Stellungnahme
des GKV-Spitzenverbandes vom 18.09.2026

zum Regelungsentwurf des Bundesministeriums für Gesundheit für eine Änderung des AMNOG („AMNOG 2.0“)

GKV-Spitzenverband
Reinhardtstraße 28
10117 Berlin
Telefon 030 206288-0
politik@gkv-spitzenverband.de
www.gkv-spitzenverband.de

Beabsichtigte Neuregelung

Das Bundesministerium für Gesundheit stellte im Rahmen der 4. Sitzung der AG 3 des Pharma- und Medizintechnikdialogs Vorschläge zur Änderung der frühen Nutzenbewertung unter dem Titel AMNOG 2.0 vor.

Vorgesehen ist, für bestimmte Arzneimittel mit besonderem regulatorischem Status (insbesondere PRIME, Accelerated Assessment, Conditional Marketing Authorisation oder Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen) regelmäßig einen positiv quantifizierten Zusatznutzen festzustellen, auch wenn die Evidenzbasis mit erhöhten Unsicherheiten verbunden ist. Als Grund wird die Annahme genannt, solche Arzneimittel erfüllten einen besonders großen medizinischen Bedarf und würden aktuell nicht ausreichend gewürdigt.

Hierfür sollen die im Zulassungsverfahren herangezogenen Endpunkte grundsätzlich als „vorläufig patientenrelevant“ berücksichtigt werden. Zudem sollen für diese Arzneimittel regelmäßige erneute Nutzenbewertungen erfolgen, die perspektivisch auf Daten des Forschungsdatenzentrums gestützt werden sollen.

Das aktuelle gesetzliche Zusatznutzenprivileg für Orphan Medicinal Products (Orphan Drugs) soll neben den Neuregelungen bestehen bleiben.

Stellungnahme

Bereits die Notwendigkeit der vorgeschlagenen Neuregelung ist nicht ersichtlich. Deutschland nimmt im europäischen Vergleich eine weitgehend einzigartige Sonderstellung ein. Neu zugelassene Arzneimittel stehen Patientinnen und Patienten regelmäßig unmittelbar nach Markteintritt zur Verfügung und sind grundsätzlich zulasten der gesetzlichen Krankenversicherung erstattungsfähig. Bis heute haben auch nur äußerst wenige Arzneimittel nach der Nutzenbewertung oder Preisfindung den Markt wieder verlassen. Das bisherige Preisniveau scheint folglich für die Hersteller insgesamt auskömmlich zu sein. Anders als in vielen anderen europäischen Gesundheitssystemen entscheidet die Nutzenbewertung damit nicht über den Zugang zu einer Therapie, sondern über die Bewertung ihres patientenrelevanten Zusatznutzens und die anschließende Preisfindung.

Vor diesem Hintergrund ist fraglich, welches konkrete Versorgungsproblem durch AMNOG 2.0 behoben werden soll. Patientinnen und Patienten erhalten bereits heute Zugang zu Arzneimitteln, deren Evidenzbasis aufgrund beschleunigter oder besonderer Zulassungsverfahren noch Unsicherheiten aufweist. Die Nutzenbewertung macht diese Unsicherheiten transparent und berücksichtigt sie bei der Einordnung des Zusatznutzens. Dass dabei für einzelne Arzneimittel kein oder kein quantifizierbarer Zusatznutzen festgestellt wird, bedeutet nicht, dass das Arzneimittel nicht verfügbar wäre oder nicht verordnet werden könnte.

Die vorgeschlagenen Änderungen würden daher nicht den Zugang zu innovativen Arzneimitteln verbessern, sondern vor allem die Bewertung und Preisbildung verändern. Sie hätten zur Folge, dass auch bei nach den etablierten methodischen Standards unzureichender Evidenz ein positiver Zusatznutzen festgestellt werden müsste. Damit würde die Funktion der Nutzenbewertung von

der möglichst objektiven Bewertung der vorliegenden Evidenz teilweise hin zu einer regulatorisch vorgegebenen Anerkennung eines Zusatznutzens verschoben. Ob ein solcher Systemwechsel erforderlich oder sachgerecht ist, wird bislang nicht überzeugend begründet.

Die vorgeschlagenen Regelungen zu „AMNOG 2.0“ sollten daher in der vorliegenden Form nicht umgesetzt werden. Sie sind methodisch problematisch, erzeugen zusätzliche Rechts- und Planungsunsicherheit für die pharmazeutischen Unternehmen und können erhebliche finanzielle Folgen für die gesetzliche Krankenversicherung (GKV) nach sich ziehen.

