

JAHRESBERICHT 2019

Inhalt

Frühjahrstagung in Berlin **4**

Wissenschaftspreis **8**

Market Access Klima 2018 **12**

Veröffentlichungen Market Access & Health Policy **14**

Intensivstudium Market Access an der EBS Universität **16**

Ausblick auf das Jahr 2019 **17**

DFGMA Organisationsstruktur **18**

SEHR GEEHRTE DAMEN UND HERREN,

auch 2019 haben wir als Fachgesellschaft die Entwicklung auf dem Gebiet des Market Access und angrenzender Bereiche mitverfolgt und mitgestaltet. Bevor wir jedoch weiter in die Zukunft schauen, wollen wir an dieser Stelle einen Rückblick auf das abgelaufene Jahr 2019 werfen.

Die vermeintlich größte Bedeutung und Auswirkung auf die Market Access Landschaft hatte im vergangenen Jahr der Gesetzentwurf für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV), welcher eine Verbesserung der Qualität und Sicherheit der Arzneimittelversorgung vorsah. Der Gesetzesentwurf legte unter anderem fest, dass der G-BA für Arzneimittel mit bedingter Zulassung oder mit einer Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen sowie für Orphan Drugs anwendungsbegleitende Datenerhebungen im Rahmen der Nutzenbewertung fordern kann. Ob und inwieweit eine solche Datenerhebung in Form von Registerstudien zielführend ist, haben wir im Rahmen unserer Frühjahrstagung in Berlin ebenfalls diskutiert.

Lassen Sie uns nun gemeinsam auf den folgenden Seiten die Hauptereignisse, die von der Deutschen Fachgesellschaft für Market Access – DFGMA e.V. gestaltet wurden, Revue passieren. Angefangen von unseren beiden Jahresveranstaltungen – Frühjahrstagung und Jahrestreffen – über zahlreiche Veröffentlichungen in der Market Access & Health Policy bis hin zur Verleihung des Wissenschaftspreises: Ihre DFGMA hat auch im vergangenen Jahr wieder einen maßgeblichen Beitrag dazu geleistet, das Thema Market Access in Wissenschaft und Praxis weiter zu verankern und aktuelle Geschehnisse zu analysieren.

Auf den letzten Seiten des Jahresberichts können Sie bereits wichtige Meilensteine und Termine für 2020 entnehmen.

Wir danken Ihnen für Ihr Vertrauen und freuen uns auch in 2020 wieder auf Ihr Engagement in der DFGMA!

Ihre



R. Tunder

Prof. Dr. Ralph Tunder
EBS Business School
1. Vorsitzender DFGMA



Marco Penske

Dr. Marco Penske
Boehringer Ingelheim
2. Vorsitzender DFGMA



Tobias Gantner

Dr. Tobias Gantner
HealthCare Futurists
Schatzmeister DFGMA



M. Bestehorn

Dr. Maike Bestehorn
ProMedCon
Schriftführerin DFGMA



FRÜHJAHRSTAGUNG IN BERLIN



Prof. Dr. Ralph Tunder (1. Vorsitzender) begrüßt die Teilnehmer der Frühjahrstagung

Am 09. Mai 2019 lud die DFGMA zur jährlichen Frühjahrstagung unter dem Motto „GSAV und die Forderung nach Registerstudien – Welchen Zusatznutzen liefern Registerdaten?“ in die Räumlichkeiten des Vereinssitzes nach Berlin ein. Im Mittelpunkt unserer Frühjahrstagung stand die Frage, welchen Zusatznutzen Registerdaten liefern und welchen Zusatznutzen diese möglicherweise nicht liefern. In angenehmer Atmosphäre mit genügend Raum für Diskussionen und persönliche Gespräche boten die Vorträge zu diesem Thema viele Anregungen zum intensiven Gedankenaustausch.

GSAV – Eine juristische Betrachtung

Zusammenfassung zum Vortrag von Prof. Dr. iur. Dr. med. Alexander P. F. Ehlers, Rechtsanwalt, Ehlers, Ehlers & Partner

In bestimmten Fällen können Arzneimittel, die für die Versorgung von Patienten dringend benötigt werden, eine besondere arzneimittelrechtliche Zulassung oder Genehmigung für das Inverkehrbringen erhalten, auch wenn noch keine vollständigen klinischen Daten zur Beurteilung der Wirksamkeit vorliegen oder die vorhandene Evidenzlage, zum Beispiel wegen der Seltenheit einer Erkrankung, nur sehr gering ist. Dies betrifft sogenannte bedingte Zulassungen

und Zulassungen unter außergewöhnlichen Umständen. Die Erteilung der Zulassung wird in der Regel von der Kommission mit Auflagen oder Bedingungen für den pharmazeutischen Unternehmer verbunden. An diese Rechtslage knüpft der geplante § 35a Abs. 3b SGB V des Gesetzentwurfs für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAF) an. Der Gemeinsame Bundesausschuss soll danach bei den vorgenannten Arzneimitteln vom pharmazeutischen Unternehmer innerhalb einer angemessenen Frist die Vorlage anwendungsbegleitender Datenerhebungen oder Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung fordern können. Damit soll eine bessere Datenbasis zur Bewertung des Zusatznutzen erhalten werden. Adressat der Verpflichtung ist der pharmazeutische Unternehmer. Zudem kann die Befugnis zur Verordnung des Arzneimittels in dieser Fallkonstellation zulasten der gesetzlichen Krankenkassenversicherung auf solche Vertragsärztinnen und Vertragsärzte oder zugelassene Krankenhäuser beschränkt werden, die an der anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken. Bei den begleitenden Datenerhebungen kann es sich um Anwendungsbeobachtungen, Fall-Kontroll-Studien oder Registerstudien handeln. Unbeschadet der Vorteile der in Aussicht genommenen Regelung ist aufgezeigt worden, dass die regelmäßige Zusatznutzenbewertung die berechnete Sonderstellung der hier in Rede stehenden Arzneimittel untergraben kann. Zudem gehen damit große Unsicherheiten und nicht absehbare finanzielle Belastungen für die Entwicklung solcher Medikamente einher. Damit ist eine Verschlechterung der Rahmenbedingungen zu befürchten, die letztlich in eine schlechtere Patientenversorgung münden können. Schließlich erscheint fraglich, ob Registerdaten, Fall-Kontroll-Studien und Anwendungsbeobachtungen überhaupt geeignete Erkenntnisse für eine Zusatznutzenbewertung generieren können. Im Rahmen des



Prof. Dr. iur. Dr. med. Alexander P. F. Ehlers, Rechtsanwalt, Ehlers, Ehlers & Partner

Gesetzgebungsverfahren muss daher darauf geachtet werden, dass europäische Regelungen zu Orphan Drugs und Arzneimitteln mit besonderer Zulassung letztlich nicht ausgehöhlt werden.

Empfehlungen für Aufbau, Durchführung und Auswertung von Registern – Das Memorandum Register des DNVF

Zusammenfassung zum Vortrag von PD Dr. med. Kurt Bestehorn, Institut für Klinische Pharmakologie, TU Dresden

Dr. Bestehorn begann seinen Vortrag mit der Definition von Registern gemäß dem Memorandum des Deutschen Netzwerks für Versorgungsforschung (DNVF): *Ein Register ist eine möglichst aktive, prospektive, standardisierte Dokumentation von Beobachtungseinheiten zu vorab festgelegten, aber im Zeitablauf erweiterbaren Fragestellungen, für die ein präziser Bezug zur Zielpopulation darstellbar ist.*

Der Bedarf für Register im medizinischen Bereich ist groß und vielfältig, weil damit Krankheitsverläufe und die alltägliche Gesundheitsversorgung von unselektierten Patientengruppen dargestellt werden kann. Genau darin liegen auch die Vorteile der Register: Sie sind realitätsnah (externe Validi-

tät) und es gibt kaum einen Selektionsbias. Daraus ergeben sich aber umgekehrt die Nachteile, da das Confounder-Risiko schwer einschätzbar und die interne Validität fraglich ist. Wegen des Confounder-Risikos liefern Register im Allgemeinen keinen Beleg für Kausalität.

