Ansätze zur Begegnung der Hochpreisigkeit

Nora Franzen und Wim van Harten

Inhaltsverzeichnis

10.1	Einleitung – 140
10.2	Maßnahmen zur Veränderung geistiger Eigentumsrechte und arzneimittelrechtlicher Schutzrechte – 141
10.2.1	Mögliche Maßnahmen und ihre Evidenz – 141
10.2.2	Systemveränderung aus deutscher Perspektive – 143
10.3	Maßnahmen zur Veränderung in der Preisbildung – 144
10.3.1	Mögliche Maßnahmen und ihre Evidenz – 145
10.3.2	Systemveränderung aus deutscher Perspektive – 147
10.4	Maßnahmen zur Veränderung in der Forschung und Entwicklung – 147
10.4.1	Mögliche Maßnahmen und ihre Evidenz – 148
10.4.2	Systemveränderung aus deutscher Perspektive – 150
10.5	Einordnung der Maßnahmen und Ausblick – 150
	Literatur – 152

■ ■ Zusammenfassung

Dieses Kapitel bietet eine Darstellung und Einordnung innovativer Lösungsvorschläge jenseits inkrementeller Ansätze zur Bezahlbarkeit von hochpreisigen, patentgeschützten Spezialpräparaten. Die Autor:innen diskutieren mögliche Maßnahmen zur Preissenkung durch Veränderung geistiger Eigentumsrechte und arzneimittelrechtlicher Schutzrechte (► Abschn. 10.2), Anpassungen in der Preisbildung (► Abschn. 10.3) sowie Veränderungen im Forschungs- und Entwicklungssektor (► Abschn. 10.4) einschließlich etwaiger Evidenzen in deren Wirksamkeit. Schließlich werden Lösungsvorschläge hinsichtlich ihrer Realisierbarkeit und nötiger struktureller Systemveränderungen aus deutscher Perspektive erörtert.

10.1 Einleitung

Die Entwicklung innovativer Arzneimittel für neuartige Therapien bedeutet einen erheblichen Fortschritt für die Behandlungsoptionen von Patient:innen. In vorhergehenden Kapiteln wurden zahlreiche Beispiele hochpreisiger, patentgeschützter Spezialpräparate besprochen, die transformative Therapien für Patient:innen darstellen, aber langfristig in ihrer zunehmenden Zahl von den Gesundheitssystemen nicht tragbar sind.

Im vergangenen Jahrzehnt konnte der Kostenanstieg unter gemeinsamer Anstrengung der Leistungserbringer und Kostenträger durch Einschränkungen der Anwendungsgebiete, Zentralisierung des Einkaufs und verbesserte Verhandlungsstrategien aufgefangen werden. Mittlerweile zeigen sich aber die Grenzen der Finanzierbarkeit dieses Systems. Ein neuer Konsens im Dialog mit der Industrie ist hier dringend erforderlich. Gesellschaftlich dürfte Zustimmung bestehen, obwohl natürlich nicht trivial in der Umsetzung, dass Arzneimittel mit geringen Zusatznutzen keine Höchstpreise rechtfertigen. Es stellt sich allerdings die Frage, wie mit Arzneimitteln und Thera-

peutika zu verfahren ist, die einen hohen Zusatznutzen aufweisen, jedoch bei vermehrtem Einsatz eine Herausforderung für die finanzielle Nachhaltigkeit von Gesundheitssystemen darstellen.

Ergänzend ist festzuhalten, dass es bei Forderungen nach der Bezahlbarkeit von Arzneimittelpreisen allgemein akzeptiert ist, dass dem pharmazeutischen Unternehmen nicht die wirtschaftliche Grundlage entzogen werden darf. Hierbei ist die duale Funktion von Arzneimittelpreisen im Auge zu behalten. Preise müssen zum einen die Kosten für bestehende Therapeutika abdecken, um die derzeitige Patientenversorgung sicherstellen. Zum anderen müssen sie aber auch Unternehmen eine angemessene Rendite für risikoreiche Investitionen in Forschung und Entwicklung (F & E) neuer Therapeutika für die Behandlung zukünftiger Patient:innen bieten.

Die hohe Relevanz einer nachhaltigen Preisbildung zeigt sich auch in der 2020 durch die Europäische Kommission veröffentlichten Arzneimittelstrategie für Europa. Obwohl die Gesundheitsversorgung in der nationalen Kompetenz der Mitgliedsstaaten liegt, erkennt die Europäische Kommission hiermit die Bedeutung eines starken pharmazeutischen Ökosystems für den sozialen Schutz und den Zusammenhalt in Europa an (Europäische Kommission 2020). Dabei stellt die Kompetenzverteilung zwischen Mitgliedsstaaten und Europäischer Kommission nach Art. 168 Abs. 7, Vertrag über die Arbeitsweise der Europäischen Union (AEUV), den Rahmen für regulative Anpassungen dar.

Lösungen zur Finanzierbarkeit von Arzneimitteln werden in Zusammenarbeit aller Akteure aufzubauen sein. Deshalb sind im Sinne der Realisierbarkeit Maßnahmen mit einer geringen erforderlichen Systemveränderung zu bevorzugen. Hierbei ist zu beachten, dass die Hochpreisigkeit bei Arzneimitteln ein Symptom des strukturellen Wandels des Arzneimittelmarktes im Zuge der individualisierten Medizin bei bestehenden Fehlanreizen ist und somit auch strukturelle Reformen erforderlich sind. In unserem Forschungsprojekt widmen

wir uns aus vorgenannten Gründen innovativen Maßnahmen jenseits inkrementeller Anpassungen mit einem besonderen Fokus auf ein evidenzbasiertes Vorgehen. Dieses Kapitel basiert in weiten Zügen auf den Ergebnissen einer systematischen Literaturanalyse von 4.775 Artikeln, veröffentlicht in JAMA Oncology, in der wir eine Einordnung von Lösungsansätzen zur Reduktion von Arzneimittelpreisen beim Markteintritt vorgestellt haben (Franzen et al. 2020). Auf Grundlage von 80 inkludierten Artikeln wurden Maßnahmen bezüglich der verfügbaren quantitativen Evidenz und des Ausmaßes nötiger Veränderungen bewertet. Im Folgenden beschreiben wir Mechanismen und Maßnahmen zur Preisreduktion durch Veränderungen in der Patentsituation, in der Preisbildung und in der Forschung und Entwicklung und ordnen diese unter Berücksichtigung der *Umsetzbarkeit aus deutscher Perspektive* ein. Letzteres kann und darf nur als erster Start einer Diskussion gesehen werden und unterliegt natürlich dem zeitlichen Wandel in Politik und Gesellschaft.

