicklung der Preisbildungsinstrumente beleuchtet, welche unterschiedlichen Zielen dienen und komplementär eingesetzt werden können. Die folgenden Instrumente erscheinen dem Rat besonders wichtig. Sie sind in der Reihenfolge ihrer Priorität aufgeführt.

307. Der Rat empfiehlt die Einführung einer **globalen Budgetierung** für innovative Arzneimittel mit dem Ziel, das Risiko der Ausgabenentwicklung im deutschen Gesundheitswesen zu begrenzen. Für potentiell sehr umsatzstarke Arzneimittel ist darüber hinaus eine produktspezifische Preisstaffelung in Abhängigkeit von der Absatzmenge empfehlenswert.

308. Um eine wirtschaftliche und bedarfsgerechte Versorgung mit Arzneimitteln sicherzustellen, sollte ein stärkerer Fokus auf die **Preisanpassung im Zeitverlauf** gesetzt werden. Der Rat empfiehlt, hierbei verschiedene Ansätze zu verfolgen: Zum einen sollte die Generierung weiterer Evidenz nach der frühen Nutzenbewertung stärker incentiviert werden. Vor allem bei umsatzstarken Arzneimitteln sollte das Vorliegen neuer Evidenz konsequent eine erneute Nutzenbewertung und Preisverhandlung triggern. Hierdurch würde der Preis des Arzneimittels stärker an den Zusatznutzen

gekoppelt. Zum anderen sollten regelhafte Preisanpassungen nach zuvor definierten Kriterien vorgenommen werden. Zum Beispiel sollten Reduktionen des zVT-Erstattungspreises zu entsprechenden Preisabschlägen für das darauf referenzierende Arzneimittel führen, wobei der Aufschlag für den unveränderten Zusatznutzen konstant zu halten wäre. Dazu ist das Verhandlungsergebnis in den Komponenten „Kosten der zVT“ und „Aufschlag für Zusatznutzen“ auszuweisen.

309. Der Rat regt eine öffentliche Diskussion über die wirtschaftliche Leistungsfähigkeit und **gesellschaftliche Zahlungsbereitschaft für medizinischen Zusatznutzen** an, welche durch stärkere Forschungsanstrengungen zur evidenzbasierten Ermittlung eines solchen Wertes unterstützt wird. Eine starre Entscheidungsregel für die Erstattung von Arzneimitteln befürwortet der Rat nicht.

310. Den Einsatz **erfolgsabhängiger Vergütungsmodelle** befürwortet der Rat vor allem für teure Einmalgaben, bei denen der individuelle Therapieerfolg großen Unsicherheiten unterliegt. Die so gewonnene Evidenz sollte im Sinne eines lernenden Gesundheitssystems wieder in die Forschung und Routineversorgung zurückfließen. Die Regelungen des Risikopools sollten so angepasst werden, dass die Ausgestaltung erfolgsabhängiger Vergütungsmodelle möglichst geringen Fehlanreizen unterliegt. Hierzu liegen bereits umsetzbare Vorschläge seitens des Bundesamtes für Soziale Sicherung vor.

5.6 Literatur

Adamski, J., Godman, B., Ofierska-Sujkowska, G., Osińska, B., Herholz, H., Wendykowska, K., Laius, O., Jan, S., Sermet, C., Zara, C., Kalaba, M., Gustafsson, R., Garuolienė, K., Haycox, A., Garattini, S., Gustafsson, L. L., 2010. Risk sharing arrangements for pharmaceuticals: potential considerations and recommendations for European payers. BMC Health Serv Res 10, 1, S. 153. https://doi.org/10.1186/1472-6963-10-153

Ahlert, M., Breyer, F., Schwettmann, L., 2014. How You Ask is What You Get: Willingness-to-Pay for a QALY in Germany (Discussion Paper Nr. 1384), Berlin. https://www.diw.de/documents/publikationen/73/diw_01.c.465601.de/dp1384.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Andres, J., Erdmann, D., 2022. Die Entwicklung des Erstattungsbetrags nach Ablauf von Unterlagen- und Patentschutz. 90 Prozent – Das E-Magazin des GKV-Spitzenverbandes, 30.

Averch, H., Johnson, L. L., 1962. Behavior of the Firm Under Regulatory Constraint. The American Economic Review 52, 5, S. 1052–1069.

BAS, (Bundesamt für Soziale Sicherung), 2022. Sondergutachten zu den Wirkungen von Pay-for-Performance-Verträgen vor dem Hintergrund des Risikopools, Bonn. https://www.bundesamtsozialesicherung.de/fileadmin/redaktion/Risikostrukturausgleich/Weiterentwicklung/20221025Sondergutachten_BAS_P4P_Vertraege_Risikopool.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Bundesnetzagentur, 2025. Netzentgelte. https://www.bundesnetzagentur.de/DE/Fachthemen/ElektrizitaetundGas/Netzentgelte/start.html (abgerufen am 27.2.2025).

Busse, R., Panteli, D., Schaufler, J., Schröder, H., Telschow, C., Weiss, J., 2016. Preise patentgeschützter Arzneimittel im europäischen Vergleich. Die deutschen Arzneimittelpreise im Vergleich zu den Listenpreisen in fünf ausgewählten europäischen Ländern, Wissenschaftliches Institut der AOK; Technische Universität Berlin, Berlin. https://www.wido.de/fileadmin/Dateien/Dokumente/Forschung_Projekte/Arzneimittel/wido_arz_preise_eu_vergleich_2016.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Büssgen, M., Stargardt, T., 2023. 10 Years of AMNOG: What is the Willingness-to-Pay for Pharmaceuticals in Germany? Appl Health Econ Health Policy 21, 5, S. 751–759. https://doi.org/10.1007/s40258-023-00815-7

Carlson, J. J., Chen, S., Garrison, L. P., 2017. Performance-Based Risk-Sharing Arrangements: An Updated International Review. PharmacoEconomics 35, 10, S. 1063–1072. https://doi.org/10.1007/s40273-017-0535-z

Carlson, J. J., Sullivan, S. D., Garrison, L. P., Neumann, P. J., Veenstra, D. L., 2010. Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. Health Policy 96, 3, S. 179–190. https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2010.02.005

Chen, Y., Carlson, J. J., 2022. Performance-based risk-sharing arrangements for devices and diagnostics in the United States: a systematic review. JMCP 28, 1, S. 78–83. https://doi.org/10.18553/jmcp.2022.28.1.78

Claxton, K., Martin, S., Soares, M., Rice, N., Spackman, E., Hinde, S., Devlin, N., Smith, P. C., Sculpher, M., 2015. Methods for the estimation of the National Institute for Health and Care Excellence cost-effectiveness threshold. Health Technology Assessment 19, 14, S. 1–504. https://doi.org/10.3310/hta19140.

Clopes, A., Gasol, M., Cajal, R., Segú, L., Crespo, R., Mora, R., Simon, S., Cordero, L. A., Calle, C., Gilabert, A., Germà, J. R., 2017. Financial consequences of a payment-by-results scheme in Catalonia: gefitinib in advanced EGFR-mutation positive non-small-cell lung cancer. Journal of Medical Economics 20, 1, S. 1–7. https://doi.org/10.1080/13696998.2016.1215991.

Dabbous, M., Chachoua, L., Caban, A., Toumi, M., 2020. Managed Entry Agreements: Policy Analysis From the European Perspective. Value in Health 23, 4, S. 425–433. https://doi.org/10.1016/j.jval.2019.12.008

Deutscher Ethikrat, 2016. Patientenwohl als ethischer Maßstab für das Krankenhaus, Berlin. https://www.ethikrat.org/fileadmin/Publikationen/Stellungnahmen/deutsch/stellungnahme-patientenwohl-als-ethischer-massstab-fuer-das-krankenhaus.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Edney, L. C., Lomas, J., Karnon, J., Vallejo-Torres, L., Stadhouders, N., Siverskog, J., Paulden, M., Edoka, I. P., Ochalek, J., 2022. Empirical Estimates of the Marginal Cost of Health Produced by a Healthcare System: Methodological Considerations from Country-Level Estimates. PharmacoEconomics 40, 1, S. 31–43. https://doi.org/10.1007/s40273-021-01087-6

Gamba, S., Pertile, P., Vogler, S., 2020. The impact of managed entry agreements on pharmaceutical prices. Health Economics 29, S1, S. 47–62. https://doi.org/10.1002/hec.4112

Gandjour, A., 2023. A Model-Based Estimate of the Cost-Effectiveness Threshold in Germany. Appl Health Econ Health Policy 21, 4, S. 627–635. https://doi.org/10.1007/s40258-023-00803-x

Garrison, L. P., Towse, A., Briggs, A., De Pouvourville, G., Grueger, J., Mohr, P. E., Severens, J. L. (Hans), Siviero, P., Sleeper, M., 2013. Performance-Based Risk-Sharing Arrangements – Good Practices for Design, Implementation, and Evaluation: Report of the ISPOR Good Practices for Performance-Based Risk-Sharing Arrangements Task Force. Value in Health 16, 5, S. 703–719. https://doi.org/10.1016/j.jval.2013.04.011

G-BA, (Gemeinsamer Bundesausschuss), 2024. Nutzenbewertung nach § 35a SGB V – Gemeinsamer Bundesausschuss. Bewertungsverfahren – Datenbank. https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/ (abgerufen am 7.11.2024).

Gesundheit Österreich, 2025. Medicine price data. Pharmaceutical Pricing and Reimbursement Information. https://ppri.goeg.at/medicine_price_data (abgerufen am 25.3.2025).

GKV-SV, (GKV-Spitzenverband), 2024. Stellungnahme des GKV-Spitzenverbandes zum Gesetzentwurf eines Medizinforschungsgesetzes. https://www.gkv-spitzenverband.de/media/dokumente/presse/p_stellungnahmen/20240607_GKV-SV_STN_MFG.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

GKV-SV, (GKV-Spitzenverband), 2023. Einigung auf ein ergebnisbasiertes prospektives Kohortenmodell für EU-weit erste Gentherapie gegen Hämophilie A. https://www.gkv-spitzenverband.de/gkv_spitzenverband/presse/pressemitteilungen_und_statements/pressemitteilung_1718538.jsp#:~:text=Durch%20das%20prospektive%20Kohortenmodell%20kann,fehlende%20Langzeitdaten%20ergibt%2C%20vertraglich%20ber%C3%BCcksichtigt (abgerufen am 25.3.2025).

Greiner, W., Gensorowsky, D., Witte, J., 2024. Effizienz und Effizienzpotenziale einer künftigen AMNOG-Regulierung. Interdisziplinäre Plattform zur Nutzenbewertung, AMNOG 2.0: Auf dem Weg zu einem effizienten System, 18, S. 10–17. https://www.aerztezeitung.de/Dateien/AMNOG20-Auf-dem-Weg-zu-einem-effizienten-System-d-751.pdf (abgerufen am 17.4.2025).

Hanna, E., Toumi, M., Dussart, C., Borissov, B., Dabbous, O., Badora, K., Auquier, P., 2018. Funding breakthrough therapies: A systematic review and recommendation. Health Policy 122, 3, S. 217–229. https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2017.11.012

Haucap, J., Kruse, J., 2023. Ex-Ante-Regulierung oder Ex-Post-Aufsicht für netzgebundene Industrien? (Diskussionspapier Nr. 25), Universität der Bundeswehr Hamburg, Fächergruppe Volkswirtschaftslehre. https://www.econstor.eu/obitstream/10419/23541/1/paperno25.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Hendrickx, A., Kanga-Tona, T., 2021. Ein transparentes Modell für einen fairen Preis für innovative Arzneimittel in Europa, in: Schröder, H., Thürmann, P., Telschow, C., Schröder, M., Busse, R. (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2021. Springer, Berlin, Heidelberg, S. 155–173. https://doi.org/10.1007/978-3-662-63929-0_11

Himmler, S., Stöckel, J., Van Exel, J., Brouwer, W. B. F., 2021. The value of health—Empirical issues when estimating the monetary value of a quality-adjusted life year based on well-being data. Health Economics 30, 8, S. 1849–1870. https://doi.org/10.1002/hec.4279

Himmler, S., Van Exel, J., Brouwer, W., 2020. Estimating the monetary value of health and capability well-being applying the well-being valuation approach. Eur J Health Econ 21, 8, S. 1235–1244. https://doi.org/10.1007/s10198-020-01231-7

Homburg, C., 2017. Preispolitik, in: Marketingmanagement. Springer Fachmedien Wiesbaden, S. 663–758. https://doi.org/10.1007/978-3-658-13656-7_12

IGES Institut, 2024. Arzneimittelatlas 2024 – Der Arzneimittelverbrauch in der GKV – Die wichtigsten Ergebnisse. Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft, Berlin.

IGES Institut, 2023. Arzneimittelatlas 2023 – Der Arzneimittelverbrauch in der GKV – Die wichtigsten Ergebnisse. Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft, Berlin.

IQWiG, (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), 2024. Preis- und Kostenentwicklung von Orphan Drugs. https://doi.org/10.60584/GA22-01.

Kanavos, P., Ferrario, A., Tafuri, G., Siviero, P., 2017. Managing Risk and Uncertainty in Health Technology Introduction: The Role of Managed Entry Agreements. Global Policy 8, S2, S. 84–92. https://doi.org/10.1111/1758-5899.12386

Leopold, C., Poblete, S., Vogler, S., 2023. How to Price and to Reimburse Publicly Funded Medicines in Latin America? Lessons Learned from Europe. J. Law. Med. Ethics 51, S1, S. 76–91. https://doi.org/10.1017/jme.2023.114

Mills, M., Kanavos, P., 2020. Do pharmaceutical budgets deliver financial sustainability in healthcare? Evidence from Europe. Health Policy 124, 3, S. 239–251. https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2019.12.002.

Neumann, P. J., Chambers, J. D., Simon, F., Meckley, L. M., 2011. Risk-Sharing Arrangements That Link Payment For Drugs To Health Outcomes Are Proving Hard To Implement. Health Affairs 30, 12, S. 2329–2337. https://doi.org/10.1377/hlthaff.2010.1147

NHS England, 2024. 2023/25 NHS Payment Scheme (amended) – Annex C: Guidance on best practice tariffs. https://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2023/03/23-25NHSPS-amended_Annex-C-Best-practice-tariffs.pdf (abgerufen am 21.1.2025).

Reckers-Droog, V., Federici, C., Brouwer, W., Drummond, M., 2020. Challenges with coverage with evidence development schemes for medical devices: A systematic review. Health Policy and Technology 9, 2, S. 146–156. https://doi.org/10.1016/j.hlpt.2020.02.006

Rodwin, M. A., 2019. What Can the United States Learn from Pharmaceutical Spending Controls in France?, The Commonwealth Fund, Issue Briefs. https://www.commonwealthfund.org/publications/issue-briefs/2019/nov/what-can-united-states-learn-drug-spending-controls-france (abgerufen am 25.3.2025).

