

**Sitzung der Arbeitsgruppe 3 „Nutzenbewertung und EU-HTA“
des Pharma- und Medizintechnikdialogs**

Bewertung Vorschläge AMNOG 2.0

– Patientenvertretung / BAG SELBSTHILFE –

Stand 17.09.2026

Zu den in der Arbeitsgruppe aktuell diskutierten Vorschlägen zur Weiterentwicklung des AMNOG (AMNOG 2.0) nehmen wir wie folgt Stellung:

(I) Vorschläge zur Bewertung von Arzneimitteln mit hohem medizinischen Bedarf

Innovative Arzneimittel mit besonderem „Medical Need“ sollen in Deutschland Patientinnen und Patienten weiterhin unmittelbar zur Verfügung stehen. Die EMA hat als Zulassungsbehörde bestimmte Kriterien entwickelt, um Arzneimittel einem mit hohem medizinischen Bedarf zu identifizieren. Für diese Arzneimittel gelten dann Besonderheiten im Zulassungsverfahren.

Es wird vorgeschlagen, diesen Besonderheiten künftig auch im Rahmen der Nutzenbewertung Rechnung zu tragen.

Mögliche Anknüpfungspunkte zur Einschätzung des hohen medizinischen Bedarfs sollen

1. Conditional Marketing Authorisation (CMA),
2. Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen,
3. PRIME-Status,
4. Orphan-Drug-Status und
5. beschleunigte Zulassungsverfahren sein.

Für diese Zulassungssituationen wird die Einführung eines zweistufigen Bewertungsverfahrens bei der Nutzenbewertung vorgeschlagen.

Position der Patientenvertretung / BAG SELBSTHILFE:

Grundsätzlich sind die genannten besonderen Zulassungssituationen als Hinweise auf einen medizinischen Bedarf, aber auch als Hinweis auf das Vorliegen von nur unreifen Daten zu werten.

Die Patientenvertretung begrüßt grundsätzlich die Initiative, dass solchen Besonderheiten im Rahmen der Nutzenbewertung künftig stärker Rechnung getragen werden soll.

Die Patientenvertretung weist aber darauf hin, dass allein die Orientierung an 5 Zulassungskonstellationen der Komplexität einer vergleichenden Nutzenbewertung nicht gerecht wird.

So kann es durchaus vorkommen, dass in einem Anwendungsgebiet mehrere Arzneimittel mit unterschiedlichen Zulassungssituationen parallel existieren.

Daher ist aus Sicht der Patientenvertretung die Kombination der betroffenen Arzneimittel wichtig, um der Situation angemessen Rechnung tragen zu können. Auf der Basis dieser Betrachtung wäre dann die individuelle Prüfung des Zusatznutzens des jeweiligen Arzneimittels mit einer differenzierteren Betrachtungsweise erforderlich.

Aus Sicht der Patientenvertretung gibt es daher noch vielfältige Klärungsbedarfe.

Eine transparente und differenzierte Bewertung ist jedenfalls erforderlich, da sonst auch eine Ungleichbehandlung der pharmazeutischen Unternehmenden droht.

Ferner muss nach wie vor ein Anreiz gesetzt werden, den Goldstandard der medizinischen Evidenz der Randomisierten kontrollierten Studien (RCTs) zu erfüllen. Auch in den Bereichen der genannten 5 Zulassungssettings ist es nicht immer per se unmöglich, Nutznachweise auf dieser Evidenzgrundlage zu erbringen.

Daher regt die Patientenvertretung an, dass die pharmazeutischen Unternehmen auch in den genannten 5 Zulassungssettings die Wahl haben sollten, unmittelbar den vollen Nutznachweis bezogen auf patientenrelevante Endpunkte zu erbringen.

