

Orphan Drugs: Ihr Mehrwert für die Patient:innen

- 02.10.2025

Noch nie gab es so viele Behandlungsmöglichkeiten für seltene Erkrankungen wie heute. Was ein enormer Fortschritt für die Patient:innen ist, führt gleichzeitig zu großen Diskussionen: Welchen Mehrwert haben Orphan Drugs tatsächlich – und wie misst und honoriert man ihren Nutzen? Darüber haben wir mit zwei Experten des forschenden Pharmaunternehmens Astellas in Deutschland gesprochen: Dominik Rosz, Lead Pricing and Access Strategy, und Dr. Stephan Felder, Lead Value und HTA.

Laut dem Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) durchlaufen neu zugelassene Arzneimittel hierzulande in der Regel eine Zusatznutzenbewertung gegenüber bereits erhältlichen Therapien – das Ergebnis bildet die Basis für die Preisverhandlungen mit der Gesetzlichen Krankenversicherung (GKV).

In der öffentlichen Debatte fallen mit Blick auf die deutsche Arzneimittel-Zusatznutzenbewertung häufig Begriffe wie „Orphan Drug-Privileg“ oder „fiktiver Zusatznutzen“. Gelten für Medikamente gegen seltene Erkrankungen laxere Regeln?



Dr. Stephan Felder, Lead Value und HTA, Astellas. Foto: privat

Dr. Stephan Felder: Nein, auch Orphan Drugs durchlaufen das AMNOG-Verfahren. Anders als bei Präparaten gegen häufigere Erkrankungen gibt es allerdings die Regel, dass mit der Bestätigung des Orphan Drug-Status mit europäischer Zulassung ihr Zusatznutzen bereits als belegt gilt. Denn der von der Europäischen Arzneimittelbehörde EMA vergebene Orphan Drug-Status bedeutet ja, dass das neue

Medikament die allererste Therapie für die Patient:innen ist oder einen deutlichen Mehrwert hat. Im AMNOG-Prozess wird dann das Ausmaß des Zusatznutzens bestimmt. Wie gehabt findet auf Basis des Ergebnisses die Erstattungsbetragsverhandlung mit den Krankenkassen statt – auch Orphan Drugs müssen teils erhebliche Preisabschläge hinnehmen.

Dominik Rosz: Überschreitet ein Orphan Drug mit der Zeit einen Umsatz von 30 Millionen Euro pro Jahr, muss es eine Neubewertung durchlaufen – der Zusatznutzen gilt dann nicht mehr als mit der Zulassung belegt. Das Problem ist, dass das AMNOG-Verfahren in seiner Methodik nicht gut an besondere Therapiesituationen angepasst ist. Bei seltenen Erkrankungen ist die statistische Sicherheit naturgemäß geringer als etwa bei Volkskrankheiten. Es ist oft schon aus ethischen Gründen nicht möglich, eine klassische randomisierte kontrollierte Studie aufzusetzen, die mit zwei Patient:innengruppen arbeitet – wenn davon eine unbehandelt bleiben würde. Können die im AMNOG geforderten Daten nicht ausreichend erbracht werden, wird der Zusatznutzen als nicht belegt eingestuft. Das geschieht aus rein formalen Gründen. Daraus zu schließen, dass dieses Orphan Drug zuvor einen ungerechtfertigten, „fiktiven Zusatznutzen“ getragen habe, ist daher falsch.

Felder: Alle Arzneimittel, welche die EMA zulässt, haben einen Mehrwert für die Patientinnen und Patienten, weil die Wirksamkeit und somit der Nutzen das Risiko erwiesenermaßen deutlich übersteigt. Mit Vergabe des Orphan Drug-Status hat die Behörde ebenso bescheinigt, dass es noch keine Therapieoption gibt oder nur unzureichend wirksame Behandlungsoptionen in der Versorgung verfügbar sind – teils muss sich aufgrund der Seltenheit der Erkrankung mit nicht zugelassenen Therapien in der klinischen Praxis beholfen werden.

Regelmäßig wird die Forderung laut, dass alle Orphan Drugs – unabhängig von ihrem Umsatz – die Zusatznutzenbewertung nach exakt denselben Regeln wie andere Arzneimittel durchlaufen sollen. Die Unternehmensberatung Simon-Kucher & Partner hat im Auftrag des Pharmaverbands vfa untersucht, was die Folgen wären. 79 Prozent der Therapien würden demnach einen Zusatznutzen wegen „formaler Gründe“ nicht mehr erreichen – und wären als Folge der darauf basierenden Erstattungsbetragsverhandlungen einem deutlichen Preisverfall ausgesetzt. Mindestens jedes zweite Orphan Drug gäbe es dann womöglich nicht mehr.

Rosz: Würden die etablierten Orphan Drug-Regelungen in Deutschland abgeschafft, hätte das potenziell Auswirkungen, die weit über Deutschland hinausgehen. Denn die Bundesrepublik ist Preisreferenzland für die meisten europäischen Länder. Andere Nationen – auch weltweit – orientieren sich an dem hiesigen Preis. Gelingt es im AMNOG aus methodischen Gründen nicht, den tatsächlichen Innovationswert eines Orphan Drugs zu erkennen und zu honorieren, kann ein Unternehmen im schlimmsten Fall sein Präparat aus wirtschaftlichen Gründen in ganz Europa nicht mehr für die Patientinnen und Patienten bereitstellen.