10.2 Maßnahmen zur Veränderung geistiger Eigentumsrechte und arzneimittelrechtlicher Schutzrechte

Dem Marktschutz von Arzneimitteln und dem Wettbewerbsrecht wird bei Diskussionen zur Reform des pharmazeutischen Marktes besondere Aufmerksamkeit gewidmet. In Abwesenheit von wirkstoffgleichen Präparaten belohnen Patente und erweiterte Schutzrechte (Unterlagenschutz und Vermarktungsschutz) vor allem Innovatoren neuartiger Wirkstoffe mit einem zeitlich befristeten und begrenzten Nutzungsmonopol. Der mediane Marktschutz beträgt unter Berücksichtigung des 20-jährigen Patentschutzes, von Marktschutzverlängerungsstrategien und der erheblichen Forschungs- und Entwicklungszeit 14,5 Jahre für innovative Arzneimittel einer neuen Sub-

stanzklasse (Wang et al. 2015). Patente haben allerdings keinen Eigenwert, sondern sind Instrumente mit Innovations- und Informationsfunktion. Neben Anreizen für F & E führen sie durch die erforderliche Bekanntmachung der Erfindung zu einer Wissensdiffusion in der Gesellschaft, da der Patentantrag eine zumindest teilweise Offenlegung der Innovation erfordert. Trotz dieser Funktionen sind auch Kosten mit Patenten verbunden. So ist der Marktschutz ursächlich für die Hochpreisigkeit von Arzneimitteln, da Monopolisten oder Oligopolisten ohne Konkurrenz und im Sinne der Gewinnmaximierung deutlich höhere Preise verlangen als erforderlich. Dies wird deutlich in der Preisreduktion beim Markteintritt von Generika oder in geringerem Maße auch von Biosimilars. Die monopolistischen Preise können zu Wohlfahrts- und Effizienzverlusten führen, da sie eine Barriere für den Zugang zu Arzneimitteln sind und eine Abwägung zwischen Innovationsanreizen und der Patientenversorgung entsteht. Interessanterweise fließt der verbleibende Marktschutz eines Arzneimittels, zumindest formell, kaum in die Preisbildung und -verhandlung ein. Diese ist allerdings ausschlaggebend für eine Berechnung des zu erwartenden Umsatzes und somit indirekt für den Anreiz, in Forschung zu investieren.

10.2.1 Mögliche Maßnahmen und ihre Evidenz

Maßnahmen zur Veränderung geistiger Eigentumsrechte und arzneimittelrechtlicher Schutzrechte nutzen Mechanismen des Wettbewerbes, der Entkoppelung des Innovations- und Produktionsprozesses und der Besteuerung, um Arzneimittelpreise zu senken (■ Tab. 10.1).

Eine erste Gruppe von Maßnahmen versucht, monopolistische und oligopolistische Situationen früher aufzuheben. Neben dem Patentschutz gibt es eine Reihe von Regulierungen, die eine verlängerte Marktexklusiv-

Tab. 10.1 Übersicht der Maßnahmen zur Preissenkung durch Veränderung geistiger Eigentumsrechte und arzneimittelrechtlicher Schutzrechte

Mechanismen	Maßnahmen	Erforderliche Systemveränderung
Verbesserung des Wettbewerbes und früher Markteintritt von Generika und Biosimilars	Einschränkung der ergänzenden Schutzzertifikate und des Unterlagenschutzes	Niedrig
	Verhinderung von Evergreening und Pay-for-delay-Strategien	Niedrig
	Zwangslizenzen	Niedrig
	Verkürzung des Marktschutzes in Abhängigkeit von Faktoren der Innovation, Effektivität und Profitabilität	Niedrig
<i>De-linkage</i> : Entkopplung des Innovations- und Produktionsprozesses	Innovationsfond und einmalige Innovationsprämien	Hoch
	Gesetzlich bindende Lizenzierung/Lizenzgebühren	Hoch
	Patentauktionen und -aufkäufe	Hoch
Preiskontrollen	Steuer für geistiges Eigentum mit einer progressiven Rate	Mittel

Arzneimittel-Kompass 2021

vität zur Folge haben. Durch Aufhebungen und Einschränkungen in diesem Bereich wird der Markteintritt von Generika und Biosimilars vorgezogen. Arzneimittelpreise können dann durch wettbewerbsbedingte Marktdynamiken sinken. Beispiele hierzu sind Einschränkungen bei den ergänzenden Schutzzertifikaten (*Supplementary Protection Certificates, SPC*), des Unterlagenschutzes im Rahmen klinischer Studien (*Data Exclusivity*), bei schutzverlängernden Patentstrategien durch Indikationsausweitungen (*Evergreening*) sowie Absprachen bei Patentstreitigkeiten (*Pay-for-delay agreements*). Auch Zwangslizenzen (*Compulsory licenses*) haben, obwohl als starker Markteingriff umstritten, schon heute eine rechtliche Grundlage und können im Falle berechtigten öffentlichen Interesses angewendet werden. So haben Südafrika und Indien im Zuge einer schnellen globalen Verfügbarkeit des SARS-CoV-2-Impfstoffes eine Ausnahmege-nehmigung zum Abkommen über den Schutz geistigen Eigentums (*Trade-Related Aspects of Intellectual Property Rights*) der Welt-handelsorganisation beantragt. In Deutschland

zeigte man sich weitgehend überrascht, dass Joe Biden, Präsident der Vereinigten Staaten, diesen Antrag öffentlich unterstützte, um Produktionskapazitäten möglichst schnell auszu-bauen. So fand hierzulande der frühe Antrag der Fraktion Die Linke (Deutscher Bundes-tag Ausschuss für Gesundheit 2021), im Sinne des Infektionsschutzes Hersteller von Impf-stoffen zu veranlassen, Lizenzen zu erteilen um Produktionskapazitäten auszubauen, we-nig Beachtung. Obwohl Zwangslizenzen kei-ne weitgehenden strukturellen Veränderungen benötigen, sind sie jedoch wegen ihrer politi-schen Brisanz zu diesem Zeitpunkt im deut-schen Kontext zur Begegnung der Hochpreis-igkeit nur als Ausnahme und eventuell als Verhandlungsinstrument zu betrachten.

Ein grundlegender Ansatz für eine Reform des Arzneimittelmarktes ist in dem Vorschlag der Entkopplung von Forschungs- und Pro-duktionssystem zu sehen. Das Konzept der *De-linkage*-Vorschläge sieht vor, Innova-tionen durch Instrumente wie einmalige Prä-mien, Auktionen oder durch gesetzlich verpflich-tende Lizenzgebühren angemessen zu belohnen.

Die darauffolgende Produktion ist dann, vergleichbar mit dem Generikamarkt, unter vereinfachten Bedingungen zuzulassen. De-linkage-Vorschläge, obwohl bis dato in Deutschland lediglich im Rahmen der Antibiotika-Forschungsplattform GARDP diskutiert, bestehen schon seit mehreren Jahrzehnten. So sprach sich beispielsweise der Nobelpreisträger Joseph Stiglitz schon 2007 für einen Innovationsfond aus (Stiglitz 2007). Bernie Sanders legte 2004 dem Kongress der Vereinigten Staaten einen Gesetzentwurf vor und erneuerte dieses Vorhaben 2019 mit einem Vorschlag zur Durchführung einer Machbarkeitsstudie (S. 1801: Affordable Medications Act, 116er Kongress). Ohne Pilotprojekte sind die Effekte einer solchen Veränderung schwer vorherzusagen. Verschiedene Modellierungen zeigen potenziell positive Wohlfahrtseffekte auf (Antoñanzas et al. 2014; Grinols und Lin 2011; Grinols und Henderson 2007; Shavell und van Ypersele 2001) und diskutieren die Möglichkeit eines Hybridsystems in dem De-linkage-Ansätze das aktuelle Patentsystem komplementieren (Shavell und van Ypersele 2001). Ein weiterer Vorschlag ist eine geringfügige progressive Steuerrate auf internationales Eigentum, deren Erträge dann insbesondere für die Arzneimittelentwicklung für Erkrankungen in einkommensschwachen Regionen eingesetzt werden könnten (Kuhn und Beall 2012).

