
Perspektiven- papier

**Chancen und Handlungs-
felder für ATMPs*
in Deutschland**

Kontaktinformationen

Frankfurt

Dr. Thomas Solbach
Partner,
PwC Strategy& Germany
+49-170-2238-477
thomas.solbach
@strategyand.de.pwc.com

Berlin

Dr. Malte Kremer
Direktor,
PwC Strategy& Germany
+49-160-9620-3714
malte.kremer
@strategyand.de.pwc.com

Über diese Studie

Diese Studie wurde von PwC Strategy& im Auftrag von Gilead Sciences GmbH durchgeführt. Die Freigabenummer der Gilead Sciences GmbH lautet: DE-UNB-1136

Über die Autoren

Dr. Thomas Solbach berät weltweit Pharma- und Lifescience-Kunden. Er ist auf die Entwicklung von Strategien, Geschäftsmodellen und den Aufbau von Unternehmen im Bereich der Präzisionsmedizin und digitalen Gesundheit spezialisiert. Er leitet die Strategy& EMEA Pharma und Lifesciences Commercial Practice. Er ist Partner bei PwC Strategy& mit Sitz in Frankfurt.

Dr. Malte Kremer berät weltweit Pharma- und Lifescience-Kunden bei der Entwicklung (R&D), dem Marktzugang und der frühen Kommerzialisierung, insbesondere von hoch-innovativen, personalisierten Therapeutika. Er ist Direktor bei PwC Strategy& mit Sitz in Berlin.

Alina Lack berät weltweit Pharma- und Lifescience-Kunden besonders im Bereich Kommerzialisierung. Sie fokussiert sich vor allem auf innovative Therapien und Marktzugangs- bzw. Einführungsstrategien. Sie ist Senior Associate bei PwC Strategy& mit Sitz in Düsseldorf.

INHALT

Zusammenfassung	4
1. ATMPs in Deutschland im Jahr 2022: Deutliche Fortschritte, große Chancen	5
1.1 Entwicklung und Status quo der ATMPs	
1.2 Beachtlicher Lernprozess und ATMPs als fester Bestandteil der Versorgung	
1.3 Vielfältige Chancen für Medizin, Wirtschaft, Wissenschaft und Politik	
2. Perspektivenvielfalt: Wie Akteurinnen und Akteure des Gesundheitswesens auf ATMPs blicken	9
2.1 Strukturelle Besonderheiten von ATMPs	
2.2 Perspektive: Patientinnen und Patienten	
2.3 Perspektive: Medizinerinnen und Mediziner	
2.4 Perspektive: Versorger	
2.5 Perspektive: Krankenkassen	
2.6 Perspektive: Regulatoren/Selbstverwaltung	
3. Zentrale Handlungsfelder: Was passieren muss	12
3.1 Kapazität und Zugang	
3.2 Forschung	
3.3 Nutzenbewertung	
3.4 Finanzierung und Erstattung	
3.5 Öffentliche Wahrnehmung	
4. Fazit	16
5. Referenzen	17

ZUSAMMENFASSUNG

- ATMPs (engl. Advanced Therapy Medicinal Products) sind innovative Therapien, die auf Genen, Geweben oder Zellen basieren. Sie bieten enormes Potenzial für die Behandlung vormals kaum oder überhaupt nicht behandelbarer Erkrankungen.^{1,2}
- Im Jahr 2022 sind in der Europäischen Union 14 ATMPs zugelassen, darunter sieben zur Anwendung in der Onkologie. Weltweit werden derzeit mehr als 1300 ATMPs in unterschiedlichen klinischen Studien untersucht.^{3,4,5}
- Seit ihrer Ersteinführung im Jahr 2015 sind ATMPs inzwischen in der Versorgung, zum Beispiel in der Onkologie, angekommen (*vgl. Kapitel 1*).
- Die Beteiligten haben Hürden bei der Zertifizierung Qualifizierter Behandlungszentren, beim Aufbau von Versorgungsnetzwerken zum Erfahrungsaustausch und der Zuweisung von Patientinnen und Patienten sowie Unsicherheiten in der Anwendung bzw. im Risikomanagement gemeinsam deutlich reduziert. Gleichwohl bestehen einige Hürden fort (*vgl. Kapitel 1*).
- Dieses Papier stellt die Perspektiven der Akteurinnen und Akteure im Gesundheitswesen auf ATMPs dar. Auf Basis des gemeinsamen Verständnisses werden erste Vorschläge gemacht, um den kooperativen, konstruktiven Dialog lösungsorientiert fortzusetzen (*vgl. Kapitel 2*).
- Es ergeben sich fünf zentrale Handlungsfelder, um ATMPs mehr Patientinnen und Patienten zu nachhaltig tragbaren Gesamtkosten zur Verfügung zu stellen: Analyse und Aufbau ausreichender Kapazitäten in CAR-T Zellzentren, Förderung der Forschung durch Abbau restriktiver und uneinheitlicher Regularien, Schaffung von Planbarkeit in der Nutzenbewertung, Etablierung innovativer Modelle zur Finanzierung bzw. Erstattung sowie eine Objektivierung der öffentlichen Wahrnehmung (*vgl. Kapitel 3*).

KAPITEL 1

1. ATMPs in Deutschland im Jahr 2022: Deutliche Fortschritte, große Chancen

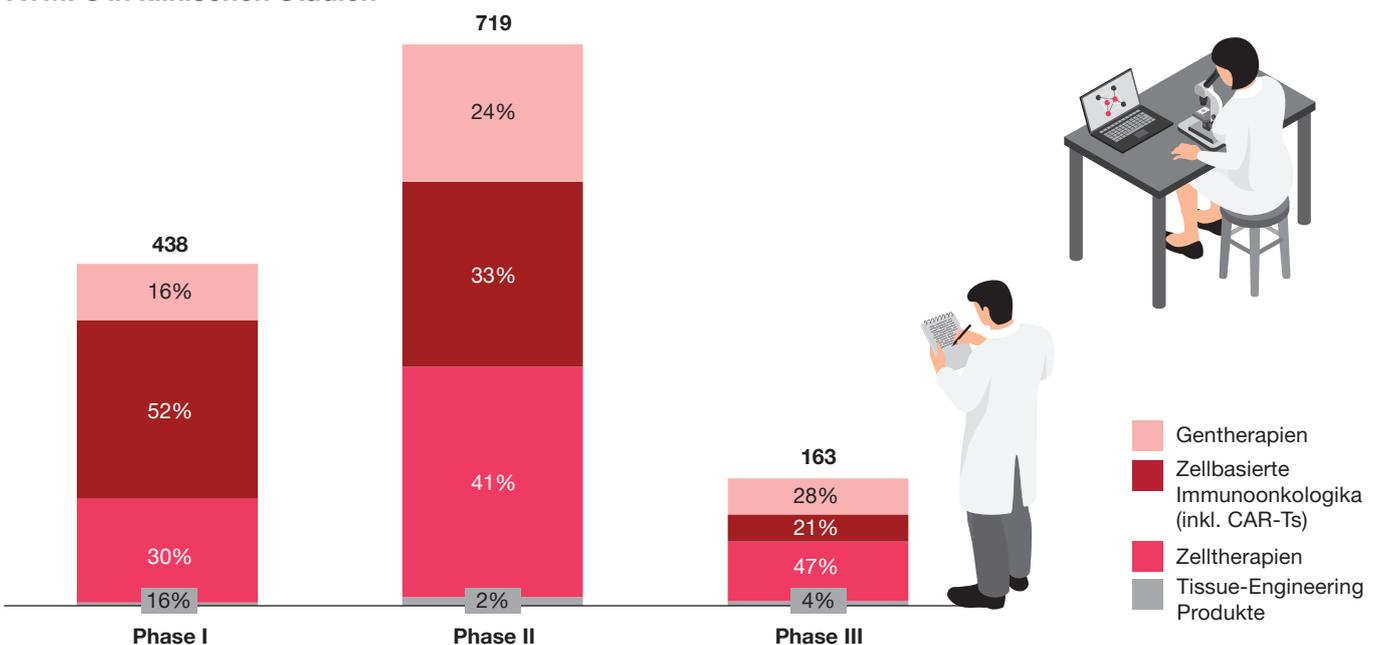
1.1 Entwicklung und Status quo der ATMPs