Typische Fragestellungen von Registern sind z.B. das Versorgungsgeschehen, Aspekte der Bevölkerungsgesundheit oder die Erfassung von Patienten mit speziellen Erkrankungen (Krebsregister), Erfassung der Versorgung von Patienten mit spezifischen therapeutischen Substanzen, Substanzgruppen oder Medizinprodukten (z.B. Endoprothesenregister), Risikoprofilen inkl. des Therapie-Outcomes. Ein weiteres Anwendungsgebiet sind Register für die Mindestmengenforschung. Außerdem gibt es Mischformen, bei denen z.B. sowohl Wirksamkeit und Sicherheit der medizinischen Versorgung als auch die Qualität der Leistungserbringung dargestellt werden sollen.

Bevor ein Register gegründet wird, sollte Klarheit über den Umfang und die Verfügbarkeit der notwendigen finanziellen, personellen und zeitlichen Ressourcen bestehen. Dazu müssen Zielsetzung, Zweck und erwarteter Nutzen des Registers exakt definiert sein und genaue Pläne zur Konzeptentwicklung sowie dem Betrieb und der Pflege des Registers bestehen.

Ein Register erfordert eine sorgfältige Planung, Ausführung und Auswertung, da sonst die Qualität des Registers gefährdet wird und somit die Ergebnisse des Registers u. U. wertlos werden. Das Memorandum des DNVF enthält eine ausführliche Checkliste zur Registerqualität, die detailliert auf Punkte verweist, die bei Registern beachtet werden sollten. Wichtige Punkte, neben vielen anderen, sind:

- Vorliegen eines detaillierten Registerprotokolls
- Festlegen von Standardabläufen

- Definitionen und Operationalisierungen der betrachteten Kollektive, sowie der Ziel-, Einfluss und Störgrößen
- Schulung und Überprüfung der Datenerfassung (Monitoring)
- Abschätzung der Vollzähligkeit
- Darstellung der Vollständigkeit der Dokumentationszeitpunkte (Drop-out)
- Vorliegen eines statistischen Analyseplans
- Adjustierung (Berücksichtigung potenziell konfundierender und den Effekt modifizierender Variablen)

Das Registerprotokoll sollte eine Fallzahl-schätzung enthalten, sowie die Definition der statistischen Methoden für die Auswertung. Im Regelfall enthält die Auswertung eine deskriptive Darstellung aller erhobenen Parameter und einen analytischen Teil mit univariaten und multivariaten Analysen.

Bei der Erstellung des Registerprotokolls und der Auswertung gilt es, mögliche Fallstricke besonders zu beachten: z. B.

- Patientengruppen mit großen Unterschieden bei den Erhebungsparametern
- keine Kontrolle der Zuordnung zu den Beobachtungsgruppen
- Fehlermöglichkeiten: Bias, Confounder,



Dr. med. Kurt Bestehorn, Institut für Klinische Pharmakologie, TU Dresden

- Effektmodifikatoren, Zufall
- Fehlinterpretationen: z.B. Überschätzung der Wertigkeit des p-Wertes

Gerade bei einer realitätsnahen Datenerfassung gibt es einige Bias- bzw. Confounder-möglichkeiten, die eine besondere Sorgfalt bei Planung und Durchführung

Alles in Allem wies PD Dr. Bestehorn darauf hin, dass gut geführte Register im Aufwand klinischen Studien sehr ähnlich sind und dann auch in ihrer Aussagekraft einen anderen Wert besitzen als (beliebige) Datensammlungen. Sie können z.B. Daten zur Versorgungsrealität liefern und Erkenntnisse, die durch RCTs nicht oder kaum zu erhalten sind, da RCTs nicht für jede Fragestellung geeignet sind (siehe Vortrag Theres).

Register beschreiben Assoziationen (sind aber kein Beleg für Kausalität) und sie sind flexibel im Hinblick auf Interims- oder Zusatzanalysen. Die multivariate Register-Analyse ist komplexer als bei RCTs und ermöglicht ggf. Auswertungen von Teilkollektiven mit verschiedenen Co-Variablen.

Erfahrungen bei Implementierung und Durchführung eines Langzeitregisters – Das Berlin Brandenburger Herzinfarktregister

[Zusammenfassung zum Vortrag von Prof. Dr. med. Heinz Theres, Vorsitzender, Berlin-Brandenburger Herzinfarktregister e.V.](#)

Prof. Theres berichtete über das seit 20 Jahren bestehende Berlin-Brandenburger Herzinfarktregister e.V. (B2HIR), an dem alle Berliner Katheterkliniken mit 2 Ausnahmen und 5 Brandenburger Katheterkliniken teilnehmen. B2HIR ist ein klinisches Register zur Qualitätssicherung in der stationären Versorgung mit dem primären Ziel, die Versorgung von Infarktpatienten zu verbessern, sekundär werden auch Forschungsfragen bearbeitet. Der Träger dieses Registers ist ein unabhängiger gemeinnütziger Verein, getragen von Kardiologen, der Ärztekammer Berlin und der TU Berlin. Die Basisfinanzierung erfolgt über Kooperationsverträge mit

Krankenhausträgern und der Einwerbung von Drittmitteln (keine Industrie).

Mehr als 250 wissenschaftliche Beiträge auf Kongressen und 25 Publikationen in peer reviewed Journals belegen die wissenschaftliche Akzeptanz des B2HIR. Dessen Geschäftsstelle mit hauptamtlichen Experten ist für Datacleaning und Datenauswertung zuständig, spiegelt die Ergebnisse an die Kliniken zurück, bereitet Sitzungen vor und erstellt Publikationen. Außerdem verfügt das B2HIR über eine Datenannahme- und Datenauswertungsstelle (inkl. Treuhandstelle), ein mit den Datenschutzbehörden in Berlin/Brandenburg abgestimmtes Datenschutzkonzept und ein regelmäßiges Monitoring mit Peer-Review und source data verification. B2HIR verfolgt einen selbstdefinierten Ansatz, besitzt direkten regionalen Bezug zur Alltagswirklichkeit und ermöglicht regelmäßigen Austausch zwischen den Beteiligten mit offenen krankenhausträger-



Prof. Dr. med. Heinz Theres, Vorsitzender, Berlin-Brandenburger Herzinfarktregister e.V.

übergreifenden Diskussionen.

Prof. Theres konnte anhand der Daten des B2HIR sehr gut den möglichen Nutzen eines Registers zeigen: So nahm in den teilnehmenden Kliniken seit Bestehen des Registers die Rate der leitliniengerecht behandelten Patienten erheblich zu, während gleichzeitig die Mortalität sank. Sicherlich lässt sich diese Entwicklung nicht nur auf das Register zurückführen, aber die Dokumentation bestimmter Verbesserungspotenziale

hilft sicher, dieses Potential stärker auszu-schöpfen. Ähnliches zeigte sich auch bei der Dokumentation der Versorgungszeiten bei Herzinfarkt: Um in die Nähe der durch die Leitlinien vorgegebenen Versorgungszeiten zu kommen, wurden organisatorische Maßnahmen zur Beschleunigung der Diagnosestellung im Notfalleinsatz erforderlich. Die Daten des B2HIR zeigten mögliche Lösungsansätze auf, z.B. erfolgreich umgesetzt im QS-Notfallprojekt (Diagnose STEMI durch Notarzt).

Prof. Theres machte darauf aufmerksam, dass Registerdaten u. U. weiterhelfen, wo RCTs schwer durchführbar sind oder unnötig werden:

- z.B. werden spezielle Zielgruppen wie beispielsweise Infarkt-Patienten mit Herzinsuffizienz aufgrund ihrer Komorbidität häufig aus RCTs ausgeschlossen.
- Bei der Fragestellung „Mit welcher Intervention/Maßnahme lässt sich die Versorgungszeit für Infarktpatienten verkürzen?“ wäre eine Randomisierung schwer umsetzbar und ethisch kaum zu vertreten.
- Bei der Fragestellung „Was bringt der Einsatz neuer „assist devices“ in der Therapie bei Infarkt-Patienten im Schock?“. Hier zeigt sich bereits in den Registerdaten ohne RCT ein „dramatischer Effekt“.

Um die Ergebnisse eines Registers ernst zu nehmen und ihnen vertrauen zu können, ist eine hohe Datenqualität unabdingbar: Bei einem methodisch seriös geführten Register müssen die Daten – auch langfristig – vollzählig, vollständig, zuverlässig, gültig erhoben und qualifiziert ausgewertet werden. Für die Auswertung muss eine hohe statistische Expertise vorhanden sein!