10.2.2 Systemveränderung aus deutscher Perspektive

Bei einer erforderlichen Systemveränderung ist zwischen Vorschlägen zur Verkürzung des Marktschutzes und den De-linkage-Ansätzen zu unterscheiden. Durch Maßnahmen zur Einschränkung des Marktschutzes sollen Preise durch eine Stärkung des Wettbewerbs auch ohne eine strukturelle Reform des Arzneimittelmarktes und mit geringen Systemveränderungen gesenkt werden. Der Unterlagenschutz ist auf EU-Ebene geregelt; so gilt für zen-

tral zugelassene Arzneimittel nach Verordnung Nr. 726/2004 Art. 14 Abs. 11 ein arzneimittelrechtlicher Datenschutz von 8 Jahren und ein Vermarktungsschutz von 10 Jahren, mit der Möglichkeit zur Verlängerung auf 11 Jahre bei einer Erweiterung des Anwendungsgebietes. Die Durchführbarkeit, aber auch der benötigte Aufwand des politischen Prozesses, zeigt sich in der 2019 auf EU-Ebene erfolgten Anpassung der ergänzenden Schutzzertifikate mit der Intention, eine Arzneimittelherstellung in der EU schon vor Ablauf des Unterlagenschutzes zu ermöglichen. Anpassungen sind daher strukturell als wenig aufwändig, aber dennoch politisch nicht leicht durchsetzbar anzusehen.

Der benötigte Bedarf an Systemveränderungen für eine flächendeckende Anpassung des Patentsystems durch De-linkage-Maßnahmen ist als hoch zu bewerten. Das Patentrecht, obwohl Patente grundsätzlich national verliehen werden, ist Teil eines komplexen globalen Gefüges und eng verflochten mit internationalen Handelsstrategien. Zudem ist die Finanzierung durch das Grundprinzip der Vergütung für eine Bereitstellung von Leistungen in der gesetzlichen Krankenversicherung schwieriger realisierbar als in steuerfinanzierten Modellen. Der Bundeszuschuss, der neben dem paritätischen Anteil von Arbeitnehmenden und Arbeitgebenden schon jetzt aus Steuermitteln zur Finanzierung der Gesundheitsfonds beiträgt, könnte hier eventuell langfristige Möglichkeiten für alternative Modelle bieten. Ein Hybridsystem, das für verschiedene Bereiche alternative Anreize für Forschung und Entwicklung setzt und neben dem Patentsystem besteht, ist in jedem Szenario als realistischer anzusehen.

Im Bereich der Antibiotikaentwicklung sind bestehende Vorstöße in den USA und im Vereinigten Königreich mit Interesse zu beobachten und werden auch in Deutschland diskutiert. Ein fortgeschrittener Entwurf eines De-linkage-Modelles ist der des „Health Impact Fund“. Dieser soll durch öffentliche sowie private Gelder finanzierte, wertebasierte Prämien für Arzneimittel vergeben und diese dann

ohne Patentschutz dem Markt zugänglich machen (siehe ► <https://www.healthimpactfund.org/>). Der Medicines Patent Pool, bislang ausschließlich für Niedriglohnländer bestehend (siehe ► <https://medicinespatentpool.org/>), ist ein Beispiel für eine schon realisierte Einrichtung eines Patentpools für die einfache und kostengünstige Handhabung von Lizenzverträgen. Eine interessante Entwicklung ist auch der im Februar 2021 von der EU-Kommission vorgestellte „HERA incubator“ (European Health Emergency Preparedness and Response Authority) zur Unterstützung öffentlich-privater Partnerschaften zur Forschung und zum Datenaustausch. Je nach Ausrichtung könnte dieser teilweise alternative Lizenzierungsinstrumente in Anspruch nehmen.

10.3 Maßnahmen zur Veränderung in der Preisbildung

Seit Inkrafttreten des Arzneimittelmarktneuordnungsgesetzes (AMNOG) vergleicht der Gemeinsame Bundesausschuss neu zugelassene patentgeschützte Arzneimittel mit der bisherigen Standardtherapie im Rahmen einer frühen Nutzenbewertung. Während dieses Prozesses besteht ein Jahr der freien Preisbildung, das von Krankenkassen und pharmazeutischen Unternehmen genutzt wird, um Preise für Arzneimittel mit nachgewiesenem Zusatznutzen zu verhandeln, die nach Ablauf des ersten Jahres im Markt gelten. Dieses Jahr der freien Preisbildung ist einzigartig im Europäischen Kontext und führt zu einem schnellen Zugang zu Arzneimitteln für deutsche Patienten. Eine weitere Konsequenz sind allerdings hohe Ausgaben, die zu Forderungen geführt haben, Erstattungspreise rückwirkend zum Markteintritt anzuwenden und einen Interimspreis festzulegen (AOK-Bundesverband 2020). Aus ökonomischer Sicht ist hinzuzufügen, dass Ankerpreise in Verhandlungen eine große Rolle spielen, da sie dazu dienen, Produkte preislich

einzuordnen und so psychologisch Einfluss darauf nehmen, was als fairer Preis empfunden wird. Hoch angesetzte Listenpreise und Preise im ersten Jahr bieten also eine Grundlage für die erzielten Erstattungspreise und Rabattverträge. Sie haben im internationalen System der Preisbildung durch externe Referenzpreise auch weitreichende Auswirkungen auf andere europäische Länder.

Insgesamt sind die Verhandlungspositionen der Kostenträger und des pharmazeutischen Unternehmens wie bei allen Verhandlungen entscheidend für den Ausgang, in diesem Falle den vereinbarten Arzneimittelpreis. Dabei sind die Ausgangspositionen sehr unterschiedlich. Bei global agierenden Großunternehmen muss das primäre Ziel der Unternehmensführung eine Erhöhung des Gewinns sein, um eine Steigerung des Aktienkurses zu erzielen. Weitere Interessen und Langzeitziele können nur dann berücksichtigt werden, wenn positive Effekte auf den Unternehmenserfolg zu erwarten sind. Dabei wird in der Ökonomie beschrieben, dass Unternehmen in monopolistischen und oligopolistischen Strukturen eine dominante Position in den Verhandlungen haben (Shepherd 1983). Die Krankenkassen auf der anderen Seite haben laut SGB V als Teil der Solidargemeinschaft den Auftrag, für den Gesundheitszustand der Versicherten zu sorgen. Sie stehen vor der Aufgabe, Abwägungen zwischen der Finanzierbarkeit des Gesundheitssystems, der aktuellen Patient:innenversorgung und einer Sicherung von zukünftigen Innovationen vorzunehmen. Ein Versagen des Gesundheitsmarktes durch monopolistische und oligopolistische Strukturen sowie eine preisunelastische Nachfrage von patentgeschützten Arzneimitteln und Informationsungleichgewichte schwächen zudem weiter ihre Verhandlungsposition. Zusätzlich ist die der Preisbildung zugrundeliegende Logik auf Seiten der Kostenträger entscheidend. Berücksichtigte Faktoren und Erstattungsmodelle haben eine direkte Auswirkung auf die Nachfragekurve und somit auf die Preise der Arzneimittel.

10.3.1 Mögliche Maßnahmen und ihre Evidenz

Maßnahmen zur Veränderung in der Preisbildung nutzen Mechanismen zur *Senkung von Durchschnittspreisen* durch *alternative Erstattungsmodelle*, *Preiskontrollen* sowie einen *verbesserten Informationsfluss* (■ Tab. 10.2).

