

---

# ATMPs\* im Jahre 2025

**Innovative Therapien  
ermöglichen einen  
nachhaltigen  
Paradigmenwechsel  
in der Onkologie**

\*ATMPs = „Advanced Therapy Medicinal Products“

# 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

## Zürich

Dr. Marcel Stangier  
Senior Associate,  
PwC Strategy& Switzerland  
+41-79-854-1618  
marcel.stangier@pwc.ch

## Über diese Studie

Diese Studie wurde von PwC Strategy& im Auftrag von Gilead Sciences GmbH durchgeführt. Die Freigabenummer der Gilead Sciences GmbH lautet: DE-TEC-0119

## 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 rund um Market Access und Organisationsdesign mit einem Fokus auf innovative Therapien. Er ist Direktor bei PwC Strategy& mit Sitz in Berlin.

**Dr. Marcel Stangier** berät Pharma- und Lifescience-Kunden besonders bei Themen in den Bereichen R&D und Kommerzialisierung. Er fokussiert sich vor allem auf innovative Therapien und agile Transformationen. Er ist Senior Associate bei PwC Strategy& mit Sitz in Zürich.

---

## INHALT

---

<b>Zusammenfassung</b>	<b>4</b>
<b>1. Wie ATMPs die Onkologie bis 2025 verändern werden</b>	<b>5</b>
1.1 Medizinische Innovationen revolutionieren die Onkologie	
1.2 Paradigmenwechsel: Vom „unheilbaren“ Krebs zu potenziell kurativen Therapien	
1.3 Neue Therapien erweitern das Anwendungsspektrum	
<b>2. ATMPs: Die wesentlichen Herausforderungen bis 2025</b>	<b>9</b>
2.1 Fortbestehende Hürden in der Nutzenbewertung	
2.2 Fehlende Rahmenbedingungen für innovative Erstattungsmodelle	
2.3 Unsicherheiten bei der Auswahl und Anwendung	
2.4 Sicherstellung des Behandlungszugangs für Patientinnen und Patienten	
2.5 Unklare ökonomische Auswirkungen auf das Gesundheitssystem	
<b>3. Chancen für Akteurinnen und Akteure im Gesundheitswesen</b>	<b>12</b>
3.1 Konkrete Chancen des flächendeckenden ATMP-Einsatzes	
3.2 Maßnahmen, um Chancen von ATMPs optimal zu nutzen	
<b>4. Fazit</b>	<b>16</b>
<b>5. Referenzen</b>	<b>17</b>

---

---

## ZUSAMMENFASSUNG

- ATMPs (engl. Advanced Therapy Medicinal Products) wie Chimeric Antigen Receptor (CAR)-T-Zelltherapien haben das Potenzial, die Behandlung bestimmter Krebsarten deutlich zu verbessern – bis hin zu einem kurativen Potenzial für vormals unheilbare Erkrankungen.<sup>1,2</sup>
- Noch setzen Ärztinnen und Ärzte ATMPs aufgrund der Vorgaben als späte Therapieoption ein, wie CAR-T-Zelltherapien als Drittlinien-Therapie für das diffuse großzellige B-Zell-Lymphom.<sup>3</sup> Bis zum Jahr 2025 werden manche von ihnen höchstwahrscheinlich Bestandteil des Therapiestandards zumindest in ausgewählten Zentren werden. Dadurch werden diese Therapien einen langfristig wirksamen Paradigmenwechsel in der Onkologie bewirken (vgl. Kapitel 1).<sup>4</sup>
- Damit dies gelingt und diese neue Form der Therapie möglichst allen für eine Behandlung infrage kommenden Patientinnen und Patienten zur Verfügung steht, müssen die Beteiligten im Gesundheitswesen fünf fortbestehende Herausforderungen meistern (vgl. Kapitel 2):
  - Fortbestehende Hürden in der Nutzenbewertung
  - Fehlende Rahmenbedingungen für innovative Erstattungsmodelle
  - Unsicherheiten bei Auswahl und Anwendung
  - Sicherstellung des Behandlungszugangs für Patientinnen und Patienten
  - Unklare ökonomische Auswirkungen auf das Gesundheitssystem
- Patientenpfade in der Onkologie ändern sich mit dem frühen ATMP-Einsatz substantziell. Das zukünftige Vorrücken potenziell kurativer Optionen basierend auf Zell- und Gentherapien kann die Gesamtbehandlungskosten senken.
- Gleichzeitig bieten die innovativen Therapien Chancen für die unterschiedlichen Akteurinnen und Akteure im Gesundheitssystem wie Medizinerinnen und Medizinern, Versorgungsinstitutionen und der Politik sowie insbesondere Patientinnen und Patienten die Möglichkeit für einen breiten Zugang zu Therapien mit potenziell kurativem Charakter.
- Die frühzeitige gemeinsame Weichenstellung durch alle Beteiligten ist sehr wichtig, um die richtigen Rahmenbedingungen für einen breiten Patientenzugang zu ATMPs zu schaffen. Dadurch lassen sich die erwarteten Herausforderungen bis 2025 frühzeitig adressieren und die Chancen umfassend realisieren.
- Wir haben sechs Maßnahmen und dazugehörige politische Handlungsfelder erarbeitet, um das Ziel – die optimale Therapie mit ATMPs für alle infrage kommenden Patientinnen und Patienten – bis 2025 zu erreichen (vgl. Kapitel 3).