Ryen, L., Svensson, M., 2015. The Willingness to Pay for a Quality Adjusted Life Year: A Review of the Empirical Literature. Health Econ. 24, 10, S. 1289–1301. https://doi.org/10.1002/hec.3085

Schneider, P., Habl, C., 2017. EURIPID Best Practice Report on External Reference Pricing (ERP) (Version 2.1), Gesundheit Österreich. https://ppri.goeg.at/sites/ppri.goeg.at/files/inline-files/Euripid_BestPracticeReport_final_May2017_2.pdf (abgerufen am 29.1.2025).

Schreyögg, J., Busse, R., 2005. Drug budgets and effects on physicians' prescription behaviour: new evidence from Germany. Journal of Pharmaceutical Finance, Economics and Policy 3, 14, S. 77–95.

Techniker Krankenkasse, 2024. Gentherapeutika – Hoffnungsträger oder Systemsprenger?, Arzneimittel-Fokus. https://www.tk.de/resource/blob/2167530/ecae16e1b84ab2ef985cec0f607f8f01/arzneimittel-fokus-gentherapeutika-data.pdf (abgerufen am 25.3.2025).

Vanness, D. J., Lomas, J., Ahn, H., 2021. A Health Opportunity Cost Threshold for Cost-Effectiveness Analysis in the United States. Ann Intern Med 174, 1, S. 25–32. https://doi.org/10.7326/M20-1392.

Vogler, S., 2021. Preisregulierungen im internationalen Vergleich, in: Schröder, H., Thürmann, P., Telschow, C., Schröder, M., Busse, R. (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2021. Springer Berlin Heidelberg, S. 125–138. https://doi.org/10.1007/978-3-662-63929-0_9

Vokinger, K. N., Glaus, C. E. G., Kesselheim, A. S., Serra-Burriel, M., Ross, J. S., Hwang, T. J., 2023. Therapeutic value of first versus supplemental indications of drugs in US and Europe (2011-20): retrospective cohort study. BMJ, S. e074166. https://doi.org/10.1136/bmj-2022-074166

Vondeling, G. T., Cao, Q., Postma, M. J., Rozenbaum, M. H., 2018. The Impact of Patent Expiry on Drug Prices: A Systematic Literature Review. Appl Health Econ Health Policy 16, 5, S. 653–660. https://doi.org/10.1007/s40258-018-0406-6

Walker, S., Sculpher, M., Claxton, K., Palmer, S., 2012. Coverage with Evidence Development, Only in Research, Risk Sharing, or Patient Access Scheme? A Framework for Coverage Decisions. Value in Health 15, 3, S. 570–579. https://doi.org/10.1016/j.jval.2011.12.013

Wenzl, M., Chapman, S., 2019. Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward (OECD Health Working Papers Nr. 115), Organisation for Economic Co-operation and Development. https://doi.org/10.1787/6e5e4c0f-en

Williamson, S., Thomson, D., Kalliat, R., 2010. A report into the uptake of patient access schemes in the NHS. https://pharmaceutical-journal.com/article/research/a-report-into-the-uptake-of-patient-access-schemes-in-the-nhs (abgerufen am 25.3.2025).

Zhang, K., Garau, M., 2020. International Cost-Effectiveness Thresholds and Modifiers for HTA Decision Making, OHE Contract Research. https://www.ohe.org/publications/international-cost-effectiveness-thresholds-and-modifiers-hta-decision-making/ (abgerufen am 25.3.2025).

6 Preisbildung und Standortförderung

6.1 Die Verknüpfung von Preissetzung und Standortförderung

311. In dem im Jahr 2023 veröffentlichten Strategiepapier der Bundesregierung zur „Verbesserung der Rahmenbedingungen für den Pharmabereich in Deutschland“ wurde die pharmazeutische Industrie als „Schlüsselsektor“ und „Leitindustrie der deutschen Volkswirtschaft“ bezeichnet (Die Bundesregierung, 2023). Im diesem Strategiepapier wurde ein konkretes Handlungskonzept zur Förderung der Attraktivität Deutschlands als Industriestandort vorgelegt. Als Rationale hinter der Förderung des Pharmastandorts Deutschland wurde die Bedeutung der pharmazeutischen Industrie zum einen für die nationale Wirtschaftskraft und zum anderen für die Sicherstellung der bestmöglichen Versorgung der Bevölkerung angeführt. Letzteres basiert auf der Annahme eines kausalen Zusammenhangs zwischen einer starken, lokalen pharmazeutischen Industrie und einem schnellen, zuverlässigen Zugang zu effektiven Arzneimitteln.

312. Die im erwähnten Strategiepapier der Bundesregierung vorgestellten Maßnahmen zur Förderung der forschenden Pharmaindustrie umfassten neben Investitionen in die Forschungsinfrastruktur und Entbürokratisierungsmaßnahmen auch preispolitische Maßnahmen, wie die Stabilisierung von Herstellerrabatten auf dem aktuellen Niveau von 7 % (Die Bundesregierung, 2023). Implizit wurde ein Zusammenhang zwischen Standortpolitik und der Bepreisung innovativer Arzneimittel angenommen. Eine solche Verknüpfung von Preisregulierung und Standortentscheidungen wird auch von der pharmazeutischen Industrie als Argument für bestimmte Preis- und Umsatzerwartungen verwendet (Phillip et al., 2023).[119]

313. Diese Verknüpfung war lange nur ein Argument in der politischen Diskussion um Arzneimittelpreise. Im Rahmen des Gesetzes zur Bekämpfung von Lieferengpässen bei patentfreien Arzneimitteln und zur Verbesserung der Versorgung mit Kinderarzneimitteln wurde im Jahr 2023 in § 130a Abs. 8a SGB V erstmals eine explizite Verknüpfung von Standortförderung und Preisgestaltung gesetzlich umgesetzt. Demnach müssen pharmazeutische Unternehmen (pU), die innerhalb der EU oder in einem Vertragsstaat des EU-Wirtschaftsraums produzieren, bei der Ausschreibung von Rabattverträgen für bestimmte generisch verfügbare Wirkstoffe (wenn möglich) mit einem Anteil

[119] Zum Beispiel: „Mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz wurden zuletzt die Rahmenbedingungen für die Erstattung innovativer Medikamente in Deutschland deutlich verschlechtert, was die negativen Trends in der Forschung nochmals beschleunigen dürfte.“ (Vorwort von Han Steutel, Präsident des Verbands Forschender Arzneimittelhersteller in Phillip et al., 2023).

von mindestens 50 % berücksichtigt werden.[120] Mit Inkrafttreten des Medizinforschungsgesetzes (MFG) im Oktober 2024 wurde auch im Bereich patentgeschützter Arzneimittel eine solche **direkte Verbindung von Preisregulierung und Standortpolitik gesetzlich verankert**. Konkret geht es um Ausnahmeregelungen für die im Jahr 2022 eingeführten sogenannten Leitplanken (siehe Kapitel 2): Wenn im Rahmen der Zulassungsstudien eines innovativen Arzneimittels mindestens 5 % der Proband*innen in Deutschland rekrutiert wurden, wird dem pU für die Dauer von 30 Monaten eine Freistellung von diesen Leitplanken gewährt (§ 35a Abs. 3 und § 130b Absatz 3 SGB V). Kann das pU anschließend Forschungs- und Entwicklungs-Projekte (F&E-Projekte) und Kooperationen mit öffentlichen Institutionen in Deutschland nachweisen, wird die Freistellung längerfristig aufrechterhalten (§ 130b Absatz 3 SGB V). Eine solche Freistellung ist deshalb für das pU attraktiv, weil die Leitplanken die Preisgestaltung im Rahmen des AMNOG-Systems (insbesondere im Fall eines nicht belegten Zusatznutzens) beschränken. Die Möglichkeit, verschärften Preisregulierungsmaßnahmen zu entgehen, wird damit direkt an die Bedingung geknüpft, am Standort Deutschland in F&E zu investieren.

314. Der Staat verfügt über diverse Möglichkeiten, die pharmazeutische Industrie direkt oder indirekt zu unterstützen. Direkte Fördermaßnahmen umfassen z. B. Subventionen, Steuervorteile oder Investitionen in Infrastrukturen, welche die pharmazeutische Industrie unterstützen. Indirekt kann der Staat durch seine Gesetzgebung die Preissetzung regulieren und somit Förderung durch das Sichern von Einnahmen betreiben. Die Kosten dafür werden von der GKV und PKV getragen. Der gesellschaftliche Nutzen von Wirtschaftsförderung muss sowohl gegen die Kosten direkter Fördermaßnahmen als auch die indirekten Kosten infolge höherer Arzneimittelpreise abgewogen werden.

315. In diesem Kontext müssen mögliche **Auswirkungen einer Verknüpfung** von Standortpolitik und Preisregulierung kritisch reflektiert und zudem deren Kongruenz mit den Zielen des AMNOG-Verfahrens überprüft werden: Ein zentraler Grundsatz des AMNOG-Verfahrens besteht darin, dass der verhandelte Preis den Zusatznutzen des Arzneimittels widerspiegeln soll. Wirtschaftspolitisch begründete Ausnahmeregelungen von den Leitplanken führen hingegen zu Preisaufschlägen, die vom Zusatznutzen entkoppelt sind und langfristig das Preisniveau beeinflussen. Sobald Arzneimittel mit standortbezogenen Preisaufschlägen versehen werden, können sie künftig – wenn sie als Vergleichstherapie herangezogen werden – auch die Preise nachfolgender Innovationen erhöhen, selbst wenn diese nicht am Standort Deutschland erforscht und entwickelt wurden. Es kommt zu einer Verzerrung der Preise. Dies ist bedenklich, da die wirtschaftspolitisch motivierte Förderung und Finanzierung von privatwirtschaftlichen F&E-Aktivitäten nicht zu den im SGB V verankerten Aufgaben der GKV gehören. Darüber hinaus trägt eine Finanzierung der Standortförderung durch Kassenbeiträge zu steigenden Beiträgen für GKV-Mitglieder, Arbeitgeber, PKV-Versicherte und der Beihilfe und somit zu einer Erhöhung der Lohnnebenkosten bei. Wie im Folgenden weiter ausgeführt wird, ist zudem die Wirkung von Preisaufschlägen auf den Standort Deutschland wirtschaftspolitisch zweifelhaft.

[120] Da diese Regelung eine Vielzahl von Staaten (Mitgliedstaaten der EU und des EU-Wirtschaftsraums) einschließt, dürfte sie, trotz zu erwartender Preiserhöhungen, für die Standortförderung in Deutschland weitgehend wirkungslos bleiben.

6.2 Bedeutung des Pharmastandorts Deutschland

316. Im Folgenden wird die wirtschaftliche Bedeutung der pharmazeutischen Industrie für Deutschland erörtert. Wie in anderen Industriezweigen handelt es sich auch bei pU mit Sitz in Deutschland in der Regel um **international agierende Konzerne**, was sich u. a. in einer überdurchschnittlich hohen Exportquote von 59 % im Jahr 2022 abbildet (IW & vfa, 2023). Für eine Einordnung des volkswirtschaftlichen Beitrags der Branche sind vor allem Analysen der Beschäftigungszahlen und der Investitionen in Deutschland relevant, da diese die Wirkungen auf nationaler Ebene erfassen. Eine Analyse der Umsätze ließe nur eingeschränkt Rückschlüsse auf wirtschaftliche Auswirkungen (z. B. durch Körperschaftsteuern) in Deutschland zu.

6.2.1 Beschäftigte in der pharmazeutischen Industrie

317. Für das **Marktsegment Humanarzneimittel** zeigt sich eine differenzierte Entwicklung der Beschäftigungszahlen: Betrachtet man die Bereiche F&E und Produktion zusammen, liegt die Zahl der Erwerbstätigen, nach einem Rückgang in den Jahren 2015 und 2016, mit 125 000 Erwerbstätigen aktuell wieder auf dem Niveau des Jahres 2014 (siehe Abbildung 6-1). Unterscheidet man zwischen verschiedenen Tätigkeitsbereichen, zeigt sich, dass die Zahl der Erwerbstätigen im Bereich F&E um 44,6 % zugenommen hat (siehe Abbildung 6-2). Entsprechend hat sich der Anteil an Beschäftigten im F&E-Sektor für Humanarzneimittel seit dem Jahr 2014 vergrößert.[121] Die Zahl der Erwerbstätigen in der Produktion hat hingegen um 9,8 % abgenommen. Allerdings hat die Beschäftigungszahl im Segment der Generikaproduktion (ein Teilsegment der Humanarzneimittel) leicht zugenommen (Wachstum pro Jahr seit dem Jahr 2014 0,8 %; BMWK & WifOR, 2023). Dies lässt sich u. a. dadurch erklären, dass mit der zunehmenden Zahl auslaufender Patente die mengenmäßigen Marktanteile der Generika zunehmen (BMWK, 2024a).

[121] Da es sich bei den hier aufgeführten Zahlen nicht um Vollzeitäquivalente handelt, könnte es durch unterschiedliche (Entwicklung der) Teilzeitquoten in den verschiedenen Bereichen zu Verzerrungen kommen.

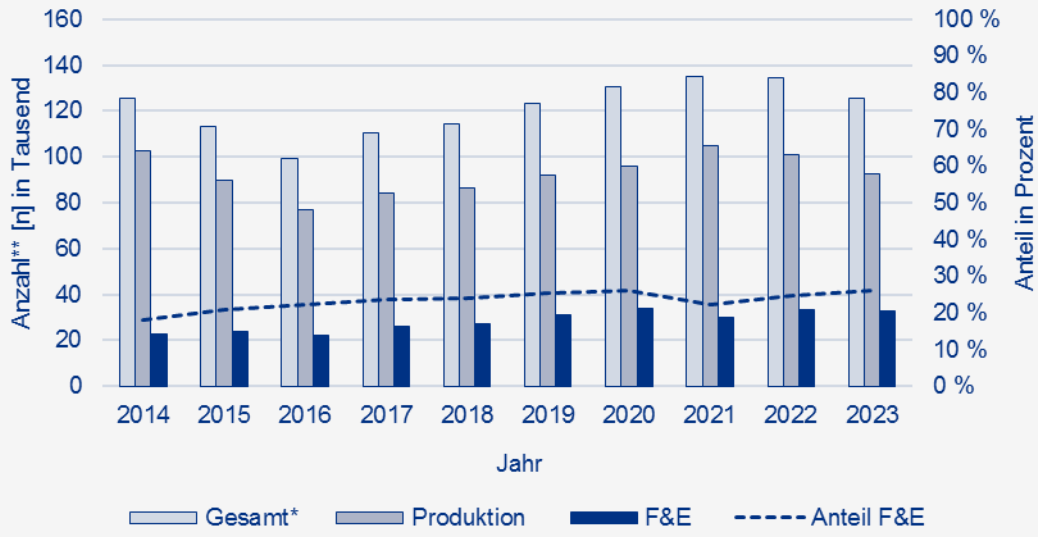

Abbildung 6-1: Erwerbstätige im Marktsegment Humanarzneimittel im Zeitverlauf

F&E = Forschung und Entwicklung.
* Gesamtzahl ergibt sich aus der Addition der Beschäftigten in F&E und Produktion. ** Es handelt sich um die Anzahl der Erwerbstätigen unabhängig vom zeitlichen Umfang der Tätigkeit (keine Vollzeitäquivalente).

