

Ein gesundheitsökonomischer Blick auf die Kostenstruktur im Arzneimittelmarkt einschließlich Orphan Drugs

Über Ausgaben, Mengen, Preise und deren
Angemessenheit

Dr. Julian Witte

IQWIG-HERBST-SYMPOSIUM 2023

24.11.2023

Kostenstrukturen im Arzneimittelmarkt: Drei Bewertungsgegenstände

#1 Ausgaben

#2 Menge x (Preise x Nutzen)

#3 Angemessenheit

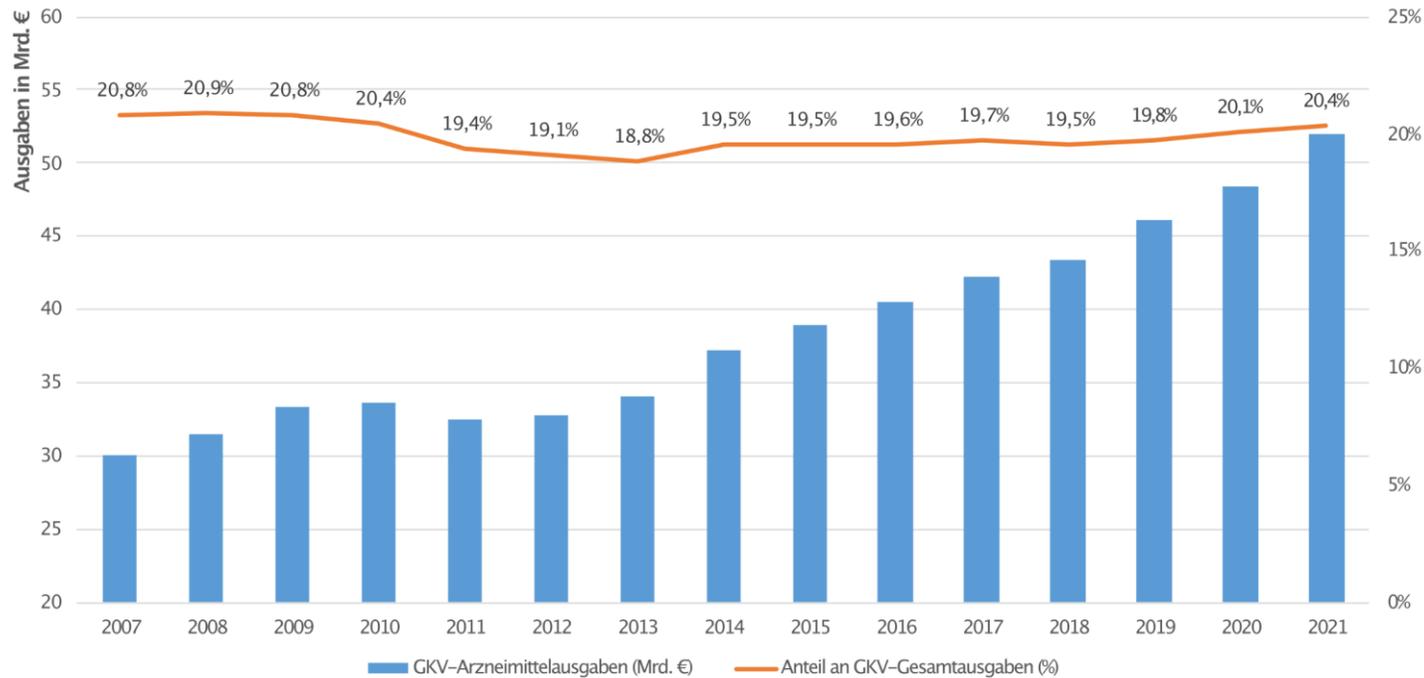
Kostenstrukturen im Arzneimittelmarkt: Drei Bewertungsgegenstände

#1 Ausgaben

#2 Menge x (Preise x Nutzen)

#3 Angemessenheit

GKV-Ausgaben für Arzneimittel 2007–2021

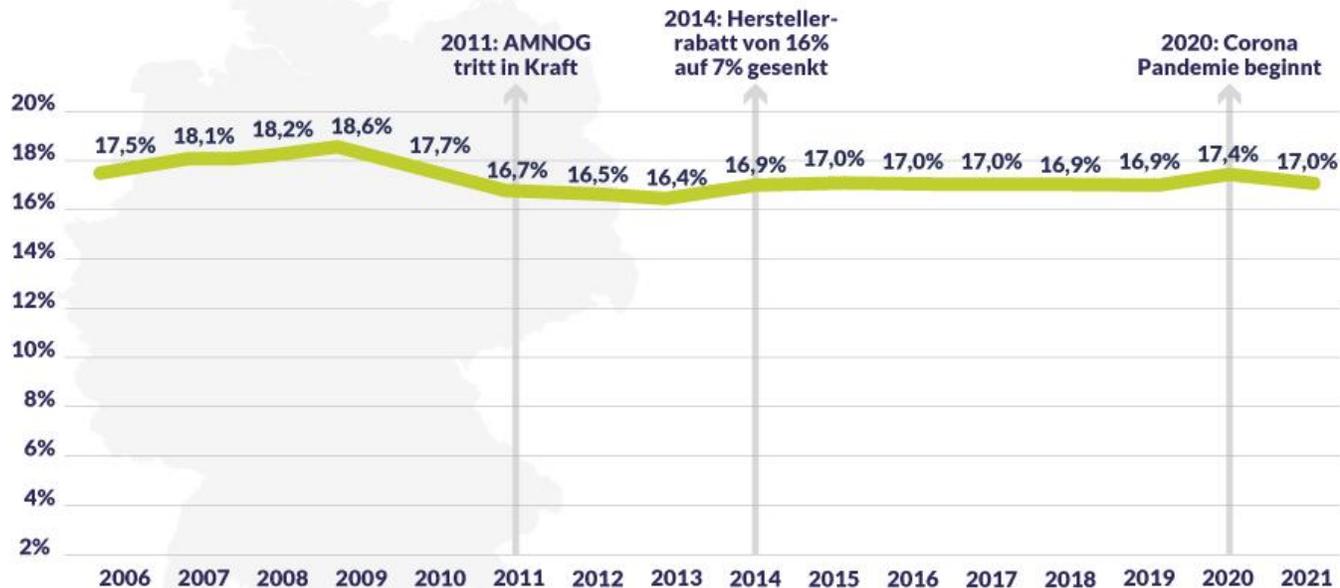


Anteil Arzneimittel
an GKV-Gesamt:
20,4 % in 2021

Quelle: Destatis 2023, Gesundheitsausgabenrechnung

Entwicklung der Arzneimittelausgaben: Auffällig unauffällig

Anteil der Arzneimittelausgaben an den Gesamtausgaben
in der GKV in Prozent, 2006 – 2021*



Quelle: BfI AMNOG-Daten 2022

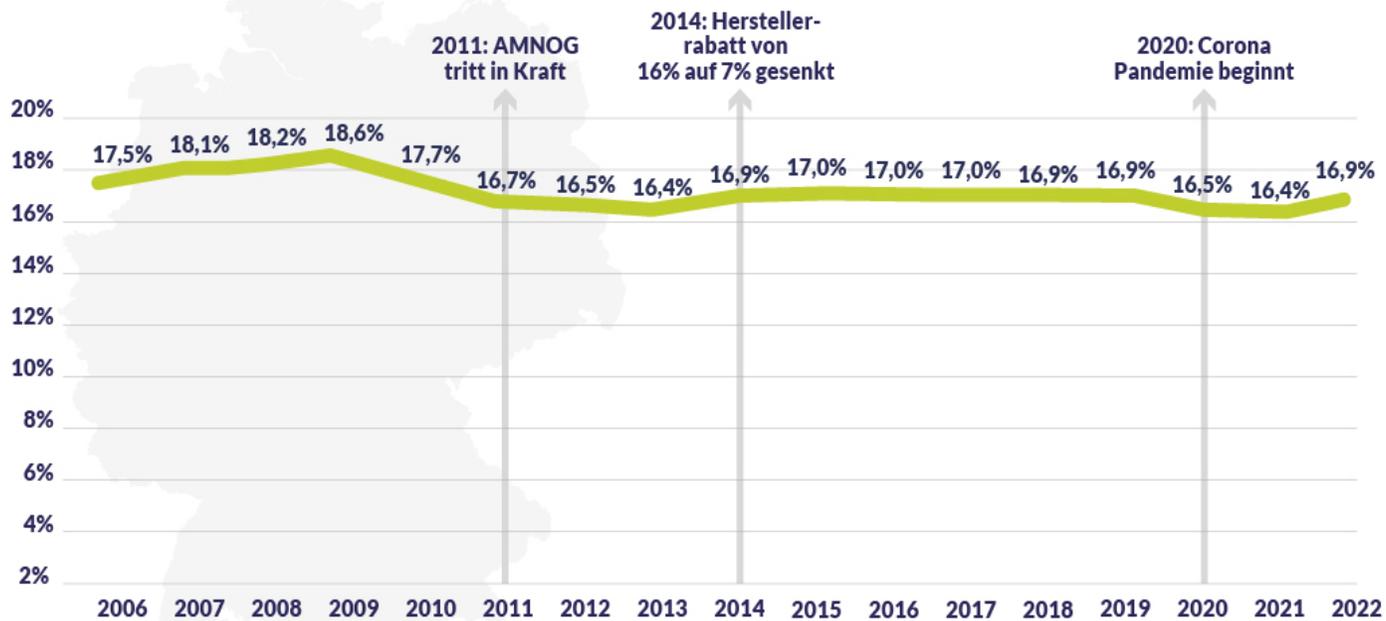
* GKV-Arzneimittelausgaben: Arzneimittel aus Apotheken und von Sonstigen inkl. Patientenzahlungen; GKV-Gesamtausgaben: Leistungsausgaben und Verwaltungskosten inkl. Patientenzahlungen. Seit 2019 geänderte amtliche Statistik; Patientenzahlungen ab 2020 geschätzt.