Arzneimittel für neuartige Therapien (engl. Advanced Therapy Medicinal Products, ATMPs) haben das Potenzial, die Behandlung schwer behandelbarer Erkrankungen, insbesondere bestimmter Krebsarten, nachhaltig zu verändern.^{6,7} Weil sie die Lebensqualität betroffener Patientinnen und Patienten deutlich verbessern oder sogar deren Lebenserwartung signifikant erhöhen können, sind die Erwartungen an ATMPs hoch.⁸ Bis 2025 werden sie eine entscheidende Rolle dabei spielen, dass potenziell kurative und teilweise personalisierte Therapieansätze stärker etabliert und für immer mehr Menschen verfügbar sind.⁹

Derzeit sind in der Europäischen Union (EU) 14 ATMPs zugelassen, darunter sieben zur Anwendung in der Onkologie.^{10,11} Weitere werden voraussichtlich zeitnah folgen: Weltweit werden derzeit mehr als 1300 ATMPs in unterschiedlichen Phasen klinisch erforscht; die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) rechnet ab 2025 mit 10 bis 20 ATMP-Neuzulassungen pro Jahr.¹²

ABBILDUNG 1
ATMP-Produktklassen in (industrieller) klinischer Prüfung (2021)

ATMPs in klinischen Studien

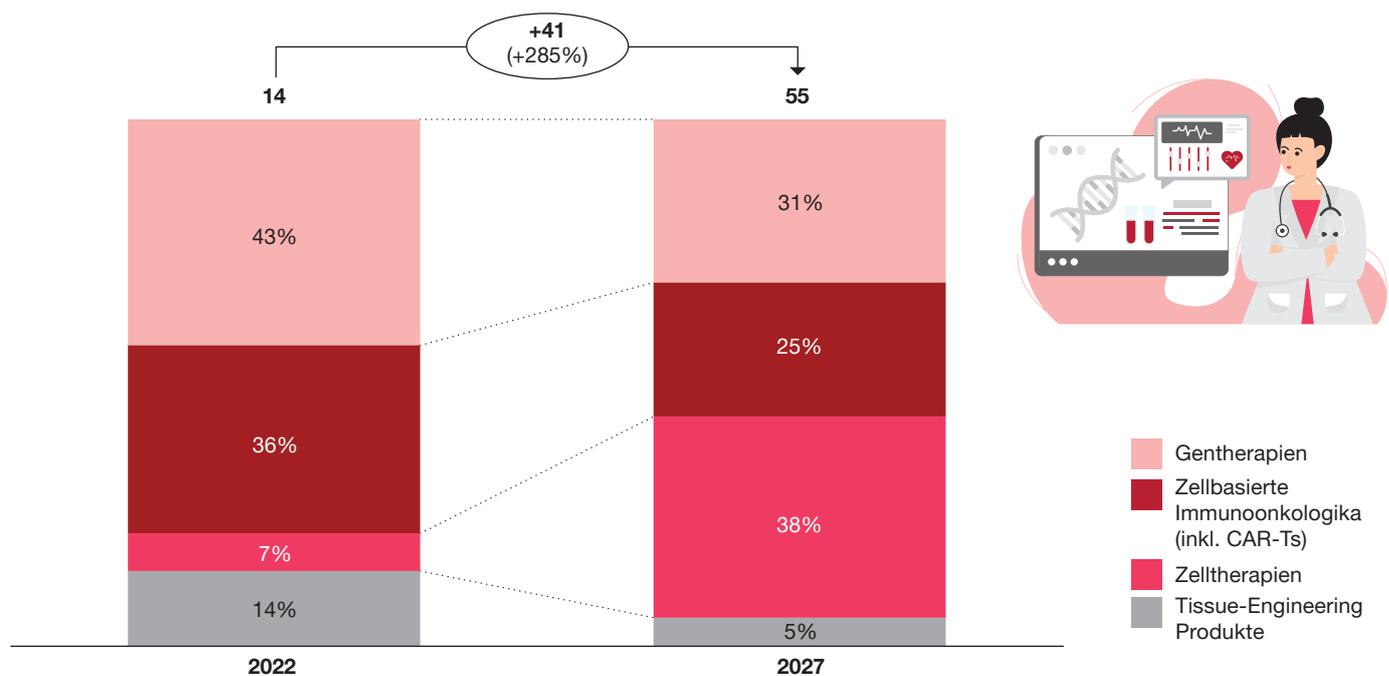


Quelle: Strategy& Analyse, vfa, Alliance for Regenerative Medicine, Pharma Intelligence

Unter den ATMPs nimmt die Zellbasierte Immuno-Onkologie, vor allem die Chimeric-Antigen-Receptor-(CAR)-T-Zelltherapien, eine Vorreiterrolle ein. Sie stehen, neben Zelltherapien, im Fokus der klinischen Prüfung von ATMPs. Auf beide – CAR-Ts und Zelltherapien – entfallen derzeit jeweils mehr als ein Drittel aller ATMPs in klinischen Studien.¹³ Während die Pipeline sowohl von Zelltherapien als auch zellbasierten Immuno-onkologika viele Neuzulassungen andeutet, ist damit zu rechnen, dass von 2025 bis 2027 vor allem Zelltherapien aufgrund der fortgeschrittenen klinischen Pipeline ihren Marktanteil vergrößern werden.

Sechs CAR-T-Zelltherapien sind seit 2018 in der EU zugelassen. Hierbei handelt es sich um Indikationen mit Orphan Drug Designation, die bei bisher nicht oder nur schwer behandelbaren Indikationen mit insgesamt nur wenigen Patienten eingesetzt werden. Medizinerinnen und Mediziner behandeln damit zum Beispiel Non-Hodgkin-Lymphome und weit fortgeschrittene Leukämien.¹⁴ Weitere Indikationen wie solide Tumore der Leber oder der Bauchspeicheldrüse werden derzeit weiter untersucht und könnten bis 2025 ebenfalls mit CAR-T-Zelltherapien behandelt werden.¹⁵ Zwischen 2021 und 2022 ließ sich eine deutlich beschleunigte Dynamik der CAR-T-Zulassung und -Anwendung beobachtet werden: Sowohl Tisagenlecleucel (Novartis) als auch Axicabtagene Ciloleucel (Kite Pharma/Gilead) erhielten die Zulassung zur Behandlung des Follikulären Lymphoms. Zusätzlich hat die US-amerikanische Lebensmittelüberwachungs- und Arzneimittelbehörde FDA im April 2022 Axicabtagene Ciloleucel (Kite Pharma/Gilead) für die Behandlung in der zweiten Therapielinie von diffus großzelligen B-Zell-Lymphomen (DLBCL) zugelassen. Und im Mai 2022 wurde eine weitere CAR-T Therapie, Ciltacabtagene Autoleucel (Janssen), für die Behandlung des Multiplen Myeloms in Europa zugelassen – mit dieser Indikation adressieren CAR-Ts bereits die zweithäufigste hämatologische Erkrankung.

ABBILDUNG 2
Zugelassene ATMP-Produktklassen heute und in Zukunft (Schätzung)



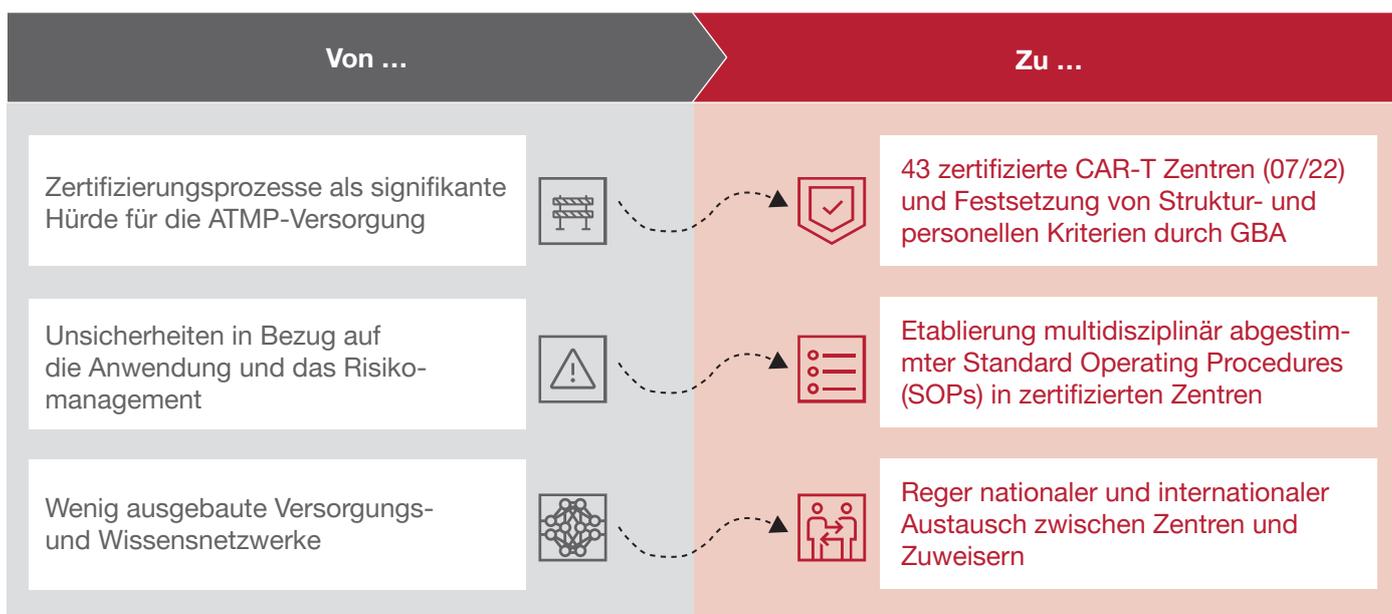
Diese Entwicklungen unterstreichen den Trend hin zu einer breiteren Abdeckung von Indikationen mit verfügbaren CAR-T-Therapien, die sich von späten Interventionen zu früheren Behandlungsoptionen entwickeln werden.