Hohe Datenqualität lässt sich nach den Erfahrungen im B2HIR neben den o.g. Aspekten wie folgt erreichen:

Einfache Umsetzbarkeit:

- Konzentration auf wirklich wichtige Vari-

ablen

- Erhebung möglichst einfach und entsprechend den Bedürfnissen der Erhebenden gestalten – keine Patienteneinwilligungserklärung notwendig, da die Daten pseudonymisiert erhoben werden können (Vereinbarung mit „Datenschützern“)
- verschiedene Formen der Datenerhebung möglich (Papier, ACCESS, KIS)
- Anreize schaffen (z.B. Kommunikation, Publikationen, Promotionen, geringer finanzieller Anreiz)

Hohe Motivation:

- Transparenz in der Datenerhebung (keine Geheimnisse)
- Keine Datenfriedhöfe (Datensäuberung, hohe Datenqualität und -zuverlässigkeit)
- Selbstdefinierter und selbstbestimmter Ansatz (Register geplant und aufrecht erhalten durch beteiligte Kliniker)
- Reguläres Feedback, Diskussionen im Kollegenkreis, Publikationen (regelmäßige Treffen, Jahresberichte, gemeinsame Auswertung und Analyse interessierender Fragestellungen)

Vertrauen:

- Positive Erfahrungen (Vertrauen zu entwickeln braucht Zeit)
- Datenerhebung, -haltung und -auswertung durch unabhängige Einrichtung (B2HIR Registerstelle unabhängig von Universität oder Fachgesellschaft)
- Regelmäßiges Monitoring und Missing Analyse (auch Peer-Monitoring)

Anwendung von Register- und Beobachtungsstudien im Rahmen der Nutzenbewertung

Zusammenfassung zum Vortrag von Prof. Dr. Ralf Bender, Ressortleiter Medizinische Biometrie, Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)

Prof. Bender vom IQWiG verwies zunächst darauf, dass seit einigen Jahren auch in



Prof. Dr. Ralf Bender, Ressorleiter Medizinische Biometrie, Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)

namhaften Journalen immer wieder der Eindruck erweckt werde, dass real-world-data (in Zukunft) dazu genutzt werden könnten, um Nutzenbewertungen von Arzneimitteln und Medizinprodukten rasch, kostengünstig und valide durchzuführen. In verschiedenen Stellungnahmen haben Vertreter des IQWiG und Andere in Publikationen im Ärzteblatt und in ZEFQ ausführlich beschrieben, warum RCTs für die Nutzenbewertung unverzichtbar sind.

Prof. Bender wies darauf hin, dass einige derzeitige Definitionen von Registern oder Beobachtungsstudien nicht stringent seien und bei diesen die Gefahr für verschiedene Verzerrungsmöglichkeiten und Confounding bestünde. Er nannte eine Reihe statistischer Verfahren, mit deren Hilfe versucht werden könne, Verzerrungen zu bereinigen, allerdings bieten diese Methoden keine Sicherheit, dass alle Einflüsse von bekannten und unbekanntem Störgrößen ausreichend kontrolliert werden können.

In der Literatur wurde daher diskutiert, ob die Ergebnisse von RCT konsistent zu den Ergebnissen non-RCTs seien. Prof. Bender zitierte eine Publikation, in der Therapieeffekte verglichen wurden, die sowohl in RCTs als auch Beobachtungsstudien dargestellt worden waren. Die Autoren kamen zu dem Schluss, dass der Behandlungseffekt in Beobachtungsstudien weder konsistent größer oder qualitativ unterschiedlich von

dem Ergebnis in den entsprechenden RCTs gewesen ist. Allerdings wurde bezweifelt, ob die Auswahl der in die Publikation eingeschlossenen Studien ausreichend für eine Verallgemeinerung der Aussage war. In der Folge wurde eine weitere Metaanalyse für 45 Therapiebereiche mit Daten aus RCTs und non-RCTs durchgeführt. Die Schlussfolgerung lautete, dass die Ergebnisse der RCTs und non-RCTs zwar gut korrelieren, aber trotzdem überzufällige Unterschiede im Behandlungseffekt aufweisen. Auch eine Analyse der Cochrane Collaboration kommt 2014 zu diesem Schluss, und eine Publikation im BMJ empfiehlt eine Erstattungsentscheidung nicht ausschließlich auf Routine-Daten zu stützen. Allerdings werden auch diese Analysen in Frage gestellt, d.h. wissenschaftlich ist zurzeit ungeklärt, mit welcher Sicherheit aufgrund von non-RCTs der Behandlungseffekt eingeschätzt werden kann.

Obwohl es keinen formalen Beweis durch empirische Evidenz gibt, dass RCTs „besser“ als non-RCTs sind, empfiehlt Prof. Bender, den bekannten statistischen Prinzipien für klinische Prüfungen zu vertrauen. Aus der Sicht des IQWiG bieten RCTs für Nutzenfragen das fehlerärmste Studiendesign mit einer hohen internen Validität.

IQWiG nutzt die Ergebnisse von non-RCT für epidemiologische Fragestellungen und Kostenevaluationen. Auch für die Bewertung des „Nutzen-Potentials“ bestimmter Therapien (§137e/h) werden die Ergebnisse von non-RCTs herangezogen, sowie zur Hypothesengenerierung und für Fragestellungen, die mit non-RCTs beantwortet werden können.

Auch im Rahmen des GSAV werden anwendungsbegleitende Datensammlungen genutzt werden, wenn die Datenlage für die frühe Nutzenbewertung unbefriedigend ist. Wichtig wäre hier, die Datenlücken klar zu beschreiben, für eine adequate Datenkollektion zu sorgen und Strafen für ungenügende Datenqualität zu verhängen.

IQWiG nutzt RCT-Daten für die Nutzenbewertung, weil Daten aus Studien mit geringen Verzerrungen nötig sind, weil eine hohe interne Validität notwendig ist und weil RCTs fast immer möglich seien. Bei einem „dramatischen“ Effekt kann ggf. auf RCTs ausnahmsweise verzichtet werden.

Eine Sonderform der RCTs ist die Registerbasierte RCT (rbRCT). Die Vorteile dieser Studienart sind eine rasche Teilnehmerrekrutierung, geringere Kosten, verbesserte Verallgemeinerungsfähigkeit der Ergebnisse und mögliches vollständigeres Follow-up. Allerdings gibt es auch hier Herausforderungen und Limitationen durch die grundsätzliche Datenqualität des Registers, ethische Anforderungen (patient consent) und methodologische Vorgehensweisen (keine standardisierten Umsetzungsroutinen, unterschiedliche Follow-up Muster, unterschiedliche Rekrutierungsprozeduren...).

Zusammenfassend kam Prof. Bender zu folgenden Schlussfolgerungen:

- Register und Daten von Beobachtungsstudien sind sinnvoll für Fragestellungen, die durch non-RCTs beantwortet werden können, wie z.B. epidemiologische Fragestellungen oder die Beurteilung des möglichen Nutzenpotentials von Therapien.
- Für die Nutzenbewertung von medizinischen Interventionen sind im Allgemeinen RCTs notwendig.
- Dramatische Effekte stellen eine Ausnahme dar.
- Registerbasierte RCTs sind eine Option, aber nur für bestimmte Anwendungsbereiche.
- Es gibt verschiedene Optionen, um RCTs durchzuführen, d.h. vor der Nutzung von non-RCTs für Nutzenbewertungen sollten RCT-Optionen im Hinblick auf Machbarkeit und Sinnhaftigkeit geprüft werden.



WISSENSCHAFTSPREIS



Zum achten Mal verlieh die Deutsche Fachgesellschaft für Market Access – DFGMA e.V. im Jahr 2019 ihren Wissenschaftspreis. Auch im Jahr 2019 unterstützte dabei das Unternehmen UCB Pharma GmbH als Sponsor den Wissenschaftspreis tatkräftig. Der DFGMA-Wissenschaftspreis zielt darauf ab, exzellente Abschlussarbeiten aus dem Bereich Market Access oder angrenzender Themenfelder auszuzeichnen und zu honorieren. Teilnehmen können alle immatrikulierten Studenten und Absolventen von deutschen Universitäten und Hochschulen, die Ihre Abschlussarbeit innerhalb der letzten 12 Monaten verfasst haben.

