

Ein Aufruf zur Weiterentwicklung der Operationalisierung der Orphan-Drug Umsatzschwelle im AMNOG

Berücksichtigung effektiver Umsätze statt theoretischer Kosten

STEFAN HÖNZKE,
SASKIA STEUBER, CLARA
BRIEKE, GERRIT MÜLLER,
CHRISTOPH ENGELKE

Dr. Stefan Hönzke ist Senior Manager Pricing & Reimbursement bei Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG, Berlin

Saskia Steuber ist Senior Managerin Pricing & Reimbursement bei Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG, Berlin

Dr. Clara Briek ist Senior Managerin bei Simon-Kucher & Partner Strategy & Marketing Consultants GmbH, Frankfurt

Dr. Gerrit Müller ist Health Technology Assessment (HTA) Manager bei Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG, Berlin

Christoph Engelke ist Partner bei Simon-Kucher & Partner Strategy & Marketing Consultants GmbH, München

Aufgrund der besonderen Schutzwürdigkeit von Orphan Drugs (OD) greift im Rahmen des AMNOG-Prozesses für OD eine eigene Regelung, die aber nach Überschreitung einer Schwelle von 30 Millionen Euro Jahresumsatz entfällt. Der Artikel zeigt auf, dass die aktuelle Operationalisierung der OD-Umsatzschwelle wesentliche Limitationen aufweist. Des Weiteren werden konkrete Verbesserungsansätze für eine langfristige Sicherstellung einer fairen Umsatzerhebung zur Feststellung der Schutzwürdigkeit von ODs diskutiert.

Arzneimittel für seltene Erkrankungen („Orphan Drugs“) benötigen verfahrenserleichternde Mechanismen im Marktzugangsprozess (AMNOG)

Sogenannte Orphan Drugs (OD) sind Arzneimittel, die zur Behandlung von Patienten¹ entwickelt werden, die an einer sowohl sehr schweren als auch sehr seltenen Krankheit leiden. Im regulatorischen Rahmen sind OD zusätzlich dadurch charakterisiert, dass es in ihrer Indikation noch keine oder zumindest keine zufriedenstellende Therapieoption gibt.

Die geringe Prävalenz dieser Krankheiten (nicht mehr als 5 Patienten unter 10.000 Personen in der EU²) stellt die pharmazeutische Industrie bei der Entwicklung und Vermarktung solcher OD vor besondere Herausforderungen. Vor allem die Durchführung von klinischen Studien zur Generierung von Evidenz in der Breite und der Qualität, wie sie für Arzneimittel zur Behandlung verbreitete-

rer Erkrankungen Standard ist, ist häufig massiv erschwert oder nicht möglich.

Um den Herausforderungen Rechnung zu tragen, wurden verschiedene fördernde Anreize für Forschung und Entwicklung, sowie den Zugang zu OD gesetzt: Sowohl auf europäischer Ebene mit der im Jahr 2000 eingeführten EG-Verordnung 141/2000 über Arzneimittel für seltene Krankheiten als auch auf nationaler Ebene im Zuge des Gesetzes zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in 2011 (AMNOG³). Mit dem AMNOG-Nutzenbewertungsverfahren nach § 35a SGB V unterliegen OD in Deutschland einer speziellen Nutzenbewertung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA): Im Zentrum der nationalen OD-Regelung steht, dass für OD der medizinische Zusatznutzen durch die

1 Aus Gründen der besseren Lesbarkeit wird auf die gleichzeitige Verwendung der Sprachformen männlich, weiblich und divers (m/w/d) verzichtet. Sämtliche Personenbezeichnungen gelten gleichermaßen für alle Geschlechter.

2 EG-Verordnung Nr. 141/2000

3 Siehe auch § 35a Absatz 1 SGB V

europäische Zulassung als belegt gilt. Die vom pharmazeutischen Unternehmer im Rahmen seines Dossiers einzureichende Evidenz hat daher primär den Zweck, das Ausmaß des Zusatznutzens zu quantifizieren.⁴

Ohne diese Regelung wäre es vielen OD kaum möglich, einen Zusatznutzen nachzuweisen, da die Evidenzansprüche des G-BA aufgrund der geringen Patientenzahlen im Therapiegebiet nicht unter verhältnismäßigen Anstrengungen in angemessener Zeit erfüllt werden können, ohne dass der Zugang zur Therapie für Patienten verzögert würde. Da das Vorliegen eines Zusatznutzens aber direkten Einfluss auf den mit dem GKV-Spitzenverband zu verhandelnden Erstattungsbetrag hat und somit Verhandlungsflexibilität für die Erreichung eines auskömmlichen Preises gewährleistet, ist diese OD-Regelung von hoher Relevanz.

Seit Einführung des AMNOG wurde die Orphan-Drug-Regelung mehrfach eingeschränkt

Diese OD-Regelung wurde bereits mit Einführung des AMNOG-Verfahrens auf bestimmte Fälle begrenzt: Schutzwürdig sind aus Sicht des Gesetzgebers nur OD mit einem geringen Umsatz. Der Gesetzgeber geht demnach davon aus, dass ab einer gewissen Umsatzschwelle dem pharmazeutischen Unternehmer der Mehraufwand zum Nachweis eines Zusatznutzens anhand von Evidenz gemäß den Kriterien des G-BA zuzumuten sei.⁵ Bei Überschreitung dieser Umsatzschwelle wird daher der Zusatznutzen gegenüber einer definierten zweckmäßigen Vergleichstherapie (zVT) anhand der vorliegenden klinischen Evidenz erneut evaluiert. Kann das OD in der Neubewertung keinen Zusatznutzen nachweisen, verliert es den bisherigen Status des Zusatznutzens. In der darauffolgenden Neuverhandlung des Erstattungsbetrags führt dies in vielen Fällen zu einer erheblichen Preisreduktion, die die wirtschaftliche Auskömmlichkeit des betroffenen OD bedrohen kann.

