



EINLEITUNG

Bei Arzneimitteln für seltene Leiden, sog. Orphan Drugs, gilt im Rahmen der Nutzenbewertung der Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt, und nur das Ausmaß des Zusatznutzens ist nachzuweisen. Erzielt das Orphan Drug allerdings einen Umsatz von mindestens 50 Mio. Euro in der GKV innerhalb der letzten 12 Monate, ist der Hersteller verpflichtet, den Zusatznutzen gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie (zVT) nachzuweisen. Durch diese erneute Nutzenbewertung wird auch der Erstattungsbetrag neu verhandelt.

FRAGESTELLUNG

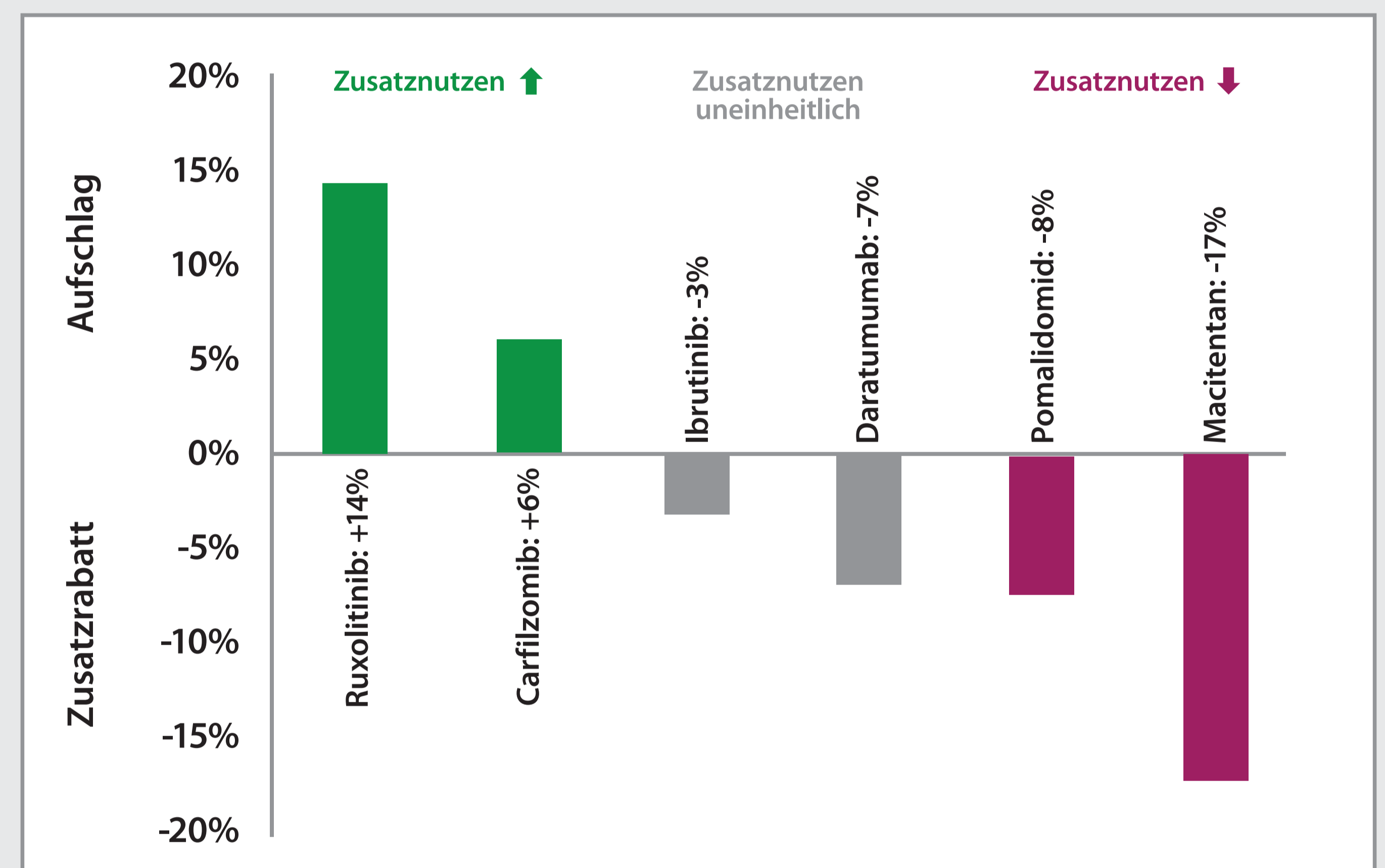
Welche Auswirkungen hat die erneute Nutzenbewertung auf den Zusatznutzen und auf den Erstattungsbetrag?