1.2 Beachtlicher Lernprozess und ATMPs als fester Bestandteil der Versorgung

Um herauszufinden, welche Rolle ATMPs derzeit in der Versorgung im Speziellen und für das Gesundheitswesen im Allgemeinen spielen, haben wir Interviews mit unterschiedlichen Akteurinnen und Akteuren aus dem deutschen Gesundheitswesen geführt.¹⁶ Unser zentrales Interesse war es zu verstehen, wie sie auf Chancen und Herausforderungen bei der ATMP-Anwendung in Deutschland blicken, um daraus die wichtigsten Handlungsfelder abzuleiten. Zu den Befragten gehörten Fachärztinnen und -ärzte, Versorger (zum Beispiel Vertreterinnen und Vertreter von Krankenhausapotheken), Vertreterinnen und Vertreter der gesetzlichen Krankenkassen (GKV), der Selbstverwaltung sowie Patienten bzw. Patientenorganisationen. Eine zentrale Erkenntnis vorweg: Alle befragten Gruppen sind sich einig, dass die ATMP-Landschaft in Deutschland seit der Ersteinführung einen beachtlichen Lernprozess durchlaufen hat. Auf den Punkt gebracht: ATMPs sind in der Versorgung angekommen. Sie wurden, wenn auch nur in späteren Therapielinien, in nationale bzw. internationale Leitlinien und Therapiealgorithmen integriert und werden, sind sich die Befragten sicher, in Zukunft einen noch höheren Stellenwert haben.

Dank des enormen Engagements aller Beteiligten ist es beispielsweise gelungen, anfängliche Herausforderungen bei der Zertifizierung Qualifizierter Behandlungszentren, beim Aufbau von Versorgungsnetzwerken zum Erfahrungsaustausch und der Zuweisung von Patienten sowie Unsicherheiten in der Anwendung bzw. im Risikomanagement merklich abzubauen.

ABBILDUNG 3
Fortschritte in der ATMP-Behandlungslandschaft



Quelle: Strategy& Analyse

1.3 Vielfältige Chancen für Medizin, Wirtschaft, Wissenschaft und Politik

ATMPs bieten den Akteurinnen und Akteuren im Gesundheitswesen vielfältige Potenziale, insbesondere um die Versorgung seltener oder schwer behandelbarer Krankheiten zu verbessern und Deutschland weiterhin als Innovationsstandort zu etablieren. Die wichtigsten haben wir in der folgenden Grafik zusammengefasst. Für eine detaillierte Erläuterung der Chancen verweisen wir auf den [2. Report aus dieser Reihe](#).

Bei Betrachtung der vielfältigen Chancen wird schnell deutlich, dass ATMPs in den kommenden Jahren ein wichtiges Mittel sein werden, um den medizinischen Fortschritt in Deutschland bzw. der EU voranzutreiben. Jedoch muss allen Beteiligten bewusst sein, dass ATMPs Anwender, Hersteller, Organe der Selbstverwaltung und das Gesundheitswesen insgesamt vor neuartige Herausforderungen stellen werden. Es ist darüber hinaus zu betonen, dass auch Nicht-Anwender (zum Beispiel niedergelassene Medizinerinnen und Mediziner) durch die Integration von ATMPs in breitere Versorgungsstrukturen sowie Indikationsausweitungen eine wichtigere Rolle für die ATMP-Versorgung in Deutschland spielen werden. Aufgrund der noch teilweisen Heterogenität der Erfahrungen mit ATMPs wurden überweisende Ärztinnen und Ärzte allerdings für die vorliegende Analyse nicht gesondert befragt.

Im folgenden Kapitel werden wir zunächst einen Blick auf einige grundsätzliche Besonderheiten der innovativen Therapien werfen, bevor wir auf die spezifischen Perspektiven der verschiedenen Stakeholder des Gesundheitswesens eingehen.

ABBILDUNG 4
Chancen durch ATMPs pro Stakeholdergruppe



Quelle: Strategy& Analyse

2. Perspektivenvielfalt: Wie Akteurinnen und Akteure des Gesundheitswesens auf ATMPs blicken



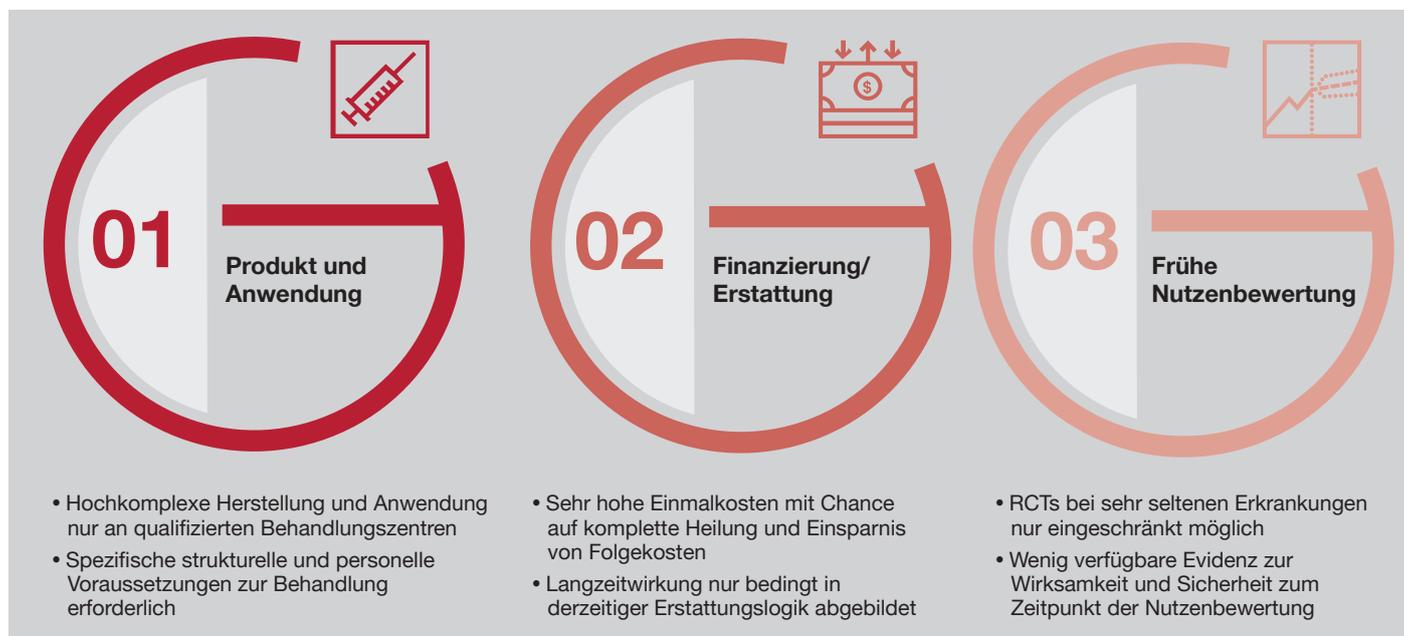
2.1 Strukturelle Besonderheiten von ATMPs

ATMPs sind das Ergebnis jahrzehntelanger, spezialisierter Spitzenforschung und -medizin. Sie sind vor allem durch die innovative Form des therapeutischen Ansatzes charakterisiert. Der Grund, sie in eine separate Klasse („ATMPs“) einzustufen, liegt darin, dass sie Modalitäten mit aufwändigen Herstellungsprozessen darstellen, die Therapien eine komplexere Darreichung bei den Patientinnen und Patienten erfordern und sie eine wesentlich längerfristige Wirkung haben können – mit dem Potenzial, todkranke Menschen zu heilen. Diese Besonderheiten werden mittelfristig einen Paradigmenwechsel in der Medizin bewirken. Um eine fachgerechte Herstellung und Anwendung sicherzustellen, werden sie nur in qualifizierten Behandlungszentren eingesetzt, die die spezifischen personellen und infrastrukturellen Voraussetzungen und Ansprüche an Mindestfallzahlen erfüllen. Insbesondere die Anforderungen an Laborausstattung und klinische Logistik sind den befragten Versorgerinnen und Versorger zufolge enorm hoch.