Ursprünglich wurde bei Einführung der OD-Regelung im AMNOG-Verfahren diese Umsatzschwelle bei 50 Millionen Euro festgesetzt, bemessen anhand der Umsätze zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) zu Apothekenverkaufspreisen einschließlich Um-

satzsteuer und Handelsmargen in den letzten rollierenden 12 Kalendermonaten. Im Zuge weiterer Gesetzgebungsverfahren wurde die Umsatzschwelle mehrfach zu Lasten des pharmazeutischen Unternehmers adjustiert:

- Zunächst wurde mit dem Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) in 2019 eingeführt, dass auch stationäre Umsätze bei der Bemessung der Umsatzschwelle zu berücksichtigen sind.⁶
- In einem zweiten Schritt wurde Ende 2022 mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinStG) die Umsatzschwelle auf 30 Millionen Euro abgesenkt. In der Folge mussten am Markt befindliche OD mit einem Jahresumsatz von über 30 Millionen Euro eine erneute Nutzenbewertung mit darauffolgender Neuverhandlung des Erstattungsbetrags durchlaufen. Da nicht alle Verhandlungen abgeschlossen sind⁷, sind die Folgen derzeit noch nicht vollständig abzusehen.

Auch für zukünftige OD sind die Folgen noch nicht abzuschätzen – adverse Kollateraleffekte wie verzögerte oder ausbleibende Markteintritte und eine damit assoziierte Unterversorgung der Patienten in Deutschland können nicht ausgeschlossen werden.^{8,9}

Die bestehende Bemessung der Umsatzschwelle bildet die Schutzwürdigkeit eines OD nicht sachgemäß ab

Diese Verschärfungen in der Höhe der Umsatzschwelle zu Lasten der pharmazeutischen Industrie sind bereits Gegenstand politischer Diskussionen. Bisher nicht beachtet ist die seit ihrer Einführung zu Lasten der pharmazeutischen Industrie ausgelegte Operationalisierung der Umsatzschwelle, also wie der Umsatz des Arzneimittels konkret bemessen wird.

Aus Sicht der Autoren sollte sich die politisch gewollte, umsatzbezogene Schutzwürdigkeit, also der Erhalt der OD-Regelung am tatsächlich anfallenden effektiven Umsatz des Arzneimittels für den pharmazeutischen Hersteller orientieren. Die derzeitige Umsatzbemessung hingegen erfasst theoretische (Höchst-) Kosten für die GKV.

Die heutige Operationalisierung stellt eine grundsätzliche Benachteiligung des pharmazeutischen Unternehmers dar, weil ein (teilweise deutlich) höherer Umsatz des OD suggeriert wird als dem pharmazeutischen Unternehmer tatsächlich zufließt. Die Schutzwürdigkeit des OD wird dadurch systematisch unterminiert, da die Kosten für OD, die dem Gesundheitssystem entstehen, systematisch überschätzt werden. Darüber hinaus benachteiligt der aktuelle Erhebungszeitraum von 12 rollierenden Kalendermonaten diejenigen OD, die nur kurzfristige Kostenspitzen verursachen oder die kumulierten Kosten einer alternativen Dauertherapie vorziehen. Solche Situationen können insbesondere bei der immer häufigeren Markteinführung von Einmaltherapien (z. B. Zell- & Gentherapien) entstehen.

Konkret ergeben sich bei der aktuellen Bemessung der Umsatzschwelle drei zu differenzierende Umsetzungsfehler (Kritikfelder), die wir im Folgenden beschreiben:

- **Kritikfeld 1 – Es werden „Kosten für die GKV“ statt „Umsätze des pharmazeutischen Unternehmers“ erhoben:** Die Umsatzbemessung erfolgt derzeit auf Basis des Apothekenverkaufspreises inkl. Umsatzsteuer und Handelsmargen. Diese Metrik kann nicht zur Messung des Umsatzes des pharmazeutischen Unternehmers herangezogen werden, da sie substantielle Beträge enthält, die weder dem pharmazeutischen Unternehmer als Umsatz zugutekommen noch im Ein-

4 Nach § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V müssen für Arzneimittel, die zur Behandlung einer seltenen Erkrankung zugelassen sind, Nachweise nach § 35a Abs. 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 nicht vorgelegt werden

5 Siehe auch DAK AMNOG-Report 2022: Orphan Drugs – Erstattungs- und Versorgungsherausforderungen, S. 138ff.

6 Ergänzung des §35a Abs. 1 Satz 13 SGB V: „sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung“

7 Stand: Juni 2024

8 Der AMNOG-Report 2023 geht davon aus, dass durch die Absenkung der Umsatzschwelle jährlich 5 ODs zusätzlich eine vollständige Nutzenbewertung durchlaufen müssen; vgl. DAK AMNOG-Report 2023: Das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz und seine Auswirkungen, S. 19f.

9 Vgl. vfa (Verband forschender Arzneimittelhersteller): Stellungnahme: Evaluation der Auswirkungen des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes auf die Versorgung und den Wirtschaftsstandort; 2023

flussbereich des pharmazeutischen Unternehmers liegen.