Begutachtet und ausgezeichnet werden die Abschlussarbeiten von einer qualifizierten und hochkarätigen Jury bestehend aus Prof. Dr. Ralph Tunder (EBS Universität), Jan-Kilian Müller (UCB Pharma GmbH) und Peter Stegmaier (Chefredakteur Market Access & Health Policy). Die Preisverleihung des mit €1.500,- dotierten Wissenschaftspreises erfolgt turnusmäßig jeweils auf dem DFGMA Jahrestreffen. Weitere Details und Informationen zu den Teilnahmebedingungen sowie den Bewerbungsbogen für den Wissenschaftspreis 2020 finden Sie ab Mitte 2020 auf der Website der DFGMA unter www.dfgma.de.

Im Rahmen des Jahrestreffens der DFGMA erfolgte am 13. Februar 2020 in Berlin die Preisverleihung und Vorstellung der prämierten Arbeit. Als Preisträger des Wissenschaftspreises wurde in diesem Jahr Paul Bussilliat ausgezeichnet. In seiner Master-



Paul Bussilliat gewann den DFGMA Wissenschaftspreis 2019 und wurde von Prof. Dr. Ralph Tunder (EBS Universität) und Jan-Kilian Müller (UCB Pharma GmbH) im Rahmen des Jahrestreffens 2020 ausgezeichnet.

arbeit zum Thema „Gesamtwirtschaftliche Evaluation der Preisregulierung patentgeschützter Arzneimittel im Kontext des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes“ zielt er darauf ab, die entsprechenden Effekte des AMNOG auf die unterschiedlichen Akteure zu evaluieren und im Kontext einer gesamtwirtschaftlichen Analyse die Vorteilhaftigkeit des AMNOG im Sinne einer Erfolgskontrolle zu bewerten.

Gesamtwirtschaftliche Evaluation der Preisregulierung patentgeschützter Arzneimittel im Kontext des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes

[Zusammenfassung zur Abschlussarbeit von Paul Bussilliat \(Sieger DFGMA-Wissenschaftspreis 2019\)](#)

9 Jahre AMNOG – Zusatznutzen belegt?

Wenn ein Gesetz sowohl gesundheits- als auch industriepolitische Ziele verfolgt, kann es als ambitioniert bezeichnet werden. In

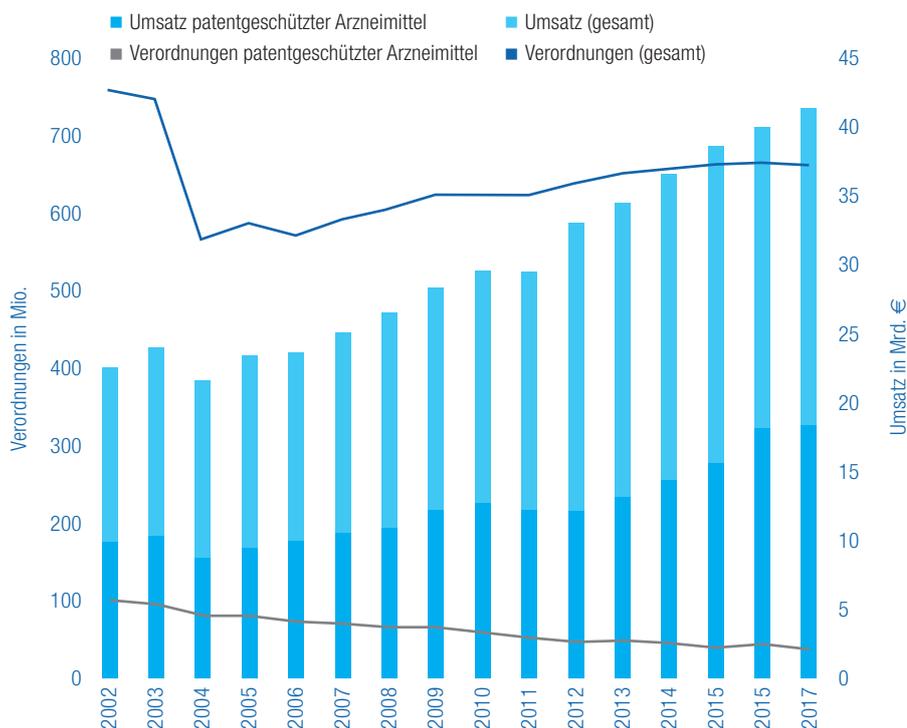
der letzten Dekade war das Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) das wohl wichtigste Gesetz dieser Art. Der Gesetzgeber definierte kosteneffiziente Preise für patentgeschützte Arzneimittel, den gesicherten Arzneimittelzugang sowie verlässliche Rahmenbedingungen für Innovationen und die Sicherung von Arbeitsplätzen als Ziele. Neben der Evaluation dieser Ziele stellt sich die Frage, inwiefern das AMNOG trotz auftretender Mängel im value-based-pricing gesamtwirtschaftlich vorteilhaft ist und welche Reformoptionen bestehen.

Höhere Kosteneffizienz

Das AMNOG hat keine, wie von den Kostenträgern erhofft, kostendämpfende Wirkung entfaltet. Dahingehend ist jedoch die Wirksamkeit anderer Instrumente – wie die des gesetzlichen Herstellerabschlages und insbesondere des Preismoratoriums – gegeben, sodass die Ausgaben für Arzneimittel indiziert auf das Basisjahr 2007 von allen Leistungsbereichen am geringsten gestiegen sind.

Verordnungen und Umsatz auf dem GKV-Fertigarzneimittelmarkt

Quelle: Arzneiverordnungs-Report 2018.



Während die Verordnungen auf dem GKV-Fertigarzneimittelmarkt seit 2004 moderat steigen, sinken jene Verordnungen der patentgeschützten Arzneimittel auf diesem Markt stetig (siehe Grafik).

Des Weiteren steigt der Anteil der Patentpräparate am Gesamtumsatz in den letzten Jahren und befindet sich 2017 wieder etwa auf dem Niveau des Jahres 2002 (44 %). Damals hatten jedoch Analogpräparate einen nicht unerheblichen Umsatzanteil bei den patentgeschützten Arzneimitteln, heute spielen sie kaum noch eine Rolle. In den letzten Jahren konzentriert sich vermehrt ein nennenswerter Anteil des Umsatzes auf eine sinkende Anzahl Verordnungen patentgeschützter Arzneimittel. Ökonomisch zeugt

dieses Resultat von effizienteren Preisen: sogenannte Scheininnovationen werden preislich stark reguliert und seltener verordnet, wogegen wahre Innovationen höhere Preise erzielen. Somit dämpft das AMNOG insgesamt zwar nicht die Preise, sorgt aber für eine höhere Kosteneffizienz und erfüllt somit das entsprechende Ziel.

Arzneimittelzugang eingeschränkt

Einerseits zeigt sich empirisch, dass das AMNOG vereinzelt als Marktbarriere fungiert. Zudem sind mindestens 28 der seit 2011 auf den Markt gekommenen Produkte heute nicht mehr verfügbar, wobei insbesondere die Fälle von Opt-Outs kausal auf das AMNOG zurückzuführen sind. Ein Groß-

teil der vom Markt genommenen Präparate wird ausdrücklich in den medizinischen Leitlinien empfohlen, weshalb von einer Versorgungslücke durch das AMNOG gesprochen werden kann. Dabei sollte jedoch die Größenordnung berücksichtigt werden, im Allgemeinen ist die Arzneimittelversorgung in Deutschland nach wie vor sehr gut.

Andererseits baut das AMNOG Informationsasymmetrien ab, dies erleichtert den Zugang zu den wirksamsten Präparaten. Hier erbringt das Gesetz einen Mehrwert im Sinne der evidenzbasierten Medizin, Ärzte können Verordnungslücken schließen und diesbezüglich für eine höhere Versorgungsqualität sorgen.

Rahmenbedingungen für Innovation

Eine Verfehlung der industrieökonomischen Ziele ist aktuell nicht erkennbar. Die Beschäftigungszahlen in der pharmazeutischen Industrie entwickeln sich seit Jahren positiv und nach wie vor investiert die Branche mehr in Forschung und Entwicklung als jeder andere Industriezweig. Methodische Mängel in der frühen Nutzenbewertung die zu systematisch schlechten Nutzenbewertungsergebnissen führen, wie es beispielsweise bei Präparaten gegen chronische Erkrankungen der Fall ist, könnten in Zukunft innovationsschädigende Anreizwirkungen haben. Ebenfalls zu Fehlentwicklungen in der F&E beitragen können ökonomische Fehler in der Bepreisung, wie der Vernachlässigung von Einsparungen in den Folgekosten oder durch vermiedene indirekte Kosten. Aktuell sind solche Auswirkungen durch das AMNOG allerdings noch nicht erkennbar.