Alternative Erstattungsmodelle haben das Ziel, die Logik zu verändern, die der Preisbildung zugrunde liegt, um Systemressourcen besser zu verteilen und Einsparungen zu erlangen. Preisdiskriminierung beschreibt dabei die Strategie, differenzierte Preise für das gleiche Produkt zu verlangen. Das Ziel ist es hierbei, die maximale Zahlungsbereitschaft der Kaufenden abzuschöpfen. Gleichzeitig ermöglicht eine Differenzierung der Preise auch Rabatte und schafft die Grundlage für Preise, die die Zahlungsbereitschaft und Kaufkraft einzelner Länder widerspiegeln. Demgegenüber würde ein uniformer Preis stehen. Eine Gruppe an Maßnahmen, die aus deutscher Perspektive aber als nachrangig zu betrachten ist, verfolgt das Ziel, durch Preisdiskriminierung Durchschnittspreise zu senken, indem Rabatte für gewisse Subpopulationen oder Indikationen mit

geringeren Zusatznutzen vereinbart werden. Ähnlich ist das Vorgehen beim *Value-based pricing*, bei dem die Preisbildung auf Grundlage einer Kosten-Nutzen-Bewertung erfolgt. Diese Erstattungslogik wird von internationalen Expert:innen häufig als Modell für Preissenkungen gesehen (Franzen et al. 2021), kann aber nur Effekte haben, wenn Preise für Produkte mit geringem Zusatznutzen verringert und dadurch Durchschnittspreise gesenkt werden. Obwohl diese Vorgehensweise im Markt etabliert ist, wird der Vorschlag der Risikoteilung im Zusammenhang mit *Pay-for-Performance* bislang nur vereinzelt eingesetzt. Bei Pay-for-Performance-Verträgen erfolgt eine Vergütung in Abhängigkeit des individuellen therapeutischen Erfolges und wird mit Umsatzobergrenzen oder Rückerstattungen verknüpft. Durch Veränderungen in dem Design klinischer Studien und kleiner werdenden Zielpopulationen in der Präzisionsmedizin ist der therapeutische Nutzen immer schwieriger mit statistischer Signifikanz zu bestimmen. Phase-IV-Studien und die Verwendung von Real World Evidence werden die Bedeutung von Pay-for-Performance-Verträgen erhöhen. Modellierungen haben gezeigt, dass ohne adäquate Rabatte und Risikoteilung der finanzielle

■ Tab. 10.2 Übersicht der Maßnahmen zur Preissenkung durch Veränderung in der Preisbildung

Mechanismen	Maßnahmen	Erforderliche Systemveränderung
Senkung von Durchschnittspreisen durch alternative Erstattungsmodelle	Preisdiskriminierung und indikationsbasierte Preisbildung	Niedrig
	Kosten-Nutzen-Bewertung mit Risikoteilung (value-based-pricing/risk sharing/pay-for-performance)	Niedrig
	Abonnement-Bepreisung („Netflix-Modell“)	Mittel
Preiskontrollen	Profitregulierung	Mittel
	Kosten-basierte Bepreisung	Mittel
Abbau von Informationsasymmetrien	Transparenz der Netto-Preise, F & E-Kosten und des therapeutischen Nutzens	Mittel

Vorteil einer Kosten-Nutzen-Bewertung hauptsächlich beim Hersteller liegt (Levaggi 2014). Dies kann zum einen durch ein besseres Verständnis der Nachfragekurve begründet sein. Zum anderen hat sich in der Praxis gezeigt, dass es schwierig ist, Rückerstattungen zu fordern und Arzneimittel wieder von der Erstattung auszuschließen. Hier stellt sich die Frage, ob die Rabatte im Nachhinein von den Kassen eingefordert werden müssen oder zuerst ein niedriger Preis gezahlt wird und dann bei Nachweis eines hohen Zusatznutzens ein Bonus gewährt wird. *Two-part-Pricing*, im Zuge der Hepatitis-C-Behandlung als Netflix-Modell beschrieben (Trusheim et al. 2018), ist ein Abonnementmodell, bei dem eine relativ hohe Markteintrittsgebühr und eine relativ niedrige nutzungsabhängige Abgabe pro Anwendung besteht. Auch hier können, je nach vertraglicher Ausgestaltung, Durchschnittspreise sinken und Verschreibungseinschränkungen vermieden werden.

Eine andere Gruppe von Maßnahmen strebt an, Preise durch Preiskontrollen zu senken. Hierbei werden durch eine kostenbasierte Preisgestaltung Preise auf Grundlage der Entwicklungskosten festgelegt, Unternehmensprofite direkt reguliert (Vereinigtes Königreich und Italien) oder durch eine Umsatzsteuer Einsparungen gelenkt (Japan).

Zwei konkrete Beispiele von Modellen, die verschiedene Elemente der soeben beschriebenen Instrumente miteinander verbinden um die Preissetzung von Arzneimitteln strukturell zu verändern, Preise zu senken und Systemressourcen besser zu verteilen, wurden von der Erasmus Universität in Rotterdam und vom Internationalen Verband der Krankenkassenverbände und Krankenversicherungen im Modus von „Gegenseitigkeit“ (AIM) beschrieben. Beide Modelle schlagen ähnliche Algorithmen vor, um Preise fair zu berechnen. Diese setzen sich zusammen aus einer Pauschale für Entwicklungskosten anteilig zu dem erwarteten Patientenvolumen (globale Prävalenzzahlen), weiteren Kosten (Produktions-, Gemein- und Vertriebskosten) und Profit- und Innovationsmargen von 8–40 %. Im Modell der Eras-

mus Universität wird zudem auch die verbleibende Patentlaufzeit mit einbezogen. Laut diesem Modell wäre demnach ein fairer Preis für Enzalutamid (zur Behandlung von fortgeschrittenem Prostatakrebs) ca. 3–9 % der Jahrestherapienpreise in den USA, dem Vereinigten Königreich und Deutschland. Ein fairer Preis für Ruxolitinib (zur Behandlung der primären Myelofibrose) betrüge 19–29 % der derzeitigen Preise (Uyl-de Groot und Löwenberg 2018).

Zwei weitreichendere Maßnahmen in der Preisbildung sind eine zentralisierte Preisverhandlung auf EU-Ebene und eine größere Markttransparenz. Der Trend im deutschen Markt zu Einkaufsgemeinschaften zeigt deutlich die Vorteile einer Bündelung der Kaufkraft in den Verhandlungen. Dabei profitieren insbesondere kleinere und weniger professionalisierte Einkäufer. Der zentralisierte Einkauf von Arzneimitteln durch EU-Staaten ist durch die Beschaffung des SARS-CoV-2-Impfstoffs und weiterer medizinischer Produkte ins öffentliche Interesse geraten. Der Beschaffungsprozess und die Verhandlungen mit den Firmen waren bedingt durch die besondere Pandemiesituation herausragend, da Angelegenheiten der Gesundheit in der Kompetenz der Mitgliedsstaaten liegen und die EU keine formelle Entscheidungshoheit besitzt. Vorteile sind im Sinne der Europäischen Solidarität in dem schnellen Zugang für kleinere Mitgliedsstaaten und in Skaleneffekten zu sehen. Allerdings wurden einige der Herausforderungen eines solchen Unterfangens aufgezeigt. Diese liegen insbesondere in der anteiligen Verteilung der Produkte, der Kostenverteilung und dem Vorwurf der Sozial-Transfers. Das komplexe Konstrukt der 27 Mitgliedsstaaten führte zudem zu zeitlichen Verzögerungen und einer Starrheit der Verhandlungen. Andere in der Öffentlichkeit diskutierte Kritikpunkte sind weniger in der Bündelung auf EU-Ebene zu sehen, sondern ein Resultat der bestehenden Marktdynamiken. Beispiele hierfür sind die fehlende Transparenz der Verhandlungsführung, Kommunikationsfehler, eine schwierige Balance zwischen Sicherheit und Flexibilität sowie Fehleinschätzungen zu erforderlichen

Einkaufsvolumina. Letztendlich zeigen regionale politische Skandale wie in der Beschaffung des Mund-Nasen-Schutzes, dass Fehler im Einkauf auf allen politischen Ebenen zu finden sind. Die Frage der praktizierten Solidarität der Mitgliedsstaaten bei der zentralen Beschaffung darf hierbei nicht vernachlässigt werden und hat dazu beigetragen, absehbare politische Kollateralschäden zu vermeiden. Dies muss im europäischen Gefüge als ein Erfolg bewertet werden, wobei eine eingehende Bewertung der gemeinsamen Verhandlungen von Nöten ist und eine Chance für eine bessere Einschätzung dieser Maßnahme bietet.