- **Kritikfeld 2** – Es werden theoretische (Höchst-)Beträge statt effektiv gezahlter Beträge erhoben: Geleistete Rückzahlungen des pharmazeutischen Unternehmers an die Solidargemeinschaft in Form von Rabatten werden bei der Bemessung zur Überschreitung der Umsatzschwelle derzeit nicht berücksichtigt.
- **Kritikfeld 3** – Situationen von kurzfristigen oder vorgezogenen Kostenspitzen werden benachteiligt: Die OD-Regelung verfällt irreversibel, sobald eine einmalige Umsatzüberschreitung in einem Zeitraum von 12 rollierenden Kalendermonaten festgestellt wird. Es erfolgt keine Prüfung, ob diese Überschreitung nur eine Folge von einmaligen, außergewöhnlichen, Kostenspitzen ist oder ob tatsächlich von einer nachhaltigen Überschreitung der jährlichen Umsatzschwelle ausgegangen werden kann.

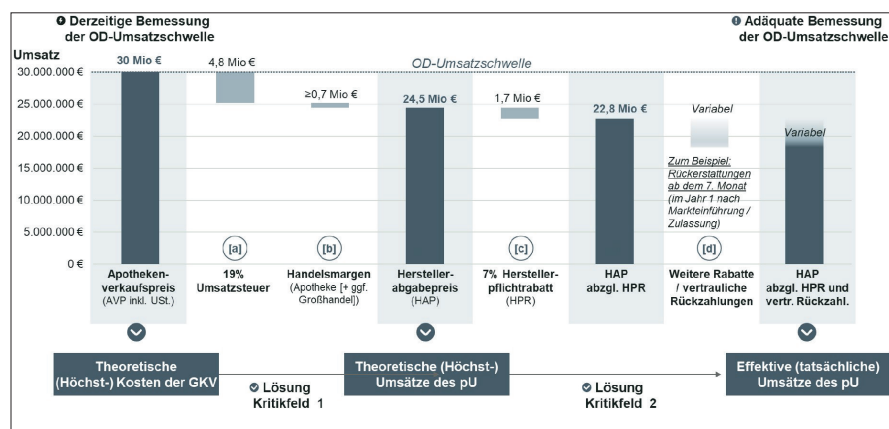
Im Folgenden möchten wir detailliert auf diese Kritikfelder zur aktuellen Bemessung der Umsatzschwelle eingehen und mögliche Lösungswege skizzieren.

Kritikfeld 1: Es werden „Kosten für die GKV“ statt „Umsätze des pharmazeutischen Unternehmers“ erhoben

Die Kopplung der OD-Regelung mit einer Umsatzschwelle impliziert, dass der Gesetzgeber davon ausgeht, dass ab einem gewissen Umsatz die Auskömmlichkeit eines OD für den pharmazeutischen Unternehmer gegeben ist und somit die Schutzwürdigkeit entfallen kann. Zur Bemessung der Auskömmlichkeit sollte daher der Umsatz des pharmazeutischen Unternehmers und nicht die aktuell definierten Kosten für die GKV herangezogen werden. Außerdem liegt nur der Umsatz im Einflussbereich des pharmazeutischen Unternehmers.

Die derzeitige Bemessung der Umsätze nach § 35a Abs. 1 Satz 13 SGB V erfolgt auf Basis des Apothekenverkaufspreises. In dieser Metrik sind zusätzlich Beträge enthalten, die nicht dem pharmazeutischen Unternehmer zufließen. Daher werden weit höhere Beträge als vermeintlicher Umsatz des pharmazeutischen Unternehmens verbucht.

Abbildung 1: Übersicht zu den ersten zwei Kritikfeldern an der Operationalisierung der Orphan-Umsatzschwelle und Lösungsvorschlag (AVP: Apothekenverkaufspreis; OD: Orphan Drug; HAP: Herstellerabgabepreis; HPR: Herstellerpflichttrabatt; GKV: Gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; [d]: Rückzahlungen nach §130a/b/c/e SGB V)



Quelle: Eigene Darstellung

Diese systematische Überschätzung liegt ursächlich in zwei Mechanismen:

1. Berücksichtigung der Umsatzsteuer:

Die Umsatzsteuer [a] ist eine gesetzlich geregelte Abgabe. Sie fließt nicht dem pharmazeutischen Unternehmer zu und kann somit nicht zu der wirtschaftlichen Auskömmlichkeit des Arzneimittels beitragen. Sie ist ausschließlich eine Kostenposition der GKV zugunsten des Staates. Mit der derzeitigen Umsatzsteuer in Höhe von 19% ist dies jedoch ein besonders relevanter Effekt. Ein Beispiel verdeutlicht dies: Im Jahresumsatz eines OD auf Basis des Apothekenverkaufspreises inkl. Umsatzsteuer in Höhe von 30 Millionen Euro sind über 4,8 Millionen Euro Umsatzsteuer enthalten, die nicht dem pharmazeutischen Unternehmer zufließen, aber im Sinne der OD-Umsatzschwelle derzeit als Umsatz gezählt werden. Auch ist anzumerken, dass die Höhe der Umsatzsteuer nicht im Einflussbereich des Unternehmers liegt. Änderungen der Umsatzsteuer-Regelung wurden bereits mehrfach diskutiert bzw. bereits im Kontext der Maßnahmen zur Bewältigung der COVID-Pandemie umgesetzt. Angenommen das eben skizzierte OD läge bei einem Jahresumsatz von 29,5 Millionen Euro, dann würde eine beispielhafte Anhebung der Umsatzsteuer um 3 Prozentpunkte den Umsatz auf über 30 Millionen Euro anhe-

ben und eine sofortige, irreversible Neubewertung ohne OD-Regelung auslösen. In diesem Fall würde also das OD seine Schutzwürdigkeit verlieren, ohne dass dem eine verbesserte wirtschaftliche Auskömmlichkeit des pharmazeutischen Unternehmers gegenüberstehen würde.