Insgesamt ist das AMNOG ein industrieökonomisch zielführendes Regulierungsinstrument, da der Innovationswert in Form des Zusatznutzens in den Fokus des Wettbe-

werbs rückt. Es reduziert des Weiteren Informationsasymmetrien und gewährleistet eine hohe Transparenz. Zudem sorgt bei der Preisbildung die zusätzliche Berücksichtigung der Jahrestherapiekosten der zweckmäßigen Vergleichstherapie und der europäischen Referenzpreise für eine bessere Allokation knapper Ressourcen im Gesundheitswesen.

Mängel im Value-Based-Pricing

Da der in der frühen Nutzenbewertung ermittelte Zusatznutzen das dominierende Kriterium bei der Preisbildung patentgeschützter Arzneimittel darstellt, kann in diesem Teilmarkt von einem value-based-pricing (vbp) gesprochen werden. Grundvoraussetzung dafür ist die umfassende und konsistente Erfassung des Zusatznutzens.

Trotz einiger Verbesserungen in den letzten Jahren treten nach wie vor Mängel im vbp beim AMNOG-Verfahren auf. Aus volkswirtschaftlicher Sicht ist es nicht sinnvoll, lediglich direkte Arzneimittelkosten bei den Preisverhandlungen zu berücksichtigen. Verminderte Folgekosten durch kürzere Krankenhausaufenthalte oder geringere indirekte Kosten durch eine gesteigerte Arbeitsproduktivität können ebenfalls den Wert einer Arzneimittelinnovation definieren. Aufgrund des Charakteristikums der frühen Nutzenbewertung als Momentaufnahme lässt sich zudem der therapeutische Wert nicht vollumfänglich abbilden, da Therapieergebnisse unter Alltagsbedingungen unberücksichtigt bleiben. Außerdem werden bei der Nutzenbewertung zwar patientenrelevante Endpunkte berücksichtigt, eine systematische und methodische Patientenbefragung, um herauszufinden, was den Betroffenen wichtig und somit patientenrelevant ist, findet allerdings nicht statt. Auch diesbezüglich könnte der Wert des Arzneimittels noch adäquater abgebildet werden.

Basiert das vbp nicht auf dem tatsächlichen Wert einer Innovation kann es zu Fehlallokationen sowie Umsatzeinbußen für den pharmazeutischen Unternehmer kommen. Zudem zeigt der hohe Anteil der Präparate gegen chronische Erkrankungen an den Marktrücknahmen, dass Mängel im vbp versorgungsrelevante Auswirkungen haben können.

Gesamtwirtschaftlich vorteilhaft?

Aus volkswirtschaftlicher Sicht galt es zu evaluieren, inwiefern die durch das Gesetz induzierten Nutzeneffekte die Kosteneffekte überwiegen und somit die staatliche Intervention rechtfertigen. Dabei müssen die Effekte nicht zwingend monetärer Natur sein. Die Basis der Untersuchung bildete eine systematische Literaturrecherche, wobei mittels Suchterm und zweier Datenbanken knapp 1.000 Quellen gesichtet wurden. Nach Klassifizierung der auftretenden Effekte und – wenn möglich – der Quantifizierung dieser, wurde eine Wirtschaftlichkeitsanalyse durchgeführt. Die Wahl der gesellschaftlichen Perspektive machte eine Berücksichtigung aller Effekte unabdingbar, wobei die Gewichtung jeweils dargelegt wurde. Dabei kann nur die relative Vorteilhaftigkeit des AMNOG im Vergleich zum Szenario ohne AMNOG bestimmt werden, da die Kosten- und Nutzeneffekte in unterschiedlichen Einheiten auftreten.

Zusammenfassend ist das Vorteilhaftigkeitskriterium erfüllt, die durch das AMNOG induzierten Nutzeneffekte dominieren demzufolge die hervorgerufenen Kosteneffekte. Problematisch ist allerdings, dass der medizinische Mehrwert einer Arzneimittelinnovation nicht immer adäquat durch die Nutzenbewertung erfasst wird. Dadurch ist die Planungssicherheit des pharmazeutischen Unternehmers durch das AMNOG-Verfahren geringer als ursprünglich erhofft. Es treten zudem vereinzelt Versorgungslücken auf,

insbesondere bei der Behandlung chronischer Erkrankungen. Auf der anderen Seite werden jedoch Scheininnovationen preislich stärker reguliert und Präparate mit Zusatznutzen erzielen höhere Preise. Insgesamt steigt somit die Kosteneffizienz bei Patentpräparaten und es kommt zu einer besseren Allokation knapper Ressourcen.

Ein elementarer Nutzeneffekt des AMNOGs ist neben der Transparenz die Reduzierung von Informationsasymmetrien. Die verfügbaren Informationen sind durch das Hersteller-Dossier und die Bewertung des IQWiG nachweislich gestiegen. Außerdem sorgt das AMNOG-Verfahren für eine intensivere Kommunikation zwischen den verschiedenen Akteuren und steigert auch dadurch die Qualität der klinischen Studien. Davon profitieren schlussendlich auch die Patienten.

Aufgrund der relativen Vorteilhaftigkeit lässt sich dem AMNOG ein Zusatznutzen attestieren, wenngleich das Ausmaß wohl geringer als ursprünglich vom Gesetzgeber erhofft ist. Daraus resultieren jedoch Potenziale, deren Ausschöpfung die Interessen der einzelnen Akteure nicht zu stark beschneiden und damit die vielseitige Zielsetzung des Gesetzes gefährden würde.

Zukunft des AMNOG-Verfahrens

Wie dargelegt zeigt das AMNOG-Verfahren noch Schwächen beim vbp. Hier offenbart sich bei der Betrachtung des bestehenden Systems das größte Verbesserungspotenzial. Je besser der Wert eines Arzneimittels dargestellt wird, desto fundierter kann die Preisregulierung erfolgen und der ausgehandelte Preis nähert sich dem Optimum eines für alle Akteure gerechten Preises. Aus gesamtwirtschaftlicher Sicht kommt es dadurch zu einer besseren Allokation der knappen Ressourcen und einer gesellschaftlich rationalen Anreizstiftung für die

pharmazeutischen Unternehmer bezüglich der zukünftigen Forschung und Entwicklung.

Eine noch umfangreichere Berücksichtigung der Veränderungen in der Lebensqualität sowie der Patientenpräferenzen ist ebenso sinnvoll, wie eine Erweiterung der Kostenperspektive. Insbesondere die zur Rate gezogenen Jahrestherapiekosten können verzerren, gleichermaßen wie der Fokus auf lediglich direkte Arzneimittelkosten. Doch auch tiefergehende Reformen sind denkbar. Durch eine späte Nutzenbewertung könnte der Nutzen über den gesamten Behandlungsprozess hinweg auf Basis von Real-World-Daten gemessen werden. Damit würde im Rahmen des vbp eine Entwicklung hin zu outcomes-differenzierten Preisen stattfinden. Wie bisher könnte zunächst ein Preis entsprechend dem erwarteten Nutzen festgelegt werden, später festgestellte Abweichungen würden durch gruppenspezifische Erstattungspreise berücksichtigt werden. Dafür müssten erneut Messkriterien und Endpunkte definiert sowie beim genannten gruppenspezifischen Erstattungspreis die entsprechenden rechtlichen Grundlagen geschaffen werden; bisher wäre diese Umsetzung nicht ohne weiteres möglich.

Neben den genannten Reformoptionen für das AMNOG-Verfahren im Sinne einer Verbesserung des Systems im aktuellen Kontext, stellt sich die Frage, wie zukunftsfähig es ist. Einiges spricht dafür, dass in Zukunft die individualisierte Therapie, in Form von maßgeschneiderten Medikationen mit jeweils unterschiedlicher Wirkstoffzusammensetzung, eine wichtige Rolle in der Arzneimittelversorgung spielen wird. Hier stößt die Nutzenbewertung an ihre Grenzen, mutmaßlich müsste dann ein solcher Therapieansatz in seiner allgemeinen Form mit der herkömmlichen Therapieform verglichen werden, ähnlich wie bei einer Methodenbewertung.