Anteil Arzneimittel an GKV-Gesamt: 17,0 % in 2021

Quelle: <https://pharma-fakten.de/grafiken/trotz-immer-besserer-behandlungsmoeglichkeiten-arzneimittelausgaben-entwickeln-sich-auffaellig-unauffaellig/>

Unauffällige Entwicklung: Arzneimittel-Anteil an den Gesamtausgaben der GKV

in %, 2006 – 2022*

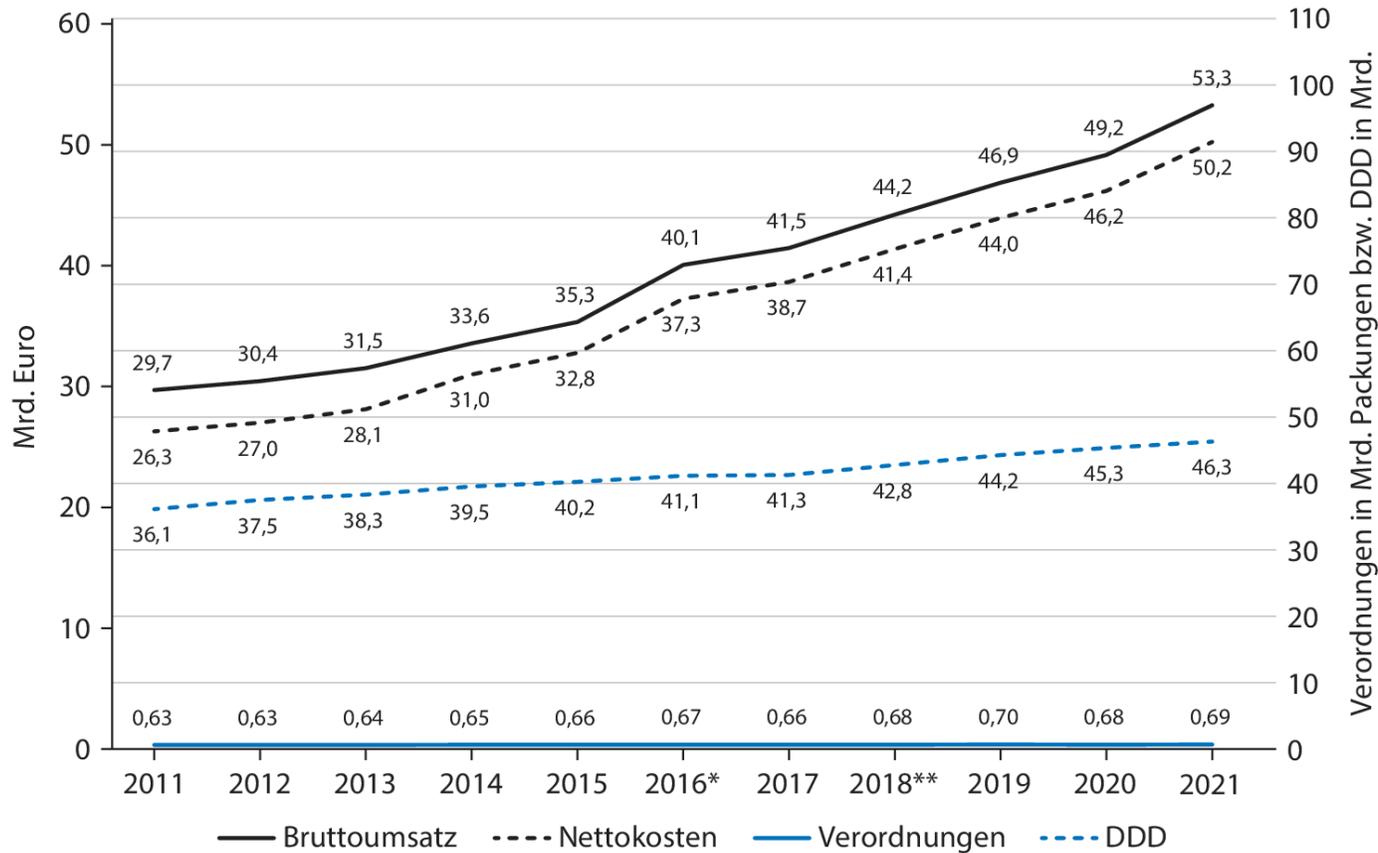


Quelle: BfI, AMNOG-Daten 2023

* GKV-Arzneimittelausgaben: Arzneimittel aus Apotheken und von Sonstigen inkl. Patientenzahlungen; GKV-Gesamtausgaben: Leistungsausgaben und Verwaltungskosten inkl. Patientenzahlungen. Seit 2019 geänderte amtliche Statistik; Patientenzahlungen ab 2020 geschätzt.

Anteil Arzneimittel an GKV-Gesamt: 16,4 % in 2021

Quelle: <https://pharma-fakten.de/grafiken/finanzielle-schieflage-der-gkv-wegen-innovativer-arzneimittel/>

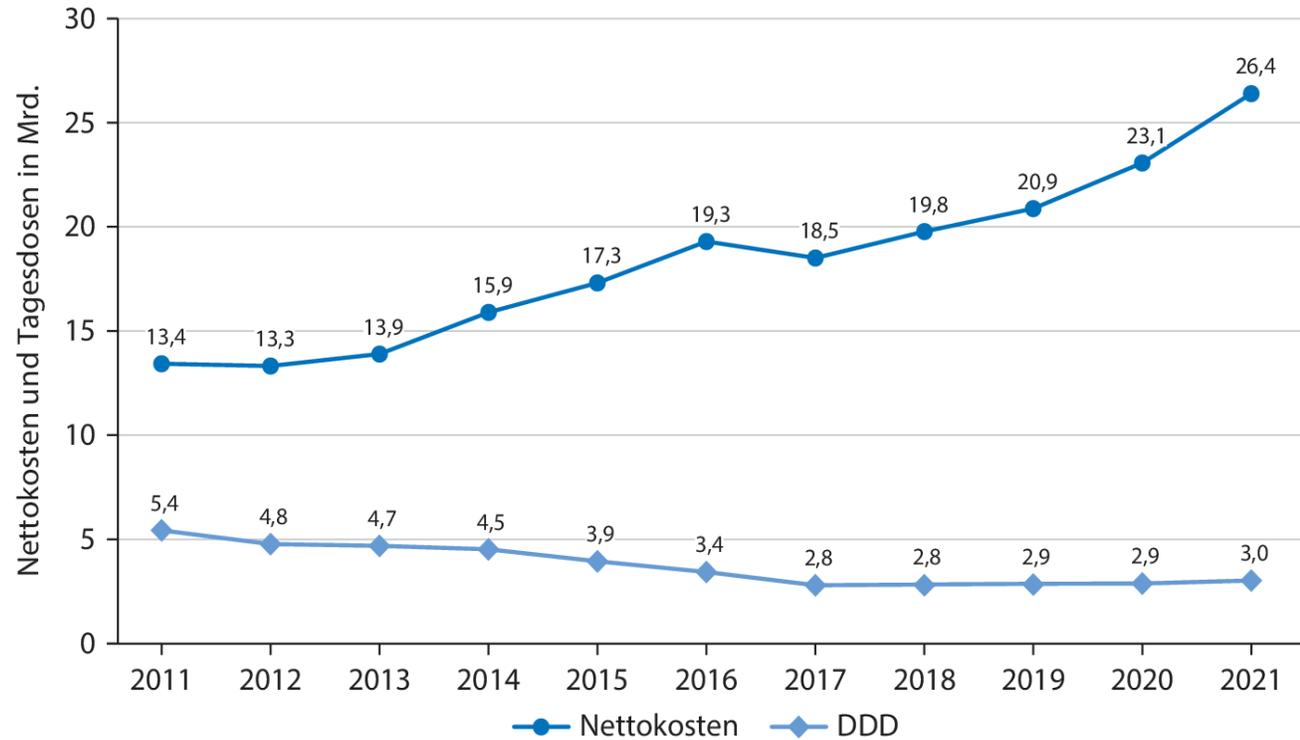


Ausgaben für Arzneimittel in der GKV: 50,2 Mrd. € in 2021

Quelle: https://link.springer.com/chapter/10.1007/978-3-662-66041-6_18/figures/1/

* Seit 2016 zusätzliche Berücksichtigung von parenteralen Zubereitungen

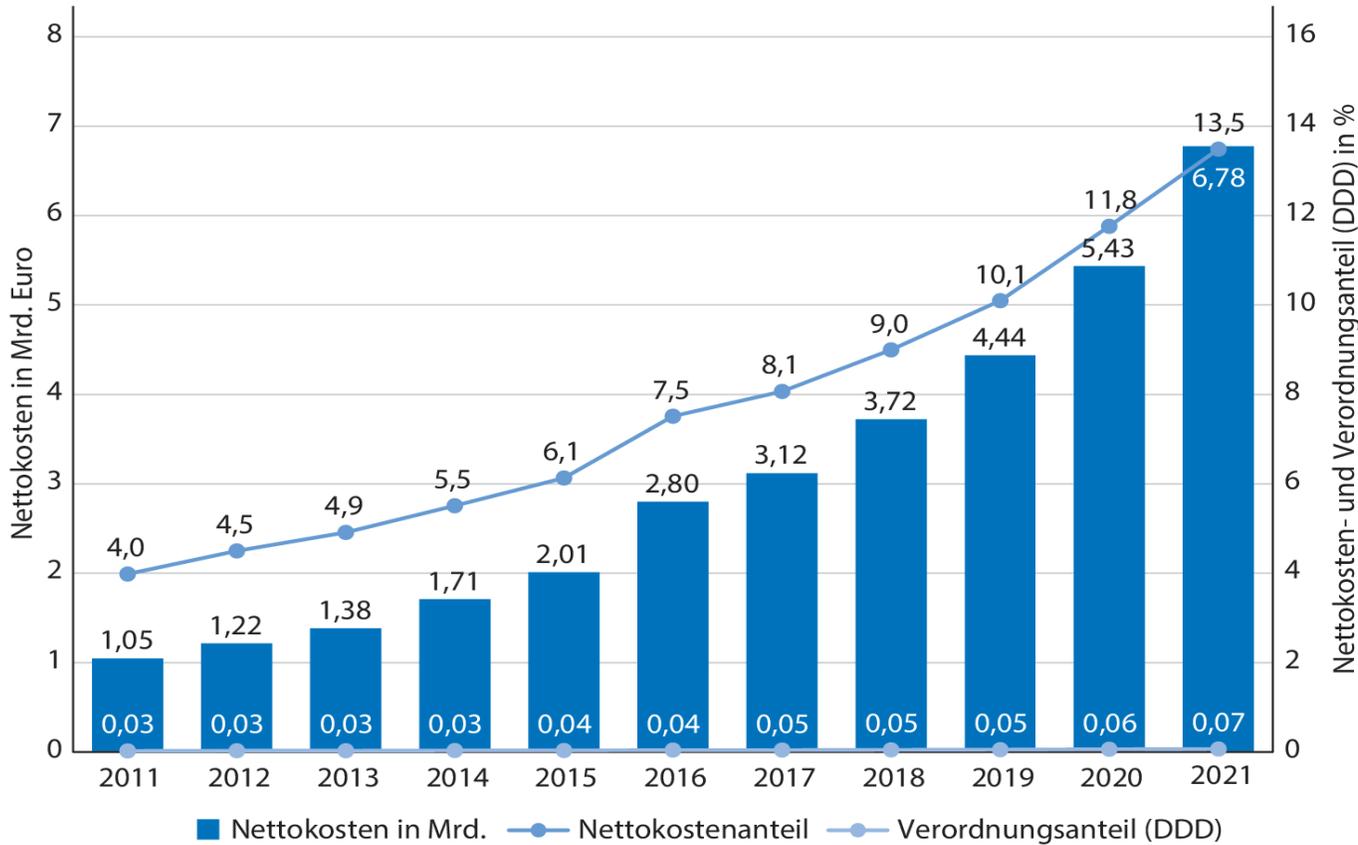
** Seit 2018 zusätzliche Berücksichtigung von ambulant abgegebenen Arzneimitteln aus Krankenhausapotheken



Arzneimittel-Kompass 2022

Ausgaben für Patentarzneimittel in der GKV: 26,4 Mrd. € in 2021

Quelle: https://link.springer.com/chapter/10.1007/978-3-662-66041-6_18/figures/1/



Arzneimittel-Kompass 2022

Ausgaben für Orphan Drugs in der GKV: 6,8 Mrd. € in 2021

Quelle: https://link.springer.com/chapter/10.1007/978-3-662-66041-6_18/figures/13

Warum interessiert uns die Ausgabenentwicklung von Arzneimitteln?

