

Teil 1: Einführung

Die Lebenserwartung hat sich seit der Einführung der gesetzlichen Krankenversicherung im Jahr 1883 etwa verdoppelt.¹ Schon in den 1950er-Jahren wurde die Entwicklung wirksamer Arzneimittel als (Mit-)Ursache dafür angesehen.² Meilensteine in der Entwicklungsgeschichte lassen diesen Einfluss durchaus plausibel erscheinen: Wichtige Beispiele sind die Entdeckung von Penicillin im Jahr 1928³ oder die Entwicklung der ersten Immunsuppressiva, die in den 1960er-Jahren die Durchführung von Organtransplantationen möglich machten.⁴

Angemessene Preise für Arzneimittel zu finden, stellt eine Herausforderung dar. Bei der Diskussion um Arzneimittelpreise geht es darum, was Chancen wie die dargestellten Meilensteine in der Entwicklungsgeschichte kosten (dürfen). Einer Regulierung durch (zwingendes) öffentliches Recht sind dabei Grenzen gesetzt, denn eine Durchsetzung gegenüber internationalen pharmazeutischen Unternehmen ist regelmäßig nicht möglich. Mit der Möglichkeit zum Marktaustritt haben pharmazeutische Unternehmen eine machtvolle Position inne.⁵

Die Preisfindung in Deutschland erfolgt im Rahmen des sog. AMNOG-Verfahrens, das nach dem Gesetz seiner Einführung, dem Gesetz zur Neu-

1 „Der langfristige Trend der steigenden Lebenserwartung in Deutschland kann rückblickend seit der Veröffentlichung der ersten allgemeinen Sterbetafel von 1871/1881 für das damalige Reichsgebiet beobachtet werden. Damals betrug die durchschnittliche Lebenserwartung bei Geburt für Männer 35,6 Jahre und für Frauen 38,5 Jahre. Nach den Ergebnissen der aktuellen Sterbetafel 2020/2022 liegen diese Werte bei 78,3 Jahren (Männer) beziehungsweise 83,2 Jahren (Frauen).“ Statistisches Bundesamt (Destatis), Entwicklung der Lebenserwartung in Deutschland seit 1871/1881; abrufbar unter: <https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Sterbefaelle-Lebenserwartung/sterbetafel.html>.

2 Arbeitsgemeinschaft der Berufsvertretungen Deutscher Apotheker (ABDA) (Hrsg.), Der Arzneiverbrauch in der gesetzlichen Krankenversicherung von 1885 bis 1953, S. 38.

3 S. zusammenfassend zur Entwicklung von Penicillin Deutsches Patent- und Markenamt (DPMA), Penicillin; abrufbar unter: <https://www.dpma.de/dpma/veroeffentlichungen/meilensteine/erfindungenmitgeschichten/95jahrepenicillin/index.html>.

4 Nagel/Schmidt, Transplantation, 1996, S. 6.

5 S. kritisch zur Ausnutzung des Verhandlungsmacht Bersi/Peigné/Buzzoni, Investigate Europe, Geheime Preisabsprachen: Wie Pharmaunternehmen EU-Staaten gegeneinander ausspielen, 13.06.2024; abrufbar unter: <https://www.investigate-europe.eu/de/posts/deadly-prices-medicine-dealers-europe-secret-drug-negotiations>.

ordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung (Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz – AMNOG),⁶ benannt wurde. Um dieses Verfahren und seine Auswirkungen geht es in dieser Arbeit.

Kapitel 1: Einleitung und Ziel der Untersuchung

Im Jahr 2023 waren rund 74,3 Millionen Menschen in Deutschland gesetzlich krankenversichert.⁷ Die Einwohnerzahl lag bei ca. 84,67 Millionen Menschen.⁸ Der Anteil der gesetzlich Versicherten beträgt also rund 87,75 %. Dadurch hängt der deutsche Pharmamarkt – als größter Pharmamarkt Europas⁹ – erheblich von der sozialversicherungsrechtlichen Ausgestaltung des Gesundheitssystems ab.

48,8 Milliarden Euro¹⁰ hat die gesetzliche Krankenversicherung im Jahr 2022 für Arzneimittel ausgegeben. Das entspricht einem Anteil von 16,9 % der Gesamtausgaben.¹¹ Die Ausgaben für Arzneimittel stellen also durchaus eine bedeutsame Position der Ausgaben der gesetzlichen Krankenversicherung dar.

Die Versorgung basiert zwar weit überwiegend auf dem Einsatz von patentfreien Arzneimitteln, den sog. Generika (d. h. in der Regel sehr günstige

6 Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung (Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz – AMNOG) vom 22.12.2010, BGBl. I 2010, Nr. 67 vom 27.12.2010, S. 2262.

7 Statista GmbH, Quelle: BMG 2023, Anzahl der Mitglieder und Versicherten der gesetzlichen und privaten Krankenversicherung in den Jahren 2017 bis 2023 (in Millionen); abrufbar unter: <https://de.statista.com/statistik/daten/studie/155823/umfrage/gkv-pkv-mitglieder-und-versichertenanzahl-im-vergleich/>.

8 Statista GmbH, Quelle: Statistisches Bundesamt. 2024, Bevölkerung – Einwohnerzahl von Deutschland von 1990 bis 2023 (in Millionen); abrufbar unter: <https://de.statista.com/statistik/daten/studie/2861/umfrage/entwicklung-der-gesamtbevoelkerung-deutschlands/>.

9 Bauer/May, IBES Diskussionsbeitrag Nr. 225, April 2019, Anpassung von AMNOG-Preisfaktoren im Zeitverlauf – Eine Analyse mit Fokus auf das Kriterium der europäischen Vergleichspreise, S. 49; abrufbar unter: https://www.wiwi.uni-due.de/fileadmin/fileupload/WIWI/Forschung/IBES_Diskussionbeitraege/IBES_2019_Nr225.pdf.

10 Statista GmbH, Quelle: BMG 2023, Arzneimittelausgaben der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) in den Jahren 1999 bis 2022 (in Milliarden Euro); abrufbar unter: <https://de.statista.com/statistik/daten/studie/152841/umfrage/arzneimittelausgaben-der-gesetzlichen-krankenversicherung-seit-1999/>.

11 S. Verband der Ersatzkassen e. V. (vdek), Daten zum Gesundheitswesen: Arzneimittel, abrufbar unter: https://www.vdek.com/presse/daten/d_ausgaben_arzneimittel.html.

Nachahmerarzneimittel, die dem Originalpräparat aber im Wesentlichen entsprechen). Durch die höheren Preise für Arzneimittel mit patentgeschützten Wirkstoffen liegt ihr Anteil an den Gesamtausgaben für Arzneimittel über den Ausgaben für Generika.¹² Vor diesem Hintergrund richten sich Kostendämpfungsmaßnahmen¹³ spezifisch auf Ausgabenzuwächse, die dem medizintechnologischen Fortschritt im „Bereich patentgeschützter Arzneimittel“¹⁴ zugeschrieben werden.¹⁵

In dieser Arbeit soll es um die Regulierung von Erstattungsbeträgen der gesetzlichen Krankenversicherung für patentgeschützte Arzneimittel gehen, also um Arzneimittel, die patentgeschützte Wirkstoffe enthalten und/oder auf patentgeschützten Verfahren beruhen.

Der Patentschutz (bzw. der arzneimittelrechtliche Unterlagenschutz)¹⁶ schließt die Produktion günstiger Generika aus und führt so dazu, dass

12 Telschow/Schröder/Baukmann/Niepraschk-von Dollen/Zawinell, Der Arzneimittelmarkt 2021 im Überblick, in: Schröder/Thürmann/Telschow/Schröder/Busse (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2022, 219–256, 220, 227; Pro Generika eV (Hrsg.), Generika in Zahlen, Marktdaten Pro Generika 2017, S. 4; abrufbar unter: https://www.progenerika.de/app/uploads/2020/11/Generika-in-Zahlen_Das-Jahr-2017_ES.pdf.