Schon heute sind immer mehr Orphan Drugs von diesem Risiko betroffen:

Lag die jährliche Umsatzschwelle, ab der sie eine Neubewertung durchlaufen müssen, einst bei 50 Millionen Euro, ist sie mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz 2022 schlagartig auf 30 Millionen gesunken – für pharmazeutische Unternehmen reduziert das ihre Planungssicherheit. Was das für Auswirkungen haben kann, zeigt sich beispielhaft bei einer seit 2017 zugelassenen Therapie gegen die akute myeloische Leukämie: Auch laut dem bewertenden Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) stellt sie den aktuellen Therapiestandard dar; einen Zusatznutzen bekam sie allerdings in der Neubewertung 2024 nicht mehr bescheinigt. Der Hintergrund: Die in der Zulassungsstudie angewandte Vergleichstherapie entspricht nicht mehr dem aktuellen Therapiestandard. Die Ergebnisse der Studie von vor einigen Jahren konnten daher nicht in die Neubewertung einfließen.

Was genau passiert, wenn ein Orphan Drug die erwähnte Umsatzschwelle erreicht?



Dominik Rosz, Lead Pricing and Access Strategy, Astellas. Foto: Astellas

Felder: Eine neue Studie aufzusetzen, dafür ist keine Zeit. Nach Überschreiten der Umsatzschwelle und Aufruf des G-BA bleiben einem Unternehmen in der Regel drei Monate, um ein Dossier mit den geforderten Nachweisen einzureichen. Der G-BA definiert eine zweckmäßige Vergleichstherapie (zVT), anhand derer der Zusatznutzen darzulegen ist. In der Regel ist das ein fiktives Szenario – eine zVT, wie sie ohne die zu bewertende Therapie als Standard existieren würde. Die Zulassungsstudien geben dazu im Zweifel keine Daten her. Oft ist die zVT relativ günstig – weil sie zum Beispiel schon lange auf dem Markt ist. Muss sich eine neue Therapie damit preislich vergleichen, sind Wirtschaftlichkeit und Marktzugang in Gefahr und der innovative Charakter des Orphan Drugs sowie der damit verbundene immense Therapiefortschritt wird vollkommen außer Acht gelassen.

Rosz: Um die Versorgung von seltenen Erkrankungen noch weiter zu stärken, ist der Gesetzgeber gefragt. Und natürlich bleibt Kostendämpfung ein verständliches Ziel für die GKV. Aber ich bezweifle, dass Medikamente gegen seltene Erkrankungen der richtige Fokus sind. Zumal es funktionierende Marktmechanismen gibt. Selbst für best-in-class-Medikamente gilt: Irgendwann verlieren sie ihren Patentschutz, kostengünstige Generika oder Biosimilars kommen in die Versorgung. Gleichzeitig spielen Wettbewerb und wissenschaftlicher Fortschritt rein: Ein Präparat, für das es irgendwann eine bessere Alternative gibt, wird mit der Zeit automatisch keine Rolle in der GKV mehr spielen – weil die Ärzte es nicht mehr verschreiben. Zusätzlich gibt es verpflichtende Preis-Mengen-Vereinbarungen. Je mehr der Umsatz wächst, desto geringer wird der Preis – das ist schon heute gesetzlich verankert.

Trotz aller Fortschritte gibt es für weniger als 10 Prozent der seltenen Erkrankungen zugelassene Therapien. Was müsste die Politik tun, damit mehr Orphan Drugs entwickelt werden können?

Felder: Mit Blick auf die erwähnte Umsatzschwelle wäre mindestens die Rückkehr auf die 50 Millionen Euro erforderlich, um zu verhindern, dass für zunehmend mehr Orphan Drugs das AMNOG zur unüberwindbaren Hürde wird. Die Umsatzschwelle ist übrigens auf den Apothekenverkaufspreis bezogen – beinhaltet also neben dem Herstelleranteil auch Apotheken-, Großhandelsmarge sowie Mehrwertsteuer.

Rosz: Darüber hinaus braucht es im AMNOG eine Flexibilisierung für besondere Therapiesituationen – also eine bessere Anerkennung von Evidenz, die über andere Wege als die klassischen randomisierten kontrollierten Studien erbracht wurde. Das gilt etwa für Situationen, in denen es aus ethischen und anderen Gründen schwierig ist, zwei Patient:innengruppen miteinander zu vergleichen. In solchen Fällen wäre es gut, die Meinungen von Fachleuten einzubeziehen und individuell festzulegen, wie ein Zusatznutzenbewertungsverfahren aussehen könnte – sodass neue Arzneimittel ihrem Innovationswert entsprechend honoriert werden können.

Felder: Die bestehenden Orphan Drug-Regelungen auf europäischer sowie deutscher Ebene sind weiterhin wichtig, um Anreiz für mehr Forschung zu schaffen. Planungssicherheit ist das A und O für forschende Pharmaunternehmen. Es wurde viel erreicht. **Aber es gibt noch viel mehr zu tun – angesichts der zahlreichen seltenen Erkrankungen, die weder identifiziert sind noch diagnostiziert werden können und für die es keine Behandlung gibt.** Die Rückkehr zur 50 Millionen Euro Umsatzschwelle sowie die Berücksichtigung der besonderen Therapiesituation bei seltenen Erkrankungen im Rahmen des AMNOG würden wir als einen ersten wichtigen Schritt in die richtige Richtung ansehen.

Quelle: Newsletter 06.10.2025/news@pharma-fakten.de