Sind die Ausgaben
angemessen für den
Patientennutzen?



AMNOG

Warum interessiert uns die Ausgabenentwicklung von Arzneimitteln?

Gesetzentwurf

der Fraktionen der CDU/CSU und FDP

Entwurf eines Gesetzes zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung (Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz – AMNOG)

„[...] Bei vollständiger Umsetzung des Vertragsmodells ergibt sich eine Entlastung von rd. **2 Mrd. Euro** für die GKV. [...]“

Warum interessiert uns die Ausgabenentwicklung von Arzneimitteln?



Pressemeldung

ZENTRALE

Pressestelle DAK-Gesundheit | Nagelsweg 27-31 | 20097 Hamburg

Tel: 040 2396-1409 | E-Mail: presse@dak.de

**Arzneimittelmarkt nach AMNOG-Reformen: Einsparungen
liegen weit hinter den Erwartungen zurück**
DAK-Gesundheit zeigt mit einem AMNOG-Kurzreport den aktuellen
Umsetzungsstand des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes

Hamburg, 11. Oktober 2023. Die AMNOG-bezogenen Maßnahmen

Warum interessiert uns die Ausgabenentwicklung von Arzneimitteln?

Sind die Ausgaben
angemessen für den
Patientennutzen?

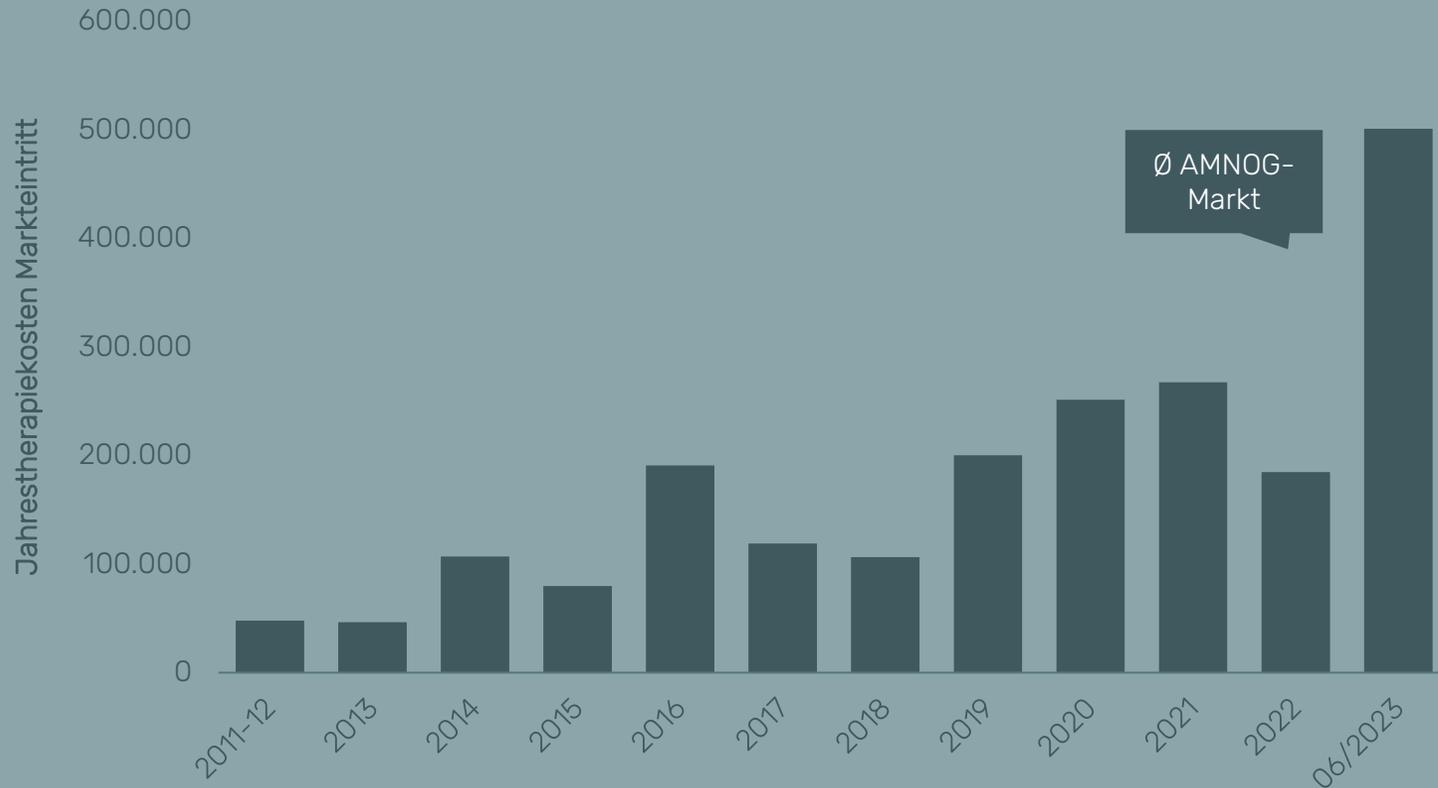


Sind die Ausgaben
angemessen
hinsichtlich des
verfügbaren Budgets?



AMNOG

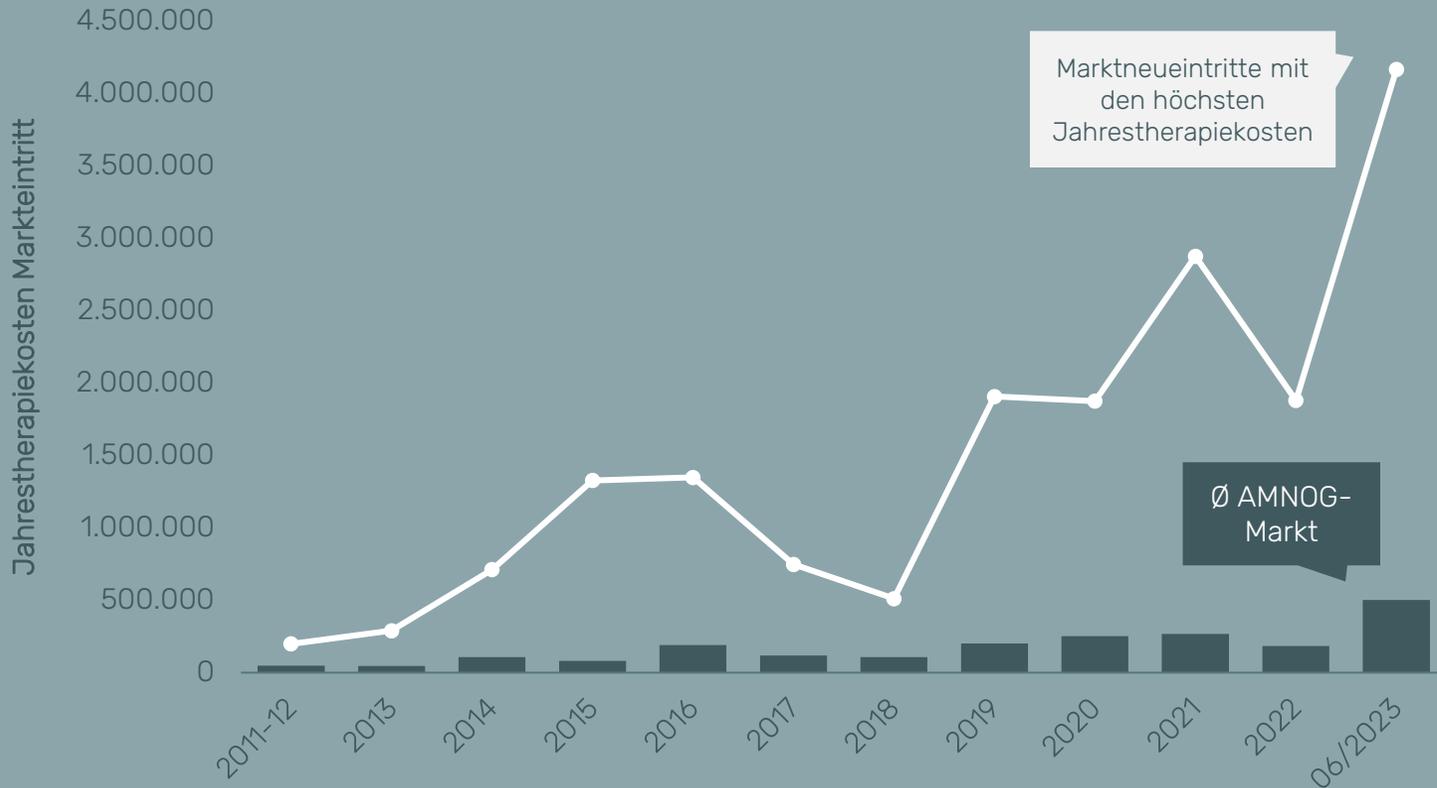
Mittlere Jahrestherapiekosten bei Markteintritt



Mittlere Jahrestherapie- kosten im AMNOG- Patentmarkt

Quelle: Eigene Analyse auf Basis der G-BA-Beschlüsse der Erstbewertungsverfahren, 2011-06/2023

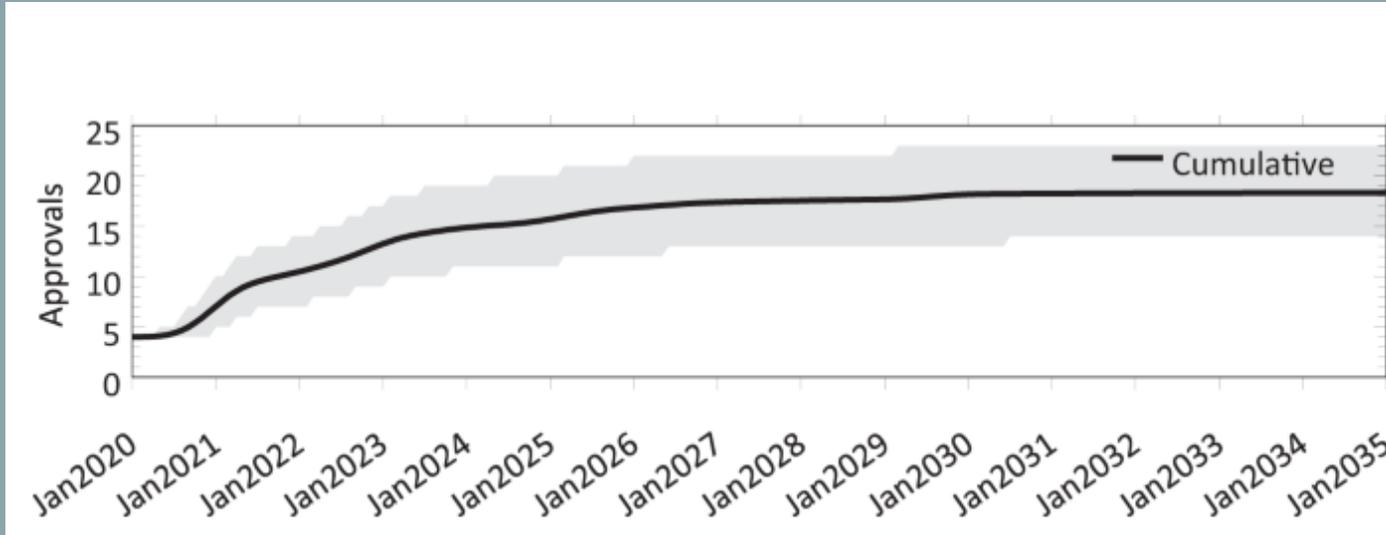
Mittlere Jahrestherapiekosten bei Markteintritt