Als letztes sind Transparenzbestrebungen zur Veränderung des Mechanismus der Preisbildung als preissenkende Maßnahmen zu nennen. Dabei ist sowohl die Transparenz der tatsächlich gezahlten (rabattierten) Preise als auch der Entwicklungskosten sowie die Transparenz in der Effektivität von Arzneimittelpreisen zu berücksichtigen. Transparente Arzneimittelpreise werden im internationalen Rahmen viel diskutiert. Deutsche Preise werden grundsätzlich als transparent angesehen, jedoch sind vereinbarte Rabattverträge nicht öffentlich einsehbar und ein Vergleich auf Basis der tatsächlich gezahlten (rabattierten) Preise ist nicht möglich. Die politische Entscheidung Deutschlands, 2019 im Schulterschluss mit Großbritannien gegen eine WHO-Meilensteinresolution für mehr Transparenz im pharmazeutischen Markt zu stimmen, war so auch wenig nachvollziehbar. Dieser Schritt steht im Gegensatz zum öffentlichen Interesse an Transparenz, welches auch in der vom EU-Parlament geforderten Offenlegung der Lieferverträge des SARS-CoV-2-Impfstoffes deutlich wurde. Mitgliedsstaaten und Produzenten befürchten, dass transparente Arzneimittelpreise zu Einheitspreisen führen und dadurch individuelle Preise wegen der dann fehlenden Rabattverträge steigen. Partikularinteressen werden dadurch gestützt, dass es in einem System hoher Listenpreise und intransparenter Rabatte einfacher ist, Verhandlungspartnern das Gefühl eines erfolgreichen Verhandlungsergebnisses zu vermitteln.

10.3.2 Systemveränderung aus deutscher Perspektive

Maßnahmen zur Preissenkung durch Veränderung im Mechanismus der Preisbildung werden aus deutscher Sicht häufig eingesetzt und sind deshalb oftmals mit geringen strukturellen Veränderungen verbunden. Die frühe Nutzenbewertung nach § 35a SGB V, Mengenrabatte, Rabattverträge, Festbeträge, Apotheken- und Herstellerabschläge sowie Preismoratorien sind Beispiele der hier beschriebenen Maßnahmen, die bereits seit geraumer Zeit in Deutschland angewandt werden. Trotz bestehendem Preismoratorium finden Preiskontrollen in Form von Profitregulierungen im derzeitigen politischen Klima Deutschlands wohl kaum Zustimmung, da sie als weitreichender Markteingriff angesehen werden. Ein Großteil der bisherigen Einsparungen und der Dämpfung des Kostenanstiegs ist wohl in Anpassungen in der Preisbildung begründet. Berücksichtigt man die pharmazeutische Wertschöpfungskette, an deren Anfang die Forschung und an deren Ende der tatsächliche Zugang der Patient:innen steht, haben Maßnahmen der Preisbildung einen direkt ersichtlichen kausalen Zusammenhang mit Arzneimittelpreisen. Sie sind deshalb einzeln betrachtet leichter in der Umsetzung, haben aber in ihrer Summe zu einem komplexen und oft intransparenten regulatorischen System geführt und besitzen nur einen indirekten Einfluss auf Marktstrukturen.

10.4 Maßnahmen zur Veränderung in der Forschung und Entwicklung

Der pharmazeutische Markt ist mit einer geringen Anzahl forschender Unternehmen hoch konzentriert. Entwicklungskosten sind nicht transparent. Schätzungen zur Höhe der Kosten für die Entwicklung eines Arzneimittels weisen starke Abweichungen auf und reichen von

600 Mio. (Prasad und Mailankody 2017) bis zu 2,1 Mrd. € (DiMasi et al. 2016). Maßgebliche Treiber sind hierbei weniger die direkten Kosten als die lange Entwicklungszeit und das hohe Ausfallrisiko von Entwicklungsprojekten (Paul et al. 2010). All diese Faktoren führen zu hohen Eintrittsbarrieren und stärken die dominante Position der Hersteller, weil das Investitionsrisiko hoch ist. Gleichzeitig hat sich auch die Arzneimittelforschung verändert und viele der multinationalen Arzneimittelkonzerne haben einen Großteil ihrer F & E ausgelagert und konzentrieren sich insbesondere auf den Aufkauf von Biotechnologie-Unternehmen. Gleichzeitig hat sich auch die Forschung in den Hochschulen verändert. Traditionell war die F & E von Arzneimitteln mit der Grundlagenforschung im akademischen und der Arzneimittelforschung im privaten Bereich klar aufgeteilt. Dies hat sich gewandelt. Das überkommene Bild von Wissenschaftler:innen im Elfenbeinturm wurde durch einen Fokus auf translatorische Entwicklung ersetzt. Öffentliche Institute verfügen mittlerweile über zentrale Abteilungen, die für den Technologietransfer und die Patentierung von Forschungsergebnissen zuständig sind. Diese Veränderungen der Unternehmensstrukturen und der universitären Forschung zusammen mit dem Forschungsschwerpunkt auf individualisierte und stratifizierte Interventionen zeigen den richtungsweisenden Wandel des Forschungs- und Entwicklungssystems, welches weitreichende Auswirkungen auf das gesamte pharmazeutische Ökosystem hat.

10.4.1 Mögliche Maßnahmen und ihre Evidenz

Maßnahmen zur Preissenkung durch Veränderungen im Forschungs- und Entwicklungssystem nutzen Mechanismen einer *Reduktion der Entwicklungskosten, Verbesserung des Wettbewerbes* durch eine höhere Anzahl forschender Unternehmen, *Amortisierung öffent-*

licher Investitionen und einer *Veränderung des Anreizsystems zur Innovationssteuerung* (■ Tab. 10.3).

Vorschläge zur Reduktion der Entwicklungskosten und zu einer Verbesserung des Wettbewerbs durch mehr forschende Unternehmen streben an, Arzneimittelpreise durch Effizienzverbesserungen und geringere Markteintrittsbarrieren in der derzeitigen Marktstruktur zu regulieren. Diese Maßnahmen beruhen auf der Vorstellung, dass Gründe für hohe Arzneimittelpreise in hohen Entwicklungskosten zu finden sind. Obwohl Effizienzverbesserungen erstrebenswert sind, ist es hierbei wichtig im Auge zu behalten, dass es keine Evidenz dafür gibt, dass Entwicklungskosten und Preise gekoppelt sind. Es ist deshalb fragwürdig, ob Einsparungen wirklich an die Kostenträger weitergegeben werden würden. Auch ein Effekt durch mehr Wettbewerb ist in einem durch Patente geschützten monopolistischen Markt schwer vorhersehbar. In einer Modellierung des Effekts einer Effizienzsteigerung im amerikanischen Markt berechneten Vernon et al. dass 30 % niedrigere Entwicklungskosten in einer Größenordnung von 1–12,3 Billionen USD zu einem deutlichen Wohlstandsgewinn führen könnten (Vernon et al. 2007). Die hohe Spanne der Einsparungen zeigt aber auch die Unsicherheit der zugrundeliegenden Annahmen und Effekte auf Arzneimittelpreise.