Die potenziell kurative Wirkung nach einmaliger Gabe einiger ATMPs wirft darüber hinaus neue Fragen zur Finanzierung auf. Bisher werden Therapien typischerweise nach Modellen erstattet, die sich an den angenommenen Behandlungskosten pro Jahr bzw. zweckmäßigen Vergleichstherapien orientieren. Dieses Modell greift bei ATMPs deutlich zu kurz. Denn im Jahr der Behandlung entstehen bei ATMPs zwar sehr hohe Kosten, doch sind die Folgekosten, die üblicherweise aus Rehabilitation, Folgetherapien und Produktivitätsverlusten resultieren, meist deutlich geringer. Bei langanhaltender Wirksamkeit entfallen sie oftmals sogar größtenteils. Da sich das deutsche Versicherungswesen auf jährliche Kosten stützt (zum Beispiel im morbiditätsorientierten Risikostrukturausgleich, Morbi-RSA) und nicht auf den langfristigen Effekt einer Therapie, bildet die derzeitige Erstattungslogik die ATMP-spezifische Kostendynamik noch nicht ab. Hier sind einzelne ATMPs jedoch gesondert zu betrachten, da die Erstattungssätze selbst nach der AMNOG-Preisfindung eine große Bandbreite aufweisen, von wenigen hunderttausend bis mehr als eine Million Euro.

Grundlage für die Erstattung ist die Nutzenbewertung, im Idealfall auf Basis randomisierter klinischer Studien (engl. Randomized-Controlled Trials, RCT) durch den gemeinsamen Bundesausschuss (GBA). RCTs als Goldstandard sind bei ATMPs jedoch nicht immer möglich, weil die Therapien oftmals für die Behandlung (sehr) seltener (Krebs-)Erkrankungen, häufig in fortgeschrittenen Stadien, eingesetzt werden. Hier fehlen oftmals Studienteilnehmerinnen und -teilnehmer, um eine ausreichend große Kontrollgruppe zu bilden. In den späteren Behandlungslinien gibt es darüber hinaus oftmals keinen Therapiestandard, nach dem man eine RCT ausrichten könnte. Weil für Betroffene oftmals wenig andere Therapieoptionen bestehen, wäre es zudem ethisch nicht vertretbar, manchen Probanden die – möglicherweise lebensrettende – Therapie zu Forschungszwecken vorzuenthalten.

ABBILDUNG 5
Strukturelle Besonderheiten von ATMPs



Quelle: Strategy& Analyse

Betrachten wir nun die unterschiedlichen Perspektiven der Akteurinnen und Akteure im Gesundheitswesen auf ATMPs im Detail.

2.2 Perspektive: Patientinnen und Patienten

ATMPs weisen großes Potenzial auf, um Patientinnen und Patienten mit seltenen und/oder bislang schwer behandelbaren Erkrankungen zu helfen. Allerdings ergab die Diskussion mit Vertreterinnen und Vertretern von Patientenorganisationen bzw. Patientinnen und Patienten auch ein teils sehr heterogenes Bild bezüglich Aufklärung und Zugang zu den Therapien.



Zum Zeitpunkt der Diagnose fehlen Betroffenen mitunter verständliche und konsistente Informationen über die vielfältigen Behandlungsmöglichkeiten mit innovativen Medikamenten. Dadurch sind sie nicht in der Lage, gezielt nach ATMPs zu fragen oder auf den ATMP-Einsatz spezialisierte Medizinerinnen und Mediziner auszuwählen, sondern bleiben abhängig von der individuellen Beratung der behandelnden Ärztinnen und Ärzte.

Der Zugang zu Therapien wird zusätzlich dadurch erschwert, dass ATMPs nur an bestimmten, zertifizierten Kliniken angewendet werden dürfen. Im schlimmsten Fall kommen geeignete Patientinnen und Patienten dadurch erst spät mit auf ATMP spezialisierten Medizinerinnen und Mediziner bzw. Qualifizierten Behandlungszentren in Kontakt. In diesem Zusammenhang berichten Vertreterinnen und Vertreter von Patientenorganisationen bzw. Patientinnen und Patienten nach wie vor von deutlichen regionalen Unterschieden in der Behandlungslandschaft – sowohl bei der geographischen Verteilung der Qualifizierten Behandlungszentren als auch beim Wissensstand und der Einstellung gegenüber ATMPs auf Seiten der Versorger.¹⁷ Eine mangelnde Vernetzung und Aufklärung der Medizinerinnen und Mediziner verschärft dieses Problem ebenso wie die öffentliche bzw. mediale Debatte über ATMPs, die nicht immer vollständig auf Fakten zu basieren scheint, zum Beispiel in Bezug auf die Preisgestaltung.

Betroffene nutzen daher oftmals Internetforen, um sich zu organisieren und auszutauschen. So können sie nach eigenen Angaben besser einfordern, alle Therapieoptionen auszuschöpfen, und Druck auf Leistungserbringer bzw. Krankenkassen erzeugen.

In der sekundären Versorgung durch die Qualifizierten Behandlungszentren nehmen die Befragten die Situation als deutlich ATMP-freundlicher wahr. Die Patientinnen und Patienten berichten, dass sie intensiver zu den Chancen und Risiken von ATMPs aufgeklärt werden. Trotzdem scheint auch hier die notwendige Transparenz bezüglich Langzeiteffekten und der Entscheidung für bzw. gegen ein bestimmtes Präparat zu fehlen, zum Beispiel im Vergleich zwischen konkurrierenden ATMPs oder wenn zwischen ATMPs und anderen innovativen Therapeutika entschieden wird. Da klare Behandlungsleitlinien und Patientenprofile für die klinische Entscheidungshilfe für viele ATMPs noch etabliert bzw. detailliert werden müssen, liegt es stark im Ermessen der Ärztin oder des Arztes, die geeignete Therapie vorzuschlagen. In der Onkologie zum Beispiel werden ATMPs bislang überwiegend spät im Krankheitsverlauf eingesetzt, zumeist als Drittlinien-Therapie.

Ein Beispiel ist das diffus großzellige B-Zell-Lymphom (DLBCL): Für diese Erkrankung sind in Europa drei CAR-T-Zelltherapien zugelassen. Sie erhalten allerdings nur Erkrankte, die bereits zwei andere Therapien erfolglos durchlaufen haben. Zukünftig werden weitere ATMP-Zulassungen für andere Indikationen und frühere Einsätze erwartet. Diese Entwicklung macht aus Patientensicht dringend mehr Transparenz bei der Entscheidungsfindung und Aufklärung im Rahmen der ATMP-Therapieauswahl notwendig.

Mit weiteren Zulassungen von ATMPs und insbesondere CAR-Ts sind auf Seiten der Versorger immense Lerneffekte zu erwarten. Diese führen zu einer routinierteren Prozesskarte, die für höheren Komfort und Sicherheit für Patienten sorgt. Mehr Behandlungen führen darüber hinaus zu mehr Daten, mit denen sich Prognose und Handling von Nebenwirkungen verbessern lassen.



2.3 Perspektive: Medizinerinnen und Mediziner

Die befragten Medizinerinnen und Mediziner betonen übereinstimmend das große Potenzial von ATMPs, um vormals kaum oder nichttherapierbar Erkrankten flexiblere, präzisere und differenzierte Therapieoptionen zu eröffnen. Die personellen und infrastrukturellen Voraussetzungen, um ATMPs in (prä-)klinischen Studien weiter zu erforschen, sind für sie in Deutschland gegeben. Trotzdem sei Deutschland hinsichtlich klinischer Studien für ATMPs im Vergleich zu den USA oder China weit abgeschlagen. Dies liege vor allem an regulatorischen Hürden und "umständlichen administrativen Prozessen", zum Beispiel an der äußerst umfangreichen Prüfung durch das Paul-Ehrlich-Institut.