Offen ist außerdem, ob die Nutzenbewertung des IQWiG in Zukunft obsolet werden könnte. Der Vorschlag der EU-Kommission sieht eine gemeinsame Arbeit an wissenschaftlichen und klinischen Aspekten der HTA vor. Ob die frühe Nutzenbewertung durch das IQWiG tatsächlich durch ein EU-HTA vollumfänglich substituiert werden kann, wird maßgeblich davon abhängen, wie die Nutzenbewertung auf europäischer Ebene ausgestaltet wird. Was die Methodik und Umsetzung von HTA betrifft, gilt Deutschland in Europa als Spitzenreiter. Gelingt es, dieses hohe Niveau auch beim EU-HTA zu realisieren, könnte auf eine weitere Bewertung durch das IQWiG verzichtet werden. Falls nicht, kann der Bewertungsprozess allerdings zeitaufwendiger und komplizierter werden. Es bleibt spannend, wohin das Gesetzgebungsverfahren führt.

Literatur

Auf Anfrage können die vollständige wissenschaftliche Arbeit und sämtliche relevanten Literaturverweise gerne bei der DFGMA eingesehen werden.



MARKET ACCESS KLIMA 2019

Stabilisierung der Lage des Market Access auf positivem Niveau

Die DFGMA versteht sich unter anderem auch als Fachgesellschaft, die den Market Access (MA) im Gesundheitswesen in Deutschland beobachtet und begleitet. Um auszuwerten, wie die Lage des MA zu einem bestimmten Zeitpunkt bewertet und welche Entwicklung des MA erwartet wird, wurde ein kurzer Online-Fragebogen entwickelt, in dem in kompakter Form nach der Einschätzung der Lage und den Erwartungen an die Entwicklung des MA gefragt wird.

Die nachfolgenden Grafiken zeigen die Umfrageergebnisse 2019 zur Beurteilung der Lage des MA und zu den Erwartungen der Entwicklung des MA (jeweils mit den Werten vom 4. Quartal 2018 zum Vergleich):

Nach einem deutlichen Aufwärtstrend für 2017 und 2018 zeigen die Umfrageergebnisse für die Lage des Market Access im Jahr 2019 eine Stabilisierung auf relativ hohem Niveau: 76% der Teilnehmer sehen für die Lage des Market Access mindestens einen positiven Trend und immerhin 41%

der Teilnehmer beurteilt die Lage mit gut. Besonders bemerkenswert ist die Tatsache, dass kein Teilnehmer die Lage des MA mit schlecht beurteilt hat.

Ebenso wie die Lage halten sich auch die Erwartungen bezüglich der Entwicklung des Market Access im Jahr 2019 auf einem positiven Niveau. Dabei beurteilen die Teilnehmer wie in allen bisherigen Umfragen die Entwicklung des MA pessimistischer als die Lage: Immerhin 17% der Teilnehmer erwarten eine günstige Entwicklung, nur 7% eine ungünstige Entwicklung und 76% eine gleichbleibende Entwicklung, für 35% mit leicht positiver und für 41% mit leicht negativer Tendenz.

Die kumulierte Auswertung der offenen Antworten für die Problemfelder 2019 ergab folgendes Resultat:

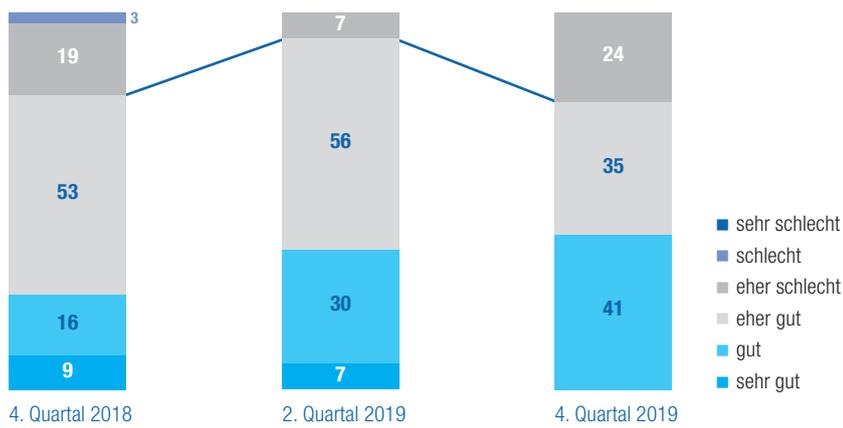
Knapp die Hälfte der Nennungen (49%) befasst sich mit Themen der Nutzenbewertung (AMNOG/Methodenbewertung), wobei Neuerungen zur Dossievorlage, zu ATMP, zu Orphan Drugs und anwendungsbegleitenden Datenerhebungen im Vordergrund stehen. Die genannten Problemfelder sprechen individuelle oder methodische Fragestellungen der Nutzenbewertung an, die Durchführung von Nutzenbewertungen an sich wird kaum noch kritisiert.

Knapp ein Drittel der Nennungen (31%) befasst sich mit dem Thema Gesetze/Verordnungen/Regulierungen. Insgesamt wird die Gesetzes- und Verordnungsflut beklagt, insbesondere weil es inkonsistente Regulierungen auf nationaler versus regionaler Ebene gibt. Die hohe Regulierungsdichte führt zur Planungsunsicherheit und wird als mangelnde Verbindlichkeit der Beschlüsse des G-BA oder Inkompetenz der politischen Entscheider wahrgenommen.

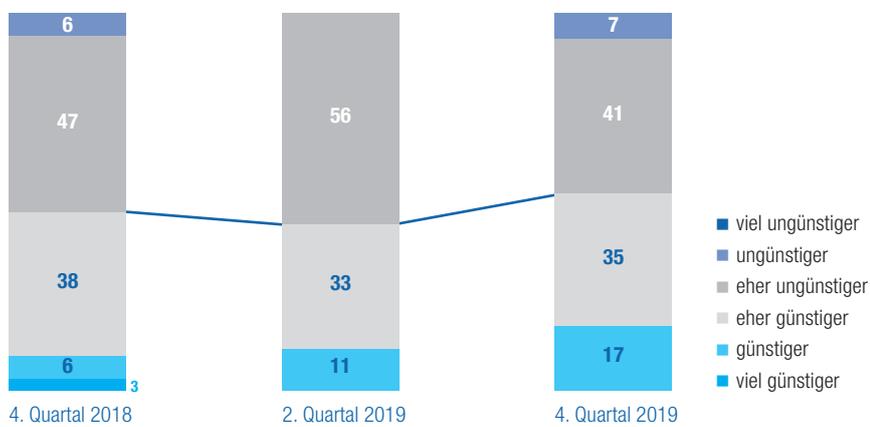
13% der Nennungen thematisieren die Unzufriedenheit der Teilnehmer mit Pricingproblemen, wobei unklare Preisverhandlungen, Referenzpreisproblematik, Mischpreisproblematik, Rabattverträge und das Pricing für Innovationen speziell genannt werden.

Unser Dank gilt allen, die sich 2019 die Zeit genommen haben, um an der Umfrage zum Market Access Klima teilzunehmen. Die Umfrage wird auch 2020 im Mai/Juni und November/Dezember weitergeführt. Der Link dazu befindet sich auf der Homepage der DFGMA unter www.dfgma.de. Bitte nehmen Sie sich auch 2020 wenige Minuten Zeit, um sich an der Umfrage zu beteiligen.

Market Access Klima Beurteilung der Lage des Market Access in % der Befragten



Market Access Klima Erwartungen an die Entwicklung des Market Access in % der Befragten





VERÖFFENTLICHUNGEN MARKET ACCESS & HEALTH POLICY



An dieser Stelle möchten wir kurz berichten, mit welchen Themen wir uns als Fachgesellschaft in unserem Sprachrohr, der Market Access & Health Policy, im Jahr 2019 auseinandergesetzt haben. In jeder Ausgabe dieser im 2-Monats-Rhythmus erscheinenden Fachzeitschrift hat die DFGMA vier Sonderseiten reserviert, die wir stets mit aktuellen, spannenden Themen füllen. Beiträge unserer Mitglieder sind herzlich willkommen. Als Ansprechpartnerin steht Ihnen hierfür Dr. Maike Bestehorn zur Verfügung. Sämtliche erschienene Artikel können auf der Website der DFGMA unter www.dfgma.de abgerufen werden. Alle Mitglieder erhalten die jeweils aktuellen Ausgaben per Post.

