

Kurzfassung

Im Rahmen des Generalauftrags wurde das Thema Preis- und Kostenentwicklung von Orphan Drugs bearbeitet.

Hintergrund

Im deutschen Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) haben Orphan Drugs eine Sonderstellung. Orphan Drugs durchlaufen nach Marktzugang nicht das reguläre Nutzenbewertungsverfahren, da der Zusatznutzen gemäß § 35a Sozialgesetzbuch (SGB) V Abs. 1 Satz 11 bereits mit der Zulassung auf europäischer Ebene als belegt gilt. Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) bewertet die vom pU vorgelegte Evidenz im Hinblick auf das Ausmaß des qua Gesetz belegten Zusatznutzens. Eine zweckmäßige Vergleichstherapie wird für diese Verfahren nicht festgelegt. Im Folgenden werden diese Verfahren als eingeschränkte Bewertung bezeichnet. Eine reguläre Nutzenbewertung gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie erfolgt erst nach Überschreitung einer Jahresumsatzgrenze von 30 Mio. €, wenn der Orphan-Drug-Status vom pU zurückgegeben wird oder die Erkrankung nicht mehr die Prävalenzkriterien eines seltenen Leidens erfüllt. Im Anschluss an die Veröffentlichung des Beschlusses einer eingeschränkten Bewertung oder regulären Nutzenbewertung durch den G-BA folgt eine in der Regel 6-monatige Phase der Preisbildung, in der der Spitzenverband der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) und der pU den dann in Deutschland geltenden Erstattungsbetrag verhandeln.

Im vorliegenden Projekt soll untersucht werden, inwiefern sich in der Vergangenheit die Erstattungsbeträge im Rahmen der eingeschränkten Bewertung im Abgleich mit der regulären Nutzenbewertung verändern. Hierzu wird neben der Veränderung der Preise pro Packung auch die Veränderung der absoluten Höhe der Jahrestherapiekosten betrachtet.

Fragestellung

Ziele der vorliegenden Untersuchung sind:

- die Darstellung der Preis- und Kostenentwicklung bei Orphan Drugs nach eingeschränkter Bewertung und nach regulärer Nutzenbewertung sowie
- die Aufbereitung möglicher Einflussfaktoren auf die Preis- und Kostenentwicklung.

Methoden

Informationsbeschaffung

Betrachtet wurden die in dem Generalauftrag GA21-01 „Evidenz zu Orphan Drugs“ eingeschlossenen 20 Orphan Drugs der primären Analyse. Für ihre maßgeblichen Bewertungen lag sowohl ein Bewertungsergebnis einer eingeschränkten Bewertung als auch das einer entsprechenden regulären Nutzenbewertung vor. Es wurden weitere Orphan Drugs

mit den entsprechenden Verfahren ergänzt, die seit dem 01.10.2021 bis zum 30.06.2023 (inklusive eines Beobachtungszeitraums von 13 Monaten nach Beschluss) ebenfalls eine eingeschränkte Bewertung und eine reguläre Nutzenbewertung durchlaufen haben.

Als Informationsquelle für die Preise und Kosten der eingeschlossenen Orphan Drugs wurden Angaben der entsprechenden Beschlüsse und Tragenden Gründe aus der Datenbank des G-BA sowie der Lauer-Taxe herangezogen.

Für die Darstellung von Faktoren, die einen möglichen Einfluss auf die Preis- und Kostenentwicklung haben, wurden weitere Angaben aus den oben genannten Beschlüssen und Tragenden Gründen des G-BA extrahiert. Darüber hinaus wurde die Datenbank des G-BA verwendet, um weitere Beschlüsse zu Indikationserweiterungen der eingeschlossenen Orphan Drugs zu identifizieren.

Informationssynthese und -analyse

Die Preise und Jahrestherapiekosten der ausgewählten Orphan Drugs wurden gegenübergestellt. Dazu wurden die Preise und die Jahrestherapiekosten für folgende 4 Zeitpunkte ermittelt:

- 1) zum Zeitpunkt des G-BA-Beschlusses nach der eingeschränkten Bewertung
- 2) nach Preisänderung im Rahmen der eingeschränkten Bewertung
- 3) zum Zeitpunkt des G-BA-Beschlusses nach erstmaliger regulärer Nutzenbewertung
- 4) nach Preisänderung im Rahmen der erstmaligen regulären Nutzenbewertung

Die Preisentwicklung eines Orphan Drug wurde anhand einer prozentualen Preisänderung einer Arzneimittelpackung zwischen den Zeitpunkten 1 und 2 (eingeschränkte Bewertung) sowie zwischen den Zeitpunkten 3 und 4 (reguläre Nutzenbewertung) ermittelt. Abschließend wurden ein Durchschnitt sowie ein Median, 1. / 3. Quartil und eine Spanne aus den prozentualen Preisänderungen aller Orphan Drugs zwischen den Zeitpunkten 1 und 2 sowie zwischen den Zeitpunkten 3 und 4 berechnet.

