

IQWiG: Nutzenfiktion für Orphans „irreführend“

Im Schnitt dauert es nach Markteinführung noch drei Jahre, bis ein Orphan Drug zur vergleichenden Nutzenbewertung herangezogen wird. Zu lange, findet das IQWiG. Denn die zwischenzeitliche Unterstellung eines Zusatznutzens sei vielfach nicht zu rechtfertigen.



Von Christoph Winnat (/Nachrichten/Christoph-Winnat-au3.html)

Veröffentlicht: 12.01.2022, 15:41 Uhr



Wie lässt sich die Versorgungsleistung neuer Arzneimittel optimal ermessen? Auch nach zehn Jahren AMNOG ist das immer noch eine Frage, die für Gesprächsstoff sorgt.

© [M] Dana S. Rothstein / Claus / adobe.stock.com

Köln. „Das Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes (AMNOG) entwickeln wir weiter“ – so steht es im Koalitionsvertrag. Dass dabei unter anderem auch die Evidenz bedingt zugelassener Innovationen sowie Orphan Drugs problematisiert werden dürfte, gilt unter Marktbeobachtern als ausgemacht.

Insofern darf der jüngste IQWiG-Report („Evidenz zu Orphan Drugs“) durchaus auch als Agenda Setting in Sachen AMNOG-Reform gesehen werden. Das Kölner Bewertungsinstitut hat darin unter anderem 20 Orphan Drugs unter die Lupe genommen, die in den vergangenen zehn Jahren in Deutschland eingeführt wurden und für die – in der Summe mehrerer Anwendungsgebiete – 41 Bewertungsbeschlüsse des GBA vorliegen, jeweils eingeschränkte Erstbewertungen und spätere reguläre Nutzenbewertungen.

Nachteil für bestehende Therapien

Bündiges Fazit der Studie: Der zur Markteinführung gesetzlich unterstellte Zusatznutzen neuer Orphan Drugs lässt sich in späteren, regulären Nutzenbewertungen häufig nicht bestätigen. „Dies führt“, heißt es einordnend, „nicht nur zu einer irreführenden Kommunikation über den

Zusatznutzen neuer Orphan Drugs, sondern benachteiligt auch bereits vorhandene Therapieoptionen für seltene Leiden, die durch den fiktiven Zusatznutzen der neuen Orphan Drugs schlechter gestellt werden.“

Zur Erläuterung: Neue Arzneimittel gegen seltene Leiden sind von der regulären Nutzenbewertung, also dem Vergleich mit einem Therapiestandard („zweckmäßige Vergleichstherapie“), ausgenommen. Vielmehr „gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt“, wie es in Paragraph 35a SGB V heißt. Der GBA nimmt dann anhand vorliegender Daten, meist der zulassungsrelevanten Studien, nur eine „eingeschränkte Bewertung“ vor, bei der lediglich das Ausmaß des Zusatznutzens festgestellt wird. Dabei kommen die Ausmaßkategorien „kein Beleg“ und „geringerer Nutzen“ (als eine Vergleichstherapie) aufgrund der gesetzlichen Nutzenfiktion gar nicht in Betracht.

Erst wenn der Jahresumsatz eines Orphan Drug 50 Millionen Euro übersteigt, wird dieses Produkt einer regulären Nutzenbewertung gegen einen Komparator unterzogen.

Mehrwert zu spät erkannt?

Der IQWiG-Auswertung zufolge resultierten die 41 regulären Nutzenbewertungen der besagten 20 Orphans in einer Ausfallquote von 54 Prozent. Anders formuliert: 22 therapievergleichende Fragestellungen erbrachten keinen Beleg für einen Zusatznutzen und dementierten damit im Nachhinein die gesetzliche Zusatznutzenfiktion. Im Mittel der untersuchten Orphan-Beschlüsse habe die Zeit zwischen Markteinführung mit eingeschränkter Bewertung respektive Zusatznutzenfiktion und der ersten regulären Nutzenbewertung drei Jahre betragen, im Minimum ein Jahr und in einem Extremfall sogar neun Jahre.

„Unsere Analyse belegt eine Fehlsteuerung bei den Orphan Drugs“, erklärte IQWiG-Leiter Jürgen Windeler bei einem Pressegespräch am Mittwoch. „Wenn in gut der Hälfte der Fälle, in denen eine reguläre Nutzenbewertung zu Orphan Drugs durchgeführt wurde, der ursprünglich konstatierte Zusatznutzen nicht bestätigt wird und Orphan Drugs, die einen echten Mehrwert darstellen, nicht mehr von Beginn an als solche erkannt werden können, besteht Handlungsbedarf“. Erschwerend komme hinzu, dass etliche Orphan Drugs nie die Umsatzschwelle von 50 Millionen Euro überschreiten und deshalb auch nie eine reguläre Nutzenbewertung durchlaufen.

Windeler: Privileg abschaffen!

Es sei an der Zeit, so Windeler weiter, das gesetzliche Zusatznutzen-Privileg für Orphan Drugs abzuschaffen. Auch diese Produkte sollten bereits bei Markteintritt einen regulären Vergleich mit einem Therapiestandard durchlaufen.

Dadurch würde seiner Ansicht nach keineswegs die Förderung der Orphan-Drug-Forschung beschnitten, die sich vor allem auf Zulassungs- und Patentprivilegien stützen sollte – oder möglicherweise auch auf Zugeständnisse in den Preisverhandlungen mit den Kassen, wie Windeler einräumt. Auch das Argument, kleine und kleinste Patientenpopulationen ließen keine anspruchsvollen Studiendesigns zu, will der IQWiG-Chef nicht gelten lassen; er kenne sogar eine randomisierte kontrollierte Studie, an der nur neun Patienten teilgenommen hätten.

Neben der Abschaffung des fiktiven Zusatznutzens für Orphan Drugs hegt man beim IQWiG aber noch weitergehende Überlegungen zu einer AMNOG-Revision. So etwa sollte die Hürde für Daten, die zur Nutzenbewertung vom Pharmahersteller einzureichen sind, „höher gelegt werden“, findet Institutsmitarbeiter Thomas Kaiser. Zugleich gelte es, Anreize zu schaffen, damit tatsächlich vergleichende Daten generiert werden, die zur Bestimmung der Versorgungsqualität taugen.

GBA soll Daten einfordern können

Und schließlich sollte auch der, so Kaiser, „entscheidende Webfehler“ behoben werden, den der Gesetzgeber bei der Einführung der Anwendungsbegleitenden Datenerhebung (§ 35a Absatz 3b SGB V) begangen habe: Nämlich Studien nach RCT-Standard davon auszunehmen; idealerweise sollte nachzutragende Evidenz auch in Form registerbasierter RCT-Studien beigebracht werden können.

IQWiG-Chef Windeler ergänzt, dem GBA müsse außerdem „die Möglichkeit gegeben werden, Evidenz einzufordern“ und wenn Daten ausbleiben sollten, Sanktionen zu verhängen, etwa, einen Nutzenbeschluss abzuwerten oder einen bereits attestierten Zusatznutzen abzuerkennen.