Quelle: Eigene Darstellung auf Basis des BMWK (2024b).

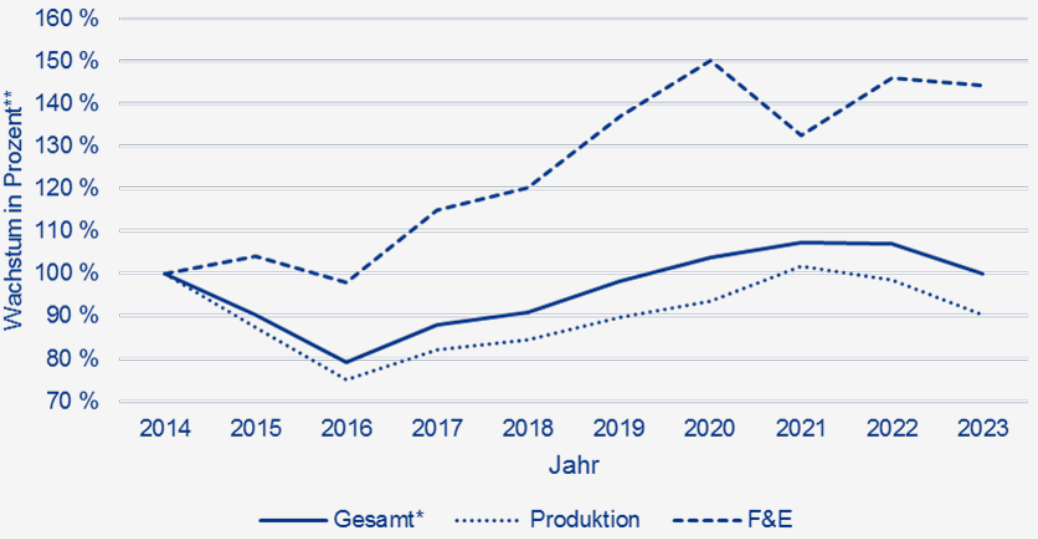

Abbildung 6-2: Entwicklung der Erwerbstätigenzahlen in verschiedenen Bereichen des Marktsegments Humanarzneimittel im Zeitverlauf

F&E = Forschung und Entwicklung.
* Gesamtzahl ergibt sich aus der Addition der Beschäftigten in F&E und Produktion. ** Die Zahl der Erwerbstätigen im Jahr 2014 entspricht 100 %. Es handelt sich um die Anzahl der Erwerbstätigen unabhängig vom zeitlichen Umfang der Tätigkeit (keine Vollzeitäquivalente).

Quelle: Eigene Darstellung auf Basis des BMWK (2024b).

318. Für einen **branchenübergreifenden Vergleich** muss auf Zahlen des Statistischen Bundesamts zurückgegriffen werden, die keine differenzierte Betrachtung des Humanarzneimittelsektors zulassen. Die hier dargestellten Zahlen erfassen z. B. auch Beschäftigte im Bereich Veterinärmedizin. Im Jahr 2023 waren insgesamt rund 140 000 Erwerbstätige in der pharmazeutischen Industrie beschäftigt (Destatis, 2025a). Dies machte mit ca. 0,3 % einen relativ kleinen Anteil aller Erwerbstätigen in Deutschland aus (Destatis, 2025b). Gemäß den Daten der Bundesagentur für Arbeit aus dem Jahr 2024 ist das Lohnniveau in der pharmazeutischen Industrie über alle Qualifikationsstufen hinweg überdurchschnittlich (medianes Bruttomonatsentgelt 5 304 Euro in der pharmazeutischen Industrie versus 3 796 Euro in der Gesamtwirtschaft). Die Branche trägt pro bei ihr beschäftigter Person überproportional zum Bruttoinlandsprodukt bei. Betrachtet man die Entwicklung der Erwerbstätigen im verarbeitenden Gewerbe seit dem Jahr 2014, wird ersichtlich, dass die Beschäftigtenzahl in der Herstellung pharmazeutischer Erzeugnisse um rund 15 % zugenommen hat; seit dem Jahr 2020 (Beginn der SARS-CoV-2-Pandemie) hat die Wachstumsrate nochmals zugenommen (Destatis, 2025a). Insgesamt zeigen diese Zahlen, dass die pharmazeutische Industrie für den deutschen Arbeitsmarkt eine relativ kleine, aber zunehmende Bedeutung hat.

6.2.2 Investitionen

319. Privatwirtschaftliche Investitionen gehen in der Regel mit Aufträgen für weitere Branchen einher, woraus sich wirtschaftliches Wachstum auch über die pharmazeutische Industrie hinaus ergibt. Zusätzlich können Agglomerationseffekte dazu führen, dass initiale Investitionen in einen Standort die Attraktivität dieses Standorts erhöhen und wiederum zu weiteren Investitionen führen; so entstehen positive Feedback-Schleifen.

320. Im Jahr 2023 war das absolute **Investitionsvolumen** der pharmazeutischen Industrie mit 3,58 Milliarden Euro deutlich geringer als das anderer Branchen des verarbeitenden Gewerbes (z. B. Kfz-Industrie 15,3 Milliarden Euro, Elektroindustrie 8,7 Milliarden Euro; Destatis, 2025a). Betrachtet man jedoch die Entwicklung der Investitionsvolumina verschiedener Branchen, wird ersichtlich, dass Investitionen durch die pharmazeutische Industrie in den Jahren 2014 bis 2023 kontinuierlich zugenommen haben, während sich z. B. das Investitionsvolumen der Kfz-Industrie seit dem Jahr 2019 verringert hat (Destatis, 2025a). Die durchschnittliche Wachstumsrate der Investitionen (über die Jahre 2014 bis 2023) ist für die pharmazeutische Industrie mit 6,2 % pro Jahr ebenfalls höher als in den anderen Branchen des verarbeitenden Gewerbes wie z. B. der Kfz- oder Elektroindustrie.

6.2.3 Aspekte der Daseinsvorsorge in der Standortpolitik

321. Neben ihrer Bedeutung für das gesamtwirtschaftliche Wachstum wird die Förderung der pharmazeutischen Industrie häufig dadurch begründet, dass sie durch die Bereitstellung von Arzneimitteln einen wichtigen Beitrag zur Daseinsvorsorge leiste. Hierbei sollte zwischen der Verfügbarkeit von innovativen und essenziellen Arzneimitteln für die reguläre Versorgung und der Resilienz in Gesundheitskrisen, beispielsweise durch schnelle (Impfstoff-)Produktion, differenziert werden.

322. Um den **Zugang zu innovativen Arzneimitteln** sicherzustellen, muss die Entwicklung neuer Wirkstoffe auf globaler Ebene incentiviert werden. Dies wird z. B. durch den Patentschutz und damit einhergehende Profitchancen erreicht (siehe Kapitel 1). Für die Verfügbarkeit von respektive den Zugang zu entwickelten Innovationen sind das Preisniveau und die Erstattungspolitik des nationalen (oder regionalen) Absatzmarktes entscheidend: Mittels systematischer Literaturrecherche untersuchten Bregtje et al. (2021) die Gründe für die unterschiedliche Verfügbarkeit von Arzneimitteln innerhalb Europas. Sie identifizierten die Ausgestaltung der Preis- und Erstattungspolitiken und Unterschiede zwischen den Gesundheitssystemen als wichtige Determinanten, die (im Zusammenspiel mit Markteinführungsstrategien der Hersteller) die Verfügbarkeit bedingen (Bregtje et al., 2021). Die geografische (oder regulatorische) Nähe zu Forschungs- und/oder Produktionsstandorten der pharmazeutischen Industrie wurde hingegen nicht als relevanter Faktor für die Arzneimittelverfügbarkeit identifiziert. Dies dürfte u. a. auf die relativ gute Transportfähigkeit des Gros der pharmazeutischen Erzeugnisse zurückzuführen sein. Ausnahmen bilden einige Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMPs, *Advanced Therapy Medicinal Products)* wie Chimäre Antigen-Rezeptor-T-Zellen-Therapien, deren Produktion aufgrund technischer und/oder regulatorischer Anforderungen eine gewisse geografische Nähe zwischen Patient*innen bzw. Versorgungsstrukturen und Produktionsstandort erfordert (Shah et al., 2023). Falls Versorgungsbedarfe nicht in allen geographischen Gebieten gleichermaßen gedeckt würden, könnten Maßnahmen zur Förderung lokaler Produktionsstandorte in diesem Segment einen positiven Effekt für die Daseinsvorsorge leisten. In Deutschland dürfte die sehr gute Verfügbarkeit innovativer Arzneimittel maßgeblich auf die im internationalen Vergleich besonders schnelle Erstattungsfähigkeit und das vergleichsweise hohe Preisniveau zurückzuführen sein.

323. Neben dem Zugang zu innovativen Arzneimitteln ist für die bedarfsgerechte Gesundheitsversorgung der Bevölkerung auch die **zuverlässige Verfügbarkeit essenzieller Arzneimittel** zu gewährleisten. Hierbei spielen insbesondere patentfreie Wirkstoffe eine Rolle.[122] Entsprechend hoch ist der Anteil von generischen Produkten in der Regelversorgung (77 % der Verordnungen im Jahr 2022; Mühlbauer & Ludwig, 2023). Die Produktion von Generika hat sich in den letzten Jahren zunehmend nach Asien verlagert (im Jahr 2020 lagen ca. 60 % der Produktionszertifikate bei asiatischen Herstellern), was insbesondere auf die geringeren Produktionskosten zurückzuführen ist (Francas et al., 2022). Zusätzlich zeigt sich eine deutliche Zentralisierung der Wirkstoffproduktion in wenigen geografischen Regionen innerhalb Asiens und bei wenigen Herstellern pro Wirkstoff (MundiCare, 2020). Auch die Produktion von pharmazeutischen Grundstoffen und Vorstufen erfolgt zu bedeutenden Anteilen in Asien (Francas et al., 2022).

324. Einerseits führt die **Globalisierung pharmazeutischer Lieferketten** für Deutschland (und andere Hochlohnstaaten) zu beträchtlichen Kosteneinsparungen, zumindest in kurz- bis mittelfristiger Sicht. Andererseits schwächen lineare Abhängigkeiten und limitierte Pufferkapazitäten die Resilienz des Gesundheitssystems in (internationalen) Krisen, was zu wirtschaftlichen, gesundheits- wie gesellschaftspolitischen Belastungen führen kann (Kagermann et al., 2021; SVR, 2023, Kapitel 8). Um dem entgegenzuwirken, empfahl der Rat bereits im Jahr 2023 die **Diversifizierung pharmazeutischer Lieferketten**. Für eine resilientere Versorgung mit (innovativen) Arzneimitteln sind auch der Erhalt und die Förderung von Fachwissen und fachlich qualifiziertem

[122] Laut einer Analyse von Schultz und McDole von Januar 2020 waren knapp 90 % der Wirkstoffe auf der „Model List of Essential Medicines“ der WHO patentfrei (Schultz & McDole, 2020, Abbildung 1).

Personal in den Bereichen Arzneimittelproduktion und F&E wichtig – gerade in Zeiten verschärften Wettbewerbs um Fachkräfte (siehe SVR, 2024).

6.3 Wesentliche Standortfaktoren für die pharmazeutische Industrie – eine empirische Betrachtung

325. Die Standortwahl bzw. standortgebundene Investitionsentscheidungen international agierender pU sind multifaktoriell. Die folgende Analyse empirischer Studien zu Standort- und Investitionsentscheidungen konzentriert sich, dem thematischen Fokus des Gutachtens folgend, auf Investitionsentscheidungen in der forschenden Arzneimittelindustrie (Betrachtungen zum Generikasektor waren Gegenstand des SVR Gutachtens aus dem Jahr 2023 (SVR, 2023)). Hierbei sei angemerkt, dass **wissenschaftliche empirische Studien zu Standortentscheidungen** in der pharmazeutischen Industrie **selten sind** und aktuellere Entwicklungen der letzten Jahre möglicherweise nicht vollständig abbilden. Ein Großteil der Studien zu entscheidungsrelevanten Faktoren bei der Standortwahl beruht auf Interviews und Umfragen mit Entscheidungsträgern in multinationalen (sowohl in den USA als auch in Europa und Asien ansässigen) pU. Diese Studiendesigns können nur die *stated preferences* untersuchen; eine Verzerrung der Antworten ist hierbei nicht auszuschließen.[123] Studien, die auf dem beobachtbaren Verhalten basieren (*revealed preferences*) und somit eine wertvolle Ergänzung für eine möglichst verzerrungsarme Analyse des Zusammenhangs zwischen Preisregulierung und standortbezogenen Investitionsentscheidungen liefern können, sind hingegen rar. (siehe Abschnitt 6.3.5 für eine Aufarbeitung der quantitativen Studienlage).

326. Studien zu Investitionsentscheidungen F&E-intensiver multinationaler Unternehmen (aus verschiedenen Branchen) zeigen, dass sich die Entscheidungsfaktoren für Investitionen in Schwellenmärkten und in entwickelten Märkten unterscheiden (Thursby & Thursby, 2006). Die ausschlaggebenden Kriterien für F&E-Investitionen in europäische und nordamerikanische Standorte sind typischerweise Input-Faktoren (auch *supply driven*) und vor allem an vorhandener Forschungskapazität am Standort orientiert (Siedschlag et al., 2013; Thursby & Thursby, 2006). Konkret sind die Verfügbarkeit hoch qualifizierter Arbeitskräfte, das (universitäre) Forschungs-, Innovations- und Vernetzungspotential sowie der zuverlässige Schutz geistigen Eigentums (Patentschutz) die wichtigsten Faktoren (Siedschlag et al., 2013; Thursby & Thursby, 2006). Außerdem spielen im globalen Wettbewerb auch **institutionelle Aspekte** wie politische Stabilität, die Verlässlichkeit des Rechtsstaats und wirksame Korruptionsbekämpfung eine große Rolle bei standortbezogenen Investitionsentscheidungen (Bailey, 2018). Hingegen sind Output-Faktoren (auch *demand driven*, z. B. Größe und Wachstumspotential des Absatzmarktes, Verkaufssteigerung an ausländische Kunden) und die Höhe der F&E- oder Produktionskosten für Investitionsentscheidungen in entwickelten Märkten weniger relevant (Siedschlag et al., 2013; Thursby & Thursby, 2006).[124] In

[123] Da wissenschaftliche Studien zunehmend als wichtige Grundlage politischer Entscheidungen herangezogen werden, besteht für die Befragten durchaus der Anreiz, ihre Antworten der Unternehmensstrategie entsprechend abzuwägen (Rozek, 2011). Um dieser Verzerrung entgegenzuwirken, nutzen einige der im Kapitel zitierten Wissenschaftler*innen Szenario-basierte Studien, in denen die Befragten konkrete Fallbeispiele analysieren, statt offene Interviewfragen zu beantworten (Dombernowsky et al., 2017; Lewis et al., 2007; Rozek, 2011).