Preisentwicklung in der Spitze des AMNOG-Patentmarktes

Quelle: Eigene Analyse auf Basis der G-BA-Beschlüsse der Erstbewertungsverfahren, 2011-06/2023

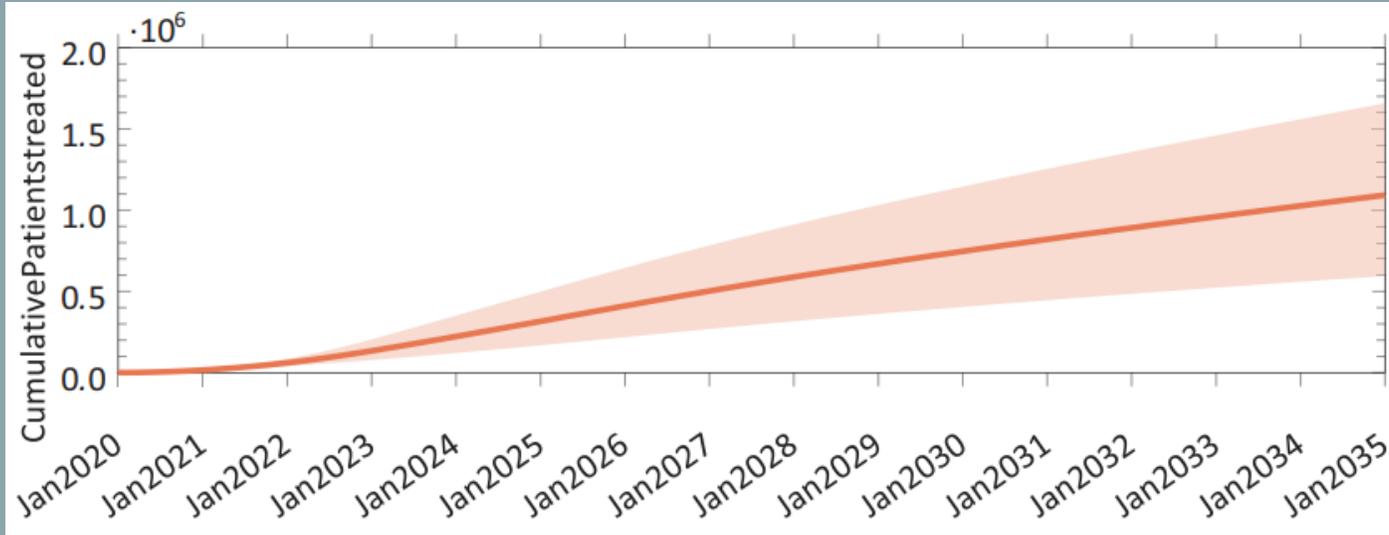
Erwartete Markteintritte von Gentherapien



Wong et al 2023. DOI: 10.1038/s41434-023-00419-9

“Wird's besser?
Wird's schlimmer?,
fragt man alljährlich.”

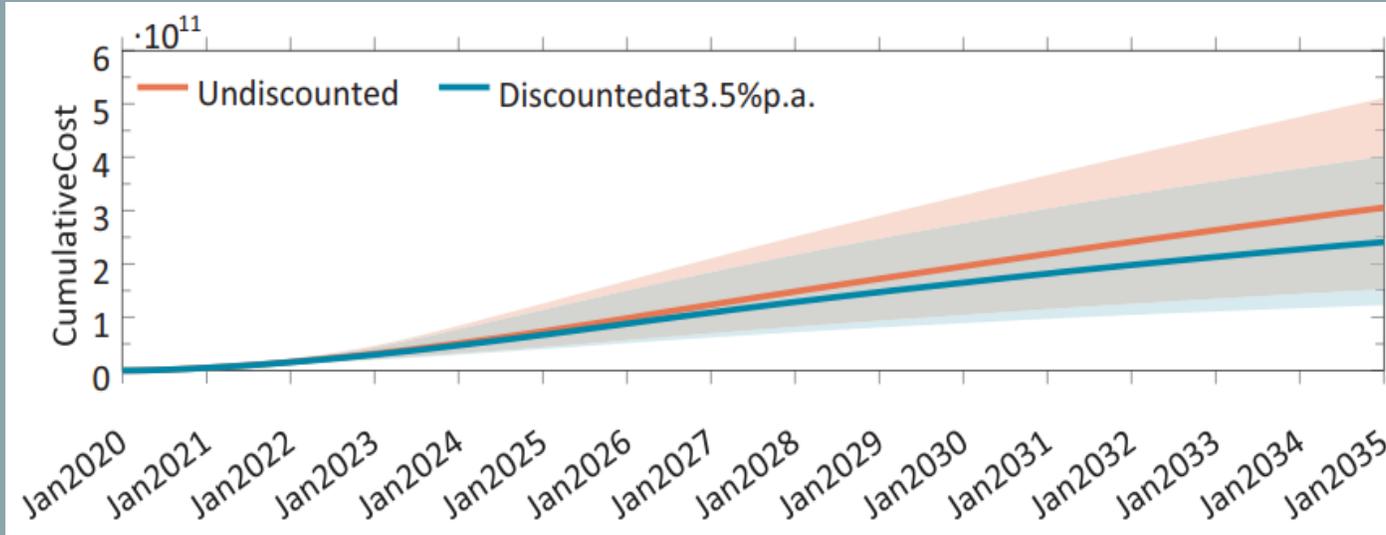
Erwartete Anzahl mit Gentherapien behandelter Patienten



Wong et al 2023. DOI: 10.1038/s41434-023-00419-9

“Wird's besser?
Wird's schlimmer?,
fragt man alljährlich.”

Erwartete Kosten der mit Gentherapien behandelten Patienten



Wong et al 2023. DOI: 10.1038/s41434-023-00419-9

“Wird's besser?
Wird's schlimmer?,
fragt man alljährlich.”

Kostenstrukturen im Arzneimittelmarkt: Drei Bewertungsgegenstände

#1 Ausgaben

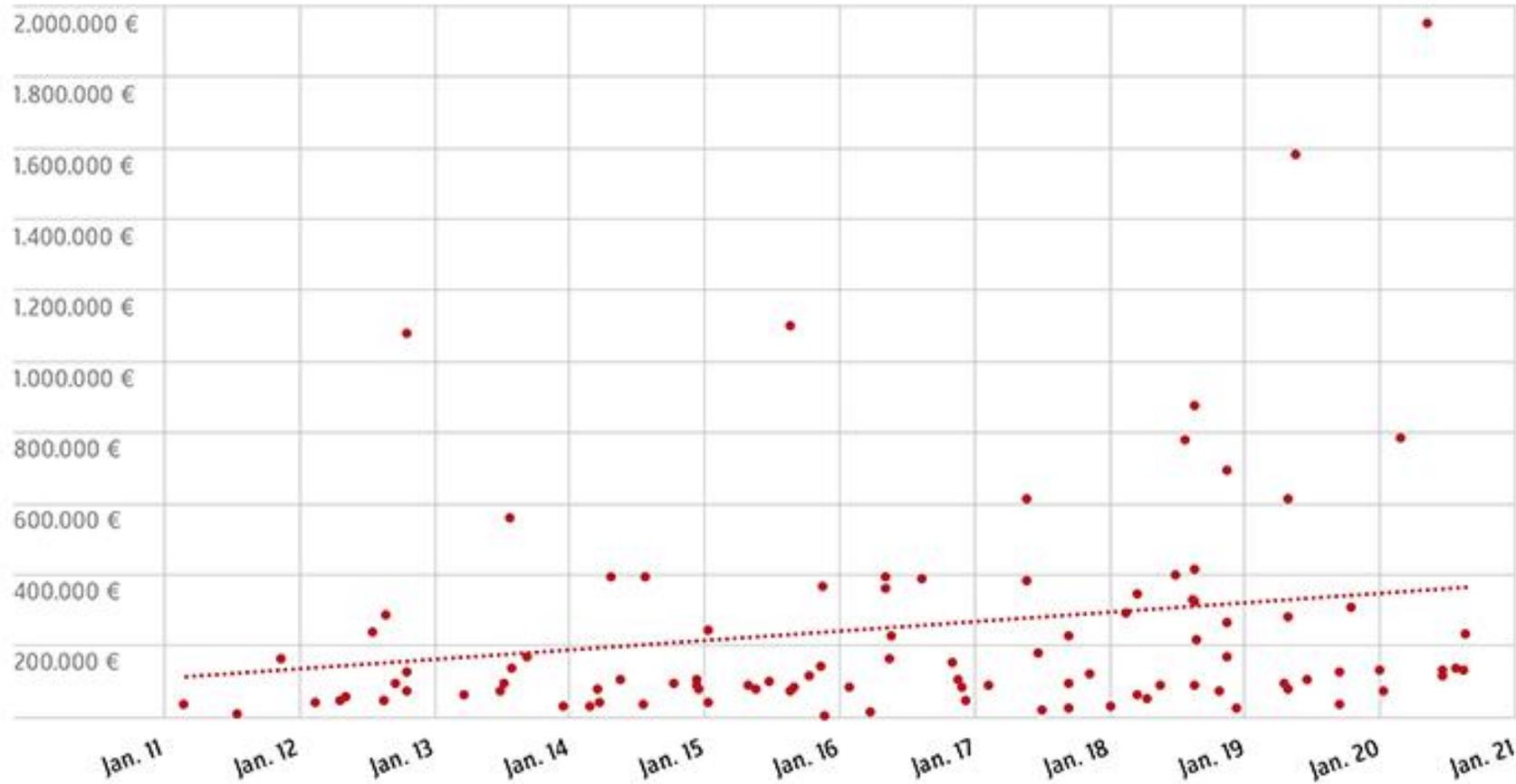
#2 Menge x (Preise x Nutzen)

