

# Positionspapier

## Bewertung neuer Krebsmedikamente AMNOG 2017: Verunsicherung oder Stärkung?

Die frühe Nutzenbewertung neuer Arzneimittel als Basis einer fairen Preisbildung hat sich seit ihrer Einführung im Jahr 2011 schnell als effektives, auch international beachtetes Verfahren etabliert. Es schafft zusätzliche Transparenz durch die umfangreiche Präsentation von Studiendaten seitens der pharmazeutischen Unternehmer, ermöglicht kritische Diskussionen durch Berichte und Stellungnahmen und bildet die Grundlage für eine faire Preisbildung.

Die Onkologie ist das zahlenmäßig dominierende Fachgebiet in der frühen Nutzenbewertung neuer Arzneimittel der Jahre 2011 bis 2016. Ein Drittel aller Verfahren betraf neue Krebsmedikamente oder bereits zugelassene Krebsmedikamente in neuen Indikationen. Dadurch werden Stärken und Schwächen, auch Trends der frühen Nutzenbewertung besonders schnell in der Onkologie deutlich.

### Unsicherheit bei Preisbildung und Wirtschaftlichkeit

In der Hälfte aller Verfahren zu neuen Onkologika wurden Subgruppen gebildet, oft mit einem „bunten Ergebnis“, d. h. mit unterschiedlichen Festlegungen in den verschiedenen Subgruppen. Auch die Verfahren zu Arzneimitteln mit Zulassungen für mehrere Indikationen wie in der Immuntherapie oder der Antiangiogenese resultierten in unterschiedlichen Festlegungen. Pragmatisch wurde bisher in den Preisverhandlungen zwischen pharmazeutischem Unternehmer und Krankenkassen bzw. im Schiedsverfahren ein Mischpreis für das neue Arzneimittel verhandelt, über alle Subgruppen und über alle Indikationen. Dieses Vorgehen wird aktuell durch ein einstweiliges Rechtsschutzverfahren beim Landessozialgericht Berlin-Brandenburg in Frage gestellt. Dazu kommen Ansätze seitens der Krankenkassen, die Verordnung von Arzneimitteln mit nicht belegtem Zusatznutzen auch in Subgruppen zu hinterfragen. Die fehlende Rechtssicherheit führt zur Angst vor Regressen beim verordnenden Arzt und beeinträchtigt damit möglicherweise den Einsatz neuer, wirksamer Arzneimittel.

- Das Verfahren der Preisbildung muss rechtssicher und transparent sein.

### Fehlende Systematik bei der Gewichtung von mehreren Endpunkten

Die Auswahl und Definition von Endpunkten ist entscheidend für das Ergebnis des gesamten Verfahrens. Zulassungsstudien sind auf einen primären Endpunkt gerichtet, oft die Gesamtüberlebenszeit oder einen Parameter der Morbidität. Diese Endpunkte sind nicht identisch mit den Endpunkten einer Nutzenbewertung. Dazu kommt die Behandlungswirklichkeit eines heterogenen Patientenkollektivs, aber auch eines einzelnen Patienten, bei dem mehr als ein Endpunkt bei der Therapieentscheidung relevant sein kann, bei Krebspatienten z. B. neben der Verlängerung der Lebenszeit auch die Linderung von Symptomen und die Verhinderung des Auftretens von Schmerzen. In der frühen Nutzenbewertung fehlt eine Methodik zur Gewichtung von Endpunkten. Hier können zukünftig auch gesundheitsökonomische Gesichtspunkte berücksichtigt werden.

- Die Methodik der frühen Nutzenbewertung muss erweitert werden, um die Gewichtung unterschiedlicher Endpunkte entsprechend den Prioritäten der Patienten und der Gesellschaft abzubilden.

## **Ungleicher Umgang mit neuen Arzneimittel für kleine Patientengruppen**

Der Umgang mit Arzneimitteln für kleine Patientengruppen ist nicht gleichmäßig, und wohl auch nicht gerecht. Wenn neue Arzneimittel einen Orphan-Drug-Status haben, gilt der Zusatznutzen durch das Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung (Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz – AMNOG) als belegt. Der Orphan-Drug-Status wird aber nicht gleichmäßig zuerkannt. So gibt es beim Multiplen Myelom, bei der Chronischen Lymphatischen Leukämie oder beim metastasierten Schilddrüsenkarzinom neue Arzneimittel mit und ohne Orphan-Drug-Status. Molekulargenetisch definierte Patientengruppen innerhalb häufiger Krebserkrankungen wie z. B. beim Lungenkarzinom haben grundsätzlich keinen Orphan-Drug-Status, auch wenn die Zahl der in Deutschland zu behandelnden Patienten nur bei wenigen hundert pro Jahr oder sogar darunter liegt.

- Das Vorgehen bei Arzneimitteln für kleine Patientengruppen sollte einheitlich erfolgen, egal ob molekular definierte kleine Patientenpopulationen oder Orphan-Indikationen bewertet werden.

## **Indirekte Verfahrensänderung durch häufige Addenda**

Im Jahr 2016 lag der Anteil von Verfahren mit Addenda in der Onkologie bei 53 Prozent. Problematisch am derzeitigen Verfahren ist, dass die wissenschaftlichen medizinischen Fachgesellschaften und andere Stellungnahmeberechtigte keine Gelegenheit zur Diskussion der vom Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) erstellten Addenda haben. Sie gehen nur dem Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) zu und werden erst nach Abschluss des Verfahrens publiziert. Dieses parallele und unkommentierte Vorgehen stellt den ganzen Prozess der Stellungnahmen und Anhörungen in Frage.

- Addenda müssen vor einer Entscheidung publiziert und für Stellungnahmen geöffnet werden.

## **Unbefristete Festlegungen trotz Datenunsicherheit**

Die große Mehrzahl der Verfahren in der Onkologie beruht jeweils auf einer einzigen Phase-III-Studie, einige Verfahren auch jeweils nur auf Daten von Phase-I- und/oder -II-Studien. In allen Verfahren zu Onkologika wurde vom G-BA nur einziges Mal ein „Beleg“ als Aussagesicherheit anerkannt. Die Festlegungen bei Neubewertungen nach Fristablauf oder nach Überschreiten der gesetzlich festgelegten Umsatzschwelle bei Arzneimitteln mit Orphan-Drug-Status weichen in der Hälfte der Subgruppen vom ersten Verfahren ab. Die Verfügbarkeit neuer Arzneimittel ist im Interesse der betroffenen Patienten, es fehlen aber verpflichtende Strukturen zur Generierung von Daten nach der Zulassung.

- Die Frühe Nutzenbewertung muss durch ein standardisiertes Verfahren zur Generierung unabhängiger Daten nach der Zulassung ergänzt werden.

Die DGHO Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie e.V. unterstützt das Verfahren der frühen Nutzenbewertung als ein Instrument zur zusätzlichen Transparenz in der Bewertung neuer Arzneimittel. Es hat sich als praktikabel und relevant für die Preisfestlegung in Deutschland erwiesen, muss sich aber für eine bleibende Akzeptanz dringend weiterentwickeln. Die oben bezeichneten Kritikpunkte stellen aus Sicht der DGHO den langfristigen Wert des Verfahrens in Frage.

Berlin, April 2017