13 Es zeichnet sich eine Finanzierungslücke ab, BT-Drs. 20/3448, S. 1: „In den Jahren 2011 bis 2019 wuchsen die beitragspflichtigen Einnahmen der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) im Durchschnitt um 4 Prozent jährlich und damit weitgehend proportional zum Anstieg der GKV-Ausgaben. 2020 und 2021 lagen die Zuwächse bei den Beitragseinnahmen im Gesundheitsfonds pandemiebedingt deutlich darunter. Durch den demografischen Wandel und die zu erwartende rückläufige Zahl der Beschäftigten ist auch für die kommenden Jahre mit einem geringeren Anstieg der beitragspflichtigen Einnahmen zu rechnen. Diese verminderten Zuwächse bei den Beitragseinnahmen tragen maßgeblich zur aufwachsenden GKV-Finanzierungslücke seit dem Jahr 2020 bei.“

14 BT-Drs. 20/3448, S. 1.

15 Aktuell zum Beispiel das Gesetz zur finanziellen Stabilisierung der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV-Finanzstabilisierungsgesetz GKV-FinStG) vom 07.11.2022, BGBl. I 2022, Nr. 42 vom 11.11.2022, S. 1990; s. zur Kostenentwicklung durch medizinische Innovationen auch Dierks, PharmR 2000, 336–338, 336 ff.

16 Der Patentschutz bezieht sich auf die im Arzneimittel enthaltenen Wirkstoffe und Verfahren. Die Wortwahl „patentgeschützte Arzneimittel“ ist insoweit streng genommen terminologisch nicht ganz präzise. Die verkürzende Formulierung „patentgeschützte Arzneimittel“ ist jedoch üblich und wird auch im Folgenden für die gesamte Phase der Marktexklusivität verwendet, die aus dem Patentschutz oder dem arzneimittelrechtlichen Unterlagenschutz folgt; s. ausführlich zur Phase der Marktexklusivität aufgrund des Zusammenspiels des Patentschutzes und des arzneimittelrechtlichen Unterlagenschutzes unten Teil 2 Kapitel 3 A.

für Arzneimittelinnovationen Marktexklusivität besteht.¹⁷ Dadurch kann die Preisbildung nicht im Wettbewerb erfolgen, denn eine Verlagerung der Nachfrage auf konkurrierende Arzneimittel oder sonst alternative Therapien kann mit gewichtigen Nachteilen einhergehen: Falls eine bisher nicht behandelbare tödliche Erkrankung durch eine Arzneimittelinnovation geheilt werden kann, können Patienten und Patientinnen – aus ethischem Gründen – nicht auf Alternativen verwiesen werden. Ohne annähernd gleichwertige „Konkurrenz“ lässt sich über den Prozess von Angebot und Nachfrage kein Marktgleichgewicht erreichen.¹⁸ Angemessene Preise für Arzneimittelinnovationen zu finden, ist daher problematisch, denn es geht um den Wert von (Über-)Lebenschancen.

Das AMNOG-Verfahren ist im fünften Buch des Sozialgesetzbuches (SGB V), also im Recht der gesetzlichen Krankenversicherung, geregelt. Trotz dieser Verortung betrifft das Verfahren die gesamte Arzneimittelversorgung in Deutschland, denn gemäß § 78 Abs. 3 S. 1 Arzneimittelgesetz (AMG) haben pharmazeutische Unternehmen einen einheitlichen Abgabepreis sicherzustellen, der lediglich unterschritten werden darf (gemäß § 78 Abs. 3 S. 2 AMG). Im Rahmen des AMNOG-Verfahrens geht es also um Preisobergrenzen für Arzneimittelinnovationen auf dem gesamten deutschen Markt, also insbesondere auch für Arzneimittel zu Lasten privater Krankenversicherungen und Beihilfeträger.

Es bestand lange kein Instrumentarium zur Preisregulierung, sodass pharmazeutische Unternehmen Preise für patentgeschützte Arzneimittel frei festsetzen konnten.¹⁹ Vor rund 13 Jahren wurde mit dem AMNOG ein nationales Verfahren zur Preisregulierung eingeführt.²⁰ Mit der Einführung verfolgte der Gesetzgeber drei Ziele:

-
- 17 S. ausführlich zum Patent- und Unterlagenschutz Kortland, in: Kügel/Müller/Hofmann, Arzneimittelgesetz, § 24b AMG, Rn. 8; Rehmann, in: Rehmann, Arzneimittelgesetz, 2020, § 24b AMG, Rn. 17.
 - 18 Vgl. z. B. Zweifel/Breyer/Kifmann, Health Economics, 2009, S. 155, 157, 160; Kluckert, GUP 2018, 201–207, 204; Greiner/Gensorowsky/Witte, Interdisziplinäre Plattform Nutzenbewertung, AMNOG 2.0: Auf dem Weg zu einem effizienten System, Heft 18, März 2024, 10–17, 10; s. zu Beispielen unten Kapitel 2 A.
 - 19 Zentner/Busse, GGW 2011, 25–34; Stadelhoff, Gesundheitsrecht.blog Nr. 7, 2023, S. 1; abrufbar unter: <https://doi.org/10.13154/294-9623>.
 - 20 S. Entwurf eines Gesetzes zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung (Arzneimittelmarkt-Neuordnungsgesetz – AMNOG): „Der Gesetzesentwurf enthält signifikante Einschnitte in die unternehmerische Freiheit der pharmazeutischen Unternehmer und hat bedeutsame Auswirkungen auf die forschungsintensive pharmazeutische Industrie.“ BT-Drs. 17/3116, S. 21.

- „1. Den Menschen müssen im Krankheitsfall die besten und wirksamsten Arzneimittel zur Verfügung stehen.
2. Die Preise und Verordnungen von Arzneimitteln müssen wirtschaftlich und kosteneffizient sein.
3. Es müssen verlässliche Rahmenbedingungen für Innovationen, die Versorgung der Versicherten und die Sicherung von Arbeitsplätzen geschaffen werden.“²¹

Diese Ziele sollen insbesondere durch die Bindung des Preises von Arzneimittelinnovationen an den sog. Zusatznutzen²² erreicht werden.²³ Der Zusatznutzen eines innovativen Arzneimittels wird durch einen Vergleich mit dem bisherigen Behandlungsstandard, der sog. zweckmäßigen Vergleichstherapie, ermittelt und der Preis soll daran ausgerichtet werden. Grundgedanke des Verfahrens ist es also, dass die Krankenkassen nur höhere Preise für eine innovative Therapie bezahlen sollen, wenn und soweit dies durch einen Zusatznutzen gerechtfertigt ist.²⁴

Das AMNOG-Verfahren²⁵ sieht dazu zwei wesentliche Schritte vor:

Zunächst erfolgt eine Nutzenbewertung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) (gemäß § 35a Abs. 1 SGB V). Das Ergebnis der Nutzenbewertung ist eine Feststellung zum Zusatznutzen und gegebenenfalls zu dessen Ausmaß. Auf dieser Basis werden Verhandlungen der Erstattungsbeträge zwischen dem pharmazeutischen Unternehmen und dem GKV-Spitzenverband (gemäß § 130b Abs. 1 SGB V) durchgeführt. Der Verhandlungsrahmen hängt dabei entscheidend vom medizinwissenschaftlich zu erbringenden Nachweis des Zusatznutzens ab (vgl. § 35a Abs. 1 SGB V). Ohne Nachweis eines Zusatznutzens bzw. eines bestimmten Zusatznutzenausmaßes sind die Möglichkeiten zur Aushandlung des Erstattungsbetrages von vornherein limitiert, denn es sind Preisobergrenzen und Abschläge geregelt.²⁶

Das AMNOG-Verfahren hängt daher von der medizinwissenschaftlichen Erkenntnislage ab. Diese Steuerung stößt allerdings immer dann an Gren-

21 BT-Drs. 17/2413, S. 15.

22 S. zum Begriff des „Nutzen“ und des „Zusatznutzens“ im SGB V ausführlich Köhler, Das gebrochene Preismonopol der Pharmaindustrie, 2013, S. 33 f.