[124] Für Investition in Schwellenländern hingegen war das Marktpotential der wichtigste Entscheidungsfaktor (Thursby & Thursby, 2006).

bestimmten Teilaspekten der pharmazeutischen Wertschöpfung können sie relevant werden (siehe Textziffer 336).

327. Die Herstellung innovativer Arzneimittel ist, auch aufgrund ausgeprägter Regulierung, ein besonders komplexer Prozess und umfasst unterschiedliche, voneinander abzugrenzende Wertschöpfungsstufen – von Grundlagenforschung über klinische Entwicklung bis zur Produktion (Lewis et al., 2007; Rozek, 2011; Wilsdon et al., 2022). Um die wichtigsten Determinanten F&E-bezogener Standortentscheidungen der pharmazeutischen Industrie zu evaluieren, bedarf es entsprechend einer **differenzierten Betrachtung der verschiedenen Wertschöpfungsstufen**.

328. Neben den auf die einzelnen Wertschöpfungsstufen zugeschnittenen Entscheidungsfaktoren spielen vor allem die **historisch gewachsene Assetstruktur**[125]**, die Unternehmenskultur und Erfahrungswerte** zu bestimmten geografischen Gebieten eine wichtige Rolle (Lewis et al., 2007; Rozek, 2011). Zum einen begünstigen positive länderspezifische Erfahrungen – z. B. in Bezug auf die lokale Forschungsinfrastruktur und nationale Regularien – eine Investitionsentscheidung. Zum anderen sind inkrementelle Investitionen und die Ansiedlung mehrerer Wertschöpfungsprozesse, auch über verschiedene Produktklassen hinweg, an einem Standort (*co-location*) häufig kosteneffizienter, da sie Overhead- und Transferkosten reduzieren und auf bereits bestehenden Strukturen aufbauen können (Rozek, 2011). Entsprechend sind bereits etablierte Standorte ein wichtiger Pullfaktor.

6.3.1 Grundlagenforschung

329. Das Kernelement forschungsbezogener Investitionsentscheidungen ist der Zugang zu **wissenschaftlicher Expertise höchster Qualität**. Ziel ist es in der Regel, durch exzellente Forschungsteams das Risiko von Fehlschlägen zu reduzieren und sich an der Spitze des wissenschaftlichen Fortschritts zu platzieren (Rozek, 2011). Kosten sind hier sekundär, da ein Forschungsprojekt ohne Erkenntnisgewinn wirtschaftlich nicht sinnvoll ist. Für die Evaluation der wissenschaftlichen Qualität eines Standortes spielen verschiedene Indikatoren eine Rolle: An erster Stelle steht die Verfügbarkeit hoch qualifizierten Fachpersonals. Von entscheidender Bedeutung sind hierbei sowohl in ihrem Feld führende Wissenschaftler*innen bzw. Forschungsgruppen als auch ein ausreichend großer Pool an sehr gut ausgebildeten (akademischen und nicht-akademischen) Fachkräften (Lewis et al., 2007; Rozek, 2011). Die Verfügbarkeit dieser humanen Ressourcen ist eng mit der Standortdichte führender Universitätszentren und anderer pharmazeutischer Forschungseinrichtungen verknüpft.

330. Die geografische Nähe zu führenden öffentlichen Forschungseinrichtungen kann außerdem einen für die pU vorteilhaften **Wissenstransfer** begünstigen, z. B. durch formelle oder informelle Kollaborationen. Ein Anhaltspunkt dafür ist, dass die wissenschaftliche Produktivität in einem bestimmten Indikationsgebiet (gemessen an Publikationen öffentlicher Forschungsinstitutionen in einem Radius von 35 Meilen bzw. gut 56 Kilometern) mit der Zahl an pharmazeutischen Patenten korreliert (Furman et al., 2006). Es sind darüber hinaus positive Agglomerationseffekte in Regionen zu erkennen, in denen bereits universitäre/öffentliche

[125] Die Assetstruktur eines Unternehmens bezeichnet hier die Gesamtheit der positiv einsetzbaren (nutzbaren) Ressourcen, die ein Unternehmen an einem oder verschiedenen Standorten aufgebaut hat. Dies kann sowohl materielle als auch immaterielle Ressourcen beinhalten.

Forschungsinstitutionen und industrielle (internationale) F&E-Standorte etabliert sind (Lane & Probert, 2005; Wilsdon et al., 2022). Prominente Beispiele aus dem Life-Science-Sektor sind „Kendall Square“ in Cambridge, Massachusetts (USA), und das „Cambridge Cluster“ (UK) (Buderi, 2022; camLIFE, 2024).

331. Das Ausmaß **öffentlich geförderter Grundlagenforschung** ist ebenfalls ein wichtiger Faktor für Standortentscheidungen (Rozek, 2011). Direkt oder indirekt haben öffentliche Forschungsgelder zur Entwicklung aller neuen Wirkstoffe beigetragen, die im Zeitraum von 2010 bis 2016 von der US-amerikanischen Arzneimittelbehörde zugelassen wurden (Galkina Cleary et al., 2018). Ein direkter Wissenstransfer z. B. in der Form von *in-licensing* vielversprechender Moleküle (Aufkaufen eines Patents) von öffentlichen Forschungsinstitutionen findet in den USA deutlich häufiger statt als in Europa, was u. a. durch eine geringere Opposition gegenüber Kommerzialisierung öffentlicher Forschungsergebnisse zu erklären ist (Lane & Probert, 2005). Außerhalb der USA zeigt sich ein ähnliches Bild, was den Beitrag öffentlicher Forschungsgelder zur Entwicklung neuer Wirkstoffe betrifft (STOPAIDS & Global Justice, 2017). Insgesamt kommen 30 % der globalen pharmazeutischen F&E-Investitionen aus öffentlicher Hand (Røttingen et al., 2013). Die hohe Priorität pharmazeutischer Forschung gerade für öffentliche Institutionen ist ein entscheidender Erfolgsfaktor für den Wissenstransfer (*Spillover*) hin zu pU. Gleichzeitig birgt er aber die Gefahr, der Unterfinanzierung anderer Bereiche (medizinischer) Forschung (Testoni et al., 2021).

332. Um die Vorteile und *Spillover*-Effekte eines exzellenten Forschungsstandortes in Form von neuen Wirkstoffen effektiv kommerzialisieren zu können, werden außerdem adäquate (privatwirtschaftliche) **Finanzierungsquellen** benötigt. Insbesondere im Bereich Risikokapital fällt der europäische Wirtschaftsraum weit hinter die USA zurück (Karpa & Grginović, 2020). Eine von dem Europäischen Verband der pharmazeutischen Industrie und Verbände (European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations) in Auftrag gegebene Analyse identifizierte die Lücken in den Bereichen a) Risikokapital zur Gründungsfinanzierung und b) größerer außerbörslicher Investoren als Gründe für das limitierte Wachstum europäischer pharmazeutischer Start-ups bis hin zu mittelständischen Unternehmen und/oder internationalen Konzernen (CRA, 2015). Ein vom Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz in Auftrag gegebenes Gutachten schätzt den ungedeckten Bedarf an Risikokapital bis zum Jahr 2030 im Bereich Medizin auf 18,9 Milliarden Euro (Zinke et al., 2024). In diesem Zusammenhang ist eine quantitative Analyse zur Wirksamkeit von öffentlichem und privatem Risikokapital im europäischen Biotech-Sektor beachtenswert. Diese Untersuchung zeigte, dass öffentliches Kapital alleine nicht zu mehr Patenten führte, aber die Effektivität (gemessen an der Zahl und dem Impact neuer Patente) von privatem Risikokapital verstärkte (Bertoni & Tykvová, 2015).

333. Eine erfolgreiche Monetarisierung neuer Wirkstoffe baut nach wie vor auf dem effektiven **Schutz geistigen Eigentums** auf (Lewis et al., 2007; Rozek, 2011; Wilsdon et al., 2022). Dieser muss nicht nur gesetzlich verankert sein, sondern ebenso streng durchgesetzt werden. Auch hier ist die Studienlage nicht eindeutig: Einige Studien konnten zeigen, dass eine Stärkung geistiger Eigentumsrechte in Entwicklungsmärkten branchenübergreifend zu einer Steigerung ausländischer Investitionen führt (ALshubiri & Ani, 2024; Tsaurai, 2024). Eine Untersuchung britischer und US-amerikanischer Investitionen konnte allerdings keinen Zusammenhang feststellen (Vita et al., 2021).

6.3.2 Klinische Forschung

334. Nachdem ein (potentiell) innovativer Wirkstoff identifiziert wurde, erfolgt die klinische Prüfung. Zu diesem Zeitpunkt hat die Patentierung des Wirkstoffs bereits stattgefunden (EFPIA, 2025). Der Zeitraum des Patent- und Unterlagenschutzes (typischerweise 20 Jahre) hat also bereits begonnen. Da der nach Markteinführung noch möglichst lange bestehende Patentschutz eine Grundlage für die Gewinnmaximierung ist, ist eine möglichst schnelle klinische Prüfung (Phase I bis III Studien) besonders wichtig. Eine Analyse aus dem Jahr 2024 schätzt den monetären Verlust für verschreibungspflichtige Medikamente (über verschiedene Anwendungsgebiete hinweg) durch zeitliche Verzögerungen im Entwicklungs- und Zulassungsprozess auf durchschnittlich ca. 500 000 US-Dollar pro Tag verzögertem Markteintritt (Smith et al., 2024). Je nach kommerzieller Performance können die monetären Verluste für ein einzelnes Arzneimittel deutlich von diesem Durchschnittswert abweichen. Parameter, die eine **schnelle Durchführung klinischer Studien** begünstigen, werden entsprechend als entscheidende Standortfaktoren genannt (Dombernowsky et al., 2017, 2019; Gehring et al., 2013; Rozek, 2011). Insbesondere die Verfügbarkeit eines ausreichend großen Probandenpools und die Möglichkeit, diesen rasch zu rekrutieren, werden von Entscheidungsträger*innen der pharmazeutischen Industrie und *clinical research organizations*[126] regelmäßig als die wichtigsten Kriterien angeführt (Dombernowsky et al., 2017). Eine vernetzte Registerinfrastruktur (siehe Kapitel 4), die auch von pU genutzt werden kann, könnte mittels registerbasierter, randomisierter kontrollierter klinischer Studien (RCTs, *Randomised Controlled Trials*) die Durchführung zulassungsrelevanter Studien erheblich beschleunigen. Effizienten und möglichst schlanken, unbürokratischen Prüfungsverfahren (z. B. zentralisierte Ethikvoten) wird ebenfalls ein hoher Stellenwert zugesprochen, da auch diese eine schnelle klinische Prüfung und somit eine rasche Markteinführung begünstigen (Gehring et al., 2013; Rozek, 2011).

335. Die **Reputation eines Standorts** bezüglich *good clinical practice* und verlässlich hoher Studienqualität ist ebenfalls ein essenzielles Entscheidungskriterium. Da fragwürdige Datenqualität oder ethische Bedenken die Zulassung eines innovativen Wirkstoffs gefährden würden, gehen pU in diesen Punkten kein Risiko ein (Rozek, 2011). Entsprechend kommen für die meisten pU ausschließlich Standorte für die Durchführung klinischer Studien infrage, die eine ausreichend gute Reputation haben. Bürokratische Verfahren und Regularien zur Studiendurchführung sind in diesem Kontext ebenfalls wichtig, um die Einhaltung von Standards einer *good clinical practice* zu gewährleisten. Obwohl sie die klinische Prüfung verlangsamen, ist eine angemessene Regulatorik als Qualitätssiegel unverzichtbar.

336. Neben Schnelligkeit und verlässlicher Qualität ist die **Nähe zu Key Opinion Leaders (KOLs)** ein dritter Pfeiler der Entscheidungsfindung (Rozek, 2011). Durch die Einbindung von KOLs in die Durchführung von klinischen Studien werden diese sehr frühzeitig mit der Anwendung innovativer Arzneimittel vertraut. Da KOLs in ihrem professionellen Umfeld häufig als Multiplikator*innen fungieren, kann so nach Zulassung eine besonders rasche Marktdurchdringung erreicht werden[127] (Agha & Molitor, 2018). Voraussetzung ist ein Arzneimittelmarkt, der so gestaltet ist, dass innovative

[126] Es ist gängige Praxis, dass pU hoch spezialisierte, privatwirtschaftlich organisierte Forschungsunternehmen, sogenannte *clinical research organizations* mit der Durchführung klinischer Studien beauftragen.

[127] Zum Zeitpunkt der Durchführung klinischer Studien der Phasen I bis III ist der Nutzen eines Arzneimittels für die Regelversorgung noch nicht geprüft. Folglich kann die Durchführung klinischer Studien an einem Standort zwar zu einer raschen Marktdurchdringung innovativer Arzneimittel führen, diese entspricht aber nicht notwendigerweise einer evidenzbasierten, bedarfsgerechten Versorgung.

Arzneimittel prinzipiell früh verfügbar und (je nach Gesundheitssystem) erstattungsfähig sind und Ärzt*innen in der Verschreibung innovativer Arzneimittel möglichst wenig beschränkt werden (Rozek, 2011). Aus Sicht der pU ist dieser Faktor besonders in umsatzstarken Märkten relevant und ein Grund dafür, dass – trotz hoher Kosten – in der Regel Anteile klinischer Zulassungsstudien in den USA und Westeuropa durchgeführt werden (Rozek, 2011).

