

Spandauer Damm 130  
14050 Berlin  
[andreas.reimann@achse-online.de](mailto:andreas.reimann@achse-online.de)  
Tel.: 030-30201585

Berlin, 24.9.2010

*Stellungnahme  
der Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE) e.V.*

*zum Gesetzesentwurf der Fraktionen von CDU/CSU und FDP zu einem Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung (AMNOG – BT DS 17/2413) und den Änderungsanträgen der Fraktionen von CDU/CSU und FDP zu diesem Gesetz*

**Kein zusätzliches nationales Verfahren für den auf europäischer Ebene festgestellten Zusatznutzen für „Orphan Drugs“.  
Eingesparte Zeit nutzen für schnellere Preisregulierung.**

*Wir konzentrieren uns auf den Änderungsantrag 2, hier: Anerkennung der Zulassung als Zusatznutzen für seltene Erkrankungen, Änderungsantrag zu Art 1 Nr.5.*

**Als Vertreter der Menschen mit Seltenen Erkrankungen begrüßen wir die in Änderungsantrag 2 vorgeschlagene Regelung, nach der ein medizinischer Zusatznutzen durch die Zulassung von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen nach Verordnung EG 141/2000 als belegt gilt.**

**Wir regen an, dem Änderungsantrag zu folgen und derart zu erweitern, dass die eingesparte Zeit für die nicht mehr zu wiederholende Nutzenbewertung (6 Monate) verwendet wird, um eine Preisregulierung gem. §130B SGB V (AMNOG-Fassung) schneller durchzuführen und somit dem GKV-System unnötige Kosten zu ersparen.**

Begründung:

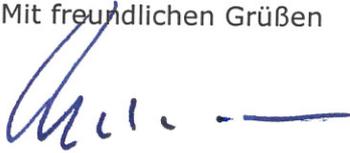
1. Die ACHSE e.V. als Vertreter der Menschen mit Seltenen Erkrankungen begrüßt eine Nutzenbewertung, wie sie durch das Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung (AMNOG) vorgesehen ist und die sich anschließende Preisregulierung gem. §130b SGB V (AMNOG-Fassung). Dadurch können endlich überbezahlte Preisvorgaben der Hersteller verhindert und Wirtschaftlichkeitsreserven in der Arzneimittelversorgung zugunsten anderer Versorgungsbereiche der GKV gehoben werden.
2. Für die meisten der ca. 5-6.000 seltenen Erkrankungen, die häufig nur wenige hundert Menschen in Deutschland, manchmal sogar weltweit, betreffen, gibt es noch keine zugelassenen Arzneimittel. Deshalb war die Einführung der „Orphan-Drug-Designation“ (ODD) (Anerkennung als Arzneimittel gegen seltene Leiden), gem. EU-Verordnung EG 141/2000 ein wichtiger Schritt, um pharmazeutischen Unternehmen Anreize für die Entwicklung von Arzneimitteln zu geben. Der Erfolg der Regelung gibt diesem Prinzip recht.