23 Vgl. Krasney, in: Fuhrmann/Klein/Fleischfresser, Arzneimittelrecht 2020, § 45, Rn. 4.

24 Stadelhoff, Gesundheitsrecht.blog Nr. 7, 2023, S. 2; abrufbar unter: <https://doi.org/10.13154/294-9623>.

25 S. unten ausführlich zu den Abläufen des Verfahrens Teil 2 Kapitel 3.

26 S. zu den aus der Nutzenbewertung unmittelbar folgenden Grenzen für die Aushandlung des Erstattungsbetrages unten Teil 2 Kapitel 3 C. 1. a) (1), (2).

zen, wenn (noch) keine hinreichenden Erkenntnisgrundlagen bestehen und medizinwissenschaftliche Methoden nicht zu einer Entscheidungsfindung beitragen können.

Zum Beispiel bereitet der gentechnische Fortschritt insoweit Probleme, denn Nutzen- und Wirksamkeitsbelege setzen typischerweise vergleichende Studien voraus.²⁷ Im Zusammenhang mit gentechnischen Verfahren, die regelmäßig der personalisierten Medizin angehören und auf eine lebenslange Wirkung ausgerichtet sind, stößt die anerkannte medizinwissenschaftliche Methodik zunehmend an Grenzen. Hintergrund dessen ist, dass langjährige vergleichende Studien nur sehr schwer durchzuführen sind und bei personalisierten Verfahren eine Vergleichsgruppe fehlt. Dadurch entfällt die Aussagekraft des vom Gesetzgeber vorgegebenen wesentlichen Entscheidungskriteriums, falls sich der Zusatznutzen nicht nach bisher üblicher Methodik nachweisen lässt.

Grundsätzlich sind die Regelungen des SGB V innovationsoffen angelegt²⁸ und das AMNOG-Verfahren zielt darauf ab, dass die besten und wirksamsten Arzneimittel verfügbar sind. Um diesen Zielen gerecht zu werden und um den Anforderungen des medizinischen Fortschritts Schritt zu halten, werden Reformen gefordert.²⁹ Diese Untersuchung nimmt diese Forderungen zum Anlass, einen möglichen Reformbedarf zu analysieren.

Darüber hinaus stellt sich die Frage, wie Reformen im Rahmen der bestehenden Governance-Strukturen gelingen könnten. Die Durchführung des AMNOG-Verfahrens ist der Selbstverwaltung auf Bundesebene übertragen: Beim G-BA, der mit der Durchführung der Nutzenbewertung betraut ist, handelt es sich um das oberste Beschlussgremium der sog. gemeinsamen Selbstverwaltung im Gesundheitswesen. Es handelt sich um *gemeinsame* Selbstverwaltung, da Krankenkassen, die Ärzteschaft und Krankenhäuser stimmberechtigt im G-BA vertreten sind.³⁰ Beim GKV-Spitzenverband, der die Erstattungsbetragsverhandlungen mit dem pharmazeutischen Unternehmen durchführt, handelt es sich um die zentrale Interessenvertretung der gesetzlichen Kranken- und Pflegekassen.

27 Vgl. *Raspe*, GesR 2011, 449–454, 451.

28 Vgl. *Gaßner/Strömer*, SGB, 2011, 421–429, 421; z. B. *Vißmann* geht davon aus, dass dies auch verfassungsrechtlich geboten ist VSSR 2010, 105–149, 141 f.

29 Vgl. auch *Woskowski/Burgard*, MedR 2022, 736–744; *Rybak*, A&R 2024, 64–66, 64 ff.; vgl. *Mutschler*, Interview mit Christian Hilmer (Janssen-Cilag), Market access & health policy 2024, Heft 3, 6–9, 8 f.

30 S. zur Besetzung des G-BA unten Teil 5 Kapitel 1 B.

Grundgedanke funktionaler Selbstverwaltung ist es, eine Mitwirkung der unmittelbar Betroffenen vorzusehen, um den jeweiligen Sachverstand einzubringen.³¹ Die Übertragung von Aufgaben an Selbstverwaltungsakteure setzt voraus, dass die Akteure über eine hinreichende demokratische Legitimation zur Wahrnehmung der jeweiligen Aufgabe verfügen.

Daraus entsteht eine komplizierte Situation, denn hinreichende demokratische Legitimation verlangt, dass sich die Ausübung von Staatsgewalt auf den Willen des Volkes zurückführen lässt. Eine Aufgabenübertragung setzt daher voraus, dass ein gewisses Maß gesetzlicher Steuerung erfolgt. Die konkreten Anforderungen sind umstritten.³² Gleichzeitig ist die Übertragung von Aufgaben und Entscheidungsprozessen an Selbstverwaltungsakteure nur sinnvoll und gerechtfertigt, wenn ihnen ein gewisser Entscheidungsspielraum belassen wird, der die Möglichkeit eröffnet, Sachverstand einzubringen.³³

Eine Bindung des G-BA an medizinwissenschaftliche Maßstäbe und medizinwissenschaftliche Methodik bietet sich grundsätzlich dafür an, denn es handelt sich um eine rationale Methodik, deren Anwendung Sachverstand voraussetzt und die eine gewisse Vorhersehbarkeit ermöglicht.³⁴ Das gilt allerdings nicht einschränkungslos, denn auch medizinwissenschaftliche Entscheidungen kommen nicht ohne Wertungen aus. Zum Beispiel muss im Rahmen einer medizinwissenschaftlichen Nutzenbewertung zunächst festgelegt werden, welchem Endpunkt überhaupt ein Nutzen beigemessen wird.³⁵ Dabei gilt es allgemein über Versorgungsprioritäten zu entscheiden,

31 Dreier, in: Dreier, Grundgesetz, 2015, Art. 20 GG (Demokratie) [Verfassungsprinzipien; Widerstandsrecht], Rn. 128–131; Grzeszick, in: Dürig/Herzog/Scholz, Grundgesetz-Kommentar, Stand: Lfg. 97 Januar 2022, Art. 20 GG, Rn. 176.

32 Das Bundesverfassungsgericht geht zum Beispiel davon aus, dass die Vermittlung demokratischer Legitimation durch gesetzliche Anleitung erfolgen kann. Dabei deutet die Entscheidung darauf hin, dass eine enge gesetzliche Anleitung andere Möglichkeiten (z. B. eine, auf Wahlen beruhende, personelle Legitimation) (teilweise) ersetzen kann; BVerfG, Beschluss vom 10.11.2015, 1 BvR 2056/12, Rn. 22 juris = BVerfGE 140, 229–240, 238 f., Rn. 22; s. zusammenfassend zum Streit um die demokratische Legitimation des G-BA unten Teil 5 Kapitel I C.

33 Vgl. Kingreen, Optionen zur Stärkung der demokratischen Legitimation des Gemeinsamen Bundesausschusses im Recht der gesetzlichen Krankenversicherung – Rechtsgutachten für das Bundesministerium für Gesundheit, S. 153 ff.

34 Vgl. zur Evidenzbasierung in der gesetzlichen Krankenversicherung Huster/Bohmeier, Evidenzbasierung als Priorisierungskriterium im Krankenversicherungsrecht, in: Schmitz-Luhn/Bohmeier (Hrsg.), Priorisierung in der Medizin, 2013, 53–60, 58.