Finanzielle Auswirkungen

Die vorgeschlagenen Kriterien erfassen keineswegs nur wenige Ausnahmefälle. Tatsächlich würde für einen erheblichen Anteil neu zugelassener Arzneimittel eine Privilegierung gelten (s. Addendum). Es ist sogar eine Regel-Ausnahme-Umkehr in Bezug auf die reguläre und privilegierte Nutzenbewertung zu erwarten. Damit müsste für deutlich mehr Arzneimittel ein Zusatznutzen festgestellt werden als nach den bisherigen Bewertungsmaßstäben.

Da der festgestellte Zusatznutzen die Grundlage der Erstattungsbetragsverhandlungen bildet, wären hierdurch höhere Erstattungsbeträge zu erwarten (s. Addendum). Neben der direkten Ausgabensteigerung würde auch die Preisbildung in späteren Verfahren beeinflusst. Eine solche kostensteigernde Regelung steht im Widerspruch zu aktuellen Bemühungen, die Finanzlage der GKV zu stabilisieren. Ein Preis- und Ausgabenanstieg bei neuen Arzneimitteln ist allerdings bereits durch die jüngste Streichung der „Leitplanken“ sowie des Kombiabschlages vorgezeichnet. AMNOG 2.0 läuft zudem dem ursprünglichen Ziel einer nutzenbasierten Preisfindung zuwider. Anstatt die Preisspreizung entsprechend dem nachgewiesenen Zusatznutzen zu stärken, also hohe Erstattungsbeträge für Arzneimittel mit hohem Zusatznutzen und deutlich niedrigere Preise bei geringem oder fehlendem Zusatznutzen zu ermöglichen, wird die Verknüpfung zwischen Nutzenbewertung und Preisbildung weiter geschwächt. Damit wird die innere Logik des AMNOG zunehmend in Frage gestellt.

Die vorgeschlagene Regelung ist insbesondere nicht zu vertreten, wenn nicht gleichzeitig Unsicherheitsabschläge oder ein Interimspreis auf der Höhe einer allgemein anerkannten Vergleichstherapie vorgesehen werden. Ein solcher Interimspreis sollte sich dabei mit der Evidenz entwickeln und nicht von Beginn an Unsicherheiten finanziell auf die Solidargemeinschaft verlagern. Vertragliche Vereinbarungen wie Pay for Performance haben sich national wie international durch hohe Transaktionsaufwände als schwer umzusetzen erwiesen. Es fehlen insbesondere geeignete Datengrundlagen für die Erstattungsbetragsverhandlungen und systemisch-rechtliche Rahmenbedingungen (u.a. MRSA, Informationsweitergabe an Abrechnungssysteme/Leistungserbringer). Ergebnisorientierte Verträge stellen daher nur eine Lösung im Einzelfall dar.

Bürokratie- und Regelungsaufwand

Die vorgesehenen Privilegierungstatbestände überschneiden sich erheblich (s. Addendum). Gleichzeitig können sie im Lebenszyklus eines Arzneimittels wegfallen oder sich verändern, etwa

durch die Umwandlung einer bedingten in eine reguläre Zulassung oder durch den Verlust oder Aufgabe des Orphan-Status.

Die Neuregelung würde daher umfangreiche zusätzliche Vorgaben erfordern, um die Priorität unterschiedlicher Privilegierungstatbestände, deren Wechselwirkungen sowie den Umgang mit Statusänderungen und Folgebewertungen zu regeln. Das ohnehin durch Detailregelungen geprägte AMNOG-Verfahren würde dadurch noch komplexer und bürokratischer.

Ungleichbehandlung vergleichbarer Arzneimittel

Die vorgeschlagenen Aufgreifkriterien beruhen auf regulatorischen Entscheidungen der Zulassungsbehörden. Ob ein Arzneimittel beispielsweise eine bedingte oder reguläre Zulassung erhält, ist für Unternehmen jedoch nur begrenzt vorhersehbar und hängt häufig von Umständen ab, die sich im Verlauf der Entwicklung verändern.

Dadurch besteht die Gefahr, dass therapeutisch vergleichbare oder unmittelbar miteinander konkurrierende Arzneimittel allein aufgrund unterschiedlicher regulatorischer Einstufungen unterschiedlich bewertet werden. Dies würde nicht nur die Nutzenbewertung, sondern auch die Erstattungsbetragsverhandlungen erheblich erschweren.

Methodische und systematische Probleme

Die frühe Nutzenbewertung verfolgt einen anderen Zweck als das Zulassungsverfahren oder medizinische Leitlinien. Während die Zulassung belegt, dass der erwartete Nutzen eines Arzneimittels seine Risiken überwiegt, soll die Nutzenbewertung dessen patientenrelevanten Zusatznutzen im Versorgungskontext bestimmen und dabei evidenzbasiert echte Innovationen erkennen.