# 1. Wie ATMPs die Onkologie bis 2025 verändern werden

## 1.1 Medizinische Innovationen revolutionieren die Onkologie

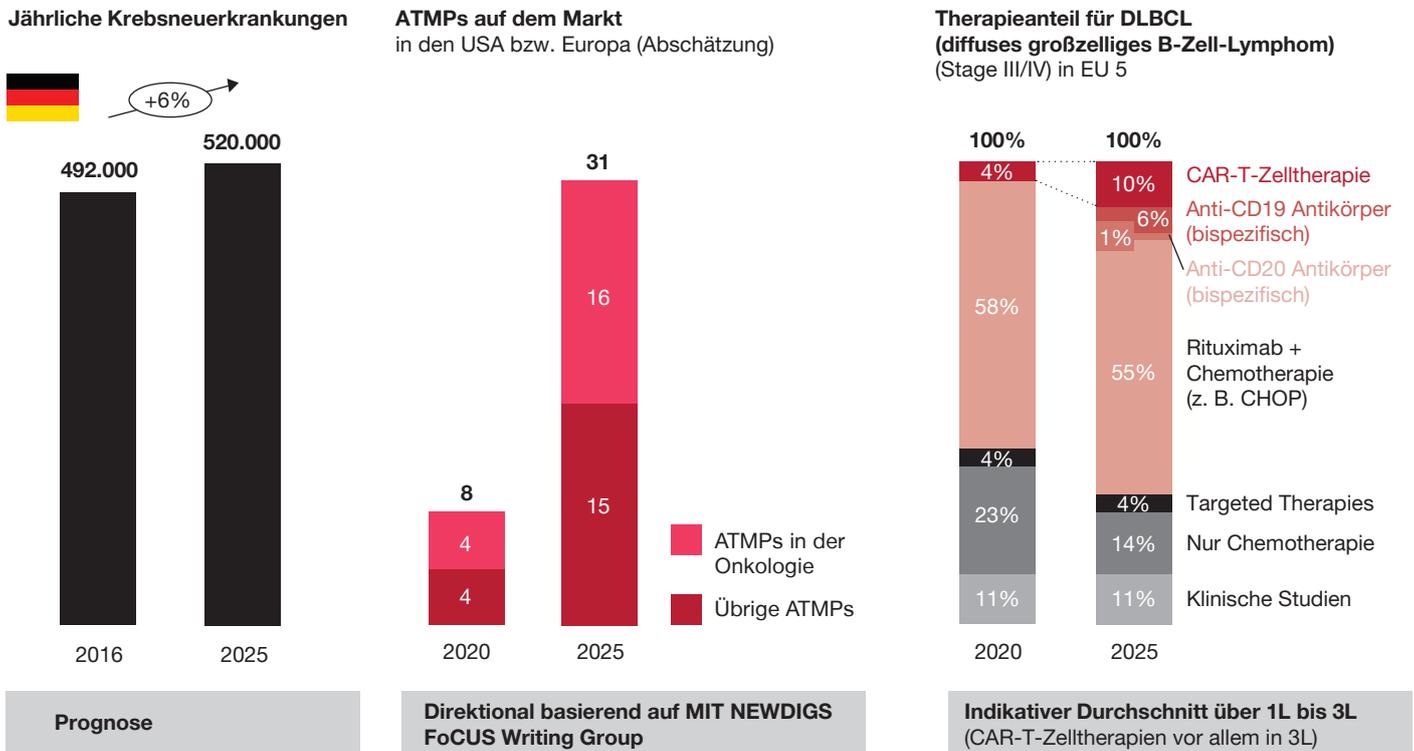
Die Prognosen sind eindeutig: In Deutschland wird durch den demographischen Wandel und die höhere Inzidenz von Krebs im Alter die Zahl der jährlichen Krebsneuerkrankungen bis zum Jahr 2025 signifikant weiter steigen – auf mehr als 500.000.<sup>5</sup> Das entspricht einer Zunahme von etwa sechs Prozent im Vergleich zu 2016.<sup>5,6</sup> Somit werden das Krankheitsbild Krebs und die optimale Auswahl aus der Fülle der Therapieoptionen zusammen mit der Sequenz in der Therapieabfolge einen immer größeren Stellenwert für die betroffenen Patientinnen und Patienten sowie in gesundheitspolitischen Diskussionen einnehmen.