35 Vgl. Nagel/Alber/Bayerl, Evidenzbasierte Medizin – Grundlage für eine Prioritätensetzung im Gesundheitswesen?, in: Schmitz-Luhn/Bohmeier (Hrsg.), Priorisierung

denn im Zusammenhang mit Arzneimittelpreisen geht es um die Frage, wie viel das Solidarsystem für die Versorgung mit welchen Arzneimittelinnovationen auszugeben bereit ist.³⁶

Nach der aktuellen Ausgestaltung des AMNOG-Verfahrens bestehen zum Beispiel keine Regelungen dafür, ob Kostenersparnisse oder Potenziale für Kostenersparnisse in anderen Sozialversicherungszweigen und der Sozialfürsorge einbezogen werden können. Diese Frage stellt sich zum Beispiel, wenn eine Arzneimittelinnovation die Arbeitsfähigkeit der Versicherten aufrechterhält bzw. verbessert oder eine Pflegebedürftigkeit verhindert, verringert oder verzögert werden kann. Soweit ersichtlich dringen pharmazeutische Unternehmen mit Argumentationen in diesem Sinne nicht durch.

Die medizinwissenschaftliche Ausrichtung des AMNOG-Verfahrens führt also dazu, dass Aspekte, die aus gesamtgesellschaftlicher Perspektive durchaus relevant sind, derzeit nicht berücksichtigt werden. Darauf ist das AMNOG-Verfahren auch nicht ausgerichtet, denn es handelt es sich nicht um eine allgemeine Kosten-Nutzen-Bewertung:

Das Verfahren basiert auf einem Vergleich mit den Kosten des bisherigen Therapiestandards mit der Arzneimittelinnovation. Der bisherige Therapiestandard, soweit eine Therapiemöglichkeit besteht, beruht aber regelmäßig nicht auf einer Nutzenbewertung.³⁷ Der bisherige Therapiestandard kann zum Beispiel aus einer Generika-Therapie bestehen, deren Kosten unter Wettbewerbsbedingungen zustande gekommen sind.³⁸

Es spräche viel dafür, ein konsistentes Kosten-Nutzen-Bewertungsmodell zu entwickeln.³⁹ Die Entwicklung eines Kosten-Nutzen-Bewertungsmodells ist aber keine allein juristische Aufgabe und daher auch nicht Gegenstand dieser Arbeit.

Im Folgenden soll es darum gehen, das AMNOG-Verfahren näher zu analysieren, Steuerungsprobleme herauszuarbeiten und daraus einen Vorschlag für Reformen der bestehenden Regulierung zu erarbeiten. Ein besonderer Fokus liegt dabei auf den geschilderten Grenzen einer medizinwissenschaftlichen Entscheidungsfindung, denn dies wirft die bisher unbe-

in der Medizin, 2013, 37–52, 43; vgl. dazu auch *Huster/Bohmeier*, Evidenzbasierung als Priorisierungskriterium im Krankenversicherungsrecht, in: *Schmitz-Luhn/Bohmeier* (Hrsg.), *Priorisierung in der Medizin*, 2013, 53–60, 58.

36 *Huster*, NZS 2017, 681–686, 686.

37 S. dazu auch *Huster*, NZS 2017, 681–686, 682.

38 S. ausführlich zur Monetarisierung des Zusatznutzens unten Teil 2 Kapitel 3 C. I. 1.

39 Vgl. *Huster*, NZS 2017, 681–686, 686; *Greiner/Storm*, 10 Jahre AMNOG – Rückblick und Ausblick, in: *Storm* (Hrsg.), *AMNOG-Report 2020*, S. VI; *Korzilius/Osterloh*, Dtsch Arztebl 2016; Jg. 113 Heft 3: A-57 – A60, A58 f.

antwortete Frage nach Alternativen auf. Im nachfolgenden Kapitel 2 unter A. schließt sich eine einführende Darstellung von Preisbildungsbeispielen an, die kritische Diskussionen ausgelöst haben.

Das AMNOG-Verfahren entscheidet nicht darüber, ob Versicherte patentgeschützte Arzneimittel im Einzelfall erhalten, denn insoweit tritt insbesondere noch die Ebene der verordnenden Ärzte und Ärztinnen hinzu, die Budgetierungsregelungen der Kassenärztlichen Vereinigungen unterliegen. Inkonsistenzen der gesetzlichen Steuerung treten daher gerade auch im Zusammenspiel zwischen den Ebenen zutage. Im Kapitel 2 unter B. wird daher das für die Versorgung mit patentgeschützten Arzneimitteln relevante Mehrebenensystem zusammenfassend beschrieben.

Kapitel 2: Preisbildung im Mehrebenensystem

Der medizinische Fortschritt – insbesondere gentechnische Verfahren der personalisierten Medizin – erschwert es die Leistungskonkretisierung gesetzlich (vor) zu steuern, da sich die Herausforderungen zunehmend schwerer antizipieren lassen. Dazu lohnt sich ein Blick auf Preisbildungsbeispiele in kritischer Diskussion. Eine besondere Schwierigkeit entsteht dabei dadurch, dass das AMNOG-Verfahren in engem Zusammenhang mit dem vorgelagerten arzneimittelrechtlichen Zulassungsverfahren und der nachgelagerten Ebene der Kassenärztlichen Vereinigungen im Rahmen von Wirtschaftlichkeitsprüfungen steht. Welche Arzneimittel einzelne Versicherte letztlich erhalten, wird also auf mehreren Ebenen entschieden – bzw. folgt aus dem Zusammenspiel der Ebenen.

A. Preisbildungsbeispiele in der Diskussion

Die Preisbildung und das Zusammenspiel der Ebenen gesetzlich zu steuern ist problematisch, denn der medizinische Fortschritt führt zu einer komplizierten Ausgangslage: Ein Beispiel in der Diskussion ist Onasemnogen-Abeparvovec (Zolgensma®) von Novartis, das seit Mai 2020 zur Behandlung der seltenen (5q-assoziierten) spinalen Muskelatrophie (SMA) zugelassen ist. Das Arzneimittel zielt – mit lediglich einer Spritze – auf eine Korrektur eines erblichen Gendefekts ab, welcher einen tödlich ver-

laufenden Muskelschwund verursacht.⁴⁰ Das Gentherapeutikum soll die Krankheit heilen oder den Krankheitsverlauf zumindest verlangsamen.

Die spinale Muskelatrophie, als seltene Erkrankung, ist ein prägnantes Beispiel für Nachweisschwierigkeiten durch den gentechnischen Fortschritt, denn es handelt sich nicht nur um eine seltene Erkrankung, sondern auch um eine früh ausbrechende Erbkrankheit. Studien müssen daher an schwer kranken Kleinkindern und Säuglingen durchgeführt werden. Onasemnogen-Abeparvovec (Zolgensma®) wurde vor der Zulassung zunächst⁴¹ nur an Kindern im Alter unter 24 Monaten und nur an 63 Patienten bzw. Patientinnen getestet.⁴²

Der im Rahmen des AMNOG-Verfahrens ermittelte Erstattungsbetrag gilt ab dem siebten Monat (vgl. § 130b Abs. 3a S. 2 SGB V), sodass das pharmazeutische Unternehmen den Preis in den ersten sechs Monaten frei festsetzen kann (vgl. § 130b Abs. 3a S. 2 SGB V). Während dieser Phase kam Onasemnogen-Abeparvovec (Zolgensma®) zu einem Preis in Höhe von 2,26 Millionen Euro (inkl. Mehrwertsteuer) auf den deutschen Markt.⁴³ Das Arzneimittel wurde aufgrund seines Preises „Zwei-Millionen-Dollar-Spritze“ genannt und das pharmazeutische Unternehmen Novartis löste nicht nur durch die Höhe des Preises intensive Kritik⁴⁴ aus, sondern auch durch den Umstand, dass Novartis das Arzneimittel zunächst verlost hatte.⁴⁵

40 S. Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie: Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V Onasemnogen-Abeparvovec (Überschreitung 50 Mio. € Grenze: Spinale Muskelatrophie) Vom 4. November 2021, BAnz AT 07.12.2021 B3.