2. Berücksichtigung der Handelsmarge:

Wie die Umsatzsteuer werden auch die im Apothekenverkaufspreis enthaltenen Handelsmarge [b] derzeit als Umsatz im Sinne der OD-Umsatzschwelle verbucht, obwohl sie dem pharmazeutischen Unternehmer nicht zufließen. Diese Handelsmarge fließen stattdessen in der Regel der abgebenden Apotheke und dem Großhändler zu. Im skizzierten Beispiel eines OD mit 30 Millionen Euro Umsatz auf Basis des Apothekenverkaufspreises inkl. Umsatzsteuer sind neben der 19%-igen Umsatzsteuer mindestens 3% Apothekenmarge in Höhe von knapp 1 Million Euro enthalten. Je nach Preisniveau, Packungsgröße und Vertriebsweg können noch einmal ähnlich hohe Beträge für die Großhandelsmarge enthalten sein. Die Höhen der Handelsmarge sind im Regelfall über die Arzneimittelpreisverordnung geregelt und liegen somit – wie auch die Umsatzsteuer – nicht im Einflussbereich des pharmazeutischen Unternehmers, werden aber in die Bemessung der Umsatzschwelle einbezogen. Darüber hinaus entscheidet auch die verfügba-

re Packungsgröße über die kumulativ anfallenden Handelsmargen und damit den derzeit gezählten Umsatz. Es erscheint nicht logisch, dass die Schutzwürdigkeit eines OD mit der Packungsgröße im Zusammenhang steht bzw. direkt von ihr abhängig ist.

Die dargelegten Sachverhalte zeigen, dass die aktuelle Regelung zur Umsatzbemessung kein adäquates Maß zur Beurteilung der Schutzwürdigkeit des OD darstellt. Aus der derzeitigen Einbeziehung der Umsatzsteuer und Handelsmargen von Apotheke und Großhändler resultiert eine systematische Überschätzung der Beträge, die dem pharmazeutischen Unternehmer tatsächlich zufließen. Nicht umsonst wird der Erstattungsbetrag für ein Arzneimittel daher auf Basis des Herstellerabgabepreises zwischen dem GKV-Spitzenverband und dem pharmazeutischen Unternehmer verhandelt. Die im Apothekenverkaufspreis zusätzlich einbezogenen Kosten liegen zudem außerhalb der Einflusszone des pharmazeutischen Unternehmers. Eine Änderung zur gesetzlichen Regelung der Handelsmargen oder Umsatzsteuer könnte somit zum Verlust der OD-Regelung führen, ohne dass dem eine verbesserte Auskömmlichkeit des Arzneimittels gegenübersteht. Somit weist die derzeitige Umsetzung der Umsatzbemessung zur Beurteilung der Auskömmlichkeit und Schutzwürdigkeit eines OD zu korrigierende Verfälschungen auf.

Ansatz zur Lösung des Kritikfeldes 1: Die Bemessung der Umsätze im Kontext der OD-Umsatzschwelle sollte statt auf Basis von Apothekenverkaufspreisen inkl. Umsatzsteuer auf der Ebene der Herstellerabgabepreise erfolgen.

Kritikfeld 2: Es werden theoretische (Höchst-) Beträge statt effektiv gezahlter Beträge erhoben

Neben der in Kritikfeld 1 beschriebenen nicht sachgemäßen Bemessungsgrundlage zur Erhebung des Umsatzes des pharmazeutischen Unternehmers auf Basis des Apothekenverkaufspreises verursacht ein weiterer, davon unabhängiger Umstand eine systematische Überschätzung des Umsatzes eines OD: Die vom pharmazeutischen Unternehmer geleisteten Rückzahlungen und Rabatte (inkl. gesetzlich geregelter Abschläge)

zugunsten der Solidargemeinschaft bleiben gänzlich unberücksichtigt, obwohl sie den tatsächlichen Umsatz und somit die wirtschaftliche Auskömmlichkeit (teilweise deutlich) reduzieren. Somit werden in der derzeitigen Listenpreis-basierten Umsatzerhebung theoretische Höchstbeträge gemessen, statt die vom Unternehmen effektiv erhaltenen bzw. einbehaltenden Umsätze.

Hinweis: Dieses Kritikfeld ist unabhängig davon, ob Umsätze wie heute anhand von Apothekenverkaufspreisen inkl. Umsatzsteuer oder wie zur Lösung des Kritikfeldes 1 gefordert anhand des Herstellerabgabepreises gemessen werden.

