



Schriftenreihe Masterstudiengang Consumer Health Care
herausgegeben von Prof. Dr. Marion Schaefer

Beate Kern

Arzneimittel für seltene Erkrankungen

Evidenzlevel der Wirksamkeitsstudien,
Frühe Nutzerbewertung und Preisentwicklung
in Deutschland



ibidem

Beate Kern

Arzneimittel für seltene Erkrankungen

Evidenzlevel der Wirksamkeitsstudien, Frühe Nutzenbewertung und
Preisentwicklung in Deutschland

SCHRIFTENREIHE MASTERSTUDIENGANG CONSUMER HEALTH CARE

herausgegeben von Prof. Dr. Marion Schaefer

ISSN 1869-6627

- 11 *Denny Lorenz*
Development of a Standard Report for Signal Verification on Public Adverse Event Databases
ISBN 978-3-8382-0432-1
- 12 *Kerstin Bendig*
Risikomanagement in der Arzneimittelsicherheit
Ansätze zur Effektivitätsbewertung von Risikominimierungsmaßnahmen in den USA und Europa im Vergleich
ISBN 978-3-8382-0438-3
- 13 *Dirk Klintworth*
Reporting Guidelines und ihre Bedeutung für die Präventions- und Gesundheitsförderungsforschung
ISBN 978-3-8382-0448-2
- 14 *Judith Weigel*
Schwangerschaft bei Frauen mit und ohne Autoimmunerkrankungen
Ein Vergleich hinsichtlich der mütterlichen Charakteristika und des Ausgangs der Schwangerschaft
ISBN 978-3-8382-0468-0
- 15 *Christopher Funk*
Mobile Softwareanwendungen (Apps) im Gesundheitsbereich
Entwicklung, Marktbetrachtung und Endverbrauchermeinung
ISBN 978-3-8382-0493-2
- 16 *Carmen Flecks*
Auf der Suche nach Psychotherapie
Bedarfsplanung für die Psychotherapie unter besonderer Berücksichtigung des Versorgungsstrukturgesetzes 2012 (GKV-VStG)
ISBN 978-3-8382-0498-7
- 17 *Beate Kern*
Arzneimittel für seltene Erkrankungen
Evidenzlevel der Wirksamkeitsstudien, Frühe Nutzenbewertung und Preisentwicklung in Deutschland
ISBN 978-3-8382-0762-9

Beate Kern

ARZNEIMITTEL FÜR SELTENE ERKRANKUNGEN:

Evidenzlevel der Wirksamkeitsstudien,
Frühe Nutzenbewertung und
Preisentwicklung in Deutschland

ibidem-Verlag
Stuttgart

Bibliografische Information der Deutschen Nationalbibliothek

Die Deutsche Nationalbibliothek verzeichnet diese Publikation in der Deutschen Nationalbibliografie; detaillierte bibliografische Daten sind im Internet über <http://dnb.d-nb.de> abrufbar.

Bibliographic information published by the Deutsche Nationalbibliothek

Die Deutsche Nationalbibliothek lists this publication in the Deutsche Nationalbibliografie; detailed bibliographic data are available in the Internet at <http://dnb.d-nb.de>.

∞

ISBN: 978-3-8382-6762-3

© *ibidem*-Verlag
Stuttgart 2014

Alle Rechte vorbehalten

Das Werk einschließlich aller seiner Teile ist urheberrechtlich geschützt. Jede Verwertung außerhalb der engen Grenzen des Urheberrechtsgesetzes ist ohne Zustimmung des Verlages unzulässig und strafbar. Dies gilt insbesondere für Vervielfältigungen, Übersetzungen, Mikroverfilmungen und elektronische Speicherformen sowie die Einspeicherung und Verarbeitung in elektronischen Systemen.

All rights reserved. No part of this publication may be reproduced, stored in or introduced into a retrieval system, or transmitted, in any form, or by any means (electronical, mechanical, photocopying, recording or otherwise) without the prior written permission of the publisher. Any person who does any unauthorized act in relation to this publication may be liable to criminal prosecution and civil claims for damages.

Inhaltsverzeichnis

Zusammenfassung	11
1. Einleitung.....	15
2. Ziel- und Aufgabenstellung.....	17
3. Material und Methode.....	19
3.1 Analyse der Zulassung von Orphan drugs durch die EMA.....	19
3.2 Analyse der Frühen Nutzenbewertung von Orphan drugs.....	21
3.3 Analyse der Preisentwicklung in Deutschland	22
4. Ergebnisse der Analyse der Zulassung, der Frühen Nutzenbewertung und der Preisentwicklung.....	23
4.1 Zulassungen von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen durch die European Medicines Agency im Zeitraum von Januar 2011 bis Juni 2014.....	23
4.2 Evidenzlevel der Wirksamkeitsstudien.....	34
4.3 Frühe Nutzenbewertung, beteiligte Einrichtungen und Verfahrensablauf	43
4.4 Preisentwicklung bei Arzneimitteln für seltene Erkrankungen in Deutschland	69
5. Diskussion der Ergebnisse	83
6. Schlussfolgerungen	91
7. Literaturverzeichnis	93

Tabellenverzeichnis

- Tabelle 1: Übersicht aller Entscheidungen über Zulassungsanträge als Arzneimittel für seltene Erkrankungen bei der EMA aus dem Zeitraum vom 01.01.2011 bis 30.06.2014
- Tabelle 2: Charakterisierung der Wirksamkeitsstudien
- Tabelle 3: Übersicht der Nutzenbewertungen nach §35a SGB V für Orphan drugs, Zeitraum 01.01.2011 bis 31.07.2014
- Tabelle 4: Übersicht der Preisentwicklung der betrachteten Arzneimittel für seltene Erkrankungen in Deutschland

Abbildungsverzeichnis

- Abbildung 1: Faire Preise für Arzneimittel
- Abbildung 2: Analyse der Frühen Nutzenbewertung von Orphan drugs

Abkürzungsverzeichnis

AMG	Gesetz über den Verkehr mit Arzneimitteln
AMNOG	Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung
AM-NutzenV	Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung
ANSG	Apothekennotdienstsicherstellungsgesetz
COMP	Committee for Orphan Medicinal Products
CRM	Commission on Reimbursement of Medicines
DRG-System	Diagnosis Related Groups-Fallpauschalensystem
EBM	Evidence based medicine
EG	Europäische Gemeinschaft
EMA	European Medicines Agency (früher: EMEA)
EPAR	European Public Assessment Report
EU	Europäische Union
FDA	Food and Drug Administration
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	Gesetzliche Krankenversicherung
GKV-SV	Spitzenverband Bund der Krankenkassen
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
NB	Nutzenbewertung
PZN	Pharmazentralnummer
SGB V	5. Sozialgesetzbuch
Taxe-VK	Verkaufspreis laut Lauer-Taxe
VerfO	Verfahrensordnung