Ein interessanter Vorschlag, um die Forschung an Arzneimitteln effizienter zu gestalten und gleichzeitig Markteintrittsbarrieren durch die hohen Kosten klinischer Studien zu senken, ist die öffentliche Organisation klinischer Studien. Diese könnten von Unternehmen finanziert und durch unabhängige Auftragsforschungsinstitute (CRO, *Contract Research Organisations*) unterstützt werden. Berücksichtigt man die Bedeutung des Studiendesigns auf gemessene therapeutische Effekte, ist es eigentlich erstaunlich, dass Studien nicht von einer unabhängigen Instanz durchgeführt werden. Zwar werden sie durch die EMA unabhängig kontrolliert, diese ist hier-

Tab. 10.3 Übersicht der Maßnahmen zu Preissenkungen durch Veränderung im Forschungs- und Entwicklungssystem

Mechanismen	Maßnahmen	Erforderliche Systemveränderung
Reduktion der Entwicklungskosten	Kostensenkung und Effizienzsteigerung im F & E-System	Mittel
	Reduzierung der regulatorischen Anforderungen	Mittel
	Öffentlich durchgeführte klinische Studien	Hoch
Verbesserung des Wettbewerbes durch eine höhere Anzahl forschender Unternehmen	Förderung von Wettbewerbern in Therapiebereichen mit hochpreisigen Arzneimitteln	Mittel
	Vermehrte öffentliche und nicht-gewinnorientierte Forschung und Entwicklung	Hoch
Amortisierung öffentlicher Investitionen	Sozialverträgliche Lizenzierung bei Projekten mit öffentlicher Finanzierung	Mittel
Veränderung des Anreizsystems zur Innovationssteuerung	Reform des Anreizsystems für seltene Erkrankungen (Profitbeschränkungen, Rückzahlungen, Kosten-Nutzen-Bewertungen, Indikationübergreifende Prävalenzgrenzen)	Hoch
Arzneimittel-Kompass 2021		

bei allerdings auf die zur Verfügung gestellten Daten angewiesen. Neben Einsparungen durch Vermeidung von Duplizierungen könnte ein besseres und umfassendes Verständnis zur Effektivität des Produktes auch zur einer gerechteren Preissetzung führen (Baker 2008).

Die Auswirkungen staatlicher Forschungsgelder und öffentlicher Institutionen auf den Markt werden intensiv diskutiert. Vorschläge bestehen, staatliche Investitionen durch vertragliche Vereinbarungen besser zu schützen und die Forschung öffentlicher Institute auszuweiten. Verschiedene Autoren beschreiben, dass öffentliche Gelder indirekt zu ca. 50 % aller Arzneimittel und sogar zu 65 % zu den höchst innovativen Arzneimitteln mit großem gesellschaftlichem Nutzen beigetragen haben (Sampat und Lichtenberg 2011; Kesselheim et al. 2015). Zum einen werden diese Studien genutzt, um die Innovationsfähigkeit des öffentlichen Sektors aufzuzeigen. Zum anderen wird auf dieser Grundlage bemängelt, dass hohe Arzneimittelpreise und beträchtliche öffent-

liche Fördersummen eine doppelte Subvention von Innovationen privatwirtschaftlicher Unternehmen seien. Forderungen nach sozialverträglicher Lizenzierung (*Social Responsible Licensing*) beanspruchen, dass bei mit öffentlichen Mitteln geförderten Forschungs- und Entwicklungsvorhaben Preisvorteile bei Arzneimitteln zu realisieren sind (Netherlands Federation of University Medical Centers 2019). Zudem gibt es Vorschläge, durch vermehrte Investition in öffentliche Einrichtungen, Arzneimittel im universitären Sektor bis zum Markteintritt weiterzuentwickeln. Beachtet man die hohen Profitmargen im privaten Sektor, könnten die Einsparungen durch staatliche Produktionskapazitäten und gut eingesetzte Anschubfinanzierungen erheblich sein. Allerdings besteht weithin Skepsis bezüglich einer unternehmerischen Anpassungsfähigkeit des öffentlichen Sektors sowohl in der Produktentwicklung als auch in der Produktion. Zudem sind späte klinische Studien, Markteintritt, Produktion und Skalierung nur mit erheblichen finanziellen Mitteln und organisatorischen Verände-

rungen vorstellbar. Workman et al. diskutieren deshalb die Möglichkeit einer Zusammenarbeit mit Generikafirmen und die öffentliche Entwicklung, insbesondere in Bereichen mit geringen finanziellen Ausfallrisiken, wie zum Beispiel den Kombinationstherapien (Workman et al. 2017).

Abschließend ist im Zuge der Vorschläge durch Veränderungen im Forschungs- und Entwicklungssystem eine Reform des Anreizsystems für seltene Erkrankungen zu adressieren (*Orphan drug reform*). Um Anreize für die Forschung an Medikamenten für seltene Erkrankungen mit potentiell geringen Absatzvolumina und Profiten zu schaffen, unterliegen diese Arzneimittel in der EU einem vereinfachten und kostengünstigeren Zulassungsverfahren sowie einer Marktexklusivität von 10 bzw. 12 Jahren bei pädiatrischen Indikationen. Die Wandlung des Arzneimittelmarktes zur personalisierten Medizin wird deutlich wenn man beachtet, dass 2019 jeder zweite neue Wirkstoff eine solche Zulassung hatte (Schröder et al. 2020). Studien zeigen weiterhin, dass Absatzvolumina unerheblich für Preise sind und Arzneimittel für seltene Erkrankungen auch herkömmlichen Kosten-Nutzen-Bewertungen standhalten können (Picavet et al. 2015). Die Durchführbarkeit einer Nutzenbewertung hat sich auch im GKV-System gezeigt und steht im Kontrast zur Umsatzschwelle von 50 Mio. € nach § 35a SGB V. Schon 2009 entfielen 10 % auf hochlukrative Blockbuster-Medikamente, die wahrscheinlich auch ohne jegliches Anreizsystem entwickelt worden wären (Yin 2009). Desgleichen sind Orphan-Medikamente in einer Größenordnung von etwa 66 % für mehrere Indikationen zugelassen (Wellman-Labadie und Zhou 2010). Mitnahmeeffekte sind also vorhanden und kritisch zu sehen. Expert:innen fordern deshalb eine Reihe von Reformen, wie zum Beispiel Profitbeschränkungen, verbunden mit Rückzahlungen öffentlicher Finanzierungen, eine verstärkte Anwendung von Kosten-Nutzen-Bewertungen sowie eine Berücksichtigung aller zugelassenen Indikationen für die Bestimmung von Prävalenzgrenzen.