3. Arzneimittel zur Behandlung seltener Erkrankungen, die als solche durch das Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) der European Medicines Agency (EMA) in London anerkannt worden sind („Orphan Drug Designation“, ODD), müssen zum Zeitpunkt ihrer Zulassung durch die EMA belegen, dass sie einen Zusatznutzen zur schon bestehenden Therapie der jeweiligen Erkrankung haben. Gelingt dies nicht, entfällt die vor der Zulassung erteilte ODD und auch das Recht auf Marktexklusivität, das wesentlicher Anreiz für die Entwicklung von Arzneimitteln auch für wenige hundert Patienten in ganz Europa ist. Ergeben sich Erkenntnisse, dass der Zusatznutzen nicht mehr fortbesteht, können die Mitgliedsstaaten jederzeit die Aufhebung der ODD beantragen. Darüber hinaus ist eine Regelüberprüfung fünf Jahre nach der Zulassung vorgesehen. Somit haben Orphan-Drug-Arzneimittel bereits einen Beleg für den Zusatznutzen auf europäischer Ebene erbracht. Aus Gründen der Bürokratievermeidung sollten sie daher direkt nach der Zulassung dem Preisverhandlungsverfahren gem. §130b SGB V AMNOG ohne zusätzliche nationale Nutzenbewertung zugeführt werden. Damit würde auch ein widersprüchliches Ergebnis zwischen der Nutzenbewertung gem. §35a SGB V (AMNOG) und der Feststellung als Orphan-Drug gem. Richtlinie EC 141/2000 vermieden. In einem solchen Fall nämlich wäre Deutschland verpflichtet, eine Überprüfung der Designation zu beantragen.
4. Es ist daher nicht sachgerecht, von einer „Anerkennung eines Zusatznutzens qua Gesetz für Orphan Drugs“ zu sprechen, wie dies der Gemeinsame Bundesausschuss in seiner Stellungnahme v. 22.9.2010 tut. Damit verkennt er den tatsächlichen Prüfungsgehalt der Richtlinie EG 141/2000, da die Anerkennung nicht „qua Gesetz“ sondern nach fachlicher Prüfung ausgesprochen wird.
5. Ebenfalls entgegen der Stellungnahme des Gemeinsamen Bundesausschusses, führt der Änderungsantrag 2 auch keineswegs zu einer „Herausnahme von ‚Orphan Drugs‘ aus der Preisregulierung durch das AMNOG“, sondern ganz im Gegenteil, er kann potentiell diese Preisregulierung sogar beschleunigen, da der Zusatznutzen – der ja Voraussetzung für die Preisregulierung ist – bereits belegt ist und die Preisregulierung schneller durchgeführt werden könnte.
6. Im Gegensatz zu einigen öffentlichen Äußerungen, ist der Verzicht auf die Wiederholung der Nutzenbewertung auf nationaler Ebene nicht etwa ein Sicherheitsrisiko für den Patienten. Das Nutzen/Risiko-Verhältnis ist bei der Zulassung und dann regelmäßig durch die Periodic Safety Update Reports nach der Zulassung zu überprüfen. Die Nutzenbewertung dagegen vergleicht den Nutzen eines Arzneimittels relativ zum Nutzen anderer Therapieoptionen und stellt das Vorhandensein eines Zusatznutzens ggf. auch eines Schadens fest. Die Zulassung durch die EMA ist als Beleg für die Wirksamkeit, Qualität und Unbedenklichkeit des Arzneimittels, die fortdauernde Anerkennung als „Orphan Drug“ als Beleg für den Zusatznutzen hinreichend.
7. In seiner Stellungnahme besorgt der Gemeinsame Bundesausschuss weiterhin, dass durch Indikationserweiterungen auf nicht-seltene Indikationen die Orphan-Drug-Designation als Eintrittspforte für die unkontrollierte Mengenausweitung zu überhöhten Preisen genutzt werden könnte. Diesem grundsätzlich durchaus erheblichen Argument ist zu entgegnen, dass der Gemeinsame Bundesausschuss jederzeit aufgrund der Erweiterung der Zulassung eine Nutzenbewertung beauftragen kann und ihm bei Fehlen eines Zusatznutzens für die erweiterten Indikationen eine Reihe von Maßnahmen (Therapierichtlinie, Ausschluß von der Verordnung für diese Indikation wegen Unwirtschaftlichkeit etc.) zur Verfügung stehen, um einer unwirtschaftlichen Ordnungsweise zu begegnen.

**Zusammenfassend kann gesagt werden, dass die von CDU/CSU und FDP vorgeschlagene Regelung erforderlich und sachgerecht ist, um den mit der „Orphan Drug Designation“ nach der o.g. Verordnung verbundenen Anreiz,**

**Arzneimittel für seltene Erkrankungen zu entwickeln, aufrecht zu erhalten und um gleichzeitig einen Konflikt zwischen einer nationalen Nutzenbewertung und der durch das Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) der European Medicines Agency (EMA) in London vorgenommenen Nutzenbewertung zu vermeiden.**

Mit freundlichen Grüßen

A handwritten signature in blue ink, appearing to read 'A. Reimann', followed by a horizontal line.

Dr. Andreas L.G. Reimann, MBA  
1. Stellvertretender Vorsitzender  
Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE) e.V.