#3 Angemessenheit

Bewertung der Preise von Orphan Drugs

Menge x (Preise x Nutzen): Fokus Preise

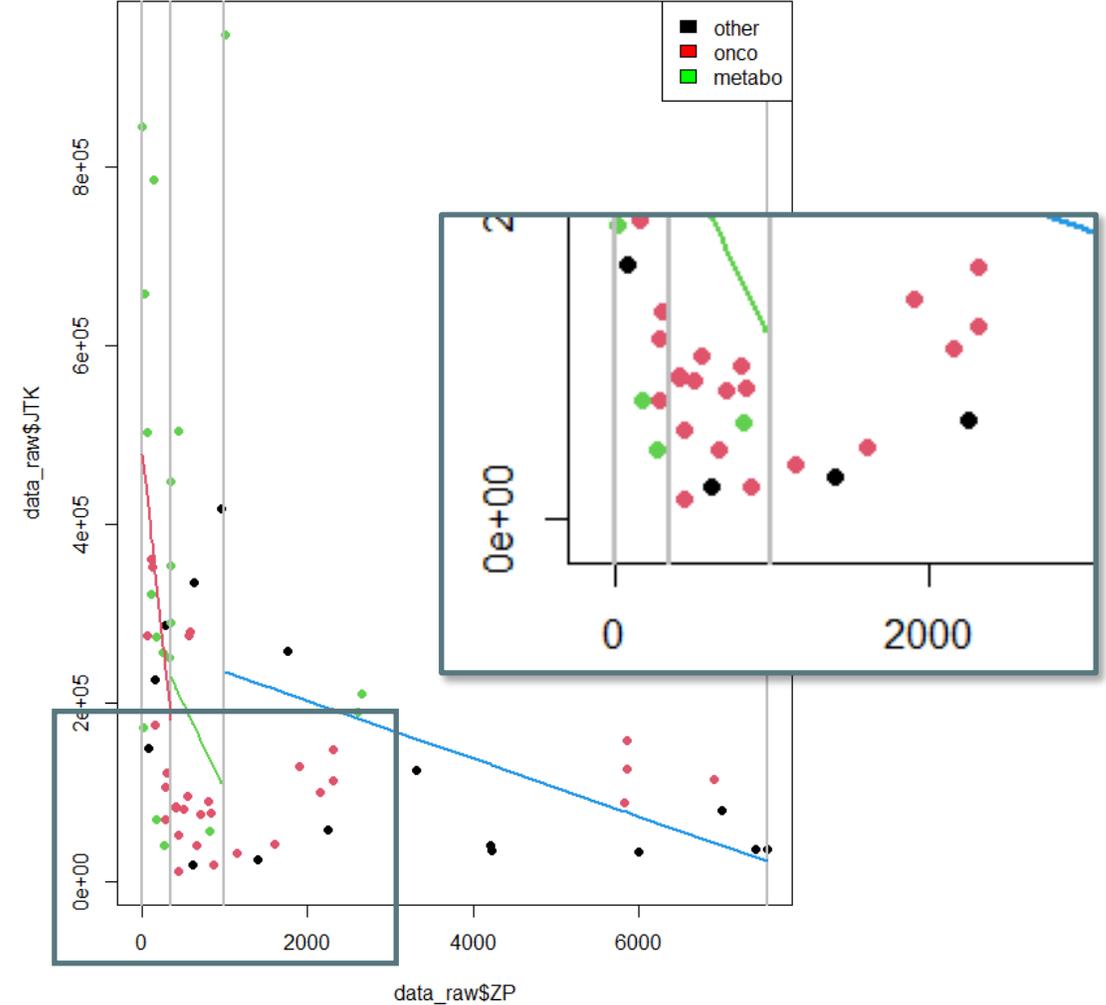
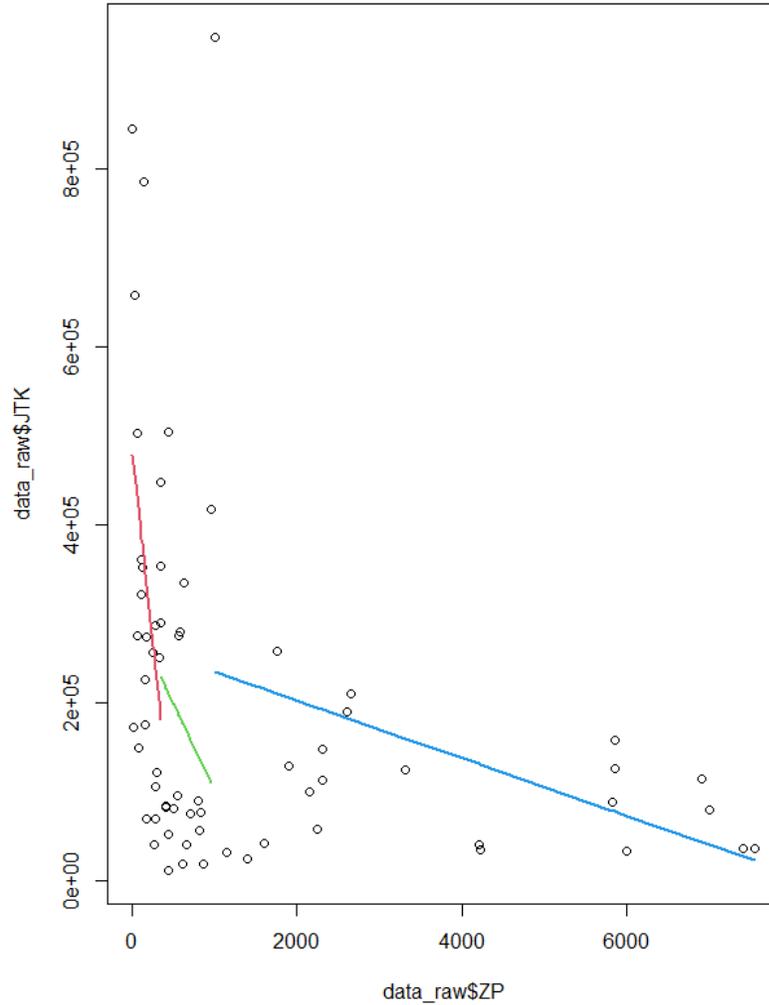
Markteintrittspreise
von Orphan Drugs
und anderen
Sonderzulassungen
im Patentmarkt
Daten: GKV-
Spitzenverband 2021



Bewertung der Preise von Orphan Drugs

Preis-Mengen-Funktionen und Indikations-Heuristiken

Verhandelte
Jahrestherapie-
kosten von Orphan
Drugs in Relation
zur Größe der
Zielpopulation
Daten: G-BA 2011-
2021; Lauer Taxe



Bewertung des Nutzens und der Preise von Orphan Drugs Herausforderungen für die Regulierung?

AMNOG - Report 2020



„Es besteht nach wie vor Handlungsbedarf, um das Ziel einer effizienten Arzneimittelversorgung zu erreichen.“

In einem ersten Schritt sollten die Regelungen für „Orphan Drugs“ weiterentwickelt werden. Es macht keinen Sinn, dass gerade Medikamente für seltene und oft schwere Erkrankungen **keine ausreichende Nutzenbewertung erfahren** und somit für diese besonders vulnerablen Patienten keine Transparenz besteht.“

Prof. Dr. Karl Lauterbach, AMNOG-Report 2020



Bewertung des Nutzens und der Preise von Orphan Drugs

Konzeption des GKV-FinStG (Ausschnitte)

**Gesetz
zur finanziellen Stabilisierung der gesetzlichen Krankenversicherung
(GKV-Finanzstabilisierungsgesetz)**

Vom 7. November 2022

Anhebung
Kollektivabschläge

Einführung neuer
Pauschalabschläge

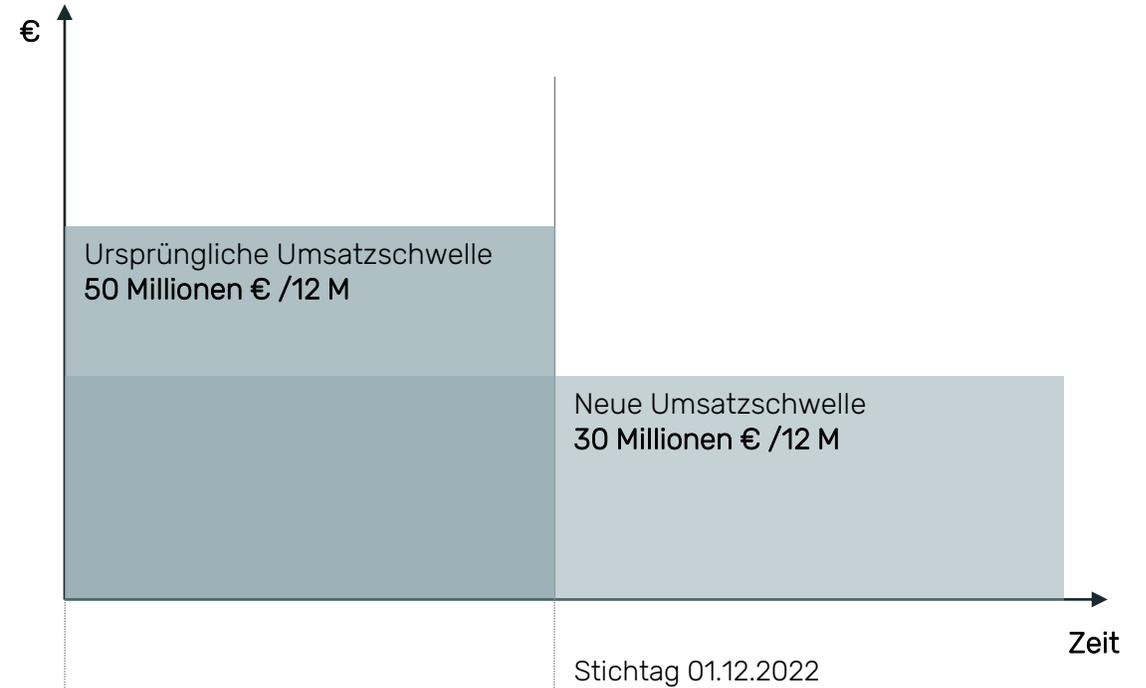
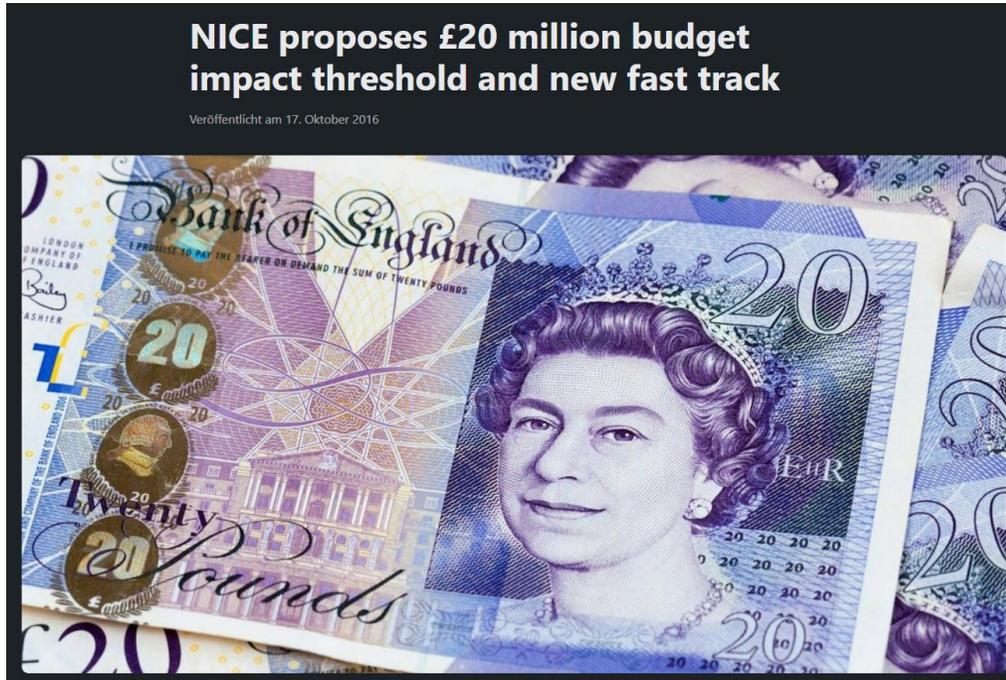
Disincentivierung von
Schrittinnovationen