337. Die mit der Durchführung von klinischen Studien verbundenen **Kosten sind für die Standortentscheidung sekundär**, werden jedoch als Differenzierungsmerkmal herangezogen, sobald die oben genannten Kriterien erfüllt sind (Rozek, 2011). Beispielsweise wurde dem Faktor „niedrige Kosten" von Entscheidungsträger*innen regelmäßig die letzte Priorität bei der Standortwahl für klinische Studien zugeschrieben und über 80 % der Befragten zogen eine 10 %-ige Verbesserung in der Rekrutierungsgeschwindigkeit einer 20 %-igen Kostenreduktion vor (Dombernowsky et al., 2019). Dies ist damit zu erklären, dass ein rascher Marktzugang für das pU einen hohen monetären Wert hat (Smith et al., 2024) und daher versucht wird, Zeitverluste gering zu halten.

6.3.3 Produktion

338. Aufgrund technischer Unterschiede in der Produktionskette, variieren die Anforderungen an Produktionsstandorte für chemische Fertigarzneimittel, Biologika (z. B. Antikörper) und ATMPs (Francas et al., 2022; Wilsdon et al., 2022). Welche Faktoren bei Standortentscheidungen für die Produktion neuer Arzneimittel von besonderer Relevanz sind, hängt also maßgeblich von den Charakteristika des Produkts bzw. des Produktionsschrittes ab. Trotzdem lassen sich wirkstoffklassenübergreifende Entscheidungsfaktoren ermitteln.

339. Für die Wahl des Produktionsstandortes ist ein **zuverlässiger Qualitätsstandard** wichtig. In diesem Kontext ist die Erfüllung der gängigen Qualitätsanforderungen für die Produktion, die von den Behörden der abnehmenden Staaten geprüft werden, essenziell. Über diese Anforderungen hinausgehende Qualitätsverbesserungen sind für das pU in der Regel nicht mit zusätzlichem Profit, sondern vornehmlich mit zusätzlichen Kosten verbunden und sind daher kein Pullfaktor (Rozek, 2011).

340. Da im globalen Wettbewerb viele internationale, auch außerhalb der EU gelegene, Standorte die oben beschriebenen Qualitätsanforderungen zuverlässig erfüllen können, ist der wichtigste Entscheidungsfaktor für die Wahl des Produktionsstandortes **die Höhe der Kosten** (Lewis et al., 2007; Rozek, 2011). Hier spielen einerseits direkte Ausgaben, im Sinne von Betriebs- (z. B. Personal- und Materialkosten) und Investitionskosten, sowie andererseits indirekte Kosten, im Sinne von Steuerabgaben, eine Rolle (Koenig & MacGarvie, 2011; Lewis et al., 2007). Als relevanter Teil der Betriebskosten eines Produktionsstandortes finden Energiekosten zunehmend Beachtung (Hempel, 2021), wobei der Energieverbrauch pro Bruttowertschöpfung in der pharmazeutischen Industrie relativ gering ist (Verpoort et al., 2024). In vielen europäischen Staaten sind sowohl die direkten als auch die indirekten Produktionskosten vergleichsweise hoch. Das macht diese Standorte vor allem als neue Produktionsstandorte relativ unattraktiv. Für besonders komplexe Produktionsprozesse (wie für Biologika, Zelltherapeutika) können bereits bestehende technische Expertise und Infrastruktur hingegen den größeren Ausschlag geben als niedrige Produktionskosten (Francas et al., 2022; Rozek, 2011). So fördert z. B. Frankreich die Produktion biotechnologischer Arzneimittel (siehe untenstehenden Exkurs).

Exkurs: Standortförderung in Frankreich

341. Im Jahr 2021 veröffentlichte Frankreich mit dem **Gesundheitsinnovationsplan** (Plan Innovation santé) ein mit 7,5 Milliarden Euro ausgestattetes **Investitionspaket** für die (industrielle) Gesundheitswirtschaft. Das Paket ist Teil des umfassenden Plans „France 2030" zur Förderung der französischen Wirtschaft. Zur Koordinierung und Umsetzung des Plan Innovation santé wurde beim Generalsekretariat für Investitionen, das direkt dem Premierminister unterstellt ist, die ressortübergreifende Agentur für Innovation im Gesundheitswesen (AIS, Agence de l'innovation en santé) gegründet (SGPI, 2024).

Die AIS verfolgt zwölf Kernziele, die alle Stufen der pharmazeutischen Wertschöpfungskette adressieren (AIS, 2023). Beispielsweise werden 2,1 Milliarden Euro bereitgestellt zur **Unterstützung von Start-ups** im Gesundheitswesen – von Gründung über Wachstum bis hin zur industriellen Skalierung (Compiegne, 2022). Außerdem sollen regulatorische Hürden im Bereich F&E abgebaut werden, um die Translation zu fördern und Frankreich als Standort für klinische Studien attraktiver zu machen (AIS, 2023).

Eine Besonderheit ist der starke Fokus auf **zukunftsgerichtetes Innovationsmonitoring** (Ziele 1–3): Um disruptive Entwicklungen und deren ökonomische, gesundheitliche und gesellschaftliche Auswirkungen im Bereich Arzneimittel und Medizintechnik frühzeitig zu erkennen, sollen Trends und Innovationen auf interministerieller Ebene kontinuierlich überwacht werden. Wenn relevante Technologien/Entwicklungen identifiziert werden, sollen frühzeitig Prognosestudien zum Budget-Impact und erweiterten gesellschaftlichen Nutzen durchgeführt werden. Die so gewonnenen Erkenntnisse sollen die Arzneimittelbewertung durch die Commission de la Transparence (siehe Abschnitt 2.5.1) und die Arbeit politischer Entscheidungsträger*innen unterstützen (AIS, 2023).

Neben projektübergreifenden Maßnahmen werden im Plan Innovation santé vier Sektoren identifiziert, deren direkte Förderung priorisiert werden soll. Dazu gehören aus dem pharmazeutischen Bereich insbesondere die Entwicklung und Produktion biotechnologischer Arzneimittel (inklusive ATMPs). Das Investitionsprogramm unterstützt verschiedene Wertschöpfungsstufen und stellt finanzielle Fördermittel für präklinische Forschung, Translation und Industrialisierung bereit. Hierüber baut Frankreich seinen Wettbewerbsvorteil im Bereich biotechnologischer Arzneimittel aus und steht in den Bereichen Wirkstoffentwicklung und Produktionsstätten im europäischen Vergleich an zweiter bzw. erster Stelle (AIS et al., 2023; Compiegne, 2022).

6.3.4 Digitale Forschungs(daten)infrastruktur als zukünftiger Standortfaktor

342. Durch den Einsatz digitaler, datenbasierter Technologien und innovativer Forschungsmethoden werden vielfache Effizienzgewinne erwartet (Inan et al., 2020; Kasoju et al., 2023; Wilsdon et al., 2022). Entsprechend erlangen sowohl das Ausmaß der Digitalisierung im Gesundheitssystem als auch die damit verbundenen Nutzungsmöglichkeiten großer digitaler Gesundheitsdatenbestände für die Standortwahl der pU zunehmend Bedeutung. Potentiell können digitale und datenbasierte Innovationen in den meisten Schritten der Wertschöpfungskette

eingesetzt werden; ein Phänomen, das unter dem Namen „**Pharma 4.0**“ als entscheidendes Innovationsmomentum gesehen wird (Malheiro et al., 2023).

343. Beispielsweise kann der Einsatz von maschinellem Lernen zur Auswertung von digitalisierten Daten aus Biobanken in der pharmazeutischen (Grundlagen-)Forschung die Identifizierung potentieller Wirkmechanismen bzw. Moleküle erleichtern und das Risiko großer Verluste durch Fehlinvestitionen reduzieren (Akyüz et al., 2024). Auch in der Durchführung klinischer Studien sind durch digitale Innovationen deutliche **Effizienzgewinne** zu erwarten. Pilotprojekte umfassen z. B. ein digitales Einwilligungsmanagement oder den Einsatz von Large Language Modellen zur patientenorientierten Aufbereitung von Einschluss- und Ausschlusskriterien für eine reibungslosere Rekrutierung (Inan et al., 2020). Perspektivisch kann mittels Telemedizin und Wearables auch die Verlagerung klinischer Studien in ein dezentrales, wohnortnahes Setting erfolgen (Hirsch et al., 2017). Konzepte für diese sogenannten dezentralen klinischen Studien (DCTs, *Decentralised Clinical Trials*; im US-amerikanischen Kontext auch *Digital Trials*) werden in Dänemark bereits erarbeitet (Trial Nation, 2025a). Synthetische Kontrollarme oder komplett synthetische klinische Studien (auch *Target Trial Emulations* (TTE); siehe Kapitel 4) bergen aus Sicht der pU das Potential weiterer Effizienzgewinne (Peachey et al., 2021).

344. Die Grundlage für die Entwicklung und Anwendung dieser digitalen Innovationen in der Praxis ist die Verfügbarkeit digitaler, standardisierter versorgungsnaher Daten (z. B. aus Gesundheitsregistern oder der elektronischen Patientenakte) in ausreichender Menge und gesicherter Qualität. Um diese Daten zu generieren, zu speichern und für die forschende Industrie nutzbar zu machen, bedarf es einer integrierten und koordinierten digitalen Forschungs(daten)infrastruktur (siehe Kapitel 4). Ein ausreichender **Reifegrad der Digitalisierung des Gesundheitssystems bildet die Grundlage** für den sicheren und effizienten Einsatz der hier skizzierten Technologien – ein Punkt, in dem Deutschland noch immer hinter vergleichbaren EU-Staaten zurückfällt (Europäische Kommission, 2022). Hingegen bilden diese Elemente weiterhin den Kern der dänischen Strategie zur Förderung des Pharmastandorts (siehe untenstehender Exkurs).

Exkurs: Standortförderung in Dänemark

345. Bereits seit dem Jahr 2018 entwickelt das dänische Ministerium für Industrie, Wirtschaft und Finanzen in regelmäßigen Abständen Strategiepapiere zur Förderung des Life-Science Sektors, mit besonderem Augenmerk auf die pharmazeutische Industrie. Die strategischen Ziele und Maßnahmen werden in engem Austausch mit Vertreter*innen der pharmazeutischen Industrie entwickelt. Im Jahr 2021 wurde für die Formalisierung dieses Austauschs ein Expert*innengremium (Danish National Life Science Council) eingerichtet (EM, 2021). Eine grundlegende Neuerung der aktuellen Strategie ist das Vorhaben, sechs strategische Vergleichswerte (Benchmarks) inklusive Indikatoren festzulegen, die eine kontinuierliche Nachverfolgung des Fortschritts ermöglichen (EM, 2024).

Aufgrund seiner hoch qualitativen, digitalen Gesundheits(daten)infrastruktur gilt **Dänemark bereits seit einigen Jahren als „Traum“ für epidemiologische Forschung** (Danish Health Data

Authority, 2025); siehe auch Kapitel 4)., Dem Beispiel Großbritanniens folgend (NIHR, 2024a)[128] baut Dänemark diesen Wettbewerbsvorteil im Bereich F&E weiter aus: Im Jahr 2018 wurde Trial Nations gegründet, ein anteilig aus öffentlichen und privaten Geldern finanziertes Dienstleistungsunternehmen, das als **zentrale Anlaufstelle für die Planung, Organisation und Durchführung klinischer Studien** fungiert (Trial Nation, 2025b). Das Angebot umfasst die Bearbeitung von Machbarkeitsanfragen (innerhalb von fünf Tagen), Koordination des Antragswesens, Vernetzung mit nationalen Forschungsstandorten und Unterstützung bei der Rekrutierung von Patient*innen (Medtech4 Europe, 2020). In diesem Kontext wird auch die Förderung der Innovationsoffenheit des nationalen Arzneimittelmarktes thematisiert: Wenn die national verfügbare Vergleichstherapie dem internationalen Versorgungsstandard entspricht, könnte das die Durchführbarkeit vergleichender RCTs erleichtern. Aktuell ist Dänemark mit den meisten klinischen Studien pro Einwohner in Europa ein führender Forschungsstandort. Deutschland liegt bei diesem hingegen auf dem letzten Platz und selbst bei der absoluten Anzahl klinischer Studien nur noch im Mittelfeld (Phillip et al., 2023).

Ein ähnliches Konzept sieht die aktuelle Life-Science-Strategie zur Förderung der Arzneimittelproduktion vor. Durch ein zentralisiertes und beschleunigtes Genehmigungsverfahren soll ein „roter Teppich“ etabliert werden für Investitionen, die auf den Bau eines neuen Produktionsstandorts abzielen (EM, 2024). Ergänzend dazu soll ein verbesserter Zugang zu Risikokapital, Steuererleichterungen und Investitionen in den „Innovation District Copenhagen“ das Wachstum kleiner und mittlerer Unternehmen fördern (EM, 2024).

6.3.5 Quantitative Betrachtungen: Auswirkung von Preisregulierung auf standortbezogene F&E Investitionen

346. Wie in Abschnitt 6.1 beschrieben, wird oftmals ein Zusammenhang zwischen der nationalen Preisgestaltung und der Attraktivität des Standorts für Investitionen aus dem Arzneimittelsektor postuliert. Die Validität dieser Verknüpfung gilt es empirisch zu prüfen: Mehrere Studien haben den Zusammenhang zwischen Arzneimittelpreisregulierung und der Höhe von F&E-Investitionen der pharmazeutischen Industrie standortübergreifend untersucht (Eger & Mahlich, 2014; Golec & Vernon, 2010; Vernon, 2003, 2005). Diese Studien zeigten zwar eine negative Korrelation zwischen der Exposition gegenüber Preisregulierungen (und somit geringeren Preisniveaus)[129] und F&E-Investitionen, aber F&E-Investitionen wurden standortübergreifend auf globaler Ebene erfasst und erlauben daher keine klaren Schlussfolgerungen zu standortbezogenen Investitionsentscheidungen. Der Effekt ist zudem nicht immer linear (Eger & Mahlich, 2014).[130] Eine Analyse aktuellerer Daten (Jahre 2000 bis 2017) zeigte, dass Preisregulierung und F&E-Investitionsvolumen (*ceteris paribus*) nicht signifikant korrelieren, sondern F&E-Investitionen

[128] Das National Institute for Health and Care Research (NIHR) bietet umfassende Unterstützung für kommerzielle Forschungsvorhaben (u. a. Zugang zu und Beratung durch Expert*innen, Hilfe bei Standortwahl und Rekrutierung von Patient*innen, Zugriff zu Biobanken und Datensätzen; NIHR, 2024a). Große Erfolge wurden z. B. über das Clinical Research Network im Bereich Rekrutierung erzielt (251 471 Teilnehmer*innen für kommerzielle Studien im Jahr 2023/24; NIHR, 2024b). Das Clinical Research Network wird nun, unter Berücksichtigung aktueller Empfehlungen (O’Shaughnessy, 2023), als Research Delivery Network fortgesetzt (NIHR, 2024b).

[129] Die Regulierungsexposition wird in der Mehrzahl der Studien durch die Umsatzanteile der pU im US-Markt (unreguliert) und im Nicht-US-Markt oder EU-Markt (reguliert) operationalisiert.

