

AMNOG 2.0 für Orphan Drugs und ATMPs

Hintergrund und Problemstellung

Das AMNOG-Verfahren bildet seit 2011 das Fundament der Nutzenbewertung und Preisregulierung innovativer Arzneimittel in Deutschland. Bei hochspezialisierten Therapien – speziell Orphan Drugs und Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) – stößt es jedoch zunehmend an methodische und verfahrenstechnische Grenzen. Kleine Patientenkollektive, limitierte Evidenz und Einmaltherapien erfordern angepasste Bewertungslogiken. Mit der Einführung des EU-HTA-Rahmens ab 2025 sowie wachsender Bedeutung von Real-World-Evidenz steigt der Reformbedarf, um Versorgungssicherheit, Innovationsförderung und Wirtschaftlichkeit im Gleichgewicht zu halten.

Gemeinsame Reformimpulse

- **Besondere Therapiesituationen anerkennen:** Formales Verfahren im AMNOG zur Anerkennung besonderer Therapiesituationen bei Ermöglichung der Abweichung vom RCT-Standard, inklusive Einbezug von Registern und Surrogaten.
- **Real-World-Evidence (RWE) nutzen:** Register- und Versorgungsdaten sowie MAICs und synthetische Kontrollarme für Vergleichsdaten bei fehlenden RCTs einbinden.
- **EU-HTA harmonisch integrieren:** Nationale Bewertungspraxis adaptiv harmonisieren und Mehraufwand vermeiden.

Reformvorschläge Orphan Drugs

- **Leitplanken streichen:** Die algorithmische Preisbegrenzung nach § 130b SGB V konterkariert innovationsgerechte Preisfindung und gefährdet die Versorgung.
- **Kombinationsabschlag abschaffen:** Pauschale Abschläge unterminieren hochinnovative Kombinationstherapien und ignorieren den Wirkbeitrag des Orphan-Wirkstoffs.
- **Umsatzschwelle reformieren:** Rückkehr auf 50 Mio. € und gesetzliche Klarstellung der Bemessungsbasis, um Planungssicherheit und Investitionsanreize zu sichern.

Reformvorschläge ATMPs

- **Potenzielle Einführung leistungsbezogener Vergütungsmodelle (P4P) wo adäquat abbildbar:** Outcome-basierte Modelle mit ärztlicher Aufsicht können Versorgungsrealität, innovationswert und Wirtschaftlichkeit in Einklang bringen.
- **Langfristige Wirkung erfassen:** Ratenzahlungen, Rückerstattungsmechanismen und indikationsspezifische Risikoausgleiche erfordern neue RSA-Logik und Dateninfrastruktur.

Innovationen als Chance erkennen

- **Innovation ermöglicht Versorgung:** Aktuelle Regulierung darf diese nicht bremsen.

Ablehnung kostenbasierter Preisbildung

- **Kritik an kostenbasierten Interimspreisen:** Kostenpreis- und zVT-Ankermechanismen entkoppeln Preise vom klinischen Wert, erzeugen Clawback-Risiken und hemmen Markteinführungen. Stattdessen Stärkung der nutzenbasierten Preisbildung.