Die Patientenvertretung tritt außerdem dafür ein, dass eine Neuregelung der Rahmenbedingungen für die Nutzenbewertung in besonderen Zulassungssituationen zu einem bestimmten Zeitpunkt nach Implementierung des neuen Verfahrens evaluiert werden und anhand Ihrer Praktikabilität und unter Berücksichtigung der erzielten Ergebnisse bewertet bzw. ggf. angepasst werden sollte. Mit Blick auf die Zeitläufe von Zulassungen und Bewertungen wäre hierfür aus Sicht der Patientenvertretung ein Zeitraum von min. 2 Jahren hilfreich.

(II) Zwei-Stufen-Modell der Nutzenbewertung aus Erst- und Re-Bewertung

Für die Arzneimittel, die Zulassungen in den genannten 5 Zulassungskonstellationen durchlaufen haben, wird ein Zwei-Stufen-Modell der künftigen Nutzenbewertung vorgeschlagen. Die **Erstbewertung** soll auf Grundlage der **bestverfügbaren Evidenz erfolgen**. Diese sei ausdrücklich heranzuziehen, wenn sie auch die Grundlage der Zulassung bilde. Weiter bedeute die Befassung des G-BA mit der jeweils bestverfügbaren Evidenz, dass Gegenstand der Erstbewertung unter anderem folgende Datenquellen werden können: a) synthetische Kontrollarme, b) placebokontrollierte Vergleiche, c) einarmige Studiendaten und d) indirekte Vergleiche.

Position der Patientenvertretung/ BAG SELBSTHILFE

Aus Sicht der Patientenvertretung soll der studienbasierte Nutznachweis bezogen auf patientenrelevante Endpunkte der absolute Regelfall im Nutzenbewertungsverfahren bleiben, und zwar im Sinne einer frühen Nutzenbewertung. Dies ergibt sich schon daraus, dass die Zulassungsstudien in aller Regel auch so konzipiert werden können, dass ein voller Nutznachweis möglich ist.

Jedoch ist es ein begrüßenswerter Vorschlag, neben einer frühen Nutzenbewertung auch eine Folgebewertung einzuführen. Hier könnte eine Alternative im Sinne einer AbD-light entstehen, die im Zeitverlauf eine Bewertung auf einer besseren Evidenzgrundlage ermöglicht. Damit könnte auch eine heute durchaus vorkommende Re-Bewertung auf gleichen Datengrundlage vermieden werden.

Dies muss auf Situationen begrenzt werden, in denen es Hindernisse und Einschränkungen gab. Insbesondere auf diejenigen Indikationen, für die heute eine AbD in Frage gekommen wäre. Der G-BA hatte für die die AbD eine Kriterienliste erarbeitet, die als Grundlage dienen könnte. Schon im Kontext der AbD wurde die Notwendigkeit klarer Kriterien deutlich. Nicht zuletzt, um die Handhabbarkeit und Rechtssicherheit des Verfahrens zu sichern.

Wichtig wird es dann sein, sich im Rahmen der Erstbewertung mit der bestverfügbaren Evidenz auseinander zu setzen: Effekte sollten im Kontext der bisher verfügbaren Therapiestandards, dem besonderen Bedarf und den Krankheitsverläufen der Patient:innen und möglicherweise weiteren Umständen des jeweiligen Anwendungsgebietes beurteilt werden. Die bisherigen Erfahrungen mit herangezogenen „dramatischen Effekten“ bei einarmigen Studien und die höhere Akzeptanz indirekter Vergleiche sind eine gute Grundlagen, stellen in der Praxis jedoch häufig hohe Hürde dar. Ziel sollte es sein die bestmögliche Versorgung insbesondere hochvulnerabler Patientinnenkollektive sicherzustellen. Unabhängig davon wird eine wertbasierte Gesamteinschätzung eine Herausforderung bleiben.

(III) Vorschlag einer Differenzierung der patientenrelevanten Endpunkte (vorläufig und gesichert)

Bestimmte **Endpunkte**, insbesondere die primären Endpunkte der Zulassungsstudien, sollen nach den aktuell diskutierten Vorschlägen unter Umständen zunächst als „vorläufig patientenrelevant“ anerkannt werden.