Frühere Bewertung /
Rabattierung von
Orphan Drugs

Rückwirkung der
Erstattungsbeträge

Bewertung des Nutzens und der Preise von Orphan Drugs

Umsatzschwelle zur uneingeschränkten Nutzenbewertung von Orphan Drugs



Bewertung des Nutzens und der Preise von Orphan Drugs

Umsatzschwelle zur uneingeschränkten Nutzenbewertung von Orphan Drugs

Erwartete Effekte

- ✓ Mehr Orphan Drugs, die einer Vollbewertung unterzogen werden
- ✓ Einsparungen durch Vereinbarung von Erstattungsbeträgen, die nicht auf der Zusatznutzenfiktion basieren
- ✓ Stärkung der Evidenzorientierung bei Orphan Drugs

Mögliche adverse Effekte

- ✗ Natürliche Restriktionen* der Evidenzgenerierung bei Orphan Drugs bleiben bestehen
- ✗ Gewählte Umsatzschwelle ist arbiträr und nicht inhaltlich begründbar
- ✗ Anreize für die Vermarktung von Orphan Drugs im deutschen Markt sinken

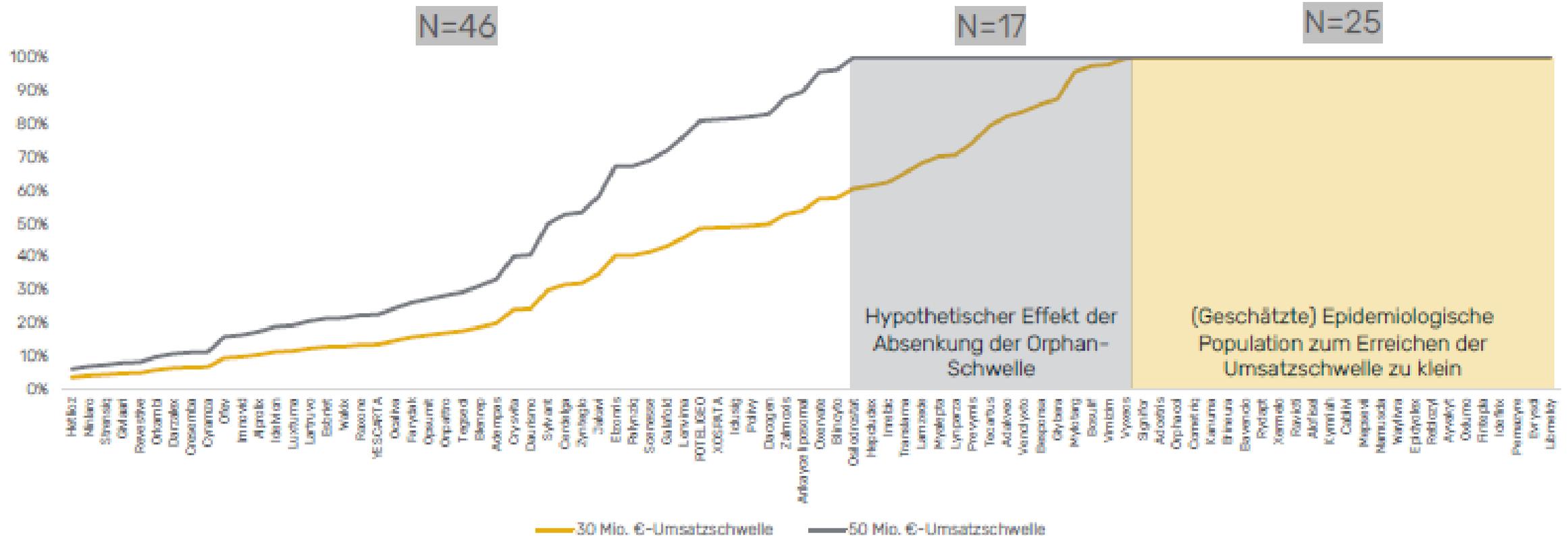
|
Erstattungsbeträge + Leitplanken!

Bewertung des Nutzens und der Preise von Orphan Drugs

Effekte aus der Absenkung der Umsatzschwelle

Ein Gedankenexperiment: Wie hoch ist der Anteil der behandelbaren Patienten bis zum Greifen der Umsatzschwelle iHv 30 Mio. Euro?

Eigene Berechnung auf Basis von Daten der G-BA, 2011-2021, nur Orphan Drugs ohne bereits erfolgte Überschreitung der Umsatzschwelle berücksichtigt



Bewertung des Nutzens und der Preise von Orphan Drugs

Effekte aus der Absenkung der Umsatzschwelle

Greift die Umsatzschwelle? Orphan Drug-Anteil an Fällen und Kosten der extrabudgetären Ausgaben für Arzneimittel im Krankenhaus

Eigene Berechnung und Hochrechnung auf Basis von ZE/NUB-Daten der DAK-Gesundheit, 2017-2021

	2017	2018	2019	2020	2021
Fälle gesamt	65.000	50.000	75.000	99.000	105.000
Fälle Orphan Drug	14.000	21.000	27.000	34.000	36.000
Anteil Orphan Drug an allen Fällen	41 %	42 %	36 %	34 %	34 %
Kosten gesamt (in Mio. €)	215,7	520,8	724,8	975,1	1.165,3
Kosten Orphan Drugs (in Mio. €)	110,9	361,7	452,8	572,6	725,8
Anteil Orphan Drug an den Gesamtkosten	51 %	69 %	62 %	59 %	62 %

Warum interessiert uns die Ausgabenentwicklung von Arzneimitteln?

Sind die Ausgaben
angemessen für den
Patientennutzen?



Sind die Ausgaben
angemessen
hinsichtlich des
verfügbaren Budgets?



AMNOG

Kostenstrukturen im Arzneimittelmarkt: Drei Bewertungsgegenstände

#1 Ausgaben

#2 Menge x (Preise x Nutzen)

#3 Angemessenheit

Bewertung der Angemessenheit

Ungelöste Herausforderungen nutzenbasierter Preisbildung

Gerechtigkeitsdebatten

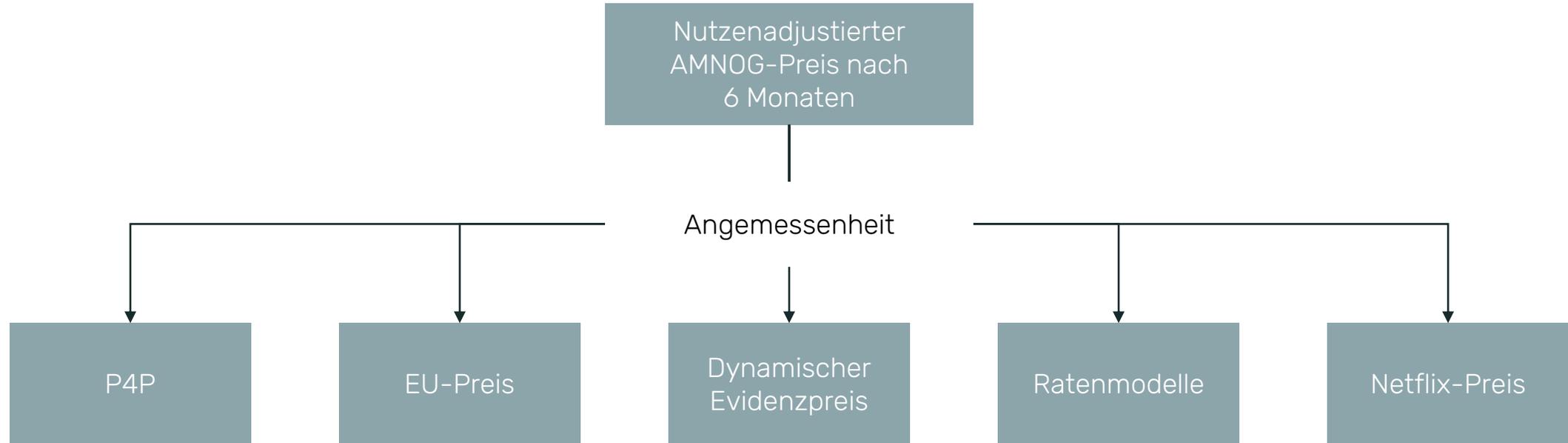
- Wahrnehmung eines **höheren Risikos der GKV** für die Finanzierung von Unsicherheit
- Hohe **Verhandlungsmacht auf Anbieterseite** bei wirksamem Solitär
- Fehlende Orientierung für die Bewertung einer **Belastbarkeitsgrenze**

AMNOG-Verfahrensdebatten

- **Verhandlungsbasierte Preisbildung** stößt an Grenzen, wenn Daten zum Zusatznutzen nicht verfügbar oder nur eingeschränkt bewertbar sind
- **Selektivverträge (P4P)** theoretisch sinnvoll aber derzeit offenbar im System nicht flächendeckend um- bzw. durchsetzbar (Administrations-, Definitionsprobleme, Anreizproblematik)

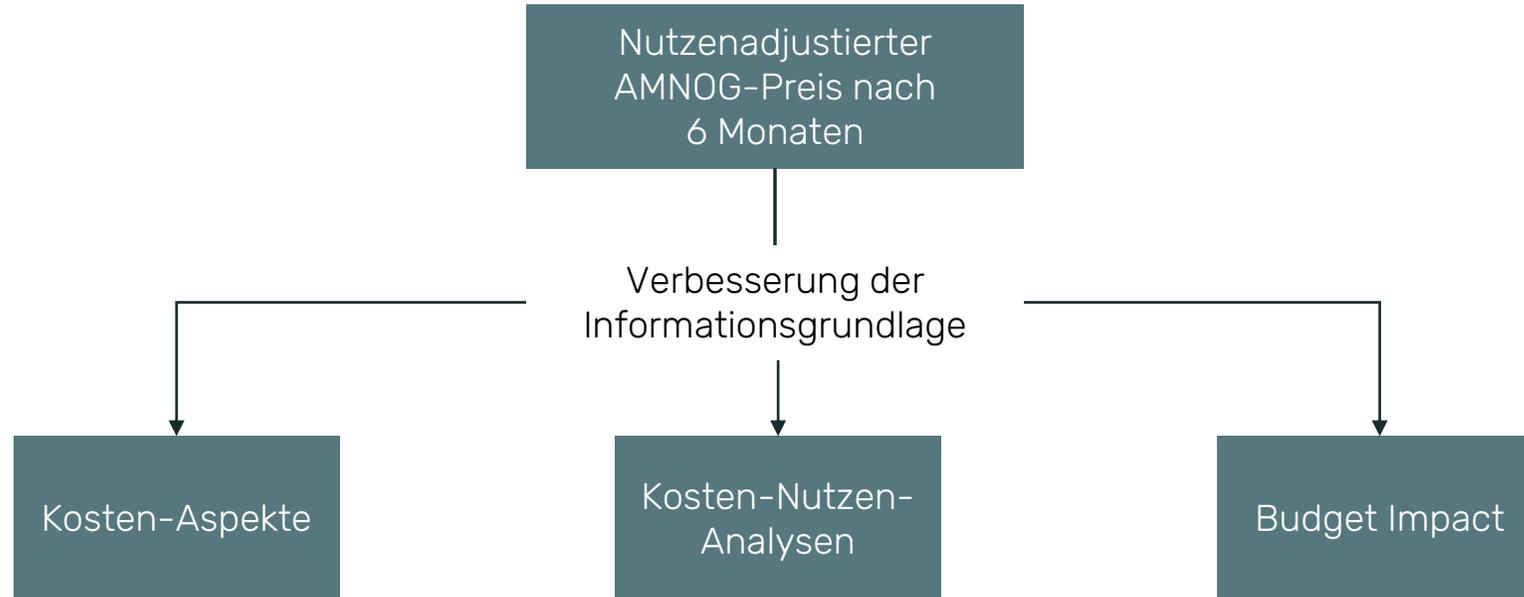
Bewertung der Angemessenheit

Ansätze zur Bewertung der Angemessenheit (u.a. für die Preise von Orphan Drugs)