Die verpflichtende Berücksichtigung lediglich „vorläufig patientenrelevanter“ Endpunkte würde diese Aufgabenabgrenzung verwischen. Insbesondere bei indirekten Vergleichen oder einarmigen Studien würden Zusatznutzenbewertungen zunehmend auf Ermessensentscheidungen statt auf methodisch nachvollziehbarer Evidenz beruhen. Dies würde die Vorhersehbarkeit der Verfahren für alle Beteiligten deutlich reduzieren.

Zudem stellt die vorgesehene Regelung einen grundlegenden Systembruch dar. Die Nutzenbewertung dient gerade dazu, bestehende Evidenzunsicherheiten sichtbar zu machen und ihre Bedeutung für die Versorgung und Preisbildung zu bewerten. Das Fehlen belastbarer Evidenz wird nicht dadurch behoben, dass ein Zusatznutzen dennoch festgestellt werden muss. Ärztinnen und Ärzte sowie Patientinnen und Patienten benötigen Transparenz über die Aussagekraft der vorhandenen Daten, nicht eine Wiederholung der Zulassungsentscheidung unter dem Deckmantel eines Zusatznutzens. Nur die Transparenz auch dazu, welche Belege noch fehlen, ermöglicht evidenzbasierte Empfehlungen in Leitlinien und im Einzelfall eine informierte Therapieentscheidung.

Darüber hinaus ist derzeit nicht erkennbar, dass die vorgesehenen Re-Evaluationen allein auf Basis von Daten des Forschungsdatenzentrums (FDZ) die bestehenden Evidenzunsicherheiten

auflösen könnten. Abrechnungsdaten sind bislang nur eingeschränkt geeignet, die Ergebnisse randomisierter Studien zu ersetzen oder verlässlich zu bestätigen. Dies bestätigen auch internationale Erfahrungen aus Versuchen, RCT in Versorgungsdaten zu replizieren oder deren Ergebnisse vorherzusagen. Damit bleibt unklar, wie eine zunächst privilegierte Bewertung später in eine reguläre Evidenzbewertung überführt und wie im Rahmen einer erneuten Bewertung ein Zusatznutzen bestätigt oder falsifiziert werden soll. Eine dauerhafte Privilegierung wäre jedoch mit dem Charakter eines zeitlich befristeten Vertrauensvorschusses nicht vereinbar.

Änderungsvorschlag

Auf die Einführung von AMNOG 2.0 sollte verzichtet werden.

Stattdessen sollten bestehende Probleme des Systems adressiert werden, insbesondere Bürokratieaufwand und mangelnde Planungssicherheit. Dazu gehören:

- frühere und verbindlichere Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie;
- Verzicht auf Nutzenbewertungen mit geringem zusätzlichem Erkenntnisgewinn, etwa bei bestimmten Diagnostika oder pädiatrischen Indikationserweiterungen;
- Reform der Orphan-Drug-Regelungen zur Vermeidung von Doppelbewertungen;
- Re-Bewertungen primär bei tatsächlich veränderter Evidenzlage;
- erneute Einräumung eines Initiativrechts des G-BA für solche Re-Bewertungen.

Vorschläge dafür hatte der GKV-Spitzenverband im Rahmen der AG 3 bereits vorgestellt.

Die Wirkung dieser Maßnahmen sollte zunächst evaluiert werden, bevor weitreichende Eingriffe in die Grundprinzipien der frühen Nutzenbewertung vorgenommen werden.

Sollte gleichwohl eine besondere Berücksichtigung von Arzneimitteln mit hohem medizinischem Bedarf politisch gewünscht sein, sollten die Kriterien deutlich enger gefasst werden. Von den diskutierten zulassungsrechtlichen Instrumenten erscheinen allenfalls PRIME und Accelerated Assessment geeignet, Arzneimittel mit besonderem Innovationspotenzial oder erheblichem Beitrag zur Deckung eines ungedeckten medizinischen Bedarfs zu identifizieren. Dabei wäre zu erwägen, ob eine Erprobung im Rahmen einer regulatorischen Sandbox angezeigt wäre. Eine Privilegierung allein aufgrund einer bedingten Zulassung oder eines Orphan-Status erscheint hingegen nicht sachgerecht, da beide Kriterien nicht zwingend auf einen außergewöhnlichen therapeutischen Fortschritt schließen lassen.

Sollte die vorgeschlagene Privilegierung dennoch weitgehend umgesetzt werden, wäre konsequenterweise zu prüfen, ob die Nutzenbewertung künftig auch Grundlage einer Zugangsentscheidung zum Markt werden müsste, wie dies in zahlreichen anderen europäischen Gesundheitssystemen der Fall ist. Es erscheint systematisch schwer vertretbar, einerseits die Anforderungen an die Evidenzbasis für die Preisbildung abzusenken, andererseits aber am uneingeschränkten Marktzugang und an der vollständigen Erstattungsfähigkeit festzuhalten.