Ausgabe 01/19:

Im August 2018 erhielten zwei Gentherapien eine europäische Zulassung, die für hiesige Verhältnisse mit extrem hohen Preisen angeboten wurden. Sowohl die hohen Preise als auch die unbekannt Langfristigkeit der Wirkung passen nicht in das bisherige System der Erstattung, sodass nach neuen Lösungen für die Erstattung dieser Präparate gesucht wird. Die Deutsche Fachgesellschaft für Market Access wollte dieses Thema in ihrem Jahrestreffen am 22. No-

vember 2018 in Berlin aus der Sicht verschiedener Player beleuchten und lud dafür namhafte Referenten ein, deren Thesen nicht nur nach den Vorträgen, sondern auch in den Pausen intensiv diskutiert wurden. Die Zusammenfassungen der Vorträge sind auf den DFGMA Seiten dieser Ausgabe abgedruckt.

Ausgabe 02/19:

Die Beiträge in der Ausgabe 02/19 sollen – wenn auch mit unterschiedlicher Ausrichtung – Denkanstöße für die Weiterentwicklung der Nutzenbewertung liefern.

Spezielle Zulassungsverfahren der Food and Drug Administration (FDA) und European Medicines Agency (EMA) dienen dazu, den hohen medizinischen Bedarf zur Behandlung schwerwiegender und lebensbedrohlicher Krankheiten schneller zu decken. Oftmals jedoch liegen bei diesen speziellen Verfahren zum Zeitpunkt der Zulassung keine Phase-III-Daten vor, beziehungsweise können noch nicht vorliegen. Insbesondere bei Orphan Drugs und bei onkologischen Arzneimitteln ersetzen Surrogatendpunkte, wie beispielsweise der Kombinationsendpunkt progressionsfreies Überleben (PFS), häufig patientenrelevante Endpunkte wie Gesamtüberleben (OS). Sowohl die Bepreisung und Verschreibung von Arzneimitteln auf Basis von Surrogatendpunkten als auch die großen Differenzen im Hinblick auf die Akzeptanz von Surrogatendpunkten zwischen den Ländern geben Anlass zur Diskussion. Im ersten Beitrag diskutiert Dr. Stefanie Frick (Ipsen) die Möglichkeit von ökonomischen Modellen zur Monetarisierung des Zusatznutzens für den deutschen Markt.

Wenn aufgrund fehlender Daten kein geeignetes Arzneimittel für Kinder und Jugendliche zugelassen ist, muss der behandelnde Arzt auf ein Erwachsenenpräparat zurückgreifen. Diese „Off-Label“-Verwendung birgt erhöhte Risiken, da Kinder eben keine kleinen Erwachsenen sind. Um die Verfügbarkeit und Sicherheit pädiatrischer Arzneimittel zu erhöhen, trat 2007 die Kinderarzneimittelverordnung der Europäischen Union in Kraft. Damit wurde auch eine besondere Art der Zulassung, die „Genehmigung für die pädiatrische Verwendung“ (Paediatric use marketing authorisation, PUMA), eingeführt. In den letzten Jahren wurden vermehrt Kinderarzneimittel über dieses Verfahren zugelassen und durchlaufen nun auch die frühe Nutzenbewertung. Dr. Christiane Ring, Dr. Bastian Thaa und Dr. Marc Esser (alle co.value) stellen in ihrem Beitrag die Frage in den Mittelpunkt, ob Kinderarzneimittel gesondert bewertet werden sollten.

Ausgabe 03/19:

„What is Value in Health Care?“, fragte sich bereits der renommierte US-amerikanische Ökonom Michael E. Porter in seinem gleichnamigen Aufsatz im Jahr 2010. Eine eindeutige Antwort auf die aufgeworfene Frage gibt es bis heute nicht. Trotzdem ist Porter einer der ersten Ökonomen, der dieser Frage nachgegangen ist und versucht hat, „Value“ greifbar zu machen. So entwickelte Porter bereits im Jahr 2006 auf der Suche nach dem „Value“ im Gesundheitswesen gemeinsam mit Elizabeth O. Teisberg erstmals einen Value-based Health Care Approach mit klar definierten Prinzipien und Handlungsempfehlungen. Erstmals wurde hiermit

ein umfassender Handlungsrahmen geschaffen, an dem sich die Ausgestaltung eines Gesundheitssystems auf dem Weg zu einem nutzenorientierten bzw. nutzenmaximierenden Gesundheitssystem orientieren kann. Auch wenn im US Kontext entwickelt, lassen sich die Grundprinzipien von Value-based Health Care auf jedes Land anwenden. Wir wollten es daher genauer wissen und haben das AMNOG als suggerierte Umsetzung von Value Based Health Care näher betrachtet. Können ausgewählte AMNOG-Aspekte nach dem Value Based Health Care Approach von Porter/Teisberg (2006) als konform oder als nicht konform bewertet werden? Wo gibt es ggf. Diskrepanzen und Verbesserungspotenzial aus Value Based Health Care Sicht? Der erste Beitrag der Ausgabe 03/19 gibt erste Antworten und soll einen Denkanstoß für weiterführende Diskussionen liefern. Der zweite Beitrag dieser Ausgabe widmet sich dem Market Access Klima 2018. Dabei zeichnet sich sowohl für die aktuelle Lage als auch für die Erwartungen an die zukünftige Entwicklung des Market Access ein positiver Trend für 2018 ab.

Ausgabe 04/19:

Der Gesetzentwurf für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) sieht unter anderem vor, dass der G-BA für Arzneimittel mit bedingter Zulassung oder mit einer Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen sowie für Orphan Drugs anwendungsbegleitende Datenerhebungen im Rahmen der Nutzenbewertung fordern kann. Die Daten und die Verpflichtung zur Datenerhebung sind dabei in regelmäßigen

Abständen vom G-BA zu überprüfen. Kommt der G-BA bei der Überprüfung zu der Erkenntnis, dass sich aufgrund der neuen Datenlage der Zusatznutzen verändert hat, kann ein neuer Beschluss getroffen oder der bisherige Beschluss angepasst werden – mit entsprechender Anpassung des Erstattungsbetrages.

Während bislang RCTs als Goldstandard für den Nachweis des Zusatznutzens galten, kommen laut Gesetzgeber nun Registerstudien für die begleitende Datenerhebung in Frage.

Im Rahmen der DFGMA Frühjahrstagung 2019 in Berlin, haben wir uns daher der Frage angenommen, welchen Zusatznutzen Registerdaten tatsächlich liefern. Die Zusammenfassungen der Vorträge finden sich in Ausgabe 04/19 der MA&HP.

Ausgabe 05/19:

Für Hersteller von Arzneimitteln und Medizinprodukten gestalten sich die Zulassung von Arzneimitteln sowie die Aufnahme einer innovativen Untersuchungs- und Behandlungsmethode in den GKV-Leistungskatalog als Herausforderung.

Während letztere der frühen Nutzenbewertung von Arzneimitteln (§ 35a SGB V) in nichts nachsteht, wird der Marktzugang eines Arzneimittels auch nach Zulassung durch die europäische Arzneimittelbehörde (EMA) weiter durch zahlreiche Regularien beeinflusst.

Die Beiträge in der Ausgabe 05/19 beleuchten beide Prozesse und ihre rechtlichen Hintergründe eingehend. Während Dr. Marco Penske erörtert, ob und inwieweit alte und neue Regulierungsinstrumente im GKV-Arzneimittelmarkt kompatibel sind, stellen Professor Dr. Ralph Tunder und Gregor Jelen in ihrem Beitrag die Frage in den Mittelpunkt, wie sich im Rahmen der Zulassung neuer Untersuchungs- und Behandlungsmethoden die Etablierung der neuen Nutzenerprobung nach § 137e SGB V im Kontext der beiden bisherigen Prüfungsverfahren nach §§ 135 und 137c SGB V gestaltet.