Diese Überschätzung lässt sich anhand von drei verschiedenen Mechanismen konkretisieren:

1. **Gesetzlich geregelte Abschläge^{10,11} werden nicht berücksichtigt:** Der pharmazeutische Unternehmer ist gemäß § 130a SGB V Abs. 1 verpflichtet, den Krankenkassen einen gesetzlich geregelten Rabatt [c] auf den Herstellerabgabepreis einzuräumen, der somit von der Umsatzbemessung abzuziehen ist. Für patentgeschützte Arzneimittel beträgt dieser derzeit 7%; das heißt bei einem OD mit einem Jahresumsatz auf Basis des Apothekenverkaufspreises inkl. Umsatzsteuer von 30 Millionen Euro fallen 1,7 Millionen Euro als Pflichtrabatt an. Dieser Rabatt ist nicht nur in der Lauer-Taxe einsehbar und regelhaft ausgewiesen, auch der G-BA schließt den Rabatt in der Kostendarstellung seines Nutzenbeschlusses explizit aus. Die Umsetzung des Rabatts erfolgt als Nacherstattung des pharmazeutischen Unternehmers in Form eines Rabatts auf abgerechnete Rezepte. Trotz der eindeutigen Ausweisung und regelhaften Gewährung des Rabatts wird diese Rückzahlung des pharmazeutischen Unternehmers derzeit nicht umsatzmindernd in die Umsatzerhebung einbezogen, obwohl dieser Rabatt sehr wohl einen direkten Einfluss auf die wirtschaftliche Auskömmlichkeit und Schutzbedürftigkeit eines OD hat und im Grenzfall zu einer Überschreitung und somit einer erneuten Nutzenbewertung ohne OD-Regelung führen kann. Wie auch die Umsatzsteuer und Handelsmargen unterliegen diese gesetzlich gere-

gelten Abschläge zudem möglichen gesetzlichen Änderungen. Erst kürzlich im Zuge des GKV-FinStG wurde eine temporäre Erhöhung des Herstellerpflichtrabatts auf 12% für 2023 festgelegt. Diese Erhöhung hätte im beschriebenen Beispiel 1,2 Millionen Euro zusätzliche Rückzahlungen des pharmazeutischen Unternehmers zur Folge gehabt, die nach derzeitiger Regelung der Umsatzbemessung der OD-Umsatzschwelle gänzlich unberücksichtigt geblieben wären.

Darüber hinaus führt die Nicht-Berücksichtigung des gesetzlich geregelten Herstellerabschlags¹² zu einer Benachteiligung der Arzneimittel, für die in der Erstattungsbetragsverhandlung keine Ablösung des Herstellerabschlags im Tausch gegen einen niedrigeren Herstellerabgabepreis vereinbart werden konnte. Dies ist von besonderer Brisanz, da der pharmazeutische Unternehmer eine im Rahmen der derzeitigen Umsatzbemessung vorteilhaftere Ablösung nicht einseitig umsetzen kann, sondern auf die Zustimmung des GKV-Spitzenverbands im Rahmen eines konsentierten Verhandlungsergebnisses angewiesen ist.¹³ Unter dem Strich bedeutet dies, dass OD mit einem abgelösten Herstellerabschlag mehr Umsatz in der GKV machen können, ohne die OD-Regelung zu verlieren, als OD ohne Ablösung des Herstellerabschlags.

2. **Gewährte Rückzahlungen im Rahmen von § 130b-Vereinbarungen werden nicht berücksichtigt:** Mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz wurden Ende 2022 verschiede-

10 Neben dem hier im Detail besprochenen Herstellerabschlag fällt auch ein Apothekenabschlag in Höhe von 2,00 € pro Packung an. Aufgrund des vergleichsweise geringen Betrags wird der Apothekenabschlag in dieser Diskussion nicht weiter aufgeführt.

11 Als weiterer gesetzlich geregelter Abschlag ist in bestimmten Konstellationen zusätzlich der Kombinationsabschlag nach § 130e SGB V zu berücksichtigen.

12 Im Rahmen der Erstattungsbetragsverhandlungen zwischen dem pharmazeutischen Unternehmen und dem GKV-SV können die Parteien vereinbaren, dass der Herstellerabschlag im Gegenzug für einen in der Regel niedrigeren Herstellerabgabepreis entfällt und somit auch nicht separat in der Lauer-Taxe ausgewiesen wird.

13 Es ist ständige Spruchpraxis der Schiedsstelle, Abschläge entsprechend der gesetzlichen Wertung regelhaft nicht abzulösen (zuletzt bei Retsevmo (Schiedsspruch vom 09.06.2022)) – so auch bei Nicht-Einigung der Parteien (z. B. Forxiga (Schiedsspruch vom 02.02.2022)).

ne Änderungen eingeführt, die auch über gesetzlich geregelte Abschläge hinaus regelhaft zu Rückzahlungen [d] des pharmazeutischen Unternehmens an die Krankenkassen führen: Der mit dem GKV-Spitzenverband zu verhandelnde Erstattungsbetrag gilt seither rückwirkend bereits ab dem 7. Monat nach Markteinführung (des Arzneimittels bzw. eines neuen Anwendungsgebiets des Arzneimittels). Der Erstattungsbetrag wird jedoch in der Regel frühestens 12 Monate nach Markteinführung final ausgehandelt. Der pharmazeutische Unternehmer ist in der Folge gesetzlich verpflichtet, die Differenz zwischen dem Markteinführungspreis (bzw. dem gültigen Erstattungsbetrag vor Anwendungsgebietserweiterung) und dem ausgehandelten Erstattungsbetrag an die Kostenträger für den betroffenen Zeitraum zurückzuerstatten. Diese vertraulichen Rückerstattungen werden zurzeit bei der Umsatzerhebung nicht umsatzmindernd berücksichtigt, obwohl der pharmazeutische Unternehmer die Rückwirkung nach § 131 SGB V melden muss und die Rabatte somit auf Ebene der Selbstverwaltung entsprechend berücksichtigt werden könnten. Auch dieser Effekt führt zu einer deutlichen Überschätzung der effektiven Umsätze des Unternehmers, der in gewissen Fällen dazu führen kann, dass fälschlicherweise eine Überschreitung der OD-Umsatzschwelle mit irreversiblen Verlust der OD-Regelung festgestellt wird, obwohl der tatsächliche Umsatz weit unter der Schwelle lag.