41 Inzwischen liegen zusätzliche Daten zu älteren Probanden und Probandinnen vor; Pressemeldung von Novartis vom 04.03.2024; abrufbar unter: <https://www.novartis.com/news/media-releases/novartis-presents-new-data-safety-and-efficacy-zolgensma-including-maintained-and-improved-motor-milestones-older-and-heavier-children-sma>.

42 Deutsche Gesellschaft für Neurologie e.V. (DGN), Spinale Muskelatrophie bei Säuglingen (SMA Typ 1): Europäische Studie bestätigt Wirksamkeit, Meldung vom 08.10.2021; abrufbar unter: <https://dgn.org/artikel/2336>; s. auch N. N., Pharmazeutische Zeitung, Arzneistoffübersicht zu Onasemnogen-Abeparvovec (Zolgensma®), Meldung vom 04.08.2020; abrufbar unter: <https://www.pharmazeutische-zeitung.de/arzneistoffe/daten/2020/onasemnogen-abeparvoveczolgensmatm422020/>.

43 BKK Dachverband, Das teuerste Arzneimittel der Welt ist nun in Deutschland auf dem Markt, Meldung vom 06.08.2020; abrufbar unter: <https://www.bkk-dachverband.de/versorgung/arzneimittel/das-teuerste-arzneimittel-der-welt-ist-nun-in-deutschland-auf-dem-markt>.

44 Ströttchen, GuP 2022, 167–173, 171.

45 S. dazu auch Schultz/Weber, Spiegel vom 02.02.2020, Was hinter der Verlosung eines Millionen-Medikaments steckt; abrufbar unter: <https://www.spiegel.de/wirtschaft/so>

Die Behandlung mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie (Nusinersen (Spinraza®))⁴⁶ verursacht jährliche Therapiekosten in Höhe von rund 300.000 Euro,⁴⁷ sodass bei einer Verzögerung der Krankheit von etwas mehr als sechseinhalb Jahren bereits der Betrag in Höhe von zwei Millionen Euro eingespart wäre.

Auf den ersten Blick scheint dieser Vergleich⁴⁸ den hohen Preis des bei seiner Markteinführung teuersten Arzneimittels der Welt⁴⁹ zu relativieren.

Für die Finanzierbarkeit der Sozialversicherungssysteme ist dieser große Erfolg der Arzneimittelforschung jedoch äußerst bedrohlich: Die zweckmäßige Vergleichstherapie, also das RNA-Therapeutikum Nusinersen (Spinraza®), hat erst im Dezember 2016 das arzneimittelrechtliche Zulassungsverfahren erfolgreich abgeschlossen und ist das erste Arzneimittel, das zur Behandlung spinaler Muskelatrophie zugelassen wurde.⁵⁰ Ohne Behandlung der Erkrankung ist die Lebenserwartung der betroffenen Kinder extrem kurz. Bei schweren Verlaufsformen tritt der Tod im frühen Kindes- bzw. sogar noch im Säuglingsalter ein.⁵¹ Eine isolierte, streng wirtschaftliche Betrachtung führt daher zu dem Befund, dass die Entwicklung der – lebensrettenden – Arzneimittelinnovationen zu erheblichen zusätzlichen

ziales/zolgensma-novartis-verlost-teuerstes-medikament-der-welt-an-kinder-a-44556bb4-dece-448e-8917-4d397910f483.

46 S. zum Arzneimittelprofil: <https://www.gesundheitsinformation.de/nusinersen-spinraza-bei-spinaler-muskelatrophie.html>.

47 BKK Dachverband, Das teuerste Arzneimittel der Welt ist nun in Deutschland auf dem Markt, Meldung vom 06.08.2020; abrufbar unter: <https://www.bkk-dachverband.de/versorgung/arzneimittel/das-teuerste-arzneimittel-der-welt-ist-nun-in-deutschland-auf-dem-markt>.

48 Die aktuell vorliegende Datenlage reicht nach Einschätzung des IQWiG (d. h. des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen gemäß § 139a SGB V) jedoch nicht aus, um einen Zusatznutzen von Onasemnogen-Abeparvovec (Zolgensma®) gegenüber Nusinersen (Spinraza®) zu beurteilen; s. <https://www.gesundheitsinformation.de/onasemnogen-abeparvovec-zolgensma-bei-spinaler-muskelatrophie.html>.

49 Die Gentherapie Libmeldy® zur Behandlung der Stoffwechselstörung metachromatische Leukodystrophie (MLD) wurde später mit einem Listenpreis in Höhe von 2,9 Millionen Euro angeboten, s. Kurz, Pharmazeutische Zeitung, AOK schlägt Alternativen zur Preisbildung vor, Meldung vom 27.10.2021; abrufbar unter: <https://www.pharmazeutische-zeitung.de/aok-schlaegt-alternativen-zur-preisbildung-vor-128862/>.

50 Müller, DAZ.online, Meldung vom 19.05.2020; abrufbar unter: <https://www.deutsche-apotheker-zeitung.de/news/artikel/2020/05/19/ema-erteilt-zolgensma-bedingte-zulassung>.

51 Weiß/Ziegler/Becker/Johannsen/Brennenstuhl/Schreiber et al., The Lancet Child & Adolescent Health, Volume 6, Issue 1, 2022, 17–27; abrufbar unter: [https://doi.org/10.1016/S2352-4642\(21\)00287-X](https://doi.org/10.1016/S2352-4642(21)00287-X).

Kosten für die gesetzliche Krankenversicherung geführt hat, die bei schweren Verlaufsformen und nur kurzer palliativer Versorgung wahrscheinlich vielfach nicht angefallen wären. Dieser rasante medizinische Fortschritt – insbesondere gentherapeutischer Verfahren – mündet daher in einer sich gleichermaßen rasant entwickelnden Preisspirale.⁵² Außerdem wird gerade untersucht, ob ein zusätzlicher Vorteil durch die Gabe der bisherigen Standardtherapie Spinraza (Nusinersen) entsteht,⁵³ sodass sich die Kosten kombinieren könnten.

Die Interessen der Pharmaindustrie und der Träger der gesetzlichen Krankenversicherung liegen daher denkbar weit auseinander: Die Pharmaindustrie kritisiert das AMNOG-Verfahren als Innovationsbremse.⁵⁴ Der GKV-Spitzenverband betont demgegenüber, dass nur selten überhaupt ein (zu vergütender) Zusatznutzen festzustellen sei.⁵⁵

Falls das AMNOG-Verfahren zu einem (zu) niedrigen Erstattungsbetrag führt, ist es möglich, dass sich das pharmazeutische Unternehmen für einen Rückzug vom deutschen Markt entscheidet. Die Entscheidung des pharmazeutischen Unternehmens für einen Marktaustritt kann einerseits durch eine (national) unwirtschaftliche Marge begründet sein, aber auch durch sonstige strategische Überlegungen. So wird der deutsche Preis als sog. Referenzpreis teils in die Preisbildung anderer Länder einbezogen,

52 S. zu teuren Einmaltherapien, die regelmäßig keine anderen Therapien substituieren Greiner/Witte, Erstattungsherausforderungen bei Orphan Drugs, in: Storm (Hrsg.), AMNOG-Report 2022, S. 65 f.

53 Müller, DAZ.online, Meldung vom 25.08.2020; abrufbar unter: <https://www.deutsche-apotheker-zeitung.de/news/artikel/2020/08/25/erst-zolgensma-dann-spinraza>.