Konkret beklagen die befragten Medizinerinnen und Mediziner unter anderem fehlende bundesweite Regulierungsstandards. Ein Beispiel hierfür sind Vorgaben zur ethischen Prüfung und Genehmigung der Studienvorhaben. Medizinerinnen und Mediziner in der klinischen Forschung berichten, dass sie in jedem Bundesland andere Standards berücksichtigen und sich gegebenenfalls in jedem Zentrum eine separate Genehmigung der lokalen Ethikkommission einholen müssen. Dies verlangsamt den gesamten wissenschaftlichen Fortschritt merklich und hemmt insbesondere den für die Versorgung essenziellen Erfahrungsgewinn der behandelnden Medizinerinnen und Mediziner – ein Zustand, der sich auch auf Deutschland als Forschungsstandort negativ auswirken kann.

Deutlich positiv sehen die befragten Medizinerinnen und Mediziner die nächste Generation von CAR-T-Zelltherapien, zum Beispiel autologe CAR-Ts zur Behandlung neuer Indikationen wie zuletzt dem Multiplen Myelom, und allogene CAR-Ts, bei denen die Zellen zur Behandlung nicht von den behandelten Patientinnen und Patienten selbst, sondern von gesunden Spenderinnen und Spendern stammen. Obwohl die Datenlage teils noch lückenhaft ist, könnten solche technologischen Fortschritte die Herstellung vereinfachen und damit kosteneffizienter machen. Dies würde im Ergebnis auch den Versorgungsstandort Deutschland wettbewerbsfähiger machen.

Mit weiteren Zulassungen von CAR-Ts wird die Behandlungslandschaft jedoch auch komplexer. Behandlungsmöglichkeiten wie bispezifische Antikörper, TCR-T-Therapien und die Möglichkeit der Kombinationstherapie, etwa mit mRNA-Vakzinen, erhöhen die Anzahl möglicher Therapien erheblich. Die befragten Medizinerinnen und Mediziner sehen aufgrund der erheblich höheren Komplexität die Notwendigkeit einer datenbasierten Entscheidungsunterstützung, um Patientinnen und Patienten korrekt und effizient für die am besten geeignete Therapieform zu qualifizieren.

Grundsätzlich wünschen sich die für diese Studie befragten Medizinerinnen und Mediziner eine größere Innovationsoffenheit im deutschen Gesundheitswesen – statt mitunter vorherrschender Skepsis zum Beispiel auf Seiten der Krankenkassen und der Selbstverwaltung, die sich bei ATMPs in komplexen und lang andauernden Erstattungsprozessen und Einzelfallprüfungen niederschlägt. Von Fortschritten in der Anwendung erhoffen sich Anwender weiteren Erfahrungsgewinn, der die Entscheidung in einer immer komplexer werdenden Behandlungslandschaft vereinfachen kann.





2.4 Perspektive: Versorger

Für Versorger, insbesondere Krankenhäuser und Qualifizierte Behandlungszentren, stehen beim ATMP-Einsatz drei Aspekte im Vordergrund: Kapazität, Finanzierungsfragen und der administrative Aufwand. Aus ihrer Sicht sind bestehende Finanzierungsmodelle langfristig weder tragbar noch skalierbar.

Das Gesetz zur Weiterentwicklung der Gesundheitsversorgung (GVWG) hat die bisherigen Probleme mit der NUB-Lücke teilweise adressiert, indem der Beantragungszeitraum für Zusatzentgelte bei innovativen Therapien von zwölf auf sechs Monate verkürzt wurde.¹⁸ Versorger sehen hierin zwar einen Schritt in die richtige Richtung, nichtsdestotrotz bestehen Probleme fort, vor allem bei der Integration von ATMPs ins DRG-System sowie in Bezug auf Erstattungssicherheit und Kostendeckung, beispielsweise der Apharesekosten.

Für Kliniken kann der ATMP-Einsatz sogar erhebliche finanzielle Schwierigkeiten bedeuten – vor allem dann, wenn ATMPs auch in der EU in Zukunft potenziell früher im Behandlungsverlauf eingesetzt werden dürfen. Werden zum Beispiel nur fünf an spinaler Muskelatrophie (SMA) Erkrankte pro Monat behandelt, würde dies die Kliniken zehn Millionen Euro monatlich zusätzlich kosten. Diese Kosten müssen die Krankenhäuser in Vorleistung zahlen – eine Belastung, die viele Krankenhäuser vor signifikante Liquiditätsprobleme stellen würde. Aufgrund fehlender Kostendeckung über zu geringe Fallpauschalen kann sich das kurzfristige Liquiditätsproblem auch langfristig auf Budgets auswirken und die Krankenhausfinanzen (über-)strapazieren. Dies könnte einen weiteren Grund darstellen, warum Häuser zögern, ATMP-Therapien in das breite Behandlungsspektrum aufzunehmen.

Deutschland ist in der EU Vorreiter für die Etablierung qualifizierter CAR-T-Behandlungszentren: Bereits 43 Krankenhäuser sind für den Einsatz bestimmter CAR-T-Therapien zertifiziert (Stand Juli 2022).¹⁹ Mit steigender Anzahl von Behandlungen sehen Versorger die Chance, kritische Schwellen zu überschreiten. Diese würden dezidierte Strukturen, zum Beispiel CAR-T-Pflegekräfte, Erfahrungsgewinn und routiniertere, eingespielte Prozesse im Umgang mit CAR-T-Patientinnen und -Patienten ermöglichen. Einen möglichen Engpass für eine breitere Versorgung mit CAR-Ts sehen die Versorger darin, dass die Anforderungen an die Qualifizierten Behandlungszentren hoch sind und es daher recht lange dauert, weitere Kliniken zu qualifizieren und somit neue Kapazitäten aufzubauen.

Hinderlich für einen breiteren Einsatz sind aus Versorgersicht außerdem sehr individuell gestaltete Prozesse während der Vertragsanbahnung und Bestellung. So dauert die Vertragsgestaltung für Produktions- und Lieferprozesse mit den Herstellern mitunter bis zu zwölf Monate; und auch Einzelfallentscheidungen für oder gegen eine Therapie(-Erstattung) mit der Krankenkasse und dem durch diese beauftragten Medizinischen Dienst (MD) sind langwierig und bürokratisch aufwändig. Zwar wissen die Versorger mittlerweile, wie sie Verträge gestalten und Therapien beantragen und abrechnen können. Dies allein hat den Aufwand jedoch noch nicht signifikant reduziert.

Zusätzlich sind während der gesamten Therapie mit ATMPs viele Daten zu erfassen. Dies geschieht aus Sicht der Befragten bislang recht ineffizient mit unterschiedlichen und teils redundanten Systemen und Anforderungen, zum Beispiel bei der Einzelfallbeantragung zur Kostenerstattung mit den Krankenkassen, der Bestellung bei pharmazeutischen Unternehmen und der Erfassung von Registerdaten für den G-BA und die medizinischen Fachgesellschaften.

2.5 Perspektive: Krankenkassen

Ein zentraler Aspekt der Diskussion um ATMPs ist nach wie vor die Frage der Erstattung durch die Krankenkassen. Die befragten Vertreterinnen und Vertreter erkennen den individuellen Nutzen zwar an, bezweifeln aber die nachhaltige Finanzierbarkeit. Die Hauptgründe dafür: Der langfristige ökonomische Nutzen ist bisher wenig quantifiziert, und vom Behandlungsergebnis abhängige Vergütungsmodelle (Outcome-Based Reimbursement, OBR) sind bislang in Deutschland wenig etabliert.



Die Erfahrung im EU-Ausland zeigt, dass OBR-Modelle wie Pay-for-Performance (P4P) ein durchaus gangbarer Weg sein können, um die Erstattung, um die Erstattung von ATMPs zu regeln. So sind OBR-Modelle für ATMPs in Italien und Spanien bereits Standard. Die Befragungsteilnehmer geben an, dass diverse alternative, innovative Erstattungs- und Rabattmodelle hierzulande vereinzelt pilotiert wurden. In der Realität scheiterten diese jedoch oftmals an ihrer individuellen Gestaltung und dem damit verbundenen hohen administrativen Aufwand zur Nachhaltung (zum Beispiel für Datenerhebung und -management) sowohl auf Kassen- als auch Versorgerseite. Vor allem bei einem möglicherweise breiteren ATMP-Einsatz, insbesondere durch Vorrücken in der Behandlungslinie, würde sich dieses Problem verschärfen.