Darüber hinaus sieht das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz nun obligatorisch mengenbezogene Vereinbarungen vor. Auch wenn zum heutigen Stand verfügbare Schiedsstellenentscheidungen noch keine mengenbezogenen Regelungen mit Rückzahlungen an die Krankenkassen vorsehen, sind solche Modelle in vielen Fallkonstellationen sinnvoll und technisch umsetzbar. In der derzeitigen Umsatzbemessung der OD-Umsatzschwelle fehlt jedoch häufig der Anreiz für eine kreative Ausgestaltung solcher Rückzahlungsmodelle, da mengenbezogene Rückzahlungen nicht umsatzmindernd gegenüber der OD-Umsatzschwelle berücksichtigt würden. Es erscheint widersprüchlich, dass auf der einen Seite die

gesetzliche Vorgabe zur Vereinbarung einer mengenbezogenen Regelung besteht und auf der anderen Seite solche Regelungen bei der OD-Umsatzschwelle nicht berücksichtigt werden. Das beschneidet sowohl den GKV-Spitzenverband als auch den pharmazeutischen Unternehmer bei möglichen lösungsorientierten Verhandlungsoptionen für betroffene OD.

3. Rückzahlungen im Rahmen von § 130a/c-Vereinbarungen mit Krankenkassen werden nicht berücksichtigt: Neben der Verhandlung eines Erstattungsbetrags nach § 130b SGB V können pharmazeutische Unternehmen und einzelne Krankenkassen oder ihre Verbände zusätzlich Rabattverträge¹⁴ [d] schließen. Dadurch gewährte Rabatte werden ebenfalls in der Regel über Rückzahlungen vom pharmazeutischen Unternehmer an die Krankenkasse umgesetzt. Wie in den vorherigen Mechanismen beschrieben, werden jedoch auch diese Rabatte nicht bei der Umsatzbemessung gegenüber der OD-Umsatzschwelle berücksichtigt. Sollten solche Vereinbarungen bestehen, wird also auch hier der effektive Umsatz des OD überschätzt. Somit wird der Anreiz, solche Vereinbarungen für OD abzuschließen, begrenzt. Dieser Konflikt wird zukünftig an Relevanz gewinnen, da sich der Bedarf und Nutzen von innovativen Vertragsmodellen aufgrund der steigenden Anzahl von ATMP (Advanced Therapy Medicinal Products, Arzneimittel für neuartige Therapien) unter den OD stetig erhöhen. So hat das Bundesamt für Soziale Sicherung in einem Sondergutachten von 2022 festgestellt, dass sich Pay-for-Performance-Verträge auf Einzelkassenebene inzwischen etabliert haben (85 Verträge zum Stand Juni 2021).¹⁵ Auch die im Juni 2024 vorgestellte Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien¹⁶ ruft zu einer verstärkten Nutzung von erfolgsabhängigen Erstattungsmodellen auf. Die Berücksichtigung von im Rahmen solcher Verträge gewährten Rückzahlungen im Kontext der OD-Umsatzschwelle ist aber für die weitere Etablierung solcher Vertragsmodelle – ganz gleich ob auf Einzelkassenebene oder nationaler Ebene – elementar.

Die Missachtung von regelhaft anfallenden Rückzahlungen und zum Teil sogar transparent ausgewiesenen Rabatten bei der Umsatzbemessung von OD im Sinne der Umsatzschwelle sorgt für eine substantielle systematische Überschätzung des Umsatzes: Derzeit werden „theoretische Höchstbeträge“ statt „tatsächlicher, effektiver Beträge“ erhoben. Dies führt zu einer Überschätzung der wirtschaftlichen Auskömmlichkeit und folglich zur Unterschätzung der Schutzwürdigkeit von OD. Darüber hinaus bleiben mögliche Anreize ungenutzt, fallspezifisch für den pharmazeutischen Unternehmer und für die GKV sinnvolle Vereinbarungen auf nationaler oder regionaler Ebene zu vereinbaren. Eine Berücksichtigung solcher Vereinbarungen im Rahmen der OD-Umsatzschwellenbemessung könnte für mehrere Seiten sinnvoll sein: einerseits ein Erhalt der OD-Regelung für den pharmazeutischen Unternehmer, sowie andererseits Kostenbegrenzungen für die GKV und uneingeschränktem Zugang von Patienten zu OD.

Ansatz zur Lösung des Kritikfeldes 2: Die Bemessung der Umsätze im Kontext der OD-Umsatzschwelle sollte dem pharmazeutischen Unternehmer die Möglichkeit einräumen, geleistete Rückerstattungen an Krankenkassen nachzuweisen und umsatzmindernd einzubeziehen.