[130] Beispielsweise trat ein Effekt in dieser Studie erst ab einem EU-Marktanteil (Regulierungsexposition) von 30 % auf.

vor allem von unternehmensspezifischen Faktoren abhängen (Shaikh et al., 2021). Zudem legen die hier aufgeführten Studien einen zeitlichen Zusammenhang zwischen Preisregulierung und F&E-Investitionen von ein bis zwei Jahren zugrunde, was der tatsächlichen Zeitachse pharmazeutischer F&E-Entscheidungen nicht entsprechen dürfte. Es ist davon auszugehen, dass pU über deutlich längere Zeithorizonten hinweg planen. Auch Barbosu et al. (2024) kommen zu dem Schluss, dass die derzeit genutzten statistischen Modelle der Komplexität von Investitionsentscheidungen häufig nicht gerecht werden.

347. Im Rahmen der Gutachtenerstellung konnte mit Koenig & MacGarvie (2011) lediglich eine quantitative Studie identifiziert werden, die den **Zusammenhang von Arzneimittelpreisregulierung und Standortwahl forschender pU** untersucht. Die Autorinnen nutzen retrospektive Daten zu Investitionsentscheidungen innerhalb der EU und konzeptualisieren fehlende oder laxe nationale Preisregulierung als indirekte Subventionen für die pharmazeutische Industrie. Die Analyse zeigte eine negative Korrelation zwischen strengerer Preisregulierung und Investitionen[131] in den Bereichen Administration und Marketing, sowohl im EU-weiten Vergleich als auch nach einer Verschärfung der Preisregulierung innerhalb eines Staates. Dieser Zusammenhang liegt insofern nahe, als Investitionen in diesen Bereichen direkt der Absatzsteuerung dienen, also besonders an der Attraktivität des Absatzmarktes ausgerichtet sind. Für Investitionen in Produktions- und F&E-Standorte in westeuropäischen Staaten fanden die Autoren keine signifikante Korrelation mit Preisregulierungen. Eine wichtige Limitation dieser Studie ist, dass die untersuchten Preisregulierungen zu einem großen Teil den Generikamarkt betreffen und ausschließlich Investitionen in neue Standorte untersucht wurden. Dies schränkt die Relevanz der Ergebnisse für die hier getätigten Betrachtungen ein, insbesondere für Staaten wie Deutschland, in denen bereits viele multinationale pU mit einem oder mehreren Standorten vertreten sind.

6.3.6 Bedeutung der Steuerung von Arzneimittelpreisen für die Standortwahl

348. Aus den bisherigen Ausführungen wird ersichtlich, dass eine Vielzahl von Faktoren für die Standortwahl von pharmazeutischen Unternehmen relevant sind. Im globalen Wettbewerb sind politische Stabilität, eine hohe Qualität und Dichte von Fachkräften und von Forschungseinrichtungen, regulatorische Rahmenbedingungen für eine rasche Studiendurchführung, eine nutzerfreundliche Forschungs(daten)infrastruktur und die Verfügbarkeit von Risikokapital wichtige Faktoren. Qualitative Analysen der Standortwahl forschender pU konnten keine Mechanismen identifizieren, die darauf hindeuten, dass der nationale Absatzmarkt (und damit indirekt das Ausmaß gesetzlicher Preisregulierung) bei Investitionsentscheidungen von übergeordneter Bedeutung ist (Lewis et al., 2007). Auch in einer Studie aus dem Jahr 2011 gab die Mehrheit befragter Entscheidungsträger*innen in multinationalen pU an, dass die Preispolitik keine oder nur eine untergeordnete Relevanz für Standortentscheidungen habe und lediglich in Betracht gezogen würde, wenn die Alternativen hinsichtlich aller anderen Kriterien gleichwertig erschienen (Rozek, 2011).

349. Eine Ausnahme bildet die Standortwahl zur Durchführung klinischer Studien: Hier kann die Stärke des Absatzmarktes, neben Effizienzkriterien, ein relevanter Faktor sein. Die Rekrutierung von

[131] Genauer untersucht die Studie als abhängige Variable *foreign direct investments* also Investitionen von ausländischen Firmen in nationale Standorte.

KOLs in besonders profitablen Märkten wird in diesem Zusammenhang vielfach als eine Maßnahme angeführt, die eine schnelle Marktdurchdringung erleichtern soll (Gehring et al., 2013; Rozek, 2011). Entsprechend ist die Attraktivität des Absatzmarktes und speziell die möglichst uneingeschränkte Einsetzbarkeit innovativer Arzneimittel durch die behandelnde Ärzteschaft in diesem Zusammenhang durchaus relevant.

350. Insgesamt dürfte die **Attraktivität des nationalen Absatzmarktes für die Wahl von F&E-Standorten keine übergeordnete Rolle spielen**, da der Arzneimittelmarkt global und in der Regel durch niedrige Transportkosten gekennzeichnet ist. Falls mehrere potentielle Standorte die wichtigsten Entscheidungskriterien gleichermaßen erfüllen, könnten auch Unterschiede in der nationalen Preisregulierung zum Tragen kommen. In Anbetracht der Vielzahl an Faktoren, die von Entscheidungsträger*innen in pU als deutlich gewichtiger für die Standortwahl angesehen werden, ist die Effektstärke einer indirekten Subvention der pharmazeutischen Industrie durch eine großzügige Preisregulierung aus Sicht des Rats jedoch als gering einzustufen.

6.4 Zusammenfassung und Empfehlungen für eine nachhaltige Förderung des Pharmastandorts Deutschland

351. Die pharmazeutische Industrie ist eine wichtige Branche für die deutsche Wirtschaft und Gesellschaft. Durch sichere Arbeitsplätze und Investitionen trägt sie zum Erhalt und zur Generierung von Wohlstand bei. Die Förderung des Pharmastandorts Deutschland ist aus Sicht des Rats ein wirtschafts- wie gesellschaftspolitisches Ziel.

352. Nach allen dem Rat vorliegenden Erkenntnissen ist das wichtigste Kriterium für standortbezogene Investitionsentscheidungen in der pharmazeutischen Forschung und Entwicklung (dem entscheidenden Wertschöpfungsschritt der Branche) die Güte des Forschungsstandortes (Lewis et al., 2007; Rozek, 2011; Thursby & Thursby, 2006). Die Kombination aus einem ausreichend großen Pool an **hoch qualifizierten Fachkräften und exzellenter, öffentlich geförderter Grundlagenforschung** (Forschungsteams und Einrichtungen) sind entscheidenden Zielgrößen für die Standortförderung. Beide Aspekte sind in Deutschland bereits in hohem Maße vorhanden und begründen die seit vielen Jahrzehnten evidente Attraktivität des Pharmastandorts Deutschland (Phillip et al., 2023).

353. Ebenfalls von großer Bedeutung sind Effizienz und Schnelligkeit, insbesondere bei der Durchführung klinischer Studien (Dombernowsky et al., 2017; Gehring et al., 2013). Hier kommen die Ausgestaltung administrativer Abläufe sowie die Nutzungsmöglichkeiten nationaler digitaler Gesundheitsinfrastruktur zum Tragen. Eine zu stark ausufernde Bürokratisierung und ein weiterhin unvollständig digitalisiertes, wenig vernetztes Gesundheitssystem führen in Deutschland jedoch zu deutlichen **Verzögerungen und Wettbewerbsnachteilen** im internationalen Vergleich (Laschet, 2022; Phillip et al., 2023). Entsprechend liegt die Anzahl der in Deutschland laufenden oder initiierten klinischen Studien laut einer vom Verband Forschender Arzneimittelhersteller (vfa) in Auftrag gegebenen Studie deutlich unter der anderer europäischer Staaten (Phillip et al., 2023).

354. Durch gezielte staatliche Investitionen in digitale Forschungsinfrastruktur und einen entschlossenen Bürokratieabbau sind **verschiedene europäische Staaten zu attraktiven Investitionsstandorten geworden** (Phillip et al., 2023). Mit dem Ziel, ein Standort für innovative Studienmodelle (z. B. DCTs und registerbasierte RCTs) zu werden, baute Dänemark seine

weitreichende, digitale Forschungs(daten)infrastruktur (siehe Exkurs in Kapitel 4, Textziffer 224) weiter aus, um die Rekrutierung für klinische Studien z. B. durch eine digitale Plattform zu erleichtern (Trial Nation, 2025a; siehe Exkurs in Textziffer 345). Auch Frankreich hat ein umfangreiches Konzept zur Förderung der pharmazeutischen Industrie auf den Weg gebracht (siehe Exkurs in Textziffer 341). In einer im Jahr 2023 im Auftrag des vfa erstellten Übersicht erfolgreicher Standortförderungsmaßnahmen über sechs Staaten hinweg finden absatzmarktorientierte Interventionen (mit einer Ausnahme) keine Erwähnung (Phillip et al., 2023). Vielmehr stehen durchweg Maßnahmen zur Verbesserung der Rahmenbedingungen klinischer Forschung und Stärkung der Forschungs(daten)infrastruktur im Vordergrund.

355. Auf Basis der vorangegangenen Analyse empfiehlt der Rat nachdrücklich und erneut (siehe SVR, 2021), den **Ausbau einer vernetzten, digitalen Forschungs(daten)infrastruktur auch im Rahmen der Standortförderung zu priorisieren**. Dieses Vorhaben ist in der Pharmastrategie der Bundesregierung bereits angelegt (Die Bundesregierung, 2023). Im Rahmen dessen sollte der Etablierung koordinierter Gesundheitsregister (siehe Kapitel 4) besondere Beachtung geschenkt werden. Eine vernetzte Registerstruktur könnte die Durchführung klinischer Studien deutlich beschleunigen (z. B. durch schnellere Rekrutierung) und perspektivisch eine Grundlage für innovative Studiendesigns wie TTEs und Plattformstudien bieten. Darüber hinaus ermöglicht eine solche Struktur eine langfristige Evidenzgenerierung unabhängig von pU und birgt somit einen großen Nutzen für die Solidargemeinschaft. Insbesondere mit Blick auf die zunehmende Bedeutung maschinellen Lernens in der pharmazeutischen Grundlagenforschung sollte über den Zugang der pU zu Gesundheitsdaten diskutiert werden. Durch das Gesundheitsdatennutzungsgesetz und das MFG wurde dieser Prozess bereits angestoßen und z. B. auch privaten Unternehmen unter bestimmten Voraussetzungen der Zugang zu Daten des Forschungsdatenzentrums Gesundheit eingeräumt.

356. Ein durch hohe Arzneimittelpreise gekennzeichneter Absatzmarkt für innovative Arzneimittel, wie er in Deutschland besteht, erscheint für die Standortwahl forschender Pharmaunternehmen trotz dieser preislichen Attraktivität sekundär. Es gibt keine empirische Evidenz, die eine direkte oder indirekte Verknüpfung von Preisregulierung und Standortfaktoren als wirkungsvolle Maßnahme zur Förderung der deutschen Pharmaindustrie nahelegt. Durch Verzerrung des Preissignals kann eine solche Verknüpfung jedoch langfristig zu einer Steigerung des Preisniveaus führen, losgelöst von einem zusätzlichen Nutzen für die Versicherten. Der Rat spricht sich daher für die **Rücknahme der im MFG verabschiedeten standortbezogenen Ausnahmeregelungen der Leitplanken** aus. Er empfiehlt, Fördermaßnahmen des Pharmastandorts ausschließlich aus Steuermitteln zu finanzieren und sie nicht zum Gegenstand der komplexen Umverteilungsmechanismen der GKV und PKV zu machen.

357. Stattdessen empfiehlt der Rat, bestehende **Wettbewerbsvorteile zu identifizieren und konsequent auf diesen aufzubauen**. Es sollte in Erwägung gezogen werden, Fördermittel für Ausbaumaßnahmen geografisch zu bündeln und so Agglomerationseffekte zu erzielen. Für besonders vielversprechend hält der Rat die Etablierung einer zentralen Anlaufstelle für die reibungslose Initiierung klinischer Studien. In Anbetracht der stark voranschreitenden Initiativen in Dänemark und UK droht Deutschland als Standort für klinische Studien weiter an Attraktivität zu verlieren, was die ohnehin sinkende (jedoch noch im europäischen Mittelfeld liegende) Zahl klinischer Studien weiter verringern dürfte. Darüber hinaus wäre ein Innovationsmonitoring in Kombination mit verbesserten Rahmenbedingungen für Risikokapitalgeber ein vielversprechender Ansatzpunkt, um die Translation von Grundlagenforschung weiter auszubauen.

6.5 Literatur

Agha, L., Molitor, D., 2018. The Local Influence of Pioneer Investigators on Technology Adoption: Evidence from New Cancer Drugs. The Review of Economics and Statistics 100, 1, S. 29–44. https://doi.org/10.1162/REST_a_00670

AIS, (Agence de l'innovation en santé), 2023. Roadmap for the Health Innovation Agency, Gouvernment Francaise, Paris. https://www.info.gouv.fr/upload/media/content/0001/10/440a92a17aa78c3b5585acaf780189a16fb394d2.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

AIS, (Agence de l'innovation en santé), France biotech, France biolead, 2023. Biomédicaments et bioproduction, Gouvernment Francaise, Paris. https://www.info.gouv.fr/upload/media/content/0001/08/8d48956285047d0a1b5305733c17f6bab0501578.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

Akyüz, K., Cano Abadía, M., Goisauf, M., Mayrhofer, M. T., 2024. Unlocking the potential of big data and AI in medicine: insights from biobanking. Front. Med. 11. https://doi.org/10.3389/fmed.2024.1336588

ALshubiri, F., Ani, M. K. A., 2024. Do intellectual property rights promote foreign direct investment inflows and technological exports in developing and developed countries? Foresight 26, 2, S. 272–299. https://doi.org/10.1108/FS-05-2023-0096

Bailey, N., 2018. Exploring the relationship between institutional factors and FDI attractiveness: A meta-analytic review. International Business Review 27, 1, S. 139–148. https://doi.org/10.1016/j.ibusrev.2017.05.012

Barbosu, S., Axelsen, K., Ezell, S., 2024. Evidence to inform biopharmaceutical policy: call for research on the impact of public policies on investment in drug development. Health Affairs Scholar 2, 12, S. qxae129. https://doi.org/10.1093/haschl/qxae129

Bertoni, F., Tykvová, T., 2015. Does governmental venture capital spur invention and innovation? Evidence from young European biotech companies. Research Policy 44, 4, S. 925–935. https://doi.org/10.1016/j.respol.2015.02.002

BMWK, (Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz), 2024a. Faktenblatt Humanarzneimittel, Gesundheitswirtschaft – Daten und Trends zur Gesundheitswirtschaft in Deutschland, 2023. https://www.bmwk.de/Redaktion/DE/Downloads/F/Faktenblaetter/faktenblatt-pharma.pdf?__blob=publicationFile&v=6 (abgerufen am 10.3.2025).