Ausgabe 06/19:

Bedingt durch die Konzentration der Produktion auf nur weniger Hersteller werden Lieferengpässe bei Arzneimitteln seit Mitte 2018 verstärkt diskutiert. Versorgungsprobleme werden in diesem Zusammenhang sowohl durch produktionsbedingte Lieferengpässen als auch durch Exporte in Folge des Parallelhandels bei patentgeschützten Arzneimitteln verursacht. Im ersten Beitrag der Ausgabe 06/19 erörtert Dr. Marco Penske inwieweit eine Konzentration der Arzneimittel-Produktion am Standort Europa eine Verbesserung der Versorgungssicherheit bedeuten kann.

Außerdem erhalten Sie im Rahmen des Beitrages von Dr. Willi Schnorpfel einen Einblick in das Seminar zum Thema AMNOG-Nutzendossier, das am 12. und 13. September 2019 an der EBS Universität eine Einführung in die Erstellung von AMNOG-Nutzendossiers und die Grundlagen der systematischen Recherche gegeben hat.



INTENSIVSTUDIUM MARKET ACCESS AN DER EBS UNIVERSITÄT

EBS  **Universität**
für Wirtschaft und Recht



Seitdem im Jahre 2011 das deutschlandweit erste umfassende Weiterbildungsprogramm zum Themenfeld des Market Access mit einem universitären Abschluss entwickelt wurde, hat im Jahr 2018 bereits der 8. Jahrgang das Intensivstudium erfolgreich abgeschlossen. Aufgaben und Verantwortungsbereiche der Market Access Verantwortlichen haben sich in den letzten Jahren wesentlich erweitert. Zugleich werden die Anforderungen komplexer und vielschichtiger. Eine fachspezifische Aus- und Weiterbildung, die auf theoretischer wie auch empirischer Grundlage aufbaut und diese eng mit praxisnahen Inhalten und In-

strumenten verknüpft, ist hingegen ausgeblieben. Mit dem Kompaktstudiengang Market Access an der EBS Universität in Oestrich-Winkel wurde diese Lücke kompetent geschlossen. Eine Vielzahl an hochkarätigen Dozenten aus Wissenschaft und Praxis vermittelt innerhalb von 15 Präsenztagen, die sich über einen Zeitraum von vier Monaten erstrecken, umfassende Kenntnisse.

Ziel ist, die Querschnittsfunktion des Market Access in allen Prozessschritten zu betrachten und zu verstehen, um die heutigen Market Access Manager und verwandte Akteure für die Zukunft noch besser auszurüsten, Entscheidungen zu treffen und umfassende Handlungsempfehlungen abgeben zu können. Der 9. Jahrgang wird voraussichtlich am 13. März 2020 starten. Übereinstimmend äußerten sich die bisherigen Teilnehmer, Dozenten und Arbeitgeber sehr positiv über dieses innovative Studienangebot. Weitere Informationen finden Sie unter www.ebs-hcmi.de.





AUSBLICK AUF DAS JAHR 2020

Frühjahrstagung & Mitgliederversammlung

Auch im Jahr 2020 lädt die DFGMA zur Frühjahrs-/Sommertagung nach Berlin ein, in deren Rahmen auch die jährlich stattfindende Mitgliederversammlung abgehalten wird.

Jahrestreffen

Am Donnerstag, den 13. Februar 2020, findet in Berlin das DFGMA Jahrestreffen statt, zu dem sowohl alle Mitglieder als auch alle anderen Market Access Verantwortliche und Interessierte herzlich eingeladen sind. Leitthema des Jahrestreffens: „Elektronische Arzneimittelinformations-Verordnung (EAMIV): Arztinformationssystem zur frühen Nutzenbewertung“.

Das nächste Jahrestreffen findet am 25. November 2020 in Berlin statt.

Umfrage Market Access Klima

Auch für das Jahr 2020 planen wir wieder unsere Umfrage zum Market Access Klima. Ziel ist es, die aktuelle Stimmung zum Market Access abzufragen. Die Befragung findet zweimal im Jahr im Mai/Juni sowie November/Dezember statt. Die Auswertungen der Umfragen können Sie in der *Market Access & Health Policy* und auf der Website der DFGMA unter www.dfgma.de nachlesen.

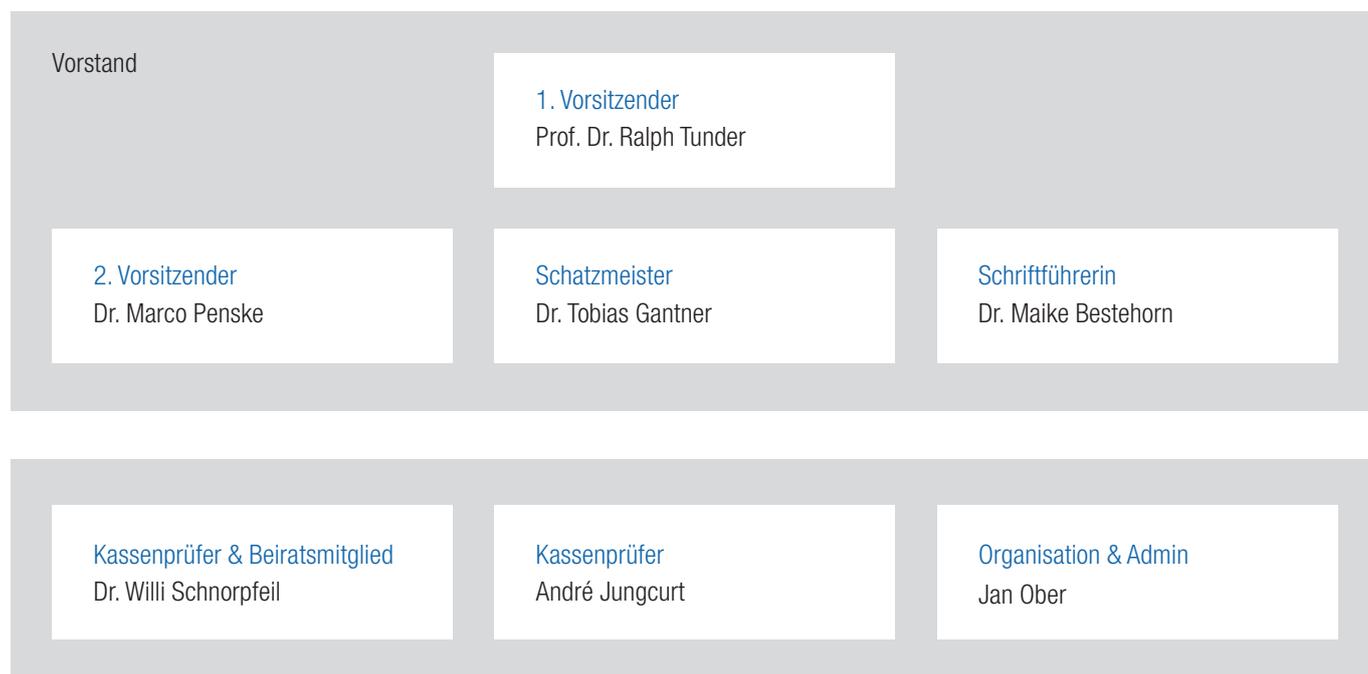
Wissenschaftspreis

Auch in 2020 schreibt die DFGMA zum bereits neunten Mal ihren Wissenschaftspreis für hervorragende akademische Abschlussarbeiten aus dem Themenbereich Market Access aus. Einsendeschluss ist voraussichtlich der 15. Oktober 2020. Die Preisverleihung und Vorstellung der Abschlussarbeit findet im Rahmen des Jahrestreffens am 25. November 2020 in Berlin statt.

Intensivstudium Market Access an der EBS Universität: 9. Jahrgang

Am 13. März 2020 wird voraussichtlich der nächste Jahrgang des berufsbegleitenden Intensivstudiums Market Access an der EBS Universität im Rheingau starten. Das Intensivstudium umfasst 15 Präsenztage in einem Zeitraum von vier Monaten und schließt mit dem Zertifikatsabschluss Market Access Manager (EBS) ab. Weitere Informationen zum Programm finden Sie unter www.ebs-hcml.de.

DFGMA ORGANISATIONSSTRUKTUR



**Deutsche
Fachgesellschaft für
Market Access e.V.**

Vereinssitz:
Deutsche
Fachgesellschaft
für Market Access e.V.
Jägerstraße 6
10117 Berlin
www.dfgma.de
info@dfgma.de

Geschäftsstelle:
Sämtliche Korrespondenz
bitte an:
Rheingaustraße 1
65375 Oestrich-Winkel
www.dfgma.de
info@dfgma.de