Kritikfeld 3: Situationen von kurzfristigen oder vorgezogenen Kostenspitzen werden benachteiligt

Neben den hier schon beschriebenen Kritikfeldern bei der Bemessung der OD-Umsatzschwelle führt auch die Erhebungsmethodik zu Benachteiligungen bestimmter OD, wie wir hier anhand von zwei Beispielen skizzieren (siehe Abbildung 2):

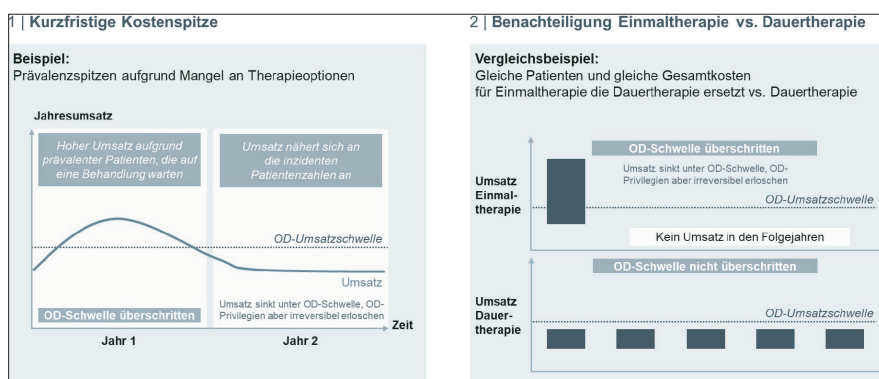
1. Fehlende Resilienz gegenüber kurzfristigen Kostenspitzen: Der aktuelle Erhebungszeitraum – innerhalb 12 rollierender Kalendermonate – kann

¹⁴ § 130a Abs. 8 oder § 130c SGB V

¹⁵ Bundesamt für Soziale Sicherung „Sondergutachten zu den Wirkungen von Pay-for-Performance-Verträgen vor dem Hintergrund des Risikopools“, 2022, S. IX.

¹⁶ Vgl. Multi-Stakeholder-Strategie koordiniert vom Berlin Institute of Health Charité im Auftrag vom Bundesministerium für Bildung und Forschung: Nationale Strategie für gen- und zellbasierte Therapien

Abbildung 2: Beispiele für das Kritikfeld 3 (OD: Orphan Drug)



Quelle: Eigene Darstellung

dazu führen, dass bei kurzfristigen Kostenspitzen eine Überschreitung der Umsatzschwelle und somit eine Neubewertung mit irreversiblen Verlust der OD-Regelung erfolgt. Solche (einmaligen) Kostenspitzen können z. B. durch Bevorratungsmaßnahmen, wie sie während der COVID-Pandemie zu beobachten waren, oder Prävalenz-bedingt entstehen: Auch wenn der OD-Status eines Arzneimittels impliziert, dass nur wenige Patienten für diese Therapie infrage kommen, können Fallkonstellationen entstehen, in denen viele Patienten bereits vor vielen Jahren eine Diagnose erhalten haben, aber weiterhin auf eine Therapie warten. Es besteht also trotz einer geringen Rate von Neuerkrankungen („Inzidenz“) eine hohe Anzahl prävalenter Patienten, die nun mit Markteinführung für eine Behandlung mit dem neuen OD in Frage kommen. Damit führt die direkte Behandlung der auf eine Therapie wartenden Patienten zu einer kurzfristigen und nur temporären Umsatzspitze, welche aber trotzdem die Überschreitung der OD-Umsatzschwelle induzieren und somit eine Neubewertung mit irreversiblen Verlust der OD-Regelung auslösen kann. Das erscheint jedoch nicht sachgerecht, falls der mittelfristig zu erwartende jährliche Umsatz deutlich unterhalb der OD-Umsatzschwelle liegen sollte. In solch einer Situation wird es dem pharmazeutischen Unternehmer im Sinne des Erhalts der OD-Regelung zum Nachteil, dass er nach Markteinführung einen raschen Zugang zum Arzneimittel für alle auf

eine Therapie wartenden Patienten ermöglicht hat.

2. **Benachteiligung von Einmaltherapien:** Die aktuelle Umsetzung der Umsatzbemessung benachteiligt auch innovative Einmaltherapien, bei denen die Kosten nicht wie bei kontinuierlichen Dauertherapien über viele Jahre verteilt, sondern über einen Einmalpreis vorab anfallen. Diese Benachteiligung wird deutlich bei einem fiktiven Beispielvergleich einer Dauertherapie mit einer Einmaltherapie: Eine Dauertherapie, mit der 1.000 Patienten zu Therapiekosten pro Jahr von 20.000 Euro über 5 Jahre behandelt werden, verursacht in dem Zeitraum Gesamtkosten von 100 Millionen Euro. Die jährlichen Kosten werden jedoch nur 20 Millionen Euro betragen, so dass die OD-Umsatzschwelle nicht überschritten wird und die OD-Regelung im Sinne der Schutzwürdigkeit der OD erhalten bleibt. Eine innovative Einmaltherapie für dieselbe Erkrankung, die jedoch mit einem Einmalpreis vorab erstattet würde, müsste bei gleichen Gesamtkosten je Patient einen Einmalpreis von 100.000 Euro kosten (5 Jahre x 20.000 Euro). Werden nun jedoch die gleichen 1.000 Patienten in einem Jahr behandelt, kommt es ebenfalls zu Gesamtkosten in Höhe von 100 Millionen Euro. Anders als bei der Dauertherapie fällt dieser Betrag jedoch direkt im ersten Jahr an, während kein weiterer Umsatz in den darauffolgenden 4 Jahren folgt. Durch die vorgezogenen Kosten würde nach derzeitiger Regelung die OD-Umsatzschwelle überschritten und die OD-Regelung mit zum Teil

drastischen Konsequenzen für den Erstattungsbetrag ab dem 2. Jahr entfällt. Es findet also eine Benachteiligung von innovativen Einmaltherapien im Sinne des Erhalts der OD-Regelung statt, insbesondere, solange diese anhand eines Einmalpreises und nicht anhand innovativer kontinuierlicher Erstattungsmodelle erstattet werden.