54 Vgl. Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V., Innovationsbremse AMNOG, Meldung vom 16.09.2014; abrufbar unter: <https://www.vfa.de/de/wirtschaft-politik/artikel-wirtschaft-politik/innovationsbremse-amnog.html>; s. zu aktuellen Verfassungsbeschwerden Tebroke, Pharmazeutische Zeitung, Meldung vom 16.11.2023; abrufbar unter: <https://www.pharmazeutische-zeitung.de/vier-verfassungsbeschwerden-gegen-spargesetz-143738/>; der GKV-Spitzenverband stuft das AMNOG-Verfahren nicht als Innovationsbremse ein; vgl. Erdmann als Teamleiter im Referat AMNOG EBV beim GKV-Spitzenverband, Tagesspiegel Background, Beitrag vom 25.01.2023, abrufbar unter: https://background.tagesspiegel.de/gesundheit/versorgung-trotz-marktrueckzug-gewaehrleistet; N. N., GKV 90 Prozent, 2023, Ausgabe 32; abrufbar unter: https://www.gkv-90prozent.de/ausgabe/31/meldungen/31_amnog_optout/31_amnog_optout.html.

55 Erdmann, Tagesspiegel Background, Beitrag vom 25.01.2023, abrufbar unter: <https://background.tagesspiegel.de/gesundheit/versorgung-trotz-marktrueckzug-gewaehrleistet>.

sodass ein niedriger Preis in Deutschland über die Landesgrenze hinaus wirkt.⁵⁶

Ein Beispiel dafür ist Amivantamab (Rybrevant®) des Unternehmens Janssen-Cilag zur Behandlung von Patienten und Patientinnen mit fortgeschrittenem, nichtkleinzelligem Lungenkarzinom. Nachdem der G-BA einen Zusatznutzen des Wirkstoffs als nicht erwiesen angesehen hatte, war der nächste Verfahrensschritt der Erstattungsbetragsverhandlungen an dieses Ergebnis gebunden, denn gemäß § 130b Abs. 3 S.1 SGB V a. F. sollte für ein Arzneimittel, das keinen Zusatznutzen hat ein Erstattungsbetrag vereinbart werden, der nicht zu höheren Jahrestherapiekosten führt als, die zweckmäßige Vergleichstherapie. Daher war bereits nach der Feststellung des G-BA zum Fehlen eines Zusatznutzens abzusehen, dass nur ein – aus Sicht des pharmazeutischen Unternehmens – zu niedriger Erstattungsbetrag ausgehandelt werden kann. Das Unternehmen hat das Arzneimittel daher im Sommer 2022 vom deutschen Markt genommen.⁵⁷ Falls das Arzneimittel nunmehr dennoch verordnet wird, muss es ggf. im Ausland beschafft werden, denn es kann ein (Sach-)Leistungsanspruch der Versicherten auf eine (teure) Beschaffung von Arzneimitteln aus dem Ausland bestehen.⁵⁸

Weiteres intensiv kritisiertes Beispiel ist das Arzneimittel Sofosbuvir (Sovaldi®) des pharmazeutischen Unternehmens Gilead zur Behandlung von chronischer Hepatitis C, dessen hoher Preis internationale Kritik⁵⁹ hervorrief⁶⁰, das aber zugleich auch einen Durchbruch in der Therapie darstellte,

56 Einer Geheimhaltung der deutschen Erstattungsbeträge sind Grenzen gesetzt *Huster/Kalenborn*, NZS 2012, 881–884.

57 *Orth*, Pharmazeutische Zeitung, BPI befürchtet mehr Marktaustritte, Meldung vom 21.11.2022; abrufbar unter: <https://www.pharmazeutische-zeitung.de/bpi-befuerchtet-mehr-marktaustritte-136889/>.

58 S. zur Vorgreiflichkeit der arzneimittelrechtlichen Zulassung BSG, Urteil vom 08.06.1993, 1 RK 21/91, Rn. 26 juris = BSGE 72, 252, 257; BSG, Urteil vom 23.07.1998, B 1 KR 19/96 R, Rn. 15 juris = BSGE 82, 233–238, 236 f.; BSG, Urteil vom 19.03.2002, B 1 KR 37/00, Rn. 11, 22 juris = BSGE 89, 184–192, 185 f., 190; BSG, Urteil vom 27.09.2005, B 1 KR 6/04 R, Rn. 23 juris = BSGE 95, 132–141, 138 f.; bei lebensbedrohlichen Erkrankungen zu jedem Preis *Ströttchen*, GuP 2022, 167–173, 170.

59 *Schaaber*, Internationale Sicht. Gut sind nur Medikamente, die auch verfügbar sind, in: Schröder/Thürmann/Telschow/Schröder/Busse (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2021, Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderung und Perspektiven, S. 231 f.; *Mosebach*, Ansätze der Heterodoxen Ökonomik, in: Schröder/Thürmann/Telschow/Schröder/Busse (Hrsg.), Arzneimittel-Kompass 2021, Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderung und Perspektiven, S. 42 dort Fn. 3.

60 *Janssen*, Spiegel vom 06.02.2015, Was darf ein lebensrettendes Medikament kosten?; abrufbar unter: <https://www.spiegel.de/wissenschaft/medizin/sovaldi-im-check-was-darf-das-lebensrettende-medikament-kosten-a-1016826.html>; s. Kleine Anfrage der

da es eine Heilung in Aussicht stellt.⁶¹ Dieses Arzneimittel verdeutlicht die hohe Dynamik der Kostenentwicklungen: Beispielsweise stiegen die Ausgaben für direkt antivirale Agenzien (DAA), zu denen Sofosbuvir (Sovaldi®) zu zählen ist, im Jahr 2015 – d. h. rund ein Jahr nach der Zulassung des Arzneimittels – sprunghaft von 154 Millionen Euro auf 929 Millionen Euro an. In den darauffolgenden zwölf Monaten sank der Betrag wieder auf 184 Millionen Euro.⁶² Der schnelle Kostenanstieg könnte insbesondere durch die hohen Kosten für Sofosbuvir (Sovaldi®) und weitere nur wenig später zugelassene ähnliche Arzneimittel zu erklären sein.⁶³ Dass die Kosten dann wieder schnell abgesunken sind, könnte einerseits mit dem therapeutischen Erfolg erklärt werden⁶⁴ – d. h. eine Heilung vieler Patienten bzw. Patientinnen und reduzierten Bedarf an direkt antiviralen Agenzien (DAA).⁶⁵ Andererseits griff aber auch die Preisregulierung im Wege des AMNOG-Verfahrens ein und dürfte zu sinkenden Kosten geführt haben.⁶⁶

Abgeordneten Kathrin Vogler, Sabine Zimmermann (Zwickau), Azize Tank, Harald Weinberg, Birgit Wöllert, Pia Zimmermann und der Fraktion DIE LINKE.; BT-Drs. 18/2501 und die Antwort der Bundesregierung, BT-Drs. 18/2673.