Die Kostenentwicklung eines Orphan Drugs wurde anhand der Höhe der Jahrestherapiekosten zu allen 4 Zeitpunkten abgebildet. Abschließend wurde ein Durchschnitt sowie der Median und das 1. / 3. Quartil aus den Jahrestherapiekosten aller Orphan Drugs zu den jeweiligen 4 Zeitpunkten berechnet.

Es wurden mögliche Einflussfaktoren auf die Preis- und Kostenentwicklung anhand der regelhaft in den Beschlüssen ausgewiesenen Angaben geprüft. Hierzu wurden die Angaben zur Anzahl der Patientinnen und Patienten (Zielpopulation) sowie das Ausmaß des Zusatznutzens auf Fragestellungsebene extrahiert und für die weitere Analyse kategorisiert

bzw. gruppiert. Indikationserweiterungen eines bereits bewerteten Wirkstoffs müssen immer ein neues Bewertungsverfahren durchlaufen und weisen somit weitere Ergebnisse zum Zusatznutzen auf. Daher wurde für die eingeschlossenen Orphan Drugs der Einfluss des Zusatznutzens von Indikationserweiterungen auf die Preis- und Kostenentwicklung überprüft, die in einem zeitlichen Zusammenhang zu den analysierten Verfahren standen.

Ergebnisse

Ergebnisse der Informationsbeschaffung

Es wurden 23 Orphan Drugs mit 60 Bewertungsverfahren identifiziert. Die Bewertungsverfahren teilen sich in 29 Verfahren mit einer eingeschränkten Bewertung und 31 Verfahren mit einer regulären Nutzenbewertung auf. Da für die Analyse sowohl 1 Verfahren mit einer eingeschränkten Bewertung als auch das entsprechende Verfahren mit einer regulären Nutzenbewertung aufgrund sich überschneidender Beobachtungszeiträume von 13 Monaten nach dem jeweiligen Beschluss ausgeschlossen wurden, wurden 28 Verfahren mit einer eingeschränkten Bewertung und 30 Verfahren mit einer regulären Nutzenbewertung eingeschlossen.

Aus den 28 Verfahren mit einer eingeschränkten Bewertung konnte jeweils 1 Preisänderung resultieren (n = 28). Bei den eingeschlossenen 30 Verfahren mit einer regulären Nutzenbewertung wurden für 4 Orphan Drugs mehrere zeitgleiche Bewertungsverfahren zu verschiedenen Anwendungsgebieten durchgeführt. Für diese wurde jeweils nur 1 Preisänderung je Wirkstoff innerhalb des Beobachtungszeitraums erwartet. Somit wurde von 23 Preisänderungen für Orphan Drugs mit einer regulären Nutzenbewertung ausgegangen.

Ergebnisse der Preisentwicklung

In dem festgelegten Beobachtungszeitraum von bis zu 13 Monaten nach Beschlussfassung wurden im Rahmen der eingeschränkten Bewertung 27 Preisabsenkungen, 1 konstanter Preis und keine Preissteigerung beobachtet. Nach der regulären Nutzenbewertung zeigt sich die folgende Verteilung: 18 Preisabsenkungen, 2 konstante Preise und 3 Preissteigerungen.

Es zeigt sich, dass sowohl aus den eingeschränkten Bewertungen als auch aus den nachgelagerten regulären Nutzenbewertungen im Mittel eine Preisreduktion von -14,7 % bzw. -12,6 % resultiert. Der höchste Preisabschlag ist im Rahmen der regulären Nutzenbewertungen zu beobachten (-40,3 %). Preisaufschläge (max. +14,2 %) zeigen sich ausschließlich nach regulären Nutzenbewertungen.

Ergebnisse der Kostenentwicklung

Sowohl nach eingeschränkten Bewertungen als auch nach regulären Nutzenbewertungen reduzieren sich die mittleren Jahrestherapiekosten im Zuge der Preisverhandlung. Ebenso ist ab dem Zeitpunkt der Preisänderung nach eingeschränkten Bewertungen bis zur

Beschlussfassung der regulären Nutzenbewertungen in der Regel eine weitere Absenkung der Kosten zu beobachten.