10.4.2 Systemveränderung aus deutscher Perspektive

Die benötigten Systemveränderungen, um durch Anpassung der Forschung und Entwicklung von Arzneimitteln Preise flächendeckend zu senken, sind als mittel bis groß einzuschätzen. Ein wichtiger Grund sind die Silos der Finanzierung des Gesundheitssystems und der Forschungsförderung. Einsparungen und Ausgaben der verschiedenen Bereiche sind schwer zu verrechnen. Obwohl der Arzneimittelmarkt als komplexes Ökosystem gesehen werden muss, sind Veränderungen zur Preissenkung am Anfang der Wertschöpfungskette heikel. Zudem bedarf es für eine effektive Umsetzung sowohl struktureller als auch kultureller Anpassungen. Forschung hat eine hohe Bedeutung für den Industriestandort Deutschland. Auch müssen sich Universitäten und öffentliche Forschungseinrichtungen den Anforderungen einer erweiterten Arzneimittelentwicklung stellen und die nötigen Anpassungen vornehmen. Die öffentliche Forschung kann ohne Frage nur komplementär zum Privatsektor gesehen werden. Hier sollte es aber möglich sein, bestehende Finanzierungsströme zu nutzen, um innovative Modelle auch in Hinsicht auf die Bezahlbarkeit von Arzneimitteln zu testen. Das Ziel wäre hierbei, die Effizienz des öffentlichen Forschungssektors und die Transparenz pharmazeutischer Entwicklungen dergestalt zu verbessern, dass die Leistungsfähigkeit des öffentlichen Sektors mit in die Preisbildung pharmazeutischer Unternehmen zur Steigerung des Allgemeinwohls einfließt.

10.5 Einordnung der Maßnahmen und Ausblick

Die Erforderlichkeit für Kosteneinsparungen im Gesundheitssystem sind in der Folge des Pandemiegeschehens der Öffentlichkeit schwer vermittelbar, werden aber mittelfristig zu erwarten sein, allein um die hohen Aus-

gaben im Zuge der Pandemie auszugleichen. Da die Finanzierung von patentgeschützten Arzneimitteln ein großer Ausgabenblock ist und die Öffentlichkeit durch die Pandemie für strukturelle Missstände des pharmazeutischen Systems sensibilisiert ist, kann sich dadurch ein *politisches Fenster* für Maßnahmen zur Bezahlbarkeit von hochpreisigen Medikamenten ergeben.

Dies bietet die Chance, den Rahmen an Ideen, die im politischen Diskurs Akzeptanz finden, durch Maßnahmen jenseits inkrementeller Änderungen zu erweitern. Änderungen politischer Mehrheiten, die sich durch die Bundestagswahl ergeben, können diesen Prozess durchaus dynamisieren. Dabei ist zu beachten, dass der Arzneimittelmarkt einer Reihe von oft nicht scharf abgrenzbaren Zielen unterliegt. So sind *der Zugang, die Verfügbarkeit und die Bezahlbarkeit* von Arzneimitteln (*engl. Availability, Affordability, Accessibility*) teilweise miteinander in Konflikt stehende Zielgrößen. Reformvorschläge müssen einerseits systematisch anhand dieser Kriterien analysiert werden. Andererseits ist es bedeutend, Zielgrößen wie Lieferengpässe und Maßnahmen zur Bezahlbarkeit von Arzneimitteln nicht gegeneinander auszuspielen. Diese Komplexität des Arzneimittelmarktes kann durchaus zu Konflikten führen, die eine Paralysesituation hervorrufen kann und erforderliche strukturelle Änderung ausbremst. Die Rolle Deutschlands in diesem Diskurs ist aufgrund seines großen Binnenmarktes von maßgeblicher Bedeutung und internationale Kollaborationen zur Bezahlbarkeit müssen intensiviert werden. Hierbei ist nicht zu verkennen, dass die Idee eines fairen Arzneimittelpreises in jedem Fall auf europäischer Ebene verfolgt und global diskutiert werden sollte.

Zusammenfassend ist festzuhalten, dass aus pragmatischer Sicht Vorschläge empfehlenswert sind, die zu einer Veränderung in der Nachfrage von Arzneimitteln führen. So sind Maßnahmen im Bereich der Preisbildung oft leichter in der Umsetzung, da sie weitgehend nationalen Kompetenzen unterliegen und Effekte auf Arzneimittelpreise unmittelbar

ableitbar sind. Sie stellen eine, zum Teil weitreichende, Optimierung des momentanen Systems dar und haben deshalb geringere Anforderungen an Veränderungsprozesse. Ein auch im internationalen Kontext herausstechender Kostenfaktor ist das erste Jahr nach Markteintritt, in dem Arzneimittel in Deutschland freien Preisen unterliegen. Auch eine Bündelung der Rabattverträge im internationalen, oder zunächst nationalen, Verbund ist auf Grund von Skaleneffekten für ausgewählte Produkte empfehlenswert. Obwohl aus pragmatischer Sicht vorteilhaft, sind bei Anpassungen in der Arzneimittelnachfrage auch die Effekte auf die ursächlichen Strukturen im pharmazeutischen Markt nur indirekte. Mutige Schritte zur Finanzierbarkeit leiten deshalb zusätzlich auch Veränderungen in der Struktur des Angebots von Arzneimitteln ein. Beispiele hierfür sind eine Verbesserung des Anreizsystems und des Forschungs- und Entwicklungssystems. Maßnahmen zur Veränderung geistiger Eigentumsrechte und arzneimittelrechtlicher Schutzrechte haben, wenn auch weniger deutlich ersichtlich, ebenfalls direkte Auswirkungen auf Arzneimittelpreise und die Nachfragekurve, da sie die Spanne monopolistischer Preise begrenzen. Obwohl Patente national vergeben werden, ist der politische Prozess hier komplizierter, da Aspekte des geistigen Eigentums teilweise EU-Recht, internationalen Konventionen und/oder Handelsabkommen unterliegen. Dabei ist im Sinne der Realisierbarkeit zwischen Maßnahmen zu unterscheiden, die die Marktexklusivität von Produkten im bestehenden System verkürzen und solchen, die ein alternatives Anreizsystem für Innovationen einführen wollen. Letztere haben zusätzlich das Potential, auch zu Verbesserungen in der Marktstruktur (Angebot) von Arzneimitteln zu führen. Hierfür sind starke Initiator:innen und Machbarkeitsstudien erforderlich, um Ideen parallel zum Patentsystem zu erproben. Maßnahmen im Bereich des öffentlichen Forschungs- und Entwicklungssystems sind in der pharmazeutischen Wertschöpfungskette nur entfernt mit Arzneimittelpreisen verknüpft. Es ist deshalb schwieriger, den erforderlichen

derlichen politischen Willen zur Systemänderung mit Gründen der Bezahlbarkeit zu generieren. Ein struktureller Ansatz könnte allerdings nachhaltiger sein, um den erforderlichen strukturellen Wandel des Arzneimittelsystems einzuleiten und die Problematik hoher Arzneimittelpreise ursächlich, unter Einbindung aller Interessensvertreter, anzupacken.

Letztendlich ist die oftmals fehlende Evidenzgrundlage in diesem Diskurs auffallend. Ein Großteil der Publikationen zu diesem Thema sind Meinungsartikel mit wenig quantitativer Grundlage (Franzen et al. 2020). Es fehlt vielfach die wissenschaftlich-theoretische Basis, um den Unsicherheiten struktureller Reformen entgegenzuwirken. Modellierungen und Computersimulationen bieten hier die Möglichkeit, *politische Lösungsvorschläge zu testen*, um dann in wissenschaftlich betreuten *Modellprojekten*, im engen Dialog aller Beteiligten einschließlich der Industrie, die vielversprechendsten Lösungsansätze zu evaluieren.