- 61 Herzog, DAZ 2014, Nr. 34, S. 42; s. zusammenfassend auch zur Nutzenbewertung N. N., DAZ 2014, Nr. 40, S. 19.
- 62 Müller, DAZ.online vom 28.07.2020, Kosten für Hepatitis-C-Behandlungen sinken; abrufbar unter: <https://www.deutsche-apotheker-zeitung.de/news/artikel/2020/07/28/kosten-fuer-hepatitis-c-behandlungen-sinken>.
- 63 N. N., Pharmazeutische Zeitung, Meldung vom 07.06.2016; abrufbar unter: <https://www.pharmazeutische-zeitung.de/ausgabe-232016/zwei-neue-mittel-gegen-hepatitis-c-erhalten-zulassungsempfehlungen/>; vgl. auch Greiner/Witte/Gensorowsky/Diekmannshemke, Faktencheck FinStG: Welche Effekte sind zu erwarten?, in: Storm (Hrsg.), AMNOG-Report 2023, S. 22.
- 64 Vgl. Techniker Krankenkasse/ aQua – Institut für angewandte Qualitätsförderung und Forschung im Gesundheitswesen GmbH (Hrsg.), Arzneimittel-Fokus: Genterapeutika – Hoffnungsträger oder Systemsprenger?, S. 32; abrufbar unter: <https://www.tk.de/resource/blob/2167530/ecae16e1b84ab2ef985cec0f607f8f01/arzneimittel-fokus-genterapeutika-data.pdf>.
- 65 Vgl. dazu Korzilius/Osterloh, Dtsch Arztebl 2016; Jg. 113 Heft 3: A-57 – A60, A58 f.
- 66 20.000 € pro Packung; verhandelter Preis 14.500 €; s. Korzilius/Osterloh, Dtsch Arztebl 2016; Jg. 113 Heft 3: A-57 – A60, A58; s. dazu auch Fuchs/Günther/Hinneburg/Morawetz/Muth/Ritter/Sauer, in: Glaeske/Ludwig (Hrsg.), Innovationsreport 2017, Auswertungsergebnisse von Routinedaten der Techniker Krankenkasse aus den Jahren 2014 bis 2016, S. 188 ff.; abrufbar unter: <https://www.tk.de/resource/blob/2059116/ef5d7bb877fa24b5a2c1e77eebccla06/innovationsreport-2017-kurzfassung-data.pdf>.

B. Entscheidungsprozesse im Mehrebenensystem

Ob Versicherte Arzneimittelinnovationen erhalten, wird durch mehrere Akteure im Mehrebenensystem entschieden. Als Mehrebenensystem (engl. multi-level governance) wird das Beziehungsgefüge aus einer Vielzahl der Regelsetzer, Rechtsquellen und Rechtsanwender bezeichnet.⁶⁷ Es bietet sich an, den Begriff auch auf die Entscheidungsprozesse und Verwaltungsstrukturen im Gesundheitssystem zu übertragen,⁶⁸ denn insbesondere unter Beteiligung der unterschiedlichen Akteure der (funktionalen) Selbstverwaltung entstehen komplexe Verflechtungen.⁶⁹

Zum Beispiel sind Fragen der Arzneimittelsicherheit durch europarechtliche Verordnungen und Richtlinien geregelt. Zugleich handelt es sich bei Arzneimitteln auch um Wirtschaftsgüter im europäischen Binnenmarkt,⁷⁰ sodass sie auch in diesen regulatorischen Kontext fallen. Das arzneimittelrechtliche Zulassungsverfahren bezieht sich zwar nicht auf den Preis, aber auf den Nutzen der jeweiligen Arzneimittelinnovation, da es das Nutzen-Risiko-Verhältnisses betrifft.⁷¹

Im Rahmen des Zulassungsverfahrens mit gefahrenabwehrrechtlicher Zielsetzung bestehen Sonderregelungen für Arzneimittel mit bestimmten – als besonders wichtig eingeschätzten⁷² – Indikationen. Es handelt sich dabei zum Beispiel um Arzneimittel zur Behandlung seltener Erkrankungen,

67 Vgl. *Gsell*, AcP 2014, 99–150, 101.

68 So z. B. im Kontext von Fragen des Umsatzsteuerrechts und der Zytostatikaversorgung *Penner*, ZESAR 2017, 158–166, 158 und *Penner*, ZESAR 2017, 207–215, 212; zur Übertragung von Erwägungen aus der ultra-vires-Kontrolle auf das Vertragsarztrecht LSG Berlin-Brandenburg, Urteil vom 07.10.2015, L 7 KA 57/12, Rn. 37 juris; in Bezug auf die Gewaltengliederung und Rechtserzeugung auf der Ebene der Europäischen Union *Denkhaus*, Gesundheitsmärkte im Mehrebenensystem, S. 38 ff.

69 S. zum Beispiel kritisch zur Dominanz des GKV-Spitzenverbandes durch seine Beteiligung in mehreren Schritten des Verfahrens zur Arzneimittelpreisbildung *Stadelhoff*, Rechtsprobleme des AMNOG-Verfahrens, 2016, S. 251 ff. m. w. N.; *Barth*, in: *Spickhoff*, Medizinrecht, § 130b SGB V, Rn. 1; *Stadelhoff*, Gesundheitsrecht.blog Nr. 7, 2023, S. 5; abrufbar unter: <https://doi.org/10.13154/294-9623>; *Penske/Derkum*, A&R 2017, 147–153, 148; Demgegenüber beabsichtigt der Gesetzgeber mit dem Erlass des GKV-FinStG allerdings eine Stärkung des GKV-Spitzenverbandes BT-Drs. 20/3448, S. 42.

70 Vgl. zum Zusammenhang der mitgliedstaatlichen Preisregulierung und den Grundfreiheiten *Nitz/Kluckert*, MedR 2016, 591–600, 595 ff.

71 S. ausführlich zur Nutzen-Risiko-Abwägung *Ludwig*, Zulassungsverfahren für neue Arzneimittel in Europa, in: *Schwabe/Pfaffrath/Ludwig/Klauber* (Hrsg.), *Arzneiverordnungs-Report* 2018, S. 27 ff.

72 S. dazu *Eckstein*, *Arzneimittel-Entwicklung und Zulassung*, 2018, S. 9.

die eine sog. *Orphan Designation*⁷³ erhalten haben.⁷⁴ Diese Arzneimittel werden als sog. *Orphan Drugs* bezeichnet, weil sie vernachlässigte Krankheiten betreffen, die sich zu „Waisen“ in der Medizin entwickelt hatten.⁷⁵ Das Zulassungsverfahren sieht daher erleichterte Bedingungen für die Zulassung vor, die maßgeblich durch eine Absenkung von Anforderungen an die Zulassungsstudien erreicht werden.⁷⁶

Diese Zusammenhänge sind für das (nationale) AMNOG-Verfahren auf Bundesebene relevant: Die medizinwissenschaftliche Grundlage für die Nutzenbewertung stammt im Wesentlichen aus den Zulassungsstudien,⁷⁷ sodass sich insbesondere die europarechtlichen Regelungen von Anforderungen an Zulassungsstudien auf die Durchführung des AMNOG-Verfahrens auswirken. Außerdem gehen aus Privilegierungen im Zulassungsverfahren Wertungen hervor, denn zum Beispiel sollen Forschungsanreize für Orphan Drugs gesetzt werden, die durch eine Preisregulierung unterlaufen werden können. Wie dargestellt⁷⁸ folgen aus dem AMNOG-Verfahren allgemeine Preisobergrenzen für den deutschen Pharmamarkt, sodass Forschungsanreize ins Leere liefen, wenn die Preisregulierung eine (gewinnbringende) Vermarktung ausschließen würde.

Das AMNOG-Verfahren wirkt sich wiederum auf die nachfolgende Ebene aus: Ärzte und Ärztinnen sind bei der Verordnung von Arzneimitteln an das Wirtschaftlichkeitsgebot (aus §§ 2 Abs. 1; 4 Abs. 3, 4; 12 Abs. 1; 70 Abs. 1; 72 Abs. 2 SGB V⁷⁹) gebunden. Die Nutzenbewertung im Rahmen des AMNOG-Verfahrens stellt eine wissenschaftliche Begutachtung zur

73 S. dazu ausführlich *Meier*, in: *Meier/von Czettritz/Gabriel/Kaufmann*, Pharmarecht, § 3, Rn. 296 ff.

74 Vgl. Anhang zur Verordnung EG/726/2004; s. zu den Kriterien zur Ausweisung als Orphan Drug *Natz/Grüner*, Rahmenbedingungen und Markt für Orphan Drugs – Regulierung und Einflüsse aus der EU, in: *Preuß/Häussler* (Hrsg.) *Seltene Helden – Orphan Drugs in Deutschland*, 2013, S. 93 ff.