Beispiele für vorläufige Endpunkte sollen sein: Objektive Ansprechrates (ORR), Progressionsfreies Überleben (PFS), Vollständige Remission, Virologische / bakterielle Ansprechrates, Validierte funktionelle Scores, Anfallskontrolle, Motorische Funktionen und Transfusionsfreiheit.

Position der Patientenvertretung / BAG SELBSTHILFE

Die klare Orientierung am Patientennutzen ist eine große Errungenschaft des AMNOG. Daher sieht die Patientenvertretung erheblichen Klärungsbedarf hinsichtlich des Begriffs der „vorläufigen Patientenrelevanz“.

Bestimmte Endpunkte, insbesondere die primären Endpunkte der Zulassungsstudien, als „vorläufig relevant“ anzuerkennen könnte im Kontext weiterer Endpunkte der Studie aus Sicht der Patientenvertretung sinnvoll sein. Es gibt Situationen, in denen sich derzeit akzeptierte Endpunkte einfach nicht zeigen lassen, etwa das OS bei einer CML (chronische myeloische Leukämie). In der Praxis stellt die MRD den zentralen Parameter dar. Breiter formuliert handelt es sich um Situationen, in denen es unethisch oder nicht praktikabel ist, bestimmte Erkrankungen mit hoher Krankheitslast, hohem Behandlungsbedarf und bei fehlender Vergleichstherapie über lange Zeiträume auf Daten zu finalen Endpunkten zu warten.

Außerdem teilt die Patientenvertretung die Auffassung, dass allgemein anerkannte, für die Therapiesteuerung der Patient:innen entscheidende beziehungsweise richtungsweisende physiologische oder biochemische Marker und Laborparameter für die jeweilige Erkrankung eine etwas stärkere Berücksichtigung im Nutzenbewertungsverfahren finden könnten. Dies könnte unter dem Label der vorläufigen Relevanz stattfinden und auch auf bestimmte Anwendungsgebiete beschränkt werden.

Die Patientenvertretung begrüßt auch den Vorschlag, dass die Frage der Relevanz der entsprechenden Endpunkte unter Einbezug der Fachgesellschaften und der Patientenvertretung erfolgen sollte.

Ziel sollte es sein, eine Methodik zur Differenzierung von „vorläufig relevanten“ und „endgültig patientenrelevanten Endpunkten“ zu erarbeiten, und zwar in einer Weise, in der auch die Patientensicht maßgeblich ist. Eine klare Methodik ist wichtig, um eine Ungleichbehandlung der pharmazeutischen Unternehmen zu verhindern und die Rechtssicherheit des Verfahrens zu gewährleisten.

(IV) Vorschlag zur Quantifizierung des Zusatznutzens

Bei Bewertung der Effektstärke soll nach den diskutierten Vorschlägen den besonderen Umständen des Anwendungsgebietes Rechnung getragen werden. Die Effekte seien ferner im Kontext des verfügbaren Therapiestandards oder natürlichem Krankheitsverlauf zu betrachten. Der **Zusatznutzen** sei jedoch nicht über starre rechnerische Regeln, sondern durch eine **wertbasierte Gesamteinschätzung** zu quantifizieren.

Position der Patientenvertretung / BAG SELBSTHILFE

Wir freuen uns, dass unser Vorschlag aufgegriffen wurde. Zur Konkretisierung des Zusatznutzens eine neue Zusatznutzenkategorie wie einen „vorläufigen Zusatznutzen“ („*conditional benefit*“) auszusprechen, erachtet die Patientenvertretung als sinnvoll. In diesem Rahmen können perspektivisch den pharmazeutischen Unternehmen verschiedene Bedingungen zur realistischen weiteren Datengenerierung bis Evidenz höheren Grades erreicht ist oder reifere Daten vorhanden sind, für die Re-Bewertung mitgegeben werden. Allerdings müssen randomisierte, kontrolliert Studien der Goldstandard bleiben.