Bewertung der Angemessenheit

Ansätze zur Verbesserung der Informationsgrundlage



Bewertung der Angemessenheit

Kostenbasierte Ansätze sind mit hoher Unsicherheit verbunden

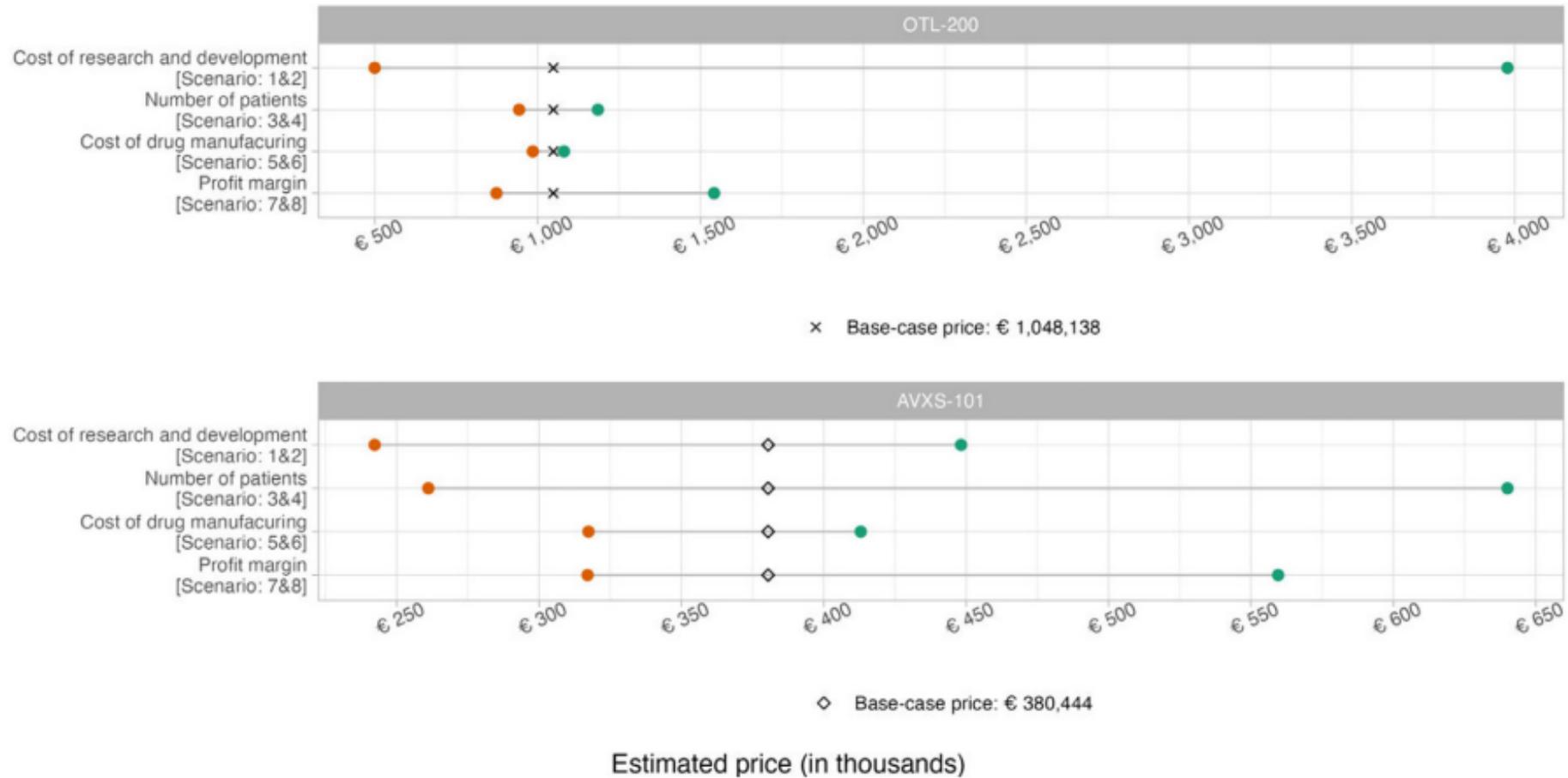
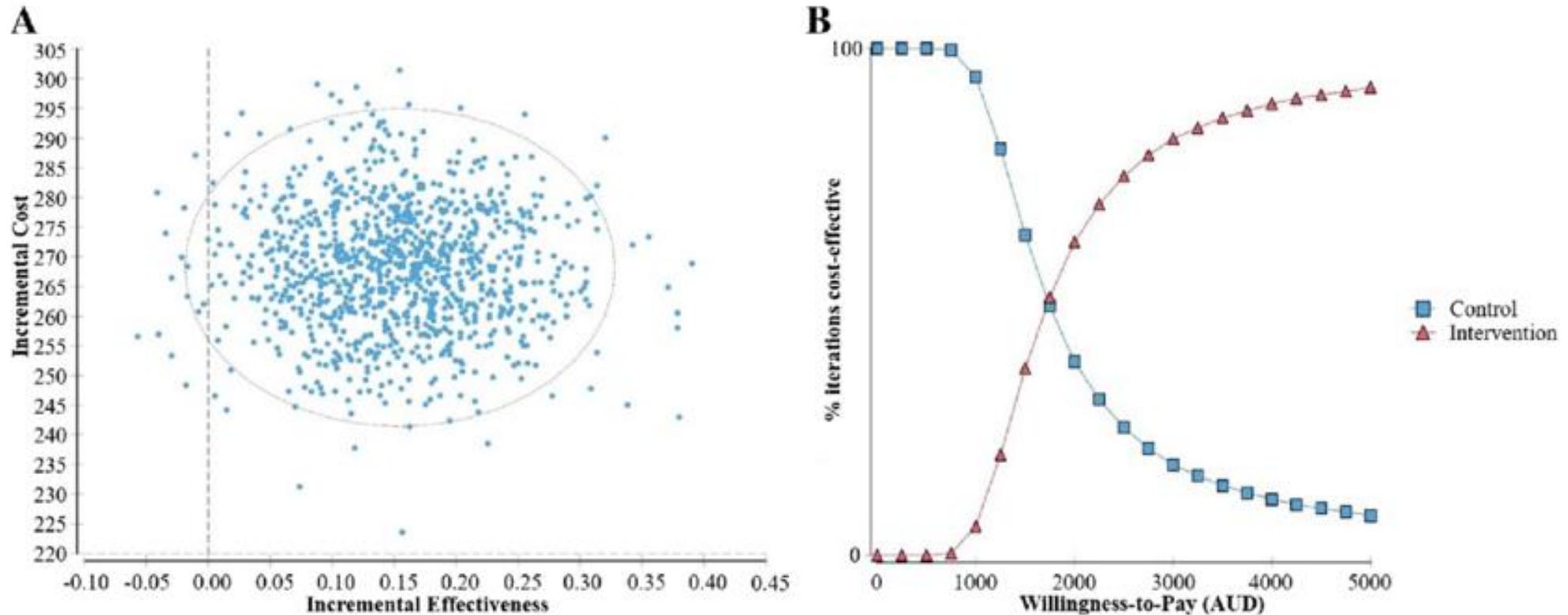


Figure 3. Results of the scenario analyses. (Color version of figure is available online).

Bewertung der Angemessenheit

Kosten-Nutzen-Analysen können helfen, die Entscheidungsunsicherheit zu reduzieren



Fragen an die Ergebnisse der Kosten-Nutzen-Bewertung:

- Wie wahrscheinlich ist es, dass eine neue Intervention kosteneffektiv ist?
- Wie verändert sich die Wahrscheinlichkeit der Kosteneffektivität durch Senkung des Preises?

Bewertung der Angemessenheit KNA können auch nicht „zaubern“...

Received: 10 January 2020 | Revised: 6 February 2020 | Accepted: 20 February 2020
DOI: 10.1111/bcp.14275

SYSTEMATIC REVIEW AND META-ANALYSIS



A systematic review of economic evaluations of advanced therapy medicinal products

Huw Lloyd-Williams | Dyfrig A. Hughes

There are critical limitations to the economic evidence for ATMPs, most notably in relation to **evidence on the durability of treatment effect**, and the reliability of **opinion-based assumptions** necessary when evidence is absent.

Pharmacoeconomics - Open (2022) 6:147–167
<https://doi.org/10.1007/s41669-021-00295-2>

REVIEW ARTICLE



Evaluation of Advanced Therapy Medicinal Products by the National Institute for Health and Care Excellence (NICE): An Updated Review

Ana-Catarina Pinho-Gomes^{1,2} · John Cairns³

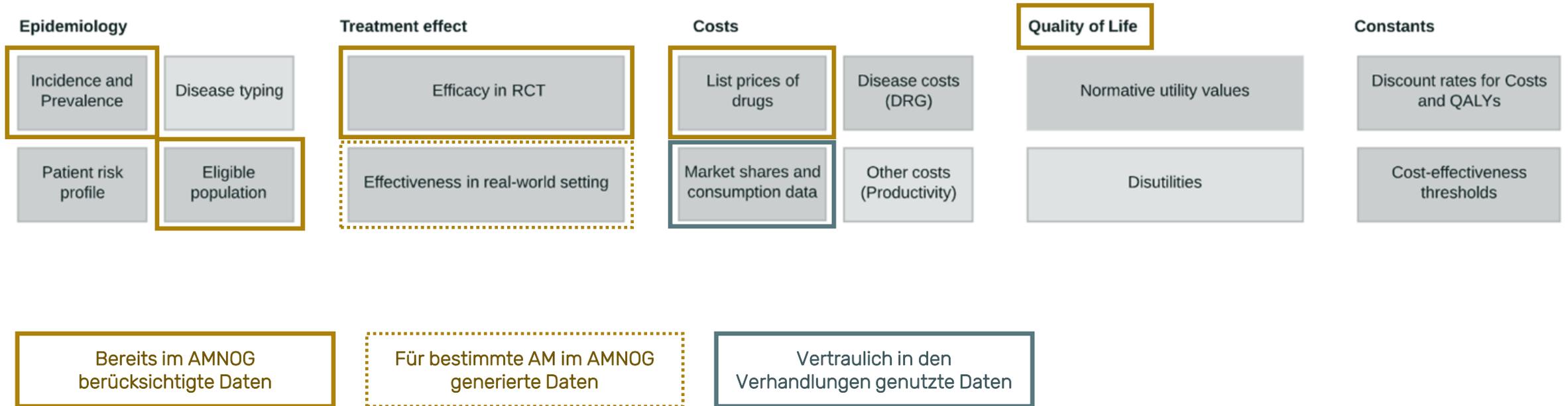
Accepted: 2 August 2021 / Published online: 20 August 2021
© The Author(s) 2021

There were also several concerns in the cost-effectiveness evaluations, such as **limited information on health-related quality of life, immature survival data due to short follow-up, and unclear curative potential**. Substantial risk may be incurred with ATMPs, which have high upfront and possibly irrecoverable costs but uncertain long-term benefits.