Ergebnisse zu möglichen Einflussfaktoren auf die Preisänderung

Anzahl Patientinnen und Patienten

Bei einer Kategorisierung der Patientenzahlen sind bei eingeschränkten Bewertungen und regulären Nutzenbewertungen jeweils mittlere Preisabschläge in einer ähnlichen Größenordnung zu beobachten. Lediglich in der Kategorie mit einer besonders geringen Patientenzahl (≤ 100) zeigt sich bei eingeschränkten Bewertungen eine geringere Preisreduktion im Abgleich zu den übrigen Kategorien.

Ausmaß des Zusatznutzens

Bei den Untersuchungen zum Ausmaß des Zusatznutzens in eingeschränkten Bewertungen weisen die Gruppen

- „nicht quantifizierbar“ in allen Fragestellungen sowie
- „gering oder beträchtlich oder erheblich“ in mind. 1 Fragestellung

jeweils eine Preisreduktion auf. Diese ist ausgeprägter in der Gruppe „nicht quantifizierbar in allen Fragestellungen“ (im Mittel: -18%) als in der 2. Gruppe (im Mittel: $-11,4\%$).

Bei den Analysen zum Ausmaß des Zusatznutzens in regulären Nutzenbewertungen wurden die Gruppen

- „nicht belegt“ in allen Fragestellungen sowie
- „nicht quantifizierbar“ oder „gering“ oder „beträchtlich“ oder „erheblich“ in mind. 1 Fragestellung

untersucht. Auch hier weisen beide Gruppen eine mittlere Preisreduktion auf, wobei sie in der erstgenannten Gruppe mit $-19,5\%$ höher ausfällt als in der 2. Gruppe ($-3,7\%$).

Zusätzlich wurde eine Gegenüberstellung der Ergebnisse zum Zusatznutzen in regulären Nutzenbewertungen und eingeschränkten Bewertungen vorgenommen. Dabei wurde das Ausmaß zum Zusatznutzen der regulären Nutzenbewertung mit demjenigen der entsprechenden eingeschränkten Bewertung verglichen. Für Orphan Drugs mit einem kleineren oder gleichen Ausmaß zum Zusatznutzen in allen Fragestellungen werden sowohl Preisabsenkungen als auch konstante Preise mit einer breiten Variabilität beobachtet: im Mittel $-17,6\%$ und mit einer Spanne von $-40,3\%$ bis 0% . Wesentlich seltener tritt der Fall auf, dass das Ausmaß zum Zusatznutzen in allen Fragestellungen in regulären Nutzenbewertungen größer ist ($n = 4$). Hier werden Preissteigerungen und konstante Preise festgestellt: im Mittel $+7,3\%$ und mit einer Spanne von 0% bis $+14,2\%$.

Ausmaß des Zusatznutzens bei Indikationserweiterungen

Der Einfluss des Zusatznutzens auf die mittlere Preisänderung zeigt sich ebenfalls unter Berücksichtigung der Indikationserweiterungen und bestätigt die Ergebnisse der vorangegangenen Analyse zu den regulären Nutzenbewertungen.

Fazit

Aus dem vorliegenden Bericht ergibt sich, dass die Mehrzahl der betrachteten Orphan Drugs sowohl eine Preisreduktion im Rahmen einer eingeschränkten Bewertung als auch eine zusätzliche Preisreduktion im Rahmen einer nachgelagerten regulären Nutzenbewertung aufweist. Die Analysen zu den Jahrestherapiekosten unterstreichen diese Beobachtung.

Die Anzahl der Patientinnen und Patienten zeigt anhand der eingeschlossenen Orphan Drugs in der vorgelegten Analyse keinen wesentlichen Einfluss auf die Preisänderungen.

Insbesondere bei regulären Nutzenbewertungen zeigt die Analyse, dass die Ergebnisse zum Ausmaß des Zusatznutzens die Preisänderungen beeinflussen. Die Richtung der Preisänderung, d. h. eine Preissenkung oder -steigerung, wird durch den Zusatznutzen bestimmt, aber weitere Faktoren müssen die konkrete Höhe der Preisänderung mit beeinflussen. Der Einfluss der Ergebnisse zum Zusatznutzen auf die Preisänderungen bestätigt sich bei einer Betrachtung der Verfahren zu Indikationserweiterungen.

Es kann geschlussfolgert werden, dass das umfassende Ziel des AMNOG, den Preis eines Arzneimittels u. a. am Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie auszurichten, erst durch die nachgelagerte reguläre Nutzenbewertung erreicht wird.