Gegenüber klassischen Chemotherapien und etablierten monoklonalen Antikörpern, die bei der systemischen Krebsbehandlung vorwiegend eingesetzt werden,<sup>7</sup> sollte insbesondere der Anteil personalisierter Therapien für viele Krebsarten signifikant ansteigen.<sup>8</sup> Denn sie bieten wahrscheinlich deutlich bessere Behandlungsoptionen im Vergleich zum vorherigen Behandlungsstandard. ATMPs (engl.: Advanced Therapy Medicinal Products) wie den CAR-T-Zelltherapien<sup>8,9</sup> kommt somit eine entscheidende Rolle bei der Einführung vollständig personalisierter Therapieansätze zu. Weitere übergeordnete Trends wie die Digitalisierung schaffen die Grundlage für eine umfassende Datenerhebung und Datenauswertung. Sie sind wichtige Voraussetzungen für die personalisierte Medizin.

Mehr als 600 Zelltherapien gegen Krebs werden derzeit in klinischen Studien in unterschiedlichen Phasen erforscht.<sup>10</sup> Nicht alle von ihnen werden voraussichtlich eine Wirksamkeit bzw. kuratives Potenzial in klinischen Studien zeigen, sodass nur wirksame und sichere ATMPs zugelassen werden. Diese werden zunächst meistens erst in der letzten Therapielinie eingesetzt, d. h. oft in der Drittlinie (3L)<sup>3,4</sup>, wobei eine teilweise Anwendung in der Erst- und Zweitlinie (1L/2L) für bestimmte Krebsarten bis 2025 avisiert ist, um die therapeutischen Vorteile zu realisieren. Laufende Studien der biopharmazeutischen Unternehmen können dafür die erforderlichen Evidenzen liefern. Auch weitere aufkommende innovative Therapieoptionen wie bispezifische Antikörper und ADCs (Antibody-Drug Conjugates), sind weitere, möglicherweise wirkungsvolle Behandlungsoptionen gegen Krebsarten wie Blutkrebs und werden 2025 eine größere Rolle als heute spielen.<sup>8</sup>

## ABBILDUNG 1

### Prognosen für die Onkologie im Jahr 2025<sup>5,6,11,12.</sup>



Quelle: DGHO: Ausblick 2025; RKI; MIT NEWDIGS FoCUS Writing Group; Global Data: B-Cell Non Hodgkins Lymphoma Forecast (Details zu Quellen im Kapitel Referenzen)

## 1.2 Paradigmenwechsel: Vom „unheilbaren“ Krebs zu potenziell kurativen Therapien

ATMPs wie die CAR-T-Zelltherapien erhöhen nicht nur die Lebenserwartung Schwerkranker; sie haben in Studien teilweise auch zu langanhaltenden Remissionen geführt<sup>13</sup> – Krebs wird damit von einer oftmals „unheilbaren“ zur „potenziell heilbaren“ Erkrankung.<sup>14,15</sup> Während Onkologinnen und Onkologen die CAR-T-Zelltherapien derzeit vorwiegend als letzte Therapieoption nutzen, könnten in der Zukunft u. a. klinische Studiendaten für die 1L/2L den Einsatz eventuell bereits in früheren Behandlungsphasen erlauben.<sup>4</sup> Bis 2025 werden CAR-T-Zelltherapien und weitere Therapien höchstwahrscheinlich Teil des Therapiestandards bei verschiedenen Krebsarten,<sup>11,16</sup> insbesondere für die Behandlung von Blutkrebs (vgl. erwartete Zunahme des CAR-T-Zelltherapie-Einsatzes für ein spezifisches Non-Hodgkin-Lymphom in Abb. 1).