75 Vgl. *Sträter/Burgardt/Bickmann*, A&R 2014, 195–201, 195.

76 S. ausführlich zu den Orphan-Drug-Regelungen *Fleischfresser*, in: *Kloesel/Cyran*, Arzneimittelrecht – Kommentar, Stand: 135. Aktualisierung 2019, § 21 Anm. 100; vgl. zusammenfassend *Eckstein*, Arzneimittel-Entwicklung und Zulassung, 2018, S. 20 und ausführlich zu den Unterschieden im Rahmen des Zulassungsverfahrens, S. 183 ff.

77 S. dazu ausführlich unten Teil 2 Kapitel 2 A. II.

78 S. oben Teil 1 Kapitel 1.

79 Das Wirtschaftlichkeitsgebot wird fünfmal im SGB V geregelt; s. *Hofmann/Wallraabenstein*, *Ruland/Becker/Axer* (Hrsg.), *Sozialrechtshandbuch (SRH)*, 7. Auflage 2022, § 16, Rn. 50 f.

Zweckmäßigkeit des Arzneimittels dar,⁸⁰ sodass die Erkenntnisse und der im Wege des AMNOG-Verfahrens gefundene Erstattungsbetrag im Zuge von Verordnungen im Einzelfall zu berücksichtigen und im Rahmen von Abwägungen zwischen Therapiealternativen zu beachten sind.

Auf dieser Ebene treten weitere Regelsetzer, Rechtsquellen und Rechtsanwender hinzu, denn ärztlich verordneter Leistungen werden auf Ihre Wirtschaftlichkeit durch die Kassenärztlichen Vereinigungen (gemäß §§ 106 – 106c SGB V) geprüft. Die Prüfungen basieren im Wesentlichen auf Vereinbarungen zwischen den Landesverbänden der Krankenkassen und den Ersatzkassen mit den einzelnen Kassenärztlichen Vereinigungen (gemäß § 106b Abs. 1 S. 1 SGB V; d. h. den sog. regionale Arzneimittelvereinbarungen). Die regionalen Arzneimittelvereinbarungen treffen insbesondere Regelungen durch Vorgabe von Verordnungsquoten, deren Überschreiten Budgetierungsmaßnahmen und Regresse gegenüber Ärzten und Ärztinnen auslösen kann. Auf dieser Ebene können daher Maßnahmen getroffen werden, die dazu führen, dass Arzneimittelinnovationen nicht verordnet werden, obwohl es im Einzelfall geboten wäre.

Zusammenfassend ist daher festzuhalten, dass sich die Ebenen wechselseitig beeinflussen. Im Rahmen einer näheren Analyse des Verfahrens und für Reformüberlegungen sind die gegenseitigen Einflüsse daher zu berücksichtigen. Insbesondere sollte das AMNOG-Verfahren Zielsetzungen des Zulassungsverfahrens nicht konterkarieren und mit den Wirtschaftlichkeitsprüfungen abgestimmt werden.

Kapitel 3: Gang der Untersuchung

Zur näheren Analyse des AMNOG-Verfahrens und zur Identifizierung von Steuerungsproblemen erfolgt in Teil 2 dieser Arbeit zunächst eine Darstellung der rechtlichen Grundlagen ausgehend vom Leistungsanspruch der Versicherten, denn deutsche Besonderheit ist, dass zugelassene (verschreibungspflichtige) Arzneimittel grundsätzlich auch verordnungsfähig sind, denn es erfolgt – anders, als es international üblich ist – keine vorgeschaltete Verwaltungsentscheidung über die Aufnahme in den Leistungskatalog der gesetzlichen Krankenversicherung.⁸¹

Die im Wege des AMNOG-Verfahrens ermittelten Erstattungsbeträge betreffen daher Arzneimittel, die bereits – bei freier Festsetzung des Preises in

80 BT-Drs. 17/2413, S. 20.

81 S. unten Teil 2 Kapitel 2 A. I.

den ersten sechs Monaten – auf dem deutschen Markt sind. Steuerungsprobleme können sich daher zeigen, wenn mit Blick auf das AMNOG-Verfahren von vornherein auf einen Markteintritt verzichtet wird, ein Marktrückzug erfolgt oder grundsätzlich zwar verfügbare Arzneimittelinnovationen die Versicherten letztlich doch nicht flächendeckend erreichen. In Teil 3 der Darstellung wird daher das AMNOG-Verfahren im Hinblick auf eine frühe Verfügbarkeit (Kapitel 1), die dauerhafte Verfügbarkeit (Kapitel 2) und die Marktdurchdringung von Arzneimittelinnovationen (Kapitel 3) untersucht und Reformbedarfe analysiert.

Daran schließt sich in Teil 4 ein historischer Rückblick an, denn die heutigen Selbstverwaltungsstrukturen sind aus einer langen Entwicklung hervorgegangen. Die am AMNOG-Verfahren beteiligten Akteure sind nach wie vor von Ihrer Historie geprägt. Zum Beispiel werden Versichertenvertreter und Versichertenvertreterinnen im Verwaltungsrat der Krankenkassen traditionell u. a. durch Gewerkschaften gestellt. Reformüberlegungen müssen daher die Interessenlage und Traditionen des jeweiligen Akteurs berücksichtigen.

Ein weiterer Schwerpunkt des historischen Rückblicks ist die Regulierung von Kostendämpfungsmaßnahmen in Bezug auf Arzneimittel. Die Darstellung dazu bezieht sich auch auf die gefahrenabwehrrechtliche Regulierung, denn es wurde ein (kassenfinanzierter) Arzneimittelmisbrauch befürchtet.⁸² Durch den zeitlich parallelen Verlauf haben sich die Rechtsbereiche, d. h. die krankenversicherungsrechtliche Regulierung und die gefahrenabwehrrechtliche Regulierung in Bezug auf Arzneimittel wechselseitig beeinflusst.

An den historischen Rückblick schließt sich Teil 5 mit einer Darstellung der derzeitigen Konkretisierung des Leistungsrechts durch die Selbstverwaltung an. Ein Schwerpunkt liegt dabei auf (umstrittenen) Aspekten⁸³ der demokratischen Legitimation des G-BA, denn Reformüberlegungen müssen die Frage einbeziehen, welchem Akteur welche Aufgaben überhaupt übertragen werden können. Eine Erweiterung von Kompetenzen ist jedenfalls ausgeschlossen, wenn für die in Rede stehende Kompetenzerweiterung keine hinreichende demokratische Legitimation besteht oder geschaffen werden kann. Eine Grenze stellt insoweit insbesondere der Umgang mit Ungewissheit dar.

82 Meyer, Pharmazeutische Zeitung 1955 (31), 849–858, 857; vgl. auch Arbeitsgemeinschaft der Berufsvertretungen Deutscher Apotheker (ABDA) (Hrsg.), Der Arzneiverbrauch in der gesetzlichen Krankenversicherung von 1885 bis 1953, S. 14 ff.

83 S. zusammenfassend Büscher, KrV 2018, 226–233, 226.

Mit Teil 6 schließt sich ein Schlussteil mit Überlegungen zur Umsetzung von Reformoptionen an. Diese Überlegungen greifen – im Hinblick auf eine besondere Verantwortung Deutschlands als größter Pharmamarkt Europas⁸⁴ – auch internationale Zusammenhänge auf. Nach einem ausformulierten Regelungsvorschlag endet die Darstellung in Teil 7 mit einem abschließenden Fazit.

84 *Bauer/May*, IBES Diskussionsbeitrag Nr. 225, April 2019, Anpassung von AMNOG-Preisfaktoren im Zeitverlauf – Eine Analyse mit Fokus auf das Kriterium der europäischen Vergleichspreise, S. 49; abrufbar unter: https://www.wiwi.uni-due.de/fileadmin/fileupload/WIWI/Forschung/IBES_Diskussionbeitraege/IBES_2019_Nr225.pdf.