Addendum: Hintergrunddaten und Detailaspekte

Finanzielle Auswirkungen

- Jährlich auflaufende Mehrbelastungen von 100 – 280 Mio. € als Erstrundeneffekt
- Zugrundeliegende Annahmen:
    - Basis: Arzneimittel, die über die genannten besonderen Zulassungsverfahren zugelassen wurden.
    - Für davon umfasste Arzneimittel mit nicht belegtem oder nicht quantifiziertem Zusatznutzen wird ein quantifizierter Zusatznutzens festgestellt; damit verbunden ist ein um 20 % höherer Erstattungsbetrag.
    - Begrenzung der Geltung dieses Erstattungsbetrags auf 36 Monate, da nach 3-4 Jahren eine Neubewertung stattfindet.
- Szenarien:
    - Betrachtung nur der Arzneimittel mit maximal nicht quantifizierbarem Zusatznutzen in allen Patientengruppen
    - Betrachtung der Arzneimittel mit nicht belegtem oder nicht quantifizierbarem Zusatznutzen in mindestens einer Patientengruppe

Umfang der betroffenen Arzneimittel

- EMA-Zulassungen 2025:
    - 105 erstmalige Zulassungen insgesamt.
    - 35 neue Wirkstoffe („New Active Substance“ ohne Impfstoffe).
    - 11 erfüllten mindestens ein AMNOG-2.0-Kriterium.
    - Unter Einbeziehung der 14 Orphan Drugs wären (mit Überlappungen) insgesamt rund 20 Wirkstoffe privilegiert gewesen (knapp 60 % des Jahrgangs bezüglich der neuen Wirkstoffe).
- EMA-Zulassungen 2024:
    - 43 neue Wirkstoffe (ohne Impfstoffe).
    - 14 hätten mindestens ein AMNOG-2.0-Kriterium erfüllt.
    - 13 waren Orphan Drugs.
    - Insgesamt wären 19 Wirkstoffe über mindestens ein Kriterium privilegiert gewesen.
- Nach Jahrgängen der Nutzenbewertung:
    - 2023: 26 von 39 Wirkstoffen privilegiert.
    - 2024: 27 von 46 Wirkstoffen privilegiert.
    - 2025: 27 von 38 Wirkstoffen privilegiert.

Überlappungen der Privilegierungstatbestände

- Im Jahr 2025 erfüllten fünf Orphan Drugs zusätzlich mindestens ein AMNOG-2.0-Kriterium.
- Von fünf PRIME-Produkten erhielten:
    - zwei eine bedingte Zulassung,
    - drei eine reguläre Zulassung,
    - davon eines zusätzlich im Accelerated-Assessment-Verfahren.

Statuswechsel im Lebenszyklus

- Conditional Marketing Authorisations werden regelmäßig in reguläre Zulassungen überführt.
- Nach dem 10-Jahres-Bericht der EMA lag die mediane Zeit bis zur Erfüllung der Auflagen bei etwa vier Jahren.
- Auch der Orphan-Status kann im Zeitverlauf verloren gehen, beispielsweise im Rahmen von Zulassungserweiterungen oder aufgrund von wettbewerblichen Erwägungen zu Schutzrechten. Die mit dem Orphan-Status verbundene Privilegierung im AMNOG erlischt mit Überschreiten der gesetzlichen Umsatzschwelle.

FDZ-Daten und Re-Bewertungen

- Die gegenwärtig verfügbaren FDZ-Daten bestehen aus Abrechnungsdaten aller Sektoren und sind derzeit wegen ihrer fehlenden Detailtiefe nicht für belastbare Zusatznutzenbewertungen geeignet. Positiv ist ein sehr langfristiges individuelles Pseudonym, welches sektorübergreifende Analyse gestattet. Therapielinien, Kombinationen von Arzneimitteln, Krankheitsstadien und andere viele weitere wichtige Kriterien des Arzneimitteleinsatzes aus der Zulassung sind hier dennoch nicht erkennbar.
- Internationale Projekte zur Nachbildung randomisierter Studien mittels Real-World-Daten, beispielsweise RCT-Duplicate, werden hinsichtlich Validität und Übertragbarkeit weiterhin kontrovers diskutiert.
- Regelmäßige Re-Bewertungen sind nur dann gerechtfertigt, wenn ein realistischer Erkenntnisgewinn zu erwarten ist. Andernfalls entsteht zusätzlicher Aufwand ohne entsprechenden Nutzen.