Literatur

- Antoñanzas F, Rodríguez-Ibeas R, Juárez-Castelló CA (2014) Should the patent system for pharmaceuticals be replaced? A theoretical approach. *Expert Rev Pharmacoeconomics & Outcomes Res* 14:617–626 <https://doi.org/10.1586/14737167.2014.927315>
- AOK-Bundesverband (2020) Positionspapier Perspektiven für die Arzneimittelversorgung. https://www.aok-bv.de/imperia/md/aokbv/positionen/positionspapiere/positionspapier_perspektiven_fuer_die_arzneimittelversorgung_2020_final.pdf. Zugegriffen: 1. Apr. 2021
- Baker D (2008) The benefits and savings from publicly funded clinical trials of prescription drugs. *Int J Health Services* 38:731–750 <https://doi.org/10.2190/HS.38.4.i>
- Deutscher Bundestag Ausschuss für Gesundheit (2021) Impfstoffpatente. BT-Drucksache 19/25787. <https://www.bundestag.de/resource/blob/825942/3ef30d65e662b10b5fd5dad80333df95/2-140-Protokoll-Anhoerung-Impfstoffpatente--data.pdf>. Zugegriffen: 6. Apr. 2021
- DiMasi JA, Grabowski HG, Hansen RW (2016) Innovation in the pharmaceutical industry: new estimates of R&D costs. *J Health Econ* 47:20–33 <https://doi.org/10.1016/j.jhealeco.2016.01.012>
- Europäische Kommission (2020) Eine Arzneimittelstrategie für Europa. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/HTML/?uri=CELEX:52020DC0761&from=EN>. Zugegriffen: 1. Apr. 2021
- Franzen N, Retèl VP, Schats W et al (2020) Evidence underlying policy proposals for sustainable anticancer drug prices: a systematic review. *JAMA Oncology* 6:909–916 <https://doi.org/10.1001/jamaoncol.2019.6846>
- Franzen N, Retèl V, van Harten W (2021) Securing sustainable price levels of innovative anticancer drugs: how to move forward? *J Cancer Policy* 27:100266 <https://doi.org/10.1016/j.jcpo.2020.100266>
- Grinols EL, Henderson JW (2007) Replace pharmaceutical patents now. *Pharmacoeconomics*. <https://doi.org/10.2165/00019053-200725050-00001>
- Grinols EL, Lin HC (2011) Patent replacement and welfare gains. *J Econ Dynam Control* 35:1586–1604 <https://doi.org/10.1016/j.jedc.2011.04.010>
- Kesselheim AS, Tan YT, Avorn J (2015) The roles of academia, rare diseases, and repurposing in the development of the most transformative drugs. *Health Aff (Millwood)* 34:286–293. <https://doi.org/10.1377/hlthaff.2014.1038>
- Kuhn R, Beall RF (2012) The time for pharmaceutical compulsory licensing has expired. *Nat Med* 18:1168. <https://doi.org/10.1038/nm0812-1168>
- Levaggi R (2014) Pricing schemes for new drugs: a welfare analysis. *Soc Sci Med* 102:69–73. <https://doi.org/10.1016/j.socscimed.2013.11.048>
- Netherlands Federation of University Medical Centers (2019) Ten principles for socially responsible licensing. https://www.nfu.nl/sites/default/files/2020-08/19.4511_Ten_principles_for_Socially_Responsible_Licensing_v19-12-2019.pdf. Zugegriffen: 1. Apr. 2021
- Paul SM, Mytelka DS, Dunwiddie CT et al (2010) How to improve R&D productivity: the pharmaceutical industry's grand challenge. *Nat Rev Drug Discov* 9:203–214. <https://doi.org/10.1038/nrd3078>
- Picavet E, Cassiman D, Simoens S (2015) What is known about the cost-effectiveness of orphan drugs? Evidence from cost-utility analyses. *J Clin Pharm Ther* 40:304–307. <https://doi.org/10.1111/jcpt.12271>
- Prasad V, Mailankody S (2017) Research and development spending to bring a single cancer drug to market and revenues after approval. *JAMA Int Med* 177:1569–1575. <https://doi.org/10.1001/jamainternmed.2017.3601>
- Sampat BN, Lichtenberg FR (2011) What are the respective roles of the public and private sectors in pharmaceutical innovation? *Health Aff (Millwood)* 30:332–339. <https://doi.org/10.1377/hlthaff.2009.0917>
- Schröder M, Lohmüller J, Telschow C, Niepraschk-Von Dollen K, Zawinell A, Bauckmann J (2020) Der GKV-Arzneimittelmarkt. Wissenschaftliches Institut

- der AOK (WIdO). <https://doi.org/10.4126/FRL01-006423607>
- Shavell S, van Ypersele T (2001) Rewards versus intellectual property rights. *J Law Econom* 44:2. <https://doi.org/10.1086/322811>
- Shepherd WG (1983) Economies of scale and monopoly profits. In: *Industrial organization, antitrust, and public policy*. Springer, Berlin, S 165–204
- Stiglitz JE (2007) Making globalization work. WW Norton & Company
- Trusheim MR, Cassidy WM, Bach PB (2018) Alternative state-level financing for hepatitis C treatment – the “Netflix model”. *JAMA* 320:1977–1978. <https://doi.org/10.1001/jama.2018.15782>
- Uyl-de Groot CA, Löwenberg B (2018) Sustainability and affordability of cancer drugs: a novel pricing model. *Nat Rev Clin Oncol* 15:405–406. <https://doi.org/10.1038/s41571-018-0027-x>
- Vernon JA, HUGHEN WK, Trujillo AJ (2007) Pharmaceutical manufacturing efficiency, drug prices, and public health: examining the causal links. *Drug Inf J* 41:229–239. <https://doi.org/10.1177/009286150704100217>
- Wang B, Liu J, Kesselheim AS (2015) Variations in time of market exclusivity among top-selling prescription drugs in the United States. *JAMA Int Med* 175:635–637. <https://doi.org/10.1001/jamainternmed.2014.7968>
- Wellman-Labadie O, Zhou Y (2010) The US Orphan Drug Act: rare disease research stimulator or commercial opportunity? *Health Policy* 95:216–228. <https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2009.12.001>
- Workman P, Draetta GF, Schellens JHM et al (2017) How much longer will we put up with \$100,000 cancer drugs? *Cell* 168:579–583. <https://doi.org/10.1016/j.cell.2017.01.034>
- Yin W (2009) R&D policy, agency costs and innovation in personalized medicine. *J Health* 28:950–962. <https://doi.org/10.1016/j.jhealeco.2009.06.011>

Open Access Dieses Kapitel wird unter der Creative Commons Namensnennung 4.0 International Lizenz (<http://creativecommons.org/licenses/by/4.0/deed.de>) veröffentlicht, welche die Nutzung, Vervielfältigung, Bearbeitung, Verbreitung und Wiedergabe in jeglichem Medium und Format erlaubt, sofern Sie den/die ursprünglichen Autor(en) und die Quelle ordnungsgemäß nennen, einen Link zur Creative Commons Lizenz beifügen und angeben, ob Änderungen vorgenommen wurden.

Die in diesem Kapitel enthaltenen Bilder und sonstiges Drittmaterial unterliegen ebenfalls der genannten Creative Commons Lizenz, sofern sich aus der Abbildungslegende nichts anderes ergibt. Sofern das betreffende Material nicht unter der genannten Creative Commons Lizenz steht und die betreffende Handlung nicht nach gesetzlichen Vorschriften erlaubt ist, ist für die oben aufgeführten Weiterverwendungen des Materials die Einwilligung des jeweiligen Rechteinhabers einzuholen.