(V) Vorschläge zur erneuten Bewertung des Zusatznutzens

Nach den aktuell diskutierten Vorschlägen ist nach **drei bis vier Jahren** eine **Re-Evaluation der Nutzenbewertung** vorgesehen, in die insbesondere weitere Studiendaten, Versorgungsdaten aus dem FDZ, die Einschätzungen von Patient:innen und die klinische Einordnung durch medizinische Fachkreise einfließen sollen.

Position der Patientenvertretung / BAG SELBSTHILFE

Der volle Nutznachweis im Rahmen der frühen Nutzenbewertung muss weiterhin der Regelfall sein. Zweistufige Verfahren sind aufwändig und sollten den oben angesprochenen besonderen Situationen einer erschwerten studienbasierten Datenerhebung vorbehalten bleiben.

In diesen Fällen ist auch aus Sicht der Patientenvertretung eine erneute Bewertung des Nutzens nach einigen Jahren sinnvoll, wenn tatsächlich ausreichend und hinreichend reife Daten vorliegen. Die konkrete Zeitspanne könnte vom jeweiligen Anwendungsgebiet abhängen.

Auch hier braucht es klare Kriterien. Veränderungen müssen messbar sein und die Bewertung von Effekten auch über die Zeit nachvollziehbar erfolgen.

Die Re-Evaluation sollte aus Sicht der Patientenvertretung insbesondere unter Berücksichtigung weiterer Studiendaten, indikationsbezogenen Registern, Versorgungsdaten aus dem FDZ und der Einschätzungen von Patient:innen erfolgen. Der Bezug zu praktischen Daten könnte auch eine Perspektive darstellen, um mit

dynamischen Anwendungsgebieten umzugehen, in denen sich die Therapielandschaft häufig ändert. Schließlich stellt eine neue Therapielandschaft mit der konsequenterweise (deutlich) abweichenden zVT in der Praxis eine zentrale Hürde bei der erneuten Bewertung dar.

Analog zur AbD sollte es eine gesonderte Anhörung der Fachkreise zu den evtl. verfügbaren real-world Versorgungsdaten und deren Limitationen geben.

Die Patientenvertretung hebt mit Nachdruck hervor, dass ihr im Rahmen des gesamten Nutzenbewertungsverfahrens ein volles Mitberatungsrecht zusteht und dass sie Teil der Gremien des Gemeinsamen Bundesausschuss ist. Daher ist es irritierend, wenn die Patientenvertretung in den aktuellen Vorschlägen im Rahmen der Re-Bewertung wie ein externer Beteiligter beschrieben und nur mit einem Anhörungsrecht ausgestattet werden soll.

Im Gegenteil: Das Votum der Patientenvertretung sollte im Rahmen des Klärungsprozesses der Re-Bewertung ein besonderes Gewicht erhalten, um die tatsächliche Patient:innenrelevanz der herangezogenen Daten aus Patient:innenperspektive zu kontextualisieren.

Die Patientenvertretung weist darauf hin, dass es mit dem Bundesministerium für Gesundheit bereits Gespräche darüber gibt, auch Patientenorganisationen die Auswertung von FDZ-Daten zu ermöglichen. Das FDZ ist in diese Gespräche eingebunden.

Es wird für alle Beteiligten Erfahrungen mit FDZ-Daten brauchen, auch um deren Nutzbarkeit einschätzen und ggf. die Methodik der Nutzenbewertung anpassen zu können.

Insbesondere beim Wegfall der AbDs begreift die Patientenvertretung diese Datenquelle als neue Chance für einen Erkenntnisgewinn. Auch hier wäre eine Evaluation nach einiger Zeit hilfreich, um den Mehrwert konkret einschätzen zu können. Allerdings sollten auch indikationsbezogene Register von Anfang an als mögliche Datenquelle Berücksichtigung finden. Es muss auch eine Möglichkeit gefunden werden, Patient Reported Outcomes über Patient Data Monitoring sichtbar zu machen.