Dieser Paradigmenwechsel von fehlenden Optionen für stark vorbehandelte Patientinnen und Patienten mit einem Rezidiv hin zu kurativen Ansätzen mit verbesserten Behandlungsergebnissen ändert auch Patientenpfade, die den Weg der Patientinnen und Patienten durch die einzelnen Behandlungsphasen beschreiben. Zunächst wird das Screening etwa mittels Liquid Biopsy<sup>17</sup> weiter an Relevanz gewinnen, um Krebs frühzeitig zu erkennen, sodass präventive Ansätze im Gesundheitssystem insgesamt wichtiger werden. In der radiologischen Diagnostik wird der Einsatz künstlicher Intelligenz (KI)<sup>18</sup> und weiterer Ansätze der digitalen Pathologie<sup>19</sup> die Tumorerkennung wesentlich verbessern. Insgesamt helfen datenanalytische Verfahren inklusive KI, die großen Datenmengen durch die personalisierte Medizin sinnvoll zum Wohle der Patientinnen und Patienten auszuwerten, vor allem durch die holistische Kombination von Daten und Analysen aus verschiedenen Quellen.

---

Auch die molekulare Diagnostik, vor allem auf Basis genomischer Analysen, wird immer wichtiger. Dazu gehört beispielsweise der breite Einsatz moderner Gensequenzierungsmethoden für das Tumorprofiling<sup>20</sup> inklusive Betrachtung der Tumormutationslast.<sup>21</sup> Und je besser Medizinerinnen und Mediziner auch das „Tumor Microenvironment“ verstehen, desto gezielter lassen sich passende Therapien anwenden.<sup>22</sup> Solche Ansätze der Präzisionsmedizin dienen dazu, die individuell optimale Therapie zu identifizieren.

Mit diesen spezifisch angepassten Behandlungen wird das Leitbild der Patientenzentriertheit Wirklichkeit. Außerdem wird sich die onkologische Behandlung mit bestimmten ATMPs in den kommenden Jahren für ausgewählte Indikationen vom stationären ins ambulante Umfeld<sup>23</sup> verlagern, weil innovative Therapien immer sicherer und Nebenwirkungen durch zunehmende Erfahrung besser handhabbar werden. Daneben ist es elementar, dass mehr und bessere Kooperationen zwischen Einrichtungen der Spitzenmedizin und dem ambulanten Bereich etabliert werden. Je früher Patientinnen und Patienten ATMPs erhalten, desto besser können Therapien wie CAR-T-Zelltherapien wirken beispielsweise durch frühe Reduktion der Tumorlast und wirksamere CAR-T-Zellen, sodass häufig keine langwierigen Chemotherapien mehr erforderlich sein könnten.<sup>24,25</sup> Zusätzlich können CAR-T-Zelltherapien effizienter funktionieren, wenn das Immunsystem nicht durch vorherige Chemotherapien beeinträchtigt ist.<sup>26</sup>

Da ATMPs potenziell kurativen Charakter haben, müssen Patientinnen und Patienten nicht mehr über mehrere Jahre behandelt werden. Stattdessen reicht eine ATMP-Einmalapplikation in der Regel aus. Die Behandelten profitieren zudem von einer deutlich besseren Lebensqualität gegenüber klassischen Chemotherapien.<sup>27</sup> Sollten sich diese Effekte als langfristig herausstellen, ist mit signifikant niedrigeren Gesundheitskosten im Gesamtsystem für die Krebstherapie durch den ATMP-Einsatz zu rechnen.<sup>28,29</sup> Denn sowohl die Kosten für verschiedene Therapien über längere Zeiträume als auch die Kosten für stationäre Aufenthalte, ambulante Pflege und Reha-Aufenthalte würden in signifikantem Ausmaß entfallen. Dies zeigt sich besonders, wenn der Blick auf Indikationen außerhalb der Onkologie gerichtet wird. Gerade bei Erbkrankheiten wie der spinalen Muskelatrophie oder Hämophilie müssen Patientinnen und Patienten ohne ATMP-Einsatz lebenslang mit Medikamenten behandelt werden.