Um innovative Erstattungsmodelle und die damit verbundene Einschätzung von Erfolgsfällen erfolgreich zu etablieren, bedarf es eines transparenten Austauschs zwischen Krankenkassen, Regulatoren, Versorgern und Herstellern. Vor allem mit pharmazeutischen Unternehmen wünschen sich die Vertreterinnen und Vertreter der Krankenkassen Möglichkeiten zum weiteren Austausch hinsichtlich Transparenz von Effektivität und Preisbildung.

Neben dem administrativen Aufwand nennen die Befragten die Festlegung einheitlicher Outcome-Parameter zur Erfolgsmessung als größte Hürde für innovative Erstattungsmodelle. Krankenkassen blicken tendenziell noch eher skeptisch auf die Langzeitwirksamkeit von ATMPs, zumal die Evidenz noch unzureichend (bei Gentherapien) ist bzw. erst vereinzelt (bei den CAR-T-Zelltherapien) besteht. Fehlende GKV-übergreifende Standards für den Umgang mit ATMPs verunsichern Krankenkassen zusätzlich und führen zu Inkonsistenzen bei der Entscheidung über Einzelfallanträge.

2.6 Perspektive: Regulator/Selbstverwaltung

Die Vertreterinnen und Vertreter der Selbstverwaltung erkennen an, dass die konventionelle Nutzenbewertung bei ATMPs an ihre Grenzen stößt. Aufgrund der Tatsache, dass ATMPs als Einmalgabe potenziell kurativ angewendet werden und damit langfristig Kosten senken können, bilden traditionelle Parameter zur Nutzenbewertung den innovativen Charakter der ATMPs nicht ausreichend ab.



Grundsätzlich müssen randomisiert-kontrollierte Studien die Sicherheit und Wirksamkeit neuer Medikamente belegen, bevor die EMA sie zulässt. Mit besonderer Begründung ist es jedoch auch möglich, neue Therapeutika auf Basis nichtrandomisierter Studien zu erlauben.²⁰

Die konventionelle Zulassung und frühe Nutzenbewertung sind bei ATMPs dadurch erschwert, dass diese vor allem bei seltenen Erkrankungen (zum Beispiel SMA und DLBCL) mit geringen Patientenzahlen und begrenzten therapeutischen Alternativen eingesetzt werden. Die meisten ATMPs werden deshalb in Studien mit nur einer Behandlungsgruppe (ohne Kontrollgruppe) entwickelt. Dies sehen die befragten Vertreterinnen und Vertreter der Selbstverwaltung mit Blick auf die frühe Nutzenbewertung kritisch. Zugleich sind sie zurückhaltend, Erfahrungen aus der klinischen Praxis (Real World Evidence, RWE) und indirekte Vergleiche basierend auf historischen Kontrollgruppen zu nutzen. Es bestehen Diskussionen darüber, welche Outcome-Parameter – auch auf pan-europäischer Ebene – erhoben und wie diese verwendet werden sollen, insbesondere welche Zeiträume zu definieren sind.

Weil Langzeitdaten noch fehlen, ist zudem die langfristige Kosteneffizienz unklar, und Modellrechnungen sind bei vergleichsweise geringen Patientenzahlen noch ungenau. Die immensen Kosten und die kurzfristige Auswirkung auf die Gesundheitsbudgets im Verhältnis zum Nutzen sind aus Sicht der Selbstverwaltung dem Gesundheitswesen (und letztlich der Allgemeinheit) nur bedingt zuzumuten oder tragbar, insbesondere dann, wenn künftig deutlich mehr Patientinnen und Patienten als bisher ATMPs erhalten sollen.

ABBILDUNG 6
Herausforderungen aus Sicht der Akteurinnen und Akteure



Quelle: Strategy& Analyse

3. Zentrale Handlungsfelder: Was passieren muss

Aus den dargestellten Perspektiven der Akteurinnen und Akteure im Gesundheitswesen ergeben sich aus Sicht von Gilead fünf zentrale Handlungsfelder, um die bisherige, grundsätzlich konstruktive Zusammenarbeit aller Beteiligten fortzuführen und das gemeinsame Ziel – die bestmögliche Behandlung für alle infrage kommenden Patientinnen und Patienten – noch schneller zu erreichen.

3.1 Kapazität und Zugang

Obwohl es in Deutschland im Vergleich mit anderen EU-Ländern mehr Qualifizierte Behandlungszentren gibt, liegt die Zahl der durchgeführten CAR-T-Zelltherapien deutlich unter den initialen Schätzungen.^{21,22} Während die Bundesrepublik oftmals als Spitzenreiter in der schnellen Dissemination von Therapien gilt, verläuft die Annahme der ATMPs im europäischen Vergleich eher stockend.^{23,24} Dies birgt – neben einem verlangsamten Zugang zu diesen Therapien für Patientinnen und Patienten – die Gefahr, dass Deutschland als Innovationsstandort zurückfällt, sodass sich der noch bestehende Standortvorteil (durch die meist schnelle Inverkehrbringung) perspektivisch egalisiert.



Die ATMP-Kapazitäten in Deutschland entsprechen derzeit dem Bedarf. Langfristig jedoch werden aufgrund weiterer Indikationen und des früheren Einsatzes die Patientenzahlen drastisch steigen. Akteurinnen und Akteure im Gesundheitswesen sollten sich daher kritisch fragen, ob die Kapazitäten auch in Zukunft ausreichen werden. Neben einem Ausbau der Kapazitäten sehen befragte Stakeholder auch Chancen auch darin, bestehende Kapazitäten und Betten durch eine ambulante (Teil-)Behandlung mit ATMPs effizienter zu nutzen

3.2 Forschung

Um Erfahrungen mit innovativen Medikamenten und Therapien zu sammeln, sind klinische und präklinische Forschung essenziell. Bundesweit einheitliche und vereinfachte Regularien könnten helfen, Barrieren zu beseitigen. ATMPs sind, auch aufgrund des demografischen Wandels mit künftig potenziell mehr Betroffenen durchaus gesellschaftlich relevant. Hier braucht es vielversprechende Forschungsansätze und deren Translation in die klinische Praxis – auch um die Wettbewerbsfähigkeit Deutschlands als Forschungs- und Innovationsstandort zu bewahren und zu stärken. Dies kann sich in der Weiterentwicklung aktuell genutzter autologer CAR-Ts wie auch in der Weiterentwicklung potenziell kostengünstigerer allogener CAR-T Therapien äußern.



Gleichwohl sollten sich deutsche Studienzentren unbedingt an globalen klinischen Studien beteiligen. Damit kann sichergestellt werden, dass

- die wissenschaftliche Expertise und die nach wie vor hochwertige medizinische Versorgung aus Deutschland in globale Entwicklungsprogramme einfließen.
- Spitzenforscherinnen und -forscher aus aller Welt frühzeitig ihr Wissen und ihre Erfahrungen zu neuen und neuartigen Therapeutika austauschen.



3.3 Nutzenbewertung

Grundsätzlich sollten der individuelle Therapieerfolg und der individuelle Patientennutzen im Vordergrund der Diskussion stehen. So belegen insbesondere die CAR-T-Zelltherapien, dass ATMPs Patientinnen und Patienten, für die vormals kaum Heilungschancen bestanden, bessere Behandlungsprognosen haben können.

Daneben braucht es gemeinsame Anstrengungen, um den gesundheitsökonomischen Nutzen von ATMPs zu quantifizieren, um Planbarkeit in der Nutzenbewertung zu gewährleisten. Insbesondere Registerdaten können helfen, die Diskussion zu objektivieren. Eine gemeinsame Aufgabe ist es hier, Register mit einheitlichen Datenstrukturen und verlässlichen Outcome-Parametern aufzubauen. Zum Erkenntnisgewinn beitragen kann ebenfalls das Konzept der anwendungsbegleitenden Datenerhebung (AbD).²⁵ Es verpflichtet pharmazeutische Unternehmen dazu, versorgungsnahe Daten zu ihren Arzneimitteln zu erheben, um mit diesen den Zusatznutzen zu bewerten.²⁶ Deren Nutzung sowie generell ein verstärkter Einsatz von RWE ist aus Sicht der befragten Stakeholder des Gesundheitswesens elementar, um die (Langzeit-)Evidenz für ATMPs zu schärfen.