BMWK, (Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz), 2024b. Gesundheitswirtschaftliche Gesamtrechnung (GGR), Humanarzneimittel, F&E Humanarzneimittel, 2014-2023, Berechnungen: WifOR. https://ggrdashboard.bmwk.de/shiny/ (abgerufen am 30.1.2025).

BMWK, (Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz), WifOR, 2023. Daten und Trends zur Gesundheitswirtschaft in Deutschland. https://ggrdashboard.bmwk.de/shiny/ (abgerufen am 16.12.2024).

Bregtje, K., Anna-Maria, F., Jennifer, G., Olina, E., Hana, S., Kanavos, P., 2021. Access to medicines in Europe: delays and challenges for patient access, LSE Consulting. https://doi.org/10.21953/0ZAZ-K994

Buderi, R., 2022. 1 The most innovative square mile kilometer on earth, in: Where Futures Converge: Kendall Square and the Making of a Global Innovation Hub. Presented at the The Where Futures Converge: Kendall Square and the Making of a Global Innovation Hub, MIT Press, S. 1–7.

camLIFE, 2024. Cambridge, UK: The Best City for Life Science Companies. https://camlife.co.uk/cambridge-uk-best-city-life-science-companies/ (abgerufen am 10.3.2025).

Compiegne, J., 2022. Health Innovation Plan 2030: €7.5 billion to return France to its position as leader in healthcare in Europe. French Healthcare. https://frenchhealthcare.com/health-innovation-plan-2030-e7-5-billion-to-return-france-to-its-position-as-leader-in-healthcare-in-europe/ (abgerufen am 10.3.2025).

CRA, (Charles River Associates), 2015. Access to finance and barriers to growth in the innovative biopharmaceuticals sector, European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations, Brüssel. https://www.efpia.eu/media/24995/access-to-finance-and-barriers-to-growth-in-the-innovative-biopharmaceuticals-sector-may-2015.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

Danish Health Data Authority, 2025. Slides about Danish health data. https://english.sundhedsdatastyrelsen.dk/health-data-and-registers/health-data-denmark/slides-about-danish-health-data (abgerufen am 25.3.2025).

Destatis, (Statistisches Bundesamt), 2025a. Unternehmen, Beschäftigte, Umsatz und Investitionen im Verarbeitenden Gewerbe und Bergbau: Deutschland, Jahre, Wirtschaftszweige (2-/3-/4-Steller), 2008–2023. https://www-genesis.destatis.de/datenbank/online/table/42231-0001/search/s/NDIyMzEtMDAwMQ== (abgerufen am 10.3.2025).

Destatis, (Statistisches Bundesamt), 2025b. Erwerbstätige im Inland nach Wirtschaftsbereichen. https://www.destatis.de/DE/Themen/Wirtschaft/Konjunkturindikatoren/Volkswirtschaftliche-Gesamtrechnungen/vgr010.html (abgerufen am 21.2.2025).

Die Bundesregierung, 2023. Verbesserung der Rahmenbedingungen für den Pharmabereich in Deutschland. Handlungskonzepte für den Forschungs- und Produktionsstandort (Strategiepapier), Berlin.

Dombernowsky, T., Haedersdal, M., Lassen, U., Thomsen, S. F., 2019. Criteria for site selection in industry-sponsored clinical trials: a survey among decision-makers in biopharmaceutical companies and clinical research organizations. Trials 20, 1, S. 708. https://doi.org/10.1186/s13063-019-3790-9

Dombernowsky, T., Haedersdal, M., Lassen, U., Thomsen, S. F., 2017. Clinical trial allocation in multinational pharmaceutical companies – a qualitative study on influential factors. Pharmacology Research & Perspectives 5, 3, S. e00317. https://doi.org/10.1002/prp2.317

EFPIA, (European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations), 2025. Intellectual Property. About Medicines. https://www.efpia.eu/about-medicines/development-of-medicines/intellectual-property/ (abgerufen am 7.3.2025).

Eger, S., Mahlich, J. C., 2014. Pharmaceutical regulation in Europe and its impact on corporate R&D. Health Economics Review 4, 1, S. 23. https://doi.org/10.1186/s13561-014-0023-5

EM, (Erhvervsministeriet), 2024. Strategi for life science frem mod 2030, Ministry of Industry, Business and Financial Affairs, Kopenhagen. https://www.em.dk/Media/638660486816578445/Strategi%20for%20life%20science_2024.10.31_WEB.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

EM, (Erhvervsministeriet), 2021. Agreement on a strategy for life science 2021, Ministry of Industry, Business and Financial Affairs, Kopenhagen. https://healthcaredenmark.dk/media/mvogpodg/agreement-on-a-strategy-for-life-science.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

Europäische Kommission, 2022. Digital Economy and Society Index 2022 composite index. Shaping Europe's digital future. https://digital-decade-desi.digital-strategy.ec.europa.eu/datasets/desi-2022/charts/desi-composite?indicator=desi_sliders&breakdownGroup=desi&period=2022&unit=pc_desi_sliders (abgerufen am 10.3.2025).

Francas, D., Fritsch, M., Kirchhoff, J., 2022. Resilienz pharmazeutischer Lieferketten. Studie für den Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa), Institut der deutschen Wirtschaft, Köln. https://www.iwkoeln.de/studien/manuel-fritsch-jasmina-kirchhoff-resilienz-pharmazeutischer-lieferketten.html (abgerufen am 7.3.2025).

Furman, J. L., Kyle, M. K., Cockburn, I. M., Henderson, R., 2006. Public & Private Spillovers, Location and the Productivity of Pharmaceutical Research. (Working Paper Nr. 12509), National Bureau of Economic Research, Cambridge, MA. https://doi.org/10.3386/w12509

Galkina Cleary, E., Beierlein, J. M., Khanuja, N. S., McNamee, L. M., Ledley, F. D., 2018. Contribution of NIH funding to new drug approvals 2010–2016. Proc Natl Acad Sci U S A 115, 10, S. 2329–2334. https://doi.org/10.1073/pnas.1715368115

Gehring, M., Taylor, R. S., Mellody, M., Casteels, B., Piazzi, A., Gensini, G., Ambrosio, G., 2013. Factors influencing clinical trial site selection in Europe: the Survey of Attitudes towards Trial sites in Europe (the SAT-EU Study). BMJ Open 3, 11, S. e002957. https://doi.org/10.1136/bmjopen-2013-002957

Golec, J., Vernon, J. A., 2010. Financial Effects of Pharmaceutical Price Regulation on R&D Spending by EU versus US Firms. Pharmacoeconomics 28, 8, S. 615–628. https://doi.org/10.2165/11535580-000000000-00000

Hempel, M., 2021. Strategie für die industrielle Gesundheitswirtschaft. Anker in Krisenzeiten und Wachstumstreiber der Zukunft, Bundesverband der deutschen Industrie. https://bdi.eu/media/user_upload/BDI-Strategie_fuer_die_industrielle_Gesundheitswirtschaft.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

Hirsch, I. B., Martinez, J., Dorsey, E. R., Finken, G., Fleming, A., Gropp, C., Home, P., Kaufer, D. I., Papapetropoulos, S., 2017. Incorporating Site-less Clinical Trials Into Drug Development: A Framework for Action. Clinical Therapeutics 39, 5, S. 1064–1076. https://doi.org/10.1016/j.clinthera.2017.03.018

Inan, O. T., Tenaerts, P., Prindiville, S. A., Reynolds, H. R., Dizon, D. S., Cooper-Arnold, K., Turakhia, M., Pletcher, M. J., Preston, K. L., Krumholz, H. M., Marlin, B. M., Mandl, K. D., Klasnja, P., Spring, B., Iturriaga, E., Campo, R., Desvigne-Nickens, P., Rosenberg, Y., Steinhubl, S. R., Califf, R. M., 2020. Digitizing clinical trials. npj Digit. Med. 3, 1, S. 1–7. https://doi.org/10.1038/s41746-020-0302-y

IW, (Institut der deutschen Wirtschaft), vfa, (Verband Forschender Arzneimittelhersteller), 2023. Daten und Fakten der deutschen Pharmaindustrie, Köln. https://www.iwkoeln.de/fileadmin/user_upload/Studien/Gutachten/Pharma_Standort_D/2023/Musterpr%C3%A4sentation_Deutschland_2023.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

Kagermann, H., Süssenguth, F., Körner, J., Liepold, A., Behrens, J. H., 2021. Resilienz der Gesundheitsindustrien: Qualität und Versorgungssicherheit in komplexen Wertschöpfungsnetzwerken, acatech – Deutsche Akademie der Technikwissenschaften, München. https://www.acatech.de/publikation/resilienz-der-gesundheitsindustrien/ (abgerufen am 10.3.2025).

Karpa, W., Grginović, A., 2020. Long-term perspective on venture capital investments in early stage life-science projects related to health care. Economic Research-Ekonomska Istraživanja 33, 1, S. 2526–2540. https://doi.org/10.1080/1331677X.2019.1629326

Kasoju, N., Remya, N. S., Sasi, R., Sujesh, S., Soman, B., Kesavadas, C., Muraleedharan, C. V., Varma, P. R. H., Behari, S., 2023. Digital health: trends, opportunities and challenges in medical devices, pharma and bio-technology. CSIT 11, 1, S. 11–30. https://doi.org/10.1007/s40012-023-00380-3

Koenig, P., MacGarvie, M., 2011. Regulatory policy and the location of bio-pharmaceutical foreign direct investment in Europe. Journal of Health Economics 30, 5, S. 950–965. https://doi.org/10.1016/j.jhealeco.2011.07.005

Lane, C., Probert, J., 2005. Reconfiguring the Discovery Function in the Pharmaceutical Industry: organisational forms and locational decisions among US firms. Presented at the Organisational Configurations and Locational Choice of Firms: Responses to Globalisation in Different Industry and Institutional Environments, Cambridge, UK.

Laschet, H., 2022. Was klinische Studien in Deutschland bremst. AerzteZeitung.de. https://www.aerztezeitung.de/Kooperationen/Was-klinische-Studien-in-Deutschland-bremst-428202.html (abgerufen am 10.3.2025).

Lewis, D., Bramley-Harker, E., Farahnik, J., 2007. Economic Drivers of Pharmaceutical Investment Location. World Economics 8, 3, S. 171–182.

Malheiro, V., Duarte, J., Veiga, F., Mascarenhas-Melo, F., 2023. Exploiting Pharma 4.0 Technologies in the Non-Biological Complex Drugs Manufacturing: Innovations and Implications. Pharmaceutics 15, 11, S. 2545. https://doi.org/10.3390/pharmaceutics15112545

Medtech4 Europe, 2020. Trial Nation – one point entry to clinical trials in Denmark. https://www.interregeurope.eu/good-practices/trial-nation-one-point-entry-to-clinical-trials-in-denmark (abgerufen am 10.3.2025).

Mühlbauer, B., Ludwig, W.-D., 2023. Arzneiverordnungen 2022 im Überblick, in: Ludwig, W.-D., Mühlbauer, B., Seifert, R. (Hrsg.), Arzneiverordnungs-Report 2023. Springer Berlin Heidelberg, S. 3–28. https://doi.org/10.1007/978-3-662-68371-2_1

MundiCare, 2020. Woher kommen unsere Wirkstoffe? Eine Weltkarte der API Produktionen, Pro Generika, Berlin. https://www.progenerika.de/app/uploads/2020/10/Wirkstoffstudie_Langfassung_DE.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

NIHR, (National Institute for Health and Care Research), 2024a. Our support offer for the life sciences industry. https://www.nihr.ac.uk/support-and-services/industry (abgerufen am 10.3.2025).

NIHR, (National Institute for Health and Care Research), 2024b. Annual statistics. https://www.nihr.ac.uk/about-us/who-we-are/reports-and-performance/annual-statistics (abgerufen am 10.3.2025).

O'Shaughnessy, J., 2023. Commercial clinical trials in the UK: the Lord O'Shaughnessy review – final report, National Archives UK, London. https://www.gov.uk/government/publications/commercial-clinical-trials-in-the-uk-the-lord-oshaughnessy-review/commercial-clinical-trials-in-the-uk-the-lord-oshaughnessy-review-final-report (abgerufen am 10.3.2025).

Peachey, J., Li, G., Chew, P., Manak, D., Bogdan, B., Jaiswal, S., Dietschy-Kuenzle, S., 2021. Faster and cheaper clinical trials: The benefit of synthetic data, Accenture & Phesi. https://www.accenture.com/content/dam/accenture/final/a-com-migration/r3-3/pdf/pdf-148/accenture-insilico-faster-and-cheaper.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

Phillip, M., Kürzdörfer, P., Müller, S., 2023. Pharma-Innovationsstandort Deutschland. Wie Spitzenforschung ermöglicht, neue Therapie optionen gesichert und Deutschlands internationale Wettbewerbsposition gestärkt werden können., Verband Forschender Arzneimittelhersteller & Kearney. https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/forschungsstandort-deutschland/vfa-kearney-der-pharma-innovationsstandort-deutschland-braucht-trendumkehr (abgerufen am 7.3.2025).

Røttingen, J.-A., Regmi, S., Eide, M., Young, A. J., Viergever, R. F., Årdal, C., Guzman, J., Edwards, D., Matlin, S. A., Terry, R. F., 2013. Mapping of available health research and development data: what's there, what's missing, and what role is there for a global observatory? The Lancet 382, 9900, S. 1286–1307. https://doi.org/10.1016/S0140-6736(13)61046-6

Rozek, R. P., 2011. Risk and Regulatory Factors Affecting Location Decisions by Research-Based Pharmaceutical Companies. European Journal of Risk Regulation 2, 1, S. 92–103. https://doi.org/10.1017/S1867299X00000660

Schultz, M., McDole, J., 2020. Essential Medicines and Patents. Recent Trends in the Latest Editions of the World Health Organization Essential Medicines List, geneva network, Genf. https://geneva-network.com/research/essential-medicines-and-patents-recent-trends-in-the-latest-editions-of-the-world-health-organization-essential-medicines-list/ (abgerufen am 10.3.2025).

SGPI, (Secrétariat général pour l'investissement), 2024. Présentation de l'agence. info.gouv.fr. https://www.info.gouv.fr/organisation/secretariat-general-pour-l-investissement-sgpi/agence-innovation-sante-presentation (abgerufen am 10.3.2025).