Diese beiden Beispiele zeigen, dass es ebenfalls einen Anpassungsbedarf bezüglich des Bemessungszeitraums für die Umsatzbemessung der OD-Umsatzschwelle gibt. Darüber hinaus ist es elementar, die Umsatzschwelle fit für die Zukunft zu machen, indem die Umsatzbemessung für Einmaltherapien mit denen einer Dauertherapie gleichgestellt wird.

Ansatz zur Lösung des Kritikfeldes 3: Um Benachteiligungen von Arzneimitteln, bei denen kurzfristige oder vorgezogene Kostenspitzen auftreten können, zu beseitigen, sollte der Erhebungszeitraum erweitert werden und zumindest eine langfristig wiederkehrende Überschreitung der Kriterien festgestellt werden. Zudem sollten bei Einmaltherapien die individuellen Bezahlungs- und Vertragsmodelle bei der Bemessung berücksichtigt werden (siehe auch Kritikfeld 2).

Zusammenfassung und Fazit

Die im Rahmen des AMNOG-Verfahrens eingeräumte Regelung für Orphan Drugs, insbesondere des mit Zulassung garantierten Status eines Zusatznutzens, ist für die Verhandlung eines auskömmlichen Erstattungsbetrags, der den Patientenzugang zur Therapie sicherstellt, zentral. Der Gesetzgeber beschränkt diese Schutzwürdigkeit allerdings auf jene Orphan Drugs, die einen jährlichen Umsatz in der GKV von 30 Millionen Euro nicht überschreiten. Dahinter verbirgt sich der Grundsatz, dass ab einer gewissen Umsatzhöhe es dem pharmazeutischen Unternehmen zuzumuten ist, den AMNOG-Prozess des Arzneimittels ohne Orphan Drug-Regelung zu durchlaufen und einen Zusatznutzen regelhaft per direkt vergleichender Evidenz gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie nachweisen zu müssen. Gerade aber für Orphan Drugs mit einem Umsatz unterhalb der durch das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz verschärften Umsatzschwelle bewegt sich der Aufwand für diese Evidenzgenerie-

rung nicht im Rahmen verhältnismäßiger Anstrengungen. Daher ist die Regelung zur Schutzwürdigkeit dieser Orphan Drugs zur Sicherstellung der Versorgung elementar.

Zur Prüfung dieser Schutzwürdigkeit erhebt der Gemeinsame Bundesausschuss kontinuierlich die Arzneimittelumsätze der Orphan Drugs in der GKV. Um eine angemessene Bewertungsbasis der Schutzwürdigkeit zu erhalten, wäre es dabei angebracht, die tatsächlichen, effektiven Umsätze des Arzneimittels des pharmazeutischen Unternehmers zu ermitteln. Die derzeitige Praxis der Umsatzbemessung führt jedoch dazu, dass keine tatsächlichen, effektiven Umsätze des Unternehmers, sondern theoretische Höchstkosten für die gesetzliche Krankenversicherung herangezogen werden.

Zum einen werden aufgrund der derzeitigen Umsatzerhebung in der Metrik der Apothekenverkaufspreise inkl. Umsatzsteuer explizit nicht dem pharmazeutischen Unternehmer zufließende Beträge wie die Umsatzsteuer oder Handelsmargen zum Umsatz gezählt, obwohl

diese fremdgesteuerten Beträge nicht zur Auskömmlichkeit des Arzneimittels beitragen. Zum anderen werden die vom Unternehmer an die GKV gewährten Rabatte und Rückzahlungen, wie etwa der regelhaft anfallende Herstellerpflichttrabatt und ggf. weitere vertrauliche Rückzahlungen, nicht umsatzmindernd berücksichtigt. Der tatsächlich effektive Umsatz eines Orphan Drugs wird somit aufgrund der nicht sachgemäßen Berechnungsgrundlage deutlich überschätzt und seine Schutzwürdigkeit unterschätzt. Mit der aktuellen Erhebung wird die Finanzierung weiterer Akteure in der Arzneimittelversorgung (Großhandel und Apotheken) mitbemessen, obwohl die Konsequenzen einer Überschreitung allein der pharmazeutische Unternehmer zu tragen hat. Zusätzlich werden Anreize für pharmazeutische Unternehmer, Rabatte zur Einhaltung der 30 Millionen Euro Orphan Drug-Umsatzschwelle anzubieten, systembedingt unterdrückt.

Eine Reformierung der praktischen Umsatzbemessung von Orphan Drugs im Kontext der Orphan Drug-Umsatzschwelle ist daher notwendig, um die

tatsächlichen, effektiven Umsätze des pharmazeutischen Unternehmers mit dem Arzneimittel zu erheben. Dazu muss zum einen die Umsatzbemessung auf Basis der Herstellerabgabepreise erfolgen. Zum anderen muss dem pharmazeutischen Unternehmer die Möglichkeit eingeräumt werden, die gemessenen Umsätze zu Listenpreisen (Herstellerabgabepreis) um gezahlte Rückerstattungen und Rabatte zu bereinigen. Darüber hinaus muss die Umsatzbemessung so reformiert werden, dass sowohl innovative Einmaltherapien, die die Kosten einer mehrjährigen Therapie vorziehen, als auch Therapien, die nur aufgrund kurzfristiger Umsatzspitzen die Umsatzschwelle temporär überschreiten, nicht in ihrer Schutzwürdigkeit benachteiligt werden. Nur mit dieser Reformierung kann eine faire Umsatzerhebung zur Feststellung der tatsächlichen Schutzwürdigkeit im Sinne der bestehenden Regelung für Orphan Drugs langfristig sichergestellt werden.