Bewertung der Angemessenheit

... aber zusätzliche Daten für rationale Verhandlungen und mehr Transparenz liefern

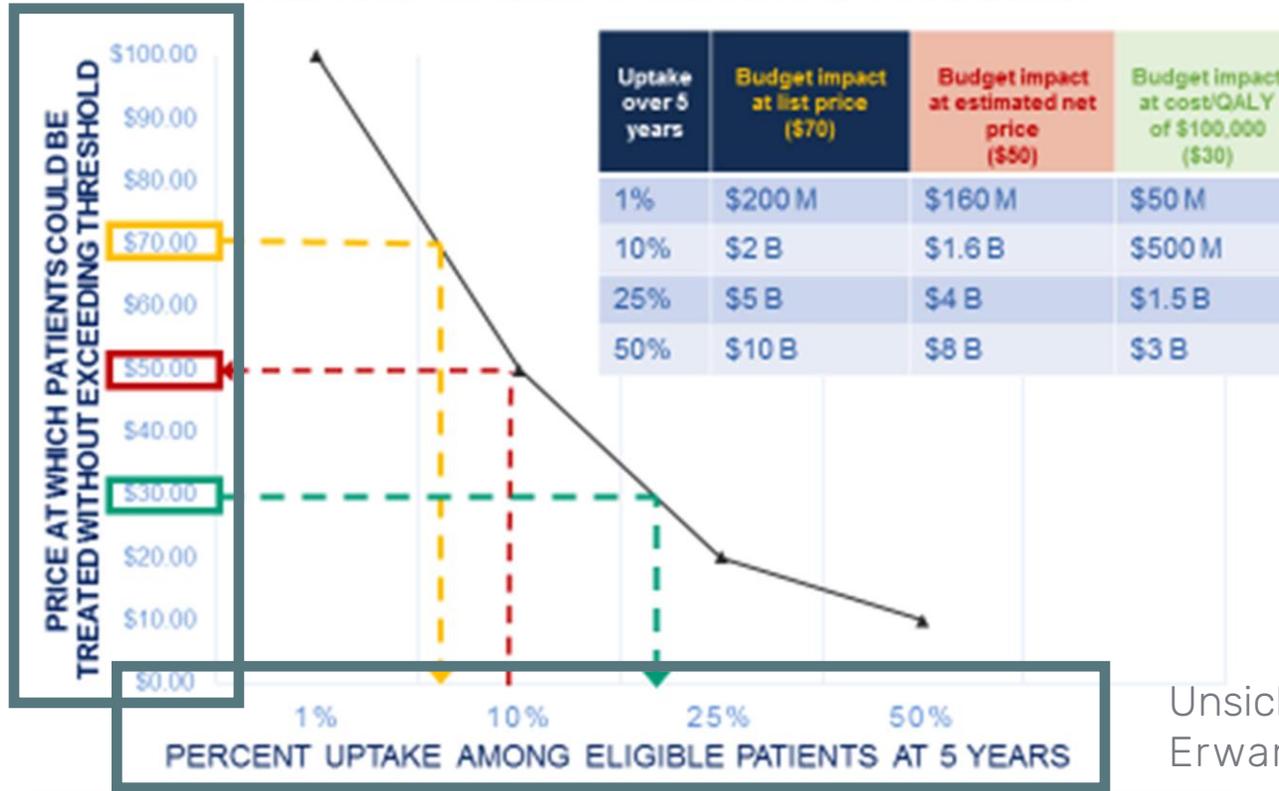
Inputdaten eines Kosten-Effektivitätsmodells



Bewertung der Angemessenheit

Warum Mengen- und Preisunsicherheit nicht transparenter diskutieren?

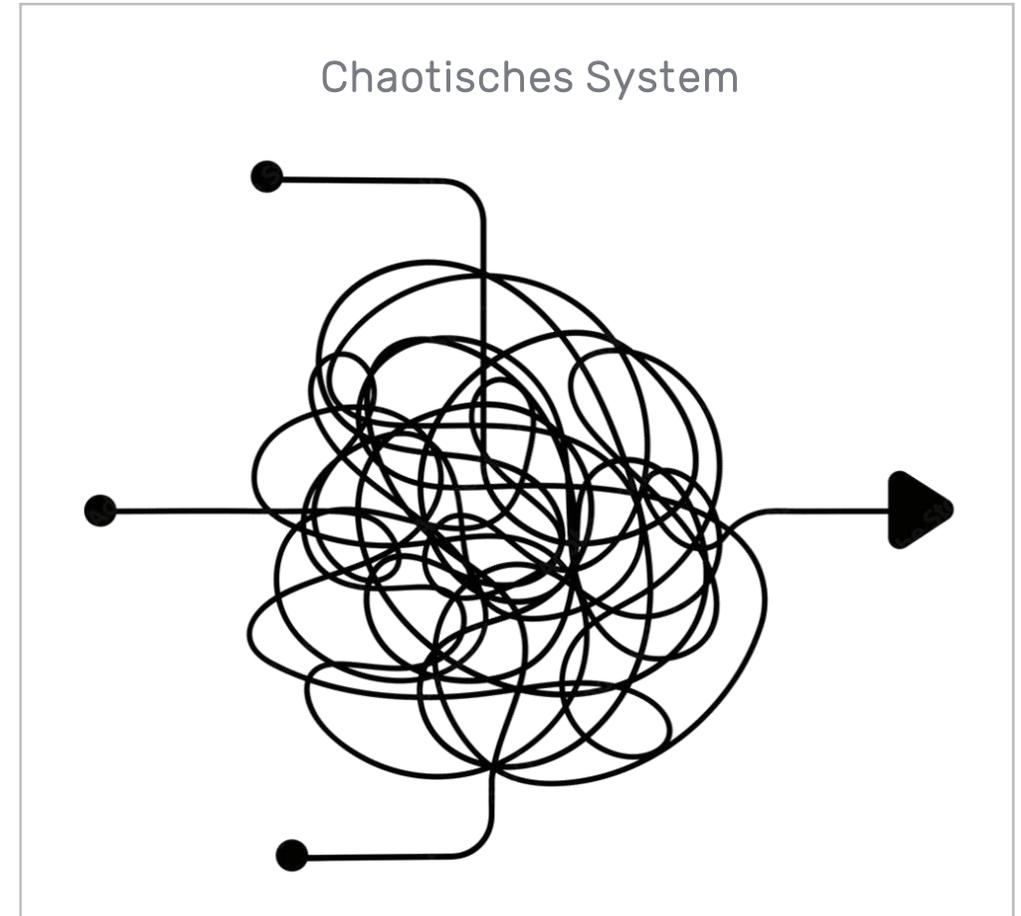
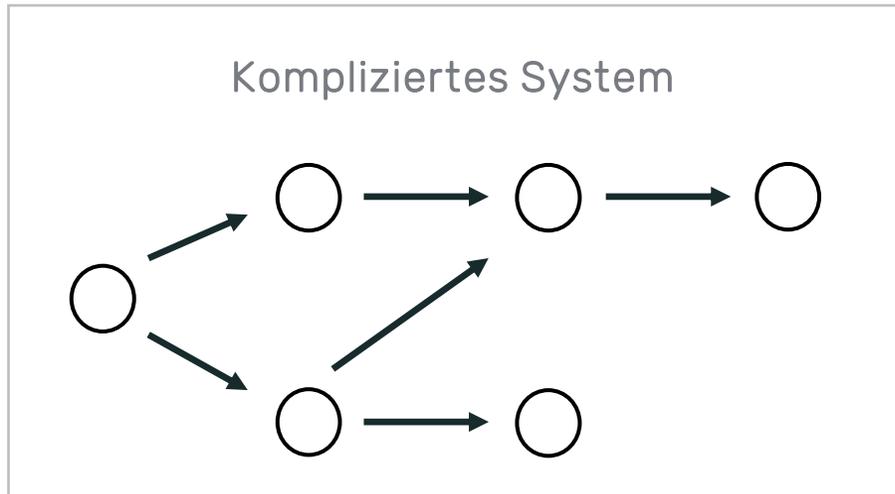
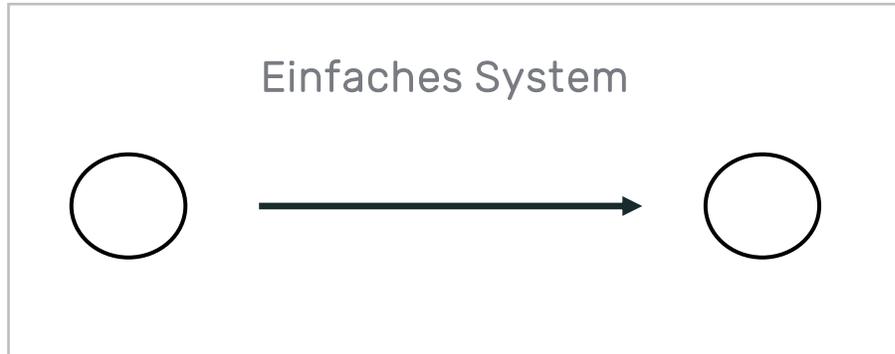
POTENTIAL BUDGET IMPACT SCENARIOS



Unsicherheit #2
Akzeptable
Preishöhe

Unsicherheit #1
Erwartete Patientenzahlen

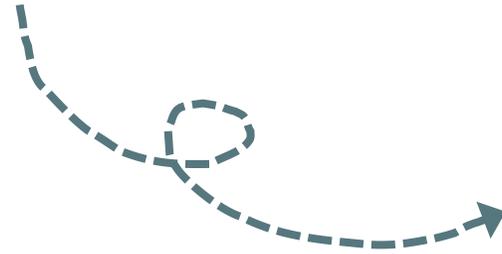
Bewertung der Angemessenheit Ziele von Regulierung



- Aufgrund hoher Preise wird die **Unsicherheit** hinsichtlich des Nutzens und der Kosten bei Orphan Drugs besonders kritisch bewertet.
- Akzeptanz höherer Unsicherheit in der Erstattung von Orphan Drugs sollte **transparent** gemacht und planbarer umgesetzt werden.
- **„Einfache“** Lösungen für die Festlegung angemessener Erstattungspreise bei Orphan Drugs gibt es nicht.
- Für eine effizientere Preisbildung sollte die Unsicherheit durch Einbezug von **Real-World-Daten** und **Kosten-Nutzen-Analysen** reduziert werden.

Fazit

How to reach us



hey@vandage.de
vandage.de

Vandage GmbH
Health Economics & Analytics
Detmolder Straße 30
D-33604 Bielefeld