Ein weiteres wichtiges Instrument, um medizinische Innovation zu fördern, ist die Einstufung bestimmter ATMPs als „Orphan Drugs“, also Medikamente gegen Krankheiten, die weniger als fünf von 10.000 Personen in der EU betreffen. Auch wenn der Status der „Orphan Drugs“ zuletzt unter anderem durch das IQWiG kritisiert wurde,²⁷ bedarf es insbesondere bei sehr seltenen Erkrankungen weiterhin Mechanismen, die Anreize für Innovationen in Europa bzw. Deutschland schaffen und einen schnellen Marktzugang ermöglichen. Darüber hinaus ist die Beibehaltung der Privilegierung von Orphan Drugs in der Nutzenbewertung unerlässlich, da aufgrund der geringen Fallzahl RCTs zur Evidenzgenerierung oftmals nicht durchgeführt werden können.

Nicht zuletzt sind bei der Nutzenbewertung weitere Änderungen zu erwarten, zum Beispiel durch das European Network for Health Technology Assessment (EUnetHTA). Dessen Ziel ist es, durch gemeinsame klinische Nutzenbewertungen die Zusammenarbeit zwischen europäischen HTA-Organisationen zu unterstützen und somit Transparenz und Objektivität zu fördern bzw. Mehrarbeit zu reduzieren.²⁸ Für ATMPs wird die EUnetHTA-Verordnung bis zum Winter 2024/2025 implementiert werden. Vertreterinnen und Vertreter der Selbstverwaltung, Krankenkassen und Hersteller müssen sich daher schon jetzt auf die neuen Anforderungen und Implikationen des Verfahrens vorbereiten und klar darlegen, wie die Ergebnisse in die nationale Nutzenbewertung bzw. Preisbildung integriert werden (sollen).



3.4 Finanzierung und Erstattung

Bereits relativ schnell nach Einführung der ATMPs wurde evident, dass die derzeitigen Abrechnungsmodelle für ATMPs nicht flexibel genug sind. Erforderlich ist daher ein einheitliches, innovatives Erstattungsmodell, das den Nutzen von ATMPs adäquat abbilden und zugleich einen vertretbaren administrativen und finanziellen Aufwand für die versorgenden Einrichtungen sicherstellen kann. Die Finanzierung sollte zudem möglichst effizient und einfach sein, sodass Verträge zum Beispiel direkt zwischen Krankenkassen und Herstellern geschlossen werden können – ohne die Kliniken als Intermediäre. Dies ist schon jetzt wichtig, gewinnt aber signifikant an Relevanz, wenn ATMPs künftig noch häufiger zur Behandlung eingesetzt werden.

Die befragten Akteurinnen und Akteure des Gesundheitswesens sind sich einig darüber, dass erfolgsbasierte Erstattungsmodelle ein vielversprechendes Mittel sind, um ATMPs stärker in der Versorgung zu etablieren und gleichzeitig Innovationen langfristig zu finanzieren. Erfahrungen aus dem EU-Ausland, insbesondere Italien und Spanien, zeigen, dass OBR-Modelle funktionieren und Kosten bzw. Unsicherheiten der innovativen Therapien minimieren können.^{29,30,31,32,33} In Spanien beispielsweise wurden bereits einige erfolgsbasierte Verträge zwischen regionalen Versorgungsnetzwerken bzw. Krankenhäusern und Herstellern innovativer Therapeutika geschlossen.³⁴ Es zeigt sich, dass neben der Minimierung des administrativen und finanziellen Aufwands insbesondere eine adäquate und cross-funktional abgestimmte Definition der Erfolgsparameter kritisch für den Erfolg von OBR-Modellen ist.³⁵ Für erfolgsbasierte Erstattungsmodelle, die u.a. auch die Möglichkeit von Raten- und Rückzahlungen beinhalten, müssen zudem die Grundlagen geschaffen werden, zum Beispiel durch eine Reform des Morbi-RSA und des Krankenkassen-Selbstbehaltes bei Mehrfachzahlungen.

Der Aspekt der Finanzierung und Erstattung ist komplex und wird deshalb nur zu lösen sein, wenn

- alle Beteiligten gemeinsam daran arbeiten, innovative Modelle zu entwickeln.
- alle Beteiligten einen Mehrwert in solchen Modellen erkennen.
- alle Beteiligten sich verbindlich auf einheitliche Outcome-Parameter verständigen und
- eventuelle, zukünftige Änderungen an gesetzlichen Rahmenbedingungen ATMPs durch Finanzierung und Erstattung nicht benachteiligen.

Aus Sicht von Gilead und Kite Pharma sollten Anreizsysteme den Therapieerfolg stärker als bisher berücksichtigen. Der Therapieerfolg wiederum ist ganzheitlich zu betrachten. So ist zum Beispiel darüber nachzudenken, wie auch die Kosten für Folgebehandlungen bei der Gesamtbewertung berücksichtigt werden können. Diese Kosten nehmen beim ATMP-Einsatz in vielen Fällen deutlich ab oder entfallen sogar ganz. Dies würde auch Versorgern und Krankenkassen größere Sicherheit verschaffen. Schließlich ist auch zu erwähnen, dass aufgrund von Skaleneffekten und des technologischen Fortschritts damit zu rechnen ist, dass die Kosten von ATMPs perspektivisch grundsätzlich sinken werden.

3.5 Öffentliche Wahrnehmung

Ebenso wichtig ist es, die offene und differenzierte öffentliche Debatte über ATMPs weiter zu fördern, etwa mit einer deutschlandweiten, digitalen Plattform zum themenspezifischen Austausch. Hierbei sollte das Potenzial von ATMPs, die Versorgung mit und den Zugang zu medizinischen Innovationen zu verbessern, stärker als bislang im Vordergrund stehen. Schließlich sind ATMPs weit mehr als bloße „Kostentreiber“, wie mitunter betont wird; sie bieten in erster Linie enorme Chancen – für die einzelnen Patientinnen und Patienten, aber auch für den Forschungs- und Versorgungsstandort Deutschland.



Schlüsselpersonen hierfür sind die Medizinerinnen und Mediziner, auch in der Primärversorgung. Sie müssen ausreichend informiert und vernetzt sein, um ihren Patientinnen und Patienten Zugang zum gesamten Behandlungsspektrum ermöglichen und sie gegebenenfalls an ein geeignetes Zentrum überweisen zu können. Um dies zu realisieren, müssen sie mit klar definierten Leitlinien sowie Patientenpfaden und -profilen in der Therapieentscheidung auch außerhalb der spezialisierten Versorgung unterstützt werden.

Diese Unterstützung in der Entscheidungsfindung sollte die Behandlungsrealität möglichst vollständig abbilden, zum Beispiel durch kürzere Aktualisierungszyklen entsprechender Leitlinien. Darüber hinaus können weitere Maßnahmen gefördert werden, um die Behandlung qualitativ besser und effizienter zu gestalten, zum Beispiel mit einem verpflichtenden Tumorboard für alle Patientinnen und Patienten (auch im niedergelassenen Bereich), eine verstärkte Nutzung der elektronischen Patientenakte, um Doppeluntersuchungen zu vermeiden, und generell die Nutzung digitaler Kanäle zum Austausch zwischen Medizinerinnen und Medizinerinnen und Patientinnen und Patienten.

Insgesamt braucht es ein noch innovationsfreundlicheres Klima, das die Zusammenarbeit zwischen allen Beteiligten im Gesundheitswesen fordert und fördert – bei Patientenvertretungen, (Fach-)Medizinerinnen und Medizinerinnen, Krankenkassen, Versorgern, der Selbstverwaltung und nicht zuletzt in der Politik.

ABBILDUNG 7
Übersicht möglicher Handlungsfelder



Quelle: Strategy& Analyse

KAPITEL 4

4. Fazit

ATMPs bergen enormes Potenzial, um Patientinnen und Patienten in Deutschland, Europa und weltweit besser als bisher zu versorgen – bis hin zur potenziellen Heilung vormals unheilbarer Erkrankungen. Voraussetzungen dafür sind höchste Qualitäts- und Sicherheitsstandards bei der ATMP-Herstellung und -Anwendung sowie eine fachliche Expertise auf höchstem Niveau.

In den kommenden Jahren werden weltweit deutlich mehr ATMPs als heute zugelassen werden. Deutschland spielt hier als leistungsstarker Versorgungs- und Innovationsstandort eine wichtige Rolle. Damit dies so bleibt, sollten alle Akteurinnen und Akteure des Gesundheitswesens hierzulande ihren gemeinsamen, konstruktiven Dialog und Erfahrungsaustausch engagiert und lösungsorientiert fortsetzen. Daran beteiligt sich auch Gilead/ Kite Pharma aus voller Überzeugung, um den Einsatz von ATMPs zu verbreitern und zu verbessern.