Shah, M., Krull, A., Odonnell, L., de Lima, M. J., Bezerra, E., 2023. Promises and challenges of a decentralized CAR T-cell manufacturing model. Front. Transplant. 2. https://doi.org/10.3389/frtra.2023.1238535

Shaikh, M., Del Giudice, P., Kourouklis, D., 2021. Revisiting the Relationship Between Price Regulation and Pharmaceutical R&D Investment. Appl Health Econ Health Policy 19, 2, S. 217–229. https://doi.org/10.1007/s40258-020-00601-9

Siedschlag, I., Smith, D., Turcu, C., Zhang, X., 2013. What determines the location choice of R&D activities by multinational firms? Research Policy 42, 8, S. 1420–1430. https://doi.org/10.1016/j.respol.2013.06.003

Smith, Z. P., DiMasi, J. A., Getz, K. A., 2024. New Estimates on the Cost of a Delay Day in Drug Development. Ther Innov Regul Sci 58, 5, S. 855–862. https://doi.org/10.1007/s43441-024-00667-w

STOPAIDS & Global Justice, 2017. Pills and Profits: How drug companies make a killing out of public research, London. https://stopaids.org.uk/resources/pills-and-profits-how-drug-companies-make-a-killing-out-public-research/ (abgerufen am 10.3.2025).

SVR, (Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen), 2024. Fachkräfte im Gesundheitswesen. Nachhaltiger Einsatz einer knappen Ressource. Gutachten 2024, 2. Auflage. Bonn/Berlin.

SVR, (Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen), 2023. Resilienz im Gesundheitswesen. Wege zur Bewältigung künftiger Krisen. Gutachten 2023. Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft, Berlin.

SVR, (Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen), 2021. Digitalisierung für Gesundheit: Ziele und Rahmenbedingungen eines dynamisch lernenden Gesundheitssystems. Gutachten 2021. Hogrefe Verlag, Bern.

Testoni, F. E., Carrillo, M. G., Gagnon, M.-A., Rikap, C., Blaustein, M., 2021. Whose shoulders is health research standing on? Determining the key actors and contents of the prevailing biomedical research agenda. PLOS ONE 16, 4, S. e0249661. https://doi.org/10.1371/journal.pone.0249661

Thursby, J. G., Thursby, M. C., 2006. Here or There? A Survey of Factors in Multinational R&D Location: Report to the Government/University/Industry Research Roundtable (SSRN Scholarly Paper Nr. 1456460), National Academy of Science, Rochester, NY. https://papers.ssrn.com/abstract=1456460 (abgerufen am 10.3.2025).

Trial Nation, 2025a. Trial Nation: Clinical Trials Denmark. https://trialnation.dk/#dct2 (abgerufen am 10.3.2025).

Trial Nation, 2025b. Mission, vision and history. https://trialnation.dk/professional/resources-2-4/ (abgerufen am 10.3.2025).

Tsaurai, K., 2024. Impact of intellectual property rights on foreign direct investment in Africa. Investment Management and Financial Innovations 21, 2, S. 265–275. https://doi.org/10.21511/imfi.21(2).2024.21

Vernon, J. A., 2005. Examining the link between price regulation and pharmaceutical R&D investment. Health Economics 14, 1, S. 1–16. https://doi.org/10.1002/hec.897

Vernon, J. A., 2003. The relationship between price regulation and pharmaceutical profit margins. Applied Economics Letters 10, 8, S. 467–470. https://doi.org/10.1080/1350485032000090776

Verpoort, P. C., Ueckerdt, F., Beck, Y., Bietenholz, D., Dertinger, A., Fleiter, T., Grimm, A., Luderer, G., Neuwirth, M., Odenweller, A., Sach, T., Schimmel, M., Sievers, L., 2024. Ariadne-Report. Transformation der engerieintensiven Industrie – Wettbewerbsfähigkeit durch strukturelle Anpassung und grüne Importe., Kopernikus-Projekt Ariadne Potsdam-Institut für Klimafolgenforschung, Potsdam. https://doi.org/10.48485/pik.2024.019 (abgerufen am 10.3.2025).

Vita, G. D., Alexiou, C., Trachanas, E., Luo, Y., 2021. Does intellectual property rights protection affect UK and US outward FDI and earnings from FDI? A sectoral analysis. Journal of Economic Studies 49, 8, S. 1387–1421. https://doi.org/10.1108/JES-09-2021-0462

Wilsdon, T., Armstrong, H., Sablek, A., Cheng, P., 2022. Factors affecting the location of biopharmaceutical investments and implications for European policy priorities (Auftragsarbeit für die EFPIA), Charles Rivers Associates, London/Brüssel. https://www.efpia.eu/media/676753/cra-efpia-investment-location-final-report.pdf (abgerufen am 10.3.2025).

Zinke, G., Kilic, Ü., Bürger, M., Striebing, C., Ruess, P., Uhler, L., Kaiser, S., Robeck, M. S., Kühne, B., Wedel, J., von Engelhardt, S., Braun, S., 2024. Marktstudie/Gutachten zum Bedarf an Wagniskapitalfinanzierung in den Bereichen künstliche Intelligenz, Quantentechnologie, Wasserstoff, Medizin, nachhaltige Mobilität, Kreislaufwirzschaft, Bioökonomie, Klima-, Energie- und Umwelttechnologien (Nr. IC4- 23305/006#013 FA- Nr. 13/22), Institut für Innovation und Technik in der VDI/VDE Innovation und Technik GmbH & Fraunhofer Institut für Arbeitswirtschaft und Organisation, Berlin. https://www.bmwk.de/Redaktion/DE/Downloads/M-O/marktstudie-wagniskap-endbericht.html (abgerufen am 10.3.2025).

Rechtsgrundlage für die Tätigkeit des Sachverständigenrates zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen und in der Pflege

Sozialgesetzbuch Fünftes Buch

Fünftes Kapitel

Sachverständigenrat Gesundheit und Pflege

§ 142 SGB V

(1) [1]Das Bundesministerium für Gesundheit beruft einen Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen und in der Pflege. [2]Zur Unterstützung der Arbeiten des Sachverständigenrates richtet das Bundesministerium für Gesundheit eine Geschäftsstelle ein.

(2) [1]Der Sachverständigenrat hat die Aufgabe, Gutachten zur Entwicklung der gesundheitlichen Versorgung einschließlich der Pflege mit ihren medizinischen und wirtschaftlichen Auswirkungen zu erstellen. [2]Im Rahmen der Gutachten entwickelt der Sachverständigenrat unter Berücksichtigung der finanziellen Rahmenbedingungen und vorhandener Wirtschaftlichkeitsreserven Prioritäten für den Abbau von Versorgungsdefiziten und bestehenden Überversorgungen und zeigt Möglichkeiten und Wege zur Weiterentwicklung des Gesundheitswesens auf; er kann in seine Gutachten Entwicklungen in anderen Zweigen der Sozialen Sicherung einbeziehen. [3]Das Bundesministerium für Gesundheit kann den Gegenstand der Gutachten näher bestimmen sowie den Sachverständigenrat mit der Erstellung von kurzfristigen Stellungnahmen beauftragen.

(3) [1]Der Sachverständigenrat erstellt seine Gutachten in der Regel im Abstand von zwölf Monaten und leitet sie dem Bundesministerium für Gesundheit unmittelbar nach Fertigstellung zu. [2]Das Bundesministerium für Gesundheit legt jedes Gutachten den gesetzgebenden Körperschaften des Bundes unverzüglich vor.

Fassung aufgrund des Gesetzes zur Pflegepersonalbemessung im Krankenhaus sowie zur Anpassung weiterer Regelungen im Krankenhauswesen und in der Digitalisierung (Krankenhauspflege-entlastungsgesetz) vom 20.12.2022 (BGBl. I S. 2793), in Kraft getreten am 29.12.2022

Mitglieder des Sachverständigenrates zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen und in der Pflege

Prof. Dr. med. Michael Hallek
Klinik I für Innere Medizin
Centrum für Integrierte Onkologie CIO Köln
Universitätsklinikum Köln

Prof. Dr. PH Melanie Messer
Institut für Pflegewissenschaft
Universitätsklinikum Würzburg
Universität Würzburg

Prof. Dr. rer. oec. Jonas Schreyögg
Hamburg Center for Health Economics
Lehrstuhl für Management im Gesundheitswesen
Universität Hamburg

Prof. Nils Gutacker, PhD
Centre for Health Economics
University of York

Prof. Dr. med. Stefanie Joos
Institut für Allgemeinmedizin und Interprofessionelle Versorgung
Zentrum für öffentliches Gesundheitswesen und Versorgungsforschung (ZÖGV)
Universitätsklinikum Tübingen

Prof. Dr. med. Jochen Schmitt, MPH
Zentrum für Evidenzbasierte Gesundheitsversorgung (ZEGV)
Medizinische Fakultät Carl Gustav Carus, TU Dresden sowie
Universitätsklinikum Carl Gustav Carus Dresden

Prof. Dr. rer. oec. Leonie Sundmacher
Munich Center for Health Economics and Policy
Fachgebiet für Gesundheitsökonomie
Technische Universität München

Mitglieder der Geschäftsstelle des Sachverständigenrates zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen und in der Pflege

Das vorliegende Gutachten wurde unter Mitarbeit der Mitglieder der Geschäftsstelle des Sachverständigenrates zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen und in der Pflege erstellt.

Sonja Barth (bis Juni 2024)

Sarah-Lena Böning (bis Juni 2024)

Gloria Dust (seit Januar 2025)

Janina Franke

Dr. Valérie Groß (bis Dezember 2024)

Dr. Paula Hepp (seit Mai 2024)

Janine Hinkler

Pauline Klaßen

Dr. Rebekka Müller-Rehm

Dr. Frank Niggemeier

Sandra Katharina Wrzeziono (seit Februar 2025)

Gutachten des Sachverständigenrates

Gutachten 2024
Fachkräfte im Gesundheitswesen. Nachhaltiger Einsatz einer knappen Ressource
2024

Gutachten 2023
Resilienz im Gesundheitswesen. Wege zur Bewältigung künftiger Krisen
MWV Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft 2023

Gutachten 2021
Digitalisierung für Gesundheit – Ziele und Rahmenbedingungen eines dynamisch lernenden Gesundheitssystems
Hogrefe 2021

Gutachten 2018
Bedarfsgerechte Steuerung der Gesundheitsversorgung
MWV Medizinisch Wissenschaftliche Verlagsgesellschaft 2018

Sondergutachten 2015
Krankengeld – Entwicklung, Ursachen und Steuerungsmöglichkeiten
Hogrefe 2016

Gutachten 2014
Bedarfsgerechte Versorgung – Perspektiven für ländliche Regionen und ausgewählte Leistungsbereiche
Hogrefe, vorm. Verlag Hans Huber 2014

Sondergutachten 2012
Wettbewerb an der Schnittstelle zwischen ambulanter und stationärer Gesundheitsversorgung
Hogrefe, vorm. Verlag Hans Huber 2012

Sondergutachten 2009
Koordination und Integration − Gesundheitsversorgung in einer Gesellschaft des längeren Lebens
Nomos 2010

Gutachten 2007
Kooperation und Verantwortung – Voraussetzungen einer zielorientierten Gesundheitsversorgung
Nomos 2008

Gutachten 2005
Koordination und Qualität im Gesundheitswesen
Band I: Kooperative Koordination und Wettbewerb, Sozioökonomischer Status und Gesundheit, Strategien der Primärprävention
Band II: Schnittstellen zwischen Kranken- und Pflegeversicherung, Hilfsmittel und Heilmittel in der GKV, Einflussfaktoren auf die Verordnung von Arzneimitteln
Kohlhammer 2006

Gutachten 2003
Finanzierung, Nutzerorientierung und Qualität
Band I: Finanzierung und Nutzerorientierung
Band II: Qualität und Versorgungsstrukturen
Nomos 2003

Gutachten 2000/2001
Bedarfsgerechtigkeit und Wirtschaftlichkeit
Band I: Zielbildung, Prävention, Nutzerorientierung und Partizipation
Band II: Qualitätsentwicklung in Medizin und Pflege
Band III: Über-, Unter- und Fehlversorgung
Addendum: Zur Steigerung von Effizienz und Effektivität der Arzneimittelversorgung in der gesetzlichen Krankenversicherung
Nomos 2002

Sondergutachten 1997
Gesundheitswesen in Deutschland, Kostenfaktor und Zukunftsbranche
Band II: Fortschritt, Wachstumsmärkte, Finanzierung und Vergütung
Nomos 1998

Sondergutachten 1996
Gesundheitswesen in Deutschland, Kostenfaktor und Zukunftsbranche
Band I: Demographie, Morbidität, Wirtschaftlichkeitsreserven und Beschäftigung
Nomos 1996

Sondergutachten 1995
Gesundheitsversorgung und Krankenversicherung 2000 – Mehr Ergebnisorientierung, mehr Qualität und mehr Wirtschaftlichkeit
Nomos 1995

Sachstandsbericht 1994
Gesundheitsversorgung und Krankenversicherung 2000 – Eigenverantwortung, Subsidiarität und Solidarität bei sich ändernden Rahmenbedingungen
Nomos 1994

Jahresgutachten 1992
Ausbau in Deutschland und Aufbruch nach Europa
Nomos 1992

Sondergutachten 1991
Stabilität ohne Stagnation?
Abgedruckt im Jahresgutachten 1992
Nomos 1992

Jahresgutachten 1991
Das Gesundheitswesen im vereinten Deutschland
Nomos 1991

Jahresgutachten 1990
Herausforderungen und Perspektiven der Gesundheitsversorgung
Nomos 1990

Jahresgutachten 1989
Qualität, Wirtschaftlichkeit und Perspektiven der Gesundheitsversorgung
Nomos 1989

Jahresgutachten 1988
Medizinische und ökonomische Orientierung
Nomos 1988

Jahresgutachten 1987
Medizinische und ökonomische Orientierung
Nomos 1987

Bahnbrechende Entdeckungen in der Medizin und den Lebenswissenschaften bergen große Chancen für die Heilung und die Linderung von Krankheiten. In der Folge kommen immer häufiger neue Arzneimittel auf den Markt, die hohe Preise abrufen. Es wird somit zunehmend herausfordernd, eine bedarfsgerechte und zugleich wirtschaftlich nachhaltige Arzneimittelversorgung zu gewährleisten. Der Sachverständigenrat Gesundheit & Pflege stellt in diesem Gutachten die Bepreisung innovativer verschreibungspflichtiger Arzneimittel auf den Prüfstand. Er legt Empfehlungen zur Preisbildung, Evidenzgenerierung und Förderung des Pharmastandorts Deutschland vor und entwirft die Vision einer dynamischen Arzneimittelbepreisung in einem lernenden Gesundheitssystem.

Sachverständigenrat zur Begutachtung
der Entwicklung im Gesundheitswesen und in der Pflege
www.svr-gesundheit.de
DOI: 10.4126/FRL01-006510673