METHODIK

- Analysiert wurden alle Orphan Drugs, deren Umsätze 50 Mio. Euro überschritten und somit eine erneute Nutzenbewertung sowie Preisverhandlung durchlaufen haben (n = 6).
- Hierfür wurden die Beschlüsse des Gemeinsamen Bundesausschusses und die Preise nach ABDA-Artikelstamm herangezogen.
- Die Berechnungsebene ist Herstellerabgabepreis abzüglich der Mehrwertsteuerbereinigten Zwangsabschläge (ApU netto) des vorherigen Erstattungsbetrages. Dabei sind die Ergebnisse aus weiteren Preisverhandlungen und ggf. verhandelte Staffelpreise berücksichtigt.

ERGEBNISSE

Arzneimittel	Zusatznutzen 1. Bewertung	Zusatznutzen nach Überschreitung der 50 Mio. € und Begründung
Ruxolitinib (Jakavi®)	Gering	Beträchtlich: Vorteil Gesamtüberleben, Verringerung patientenrelevanter Symptome, Verbesserung Lebensqualität
Carfilzomib (Kyprolis®)	Nicht quantifizierbar	1a+b) Beträchtlich: Statistisch signifikanter Vorteil Gesamtüberleben
Ibrutinib (Imbruvica®)	Nicht quantifizierbar in allen Teil-AWG	1a) Nicht belegt: Daten nicht geeignet 1b+2) Nicht quantifizierbar: Statistischer Vorteil Gesamtüberleben 3a) Beträchtlich: Deutliche Vorteile bei Nebenwirkungen und Lebensqualität ggü. zVT 3b) Nicht belegt: Keine geeignete Studie 4) Nicht belegt: Keine geeignete Studie
Daratumumab (Darzalex®)	Nicht quantifizierbar	1) Beträchtlich (neues AWG): Statistisch signifikanter Vorteil Gesamtüberleben 2) Nicht belegt (50 Mio.): Keine geeignete Studie
Pomalidomid (Imnovid®)	Beträchtlich	1) Beträchtlich: Moderate Verlängerung der Lebensdauer, positive Effekte Lebensqualität 2) Nicht belegt: Keine geeignete Studie
Macitentan (Opsumit®)	Gering	Nicht belegt: Keine geeignete Studie im Vergleich zur zVT



- Das Ausmaß des Zusatznutzens hat sich bei 2 Arzneimitteln verbessert bzw. konkretisiert (Ruxolitinib, Carfilzomib).
- Bei 2 weiteren Arzneimitteln hat sich das Ausmaß über die Teilpopulationen zum Teil verbessert und zum Teil verschlechtert (Ibrutinib, Daratumumab).
- Zu einer anteiligen bzw. kompletten Verschlechterung führt die erneute Bewertung der beiden weiteren Arzneimittel (Pomalidomid, Macitentan).
- Die Verbesserung bzw. Konkretisierung des Zusatznutzens erlaubt einen Aufschlag auf den bisherigen Erstattungsbetrag.
- Bei uneinheitlichem Zusatznutzen sinkt der Erstattungsbetrag geringfügig, bei einer Verschlechterung des Zusatznutzens deutlich.

FAZIT

- Sofern die zVT in den Studien erfüllt ist, bietet die Neubewertung die Möglichkeit, weitere Daten einzureichen und damit den Zusatznutzen zu verbessern bzw. zu konkretisieren.
- Die Nichterfüllung der zVT ist ein reales Risiko, zumindest auf Ebene von Teilpopulationen, und führt in solchen Fällen zu einem nicht belegten Zusatznutzen.
- Die Änderung des Erstattungsbetrages entspricht im Wesentlichen dem veränderten Bewertungsergebnis: Zusatzrabatt bei schlechterer Bewertung, höherer Erstattungsbetrag bei besserem Ergebnis.

REFERENZEN

Angabe zu Preisen entnommen aus ABDA Pharma-Daten-Service der Werbe- & Vertriebsgesellschaft Deutscher Apotheker (WuV), ABDA-Artikelstamm – Aktuelle wirtschaftliche Daten für apothekenübliche Präparate. (Stand: 05.02.2019)

Beschlüsse und Tragende Gründe zu den Beschlüssen des Gemeinsamen Bundesausschusses entnommen aus der Website des Gemeinsamen Bundesausschusses. (Stand: 05.02.2019)