Wünschenswert ist es aus unserer Sicht, dass alle Beteiligten – Patientinnen und Patienten, Forscherinnen und Forscher, Medizinerinnen und Mediziner, pharmazeutische Unternehmen, Krankenkassen, Fachgesellschaften und Regulatoren – gemeinsam multidisziplinäre Forschungs- und Versorgungsnetzwerke aufbauen und stärken.

Gemeinsam sollten sich die Akteurinnen und Akteure weiter bemühen, den gesundheitsökonomischen Nutzen von ATMPs ganzheitlich zu quantifizieren und zu bewerten. Dies wird insgesamt dazu beitragen, bestehende Bedenken zu verringern und die Innovationsbereitschaft zu erhöhen. Optimistisch stimmen aktuelle Initiativen, etwa des G-BA zur standardisierten Zertifizierung. Dieses Momentum sollten alle Verantwortlichen jetzt nutzen – zum größtmöglichen Vorteil aller aktuellen und künftigen Patientinnen und Patienten.

KAPITEL 5

5. Referenzen

- 1 <https://www.aerzteblatt.de/archiv/196295/CAR-T-Zell-Therapie-Aussichten-und-Risiken>
- 2 <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview>
- 3 <https://alliancerm.org/sector-report/h1-2021-report/>
- 4 <https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/datenbanken-zu-arzneimitteln/atmp>
- 5 <https://www.biopharma-reporter.com/Article/2022/03/28/EU-Janssen-s-multiple-myeloma-therapy-set-for-approval-Kymriah-on-track-for-extra-indication>
- 6 <https://www.pharma-fakten.de/news/details/821-gentherapie-neue-therapeutischemoeglichkeiten-fuer-viele-bislang-unheilbare-krankheiten/>
- 7 <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/advanced-therapy-medicinalproducts-overview>
- 8 <https://www.aerzteblatt.de/archiv/196295/CAR-T-Zell-Therapie-Aussichten-und-Risiken>
- 9 Quinn, C., Young, C., Thomas, J., & Trusheim, M. (2019). Estimating the clinical pipeline of cell and gene therapies and their potential economic impact on the US Healthcare System. *Value in Health*, 22(6), 621–626. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2019.03.014>
- 10 <https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/datenbanken-zu-arzneimitteln/atmp>
- 11 <https://www.biopharma-reporter.com/Article/2022/03/28/EU-Janssen-s-multiplemyeloma-therapy-set-for-approval-Kymriah-on-track-for-extra-indication>
- 12 <https://alliancerm.org/sector-report/h1-2021-report/>
- 13 <https://alliancerm.org/sector-report/h1-2021-report/>
- 14 <https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/datenbanken-zu-arzneimitteln/atmp>
- 15 Albinger, N., Hartmann, J. & Ullrich, E. Current status and perspective of CAR-T and CAR-NK cell therapy trials in Germany. *Gene Ther* 28, 513–527 (2021). <https://doi.org/10.1038/s41434-021-00246-w>

-
- 16 Es wurden 14 semi-strukturierte Interviews mit Expertinnen und Experten auf dem Gebiet der ATMPs geführt. Die Befragung fand in 2 Wellen statt, um neue Entwicklungen auf dem Markt seit Beginn der Befragung (Februar 22) abzubilden. Mit einigen der Interviewpartnerinnen und -Partnern wurde in der zweiten Welle (Juni 22, Fokus Medizinerinnen und Mediziner, Versorger) erneut gesprochen, um deren Perspektive auf z.B. neue Zulassungen einzufangen.
- 17 <https://www.aerztezeitung.de/Kooperationen/Fachsymposium-Gentherapien>
- 18 <https://www.bda.de/presse/presseagentur/2642-gvwg-neues-versorgungsgesetz-soll-nub-luecke-schliessen.html#:~:text=%E2%80%9C,Jahres%20ein%20Termin%20einger%C3%A4umt%20werden.>
- 19 <https://www.dag-kbt.de/cart-standorte-alle.html>
- 20 https://www.monitor-versorgungsforschung.de/Abstracts/Abstract2020/mvf_01-20/Bless_Anwendungsbegleitende-Daten
- 21 <https://www.dgho.de/publikationen/stellungnahmen/gute-aerztliche-praxis/car-t-zelltherapie/car-t-zellen-status-20200722.pdf>
- 22 <https://lymphomahub.com/medical-information/results-from-the-french-descar-t-registry-study-use-of-cancer-databases-for-the-management-of-data-from-patients-undergoing-car-t-cell-therapy-for-the-treatment-of-dlbcl>
- 23 <https://www.dgho.de/publikationen/stellungnahmen/gute-aerztliche-praxis/car-t-zelltherapie/car-t-zellen-status-20200722.pdf>
- 24 <https://www.vfa.de/de/wirtschaft-politik/politik/gute-versorgungssituation-in-deutschland-kein-naturgesetz>
- 25 <https://www.g-ba.de/themen/arzneimittel/arzneimittel-richtlinie-anlagen/anwendungsbegleitende-datenerhebung/>
- 26 <https://www.g-ba.de/presse/pressemitteilungen-meldungen/932/>
- 27 https://www.iqwig.de/en/presse/press-releases/press-releases-detailpage_58496.html
- 28 <https://www.eunetha.eu/>
- 29 Jørgensen, J., & Kefalas, P. (2021). The use of innovative payment mechanisms for gene therapies in Europe and the USA. *Regenerative Medicine*, 16(4), 405–422. <https://doi.org/10.2217/rme-2020-0169>

-
- 30 Dunlop, W., Staufer, A., Levy, P., & Edwards, G. J. (2018). Innovative pharmaceutical pricing agreements in five European markets: A survey of stakeholder attitudes and experience. *Health policy (Amsterdam, Netherlands)*, 122(5), 528–532. <https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2018.02.008>
 - 31 Bohm, N., Bermingham, S., Grimsey Jones, F. et al. The Challenges of Outcomes-Based Contract Implementation for Medicines in Europe. *PharmacoEconomics* 40, 13–29 (2022). <https://doi.org/10.1007/s40273-021-01070-1>
 - 32 Garattini, L., & Casadei, G. (2011). Risk sharing agreements: what lessons from Italy?. *International journal of technology assessment in health care*, 27(2), 169–172. <https://doi.org/10.1017/S0266462311000079>
 - 33 Darbà, J., & Ascanio, M. (2019). The current performance-linked and risk sharing agreement scene in the Spanish region of Catalonia. *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research*, 19(6), 743–748. <https://doi.org/10.1080/14737167.2019.1587296>
 - 34 Darbà, J., & Ascanio, M. (2019). The current performance-linked and risk sharing agreement scene in the Spanish region of Catalonia. *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research*, 19(6), 743–748. <https://doi.org/10.1080/14737167.2019.1587296>
 - 35 Garattini, L., & Casadei, G. (2011). Risk sharing agreements: what lessons from Italy?. *International journal of technology assessment in health care*, 27(2), 169–172. <https://doi.org/10.1017/S0266462311000079>

Strategy&

Strategy& ist die globale Strategieberatung von PwC. Wir entwickeln individuelle Geschäftsstrategien für weltweit führende Unternehmen. „Strategy, made real“ heißt für uns, den digitalen Wandel voranzutreiben, die Zukunft mitzugestalten und Visionen Wirklichkeit werden zu lassen.

Unser praxisorientierter Beratungsansatz stellt die Kernkompetenzen unserer Klienten in den Vordergrund. Wir kombinieren unsere Expertise mit Technologie und erarbeiten daraus eine passende Strategie, die effizient umsetzbar ist. Wir unterstützen Unternehmen bei der Definition und dem Ausbau differenzierender Wettbewerbsvorteile, um aktuelle und zukünftige Herausforderungen zu meistern.

3.000 Strategieberater und mehr als 327.000 PwC-Mitarbeiter in 155 Ländern tragen hierzu mit einem breiten Spektrum an hochwertigen, branchen-spezifischen Dienstleistungen in den Bereichen Wirtschaftsprüfung, Steuer- und Unternehmensberatung bei. Unsere Erfahrung aus 100 Jahren Beratung namhafter Unternehmen und öffentlicher Institutionen bringen wir zusätzlich in zahlreiche Studien, Veröffentlichungen sowie unser mehrfach ausgezeichnetes Management Magazin strategy+business ein.

www.strategyand.pwc.com



Stay up to date –
Sign up here to receive
the latest Strategy&
thought leadership and
industry trends