### 1.3 Neue Therapien erweitern das Anwendungsspektrum

Unter allen personalisierten Therapien werden ATMPs, insbesondere heutige CAR-T-Zelltherapien und deren zukünftige Generationen, voraussichtlich ab dem Jahr 2025 für die Onkologie eine wichtige Rolle spielen.<sup>8,11</sup> Werden diese Therapien derzeit nur für bestimmte Lymphome und Leukämien eingesetzt, wird sich innerhalb der kommenden Jahre die Zahl der möglichen Indikationen für eine Behandlung mit CAR-T-Zelltherapien wahrscheinlich deutlich erhöhen. So ist davon auszugehen, dass – nach der Erstzulassung zweier CAR-T-Zelltherapien in Europa im Jahr 2018 – bis 2025 jedes Jahr weitere autologe<sup>\*\*</sup> CAR-T-Zelltherapien<sup>9,11</sup> zugelassen werden. Sie werden sich für viele verschiedene Tumorarten einsetzen lassen, etwa für das Multiple Myelom.<sup>30</sup>

In den kommenden Jahren wird wahrscheinlich die Markteinführung sogenannter allogener CAR-T-Zelltherapien stattfinden.<sup>31</sup> Bei ihnen stammen die Zellen zur Behandlung nicht von den behandelten Patientinnen und Patienten selbst, sondern von gesunden Spenderinnen oder Spendern. Dies vereinfacht die Herstellung deutlich, wodurch die Herstellungskosten und wahrscheinlich auch die Therapiekosten sinken dürften.<sup>31,32</sup> Weil die Zellen jedoch nicht von den Patientinnen und Patienten selbst stammen, ist eventuell eine Immunsuppression bei der Anwendung erforderlich.

Daneben spielen in den kommenden fünf Jahren weitere Zelltherapien für die Onkologie eine wichtige Rolle, insbesondere für die mit CAR-T-Zelltherapien schwierig behandelbaren soliden Tumore. Großes Potenzial wird bei diesen Tumoren vor allem in anderen Arten von Zelltherapien gesehen, die voraussichtlich ab 2023/2024 Marktreife erlangen werden.<sup>8</sup> Beim Therapieansatz der Tumor-infiltrierenden Lymphozyten (TILs)<sup>33</sup> werden diese dem Tumor direkt nach der Operation entnommen, im Labor vermehrt und den Patientinnen und Patienten danach wieder verabreicht, um die körpereigene Immunantwort auf bestimmte Tumorarten zu verbessern.<sup>34</sup> Auch die Behandlung mit „natürlichen Killerzellen“ („NK-Zellen“)<sup>35</sup> und anderen Zelltherapien, etwa mit T-Zellen mit modifiziertem T-Zell-Rezeptor (TCR) gegen Antigene auf soliden Tumoren,<sup>36</sup> wird immer wichtiger werden.

<sup>\*\*</sup> Autolog = Therapien mit aufbereiteten körpereigenen Zellen des jeweiligen Behandelten

## ABBILDUNG 2 Illustrative Darstellung der relativen Zunahme innovativer Krebstherapien

### Beispiele innovativer Krebstherapien bis 2025

	Tumorart Fokus
 <b>CAR-T-Zelltherapie</b>	Primär Blutkrebs und ausgewählte solide Tumore
 <b>TILs-, TCR-T-, NK(T)-Zelltherapien</b>	Primär solide Tumore
 <b>Bispezifische Antikörper</b>	Alle Tumorarten
 <b>ADCs</b>	Alle Tumorarten

Quelle: Strategy& Analyse

## KAPITEL 2

### 2. ATMPs: Die wesentlichen Herausforderungen bis 2025

Damit ATMPs in den kommenden fünf Jahren ihr volles Potenzial entfalten können, gilt es, fünf wesentliche Herausforderungen zu meistern und dadurch die ATMPs möglichst allen infrage kommenden Patientinnen und Patienten verfügbar zu machen.

Einige dieser Hürden haben sich bereits bei der Einführung der ersten CAR-T-Zelltherapien in den vergangenen Jahren gezeigt. Sie werden sich mit dem breiteren Einsatz innovativer Therapien höchstwahrscheinlich noch vergrößern. Umso dringender ist es für alle Beteiligten im Gesundheitswesen, für diese zentralen Herausforderungen rasch geeignete Wege zu finden, um sie zu bewältigen.

**ABBILDUNG 3**  
Erwartete Herausforderungen beim ATMP-Einsatz bis 2025

1.	2.	3.	4.	5.
 <b>Fortbestehende Herausforderungen in der Nutzenbewertung</b>	 <b>Fehlende Rahmenbedingungen für innovative Erstattungsmodelle</b>	 <b>Unsicherheiten bei der Auswahl und Anwendung</b>	 <b>Sicherstellung des Behandlungszugangs für Patientinnen und Patienten</b>	 <b>Unklare ökonomische Auswirkungen auf das Gesundheitssystem</b>
<ul style="list-style-type: none"> <li>• Schwierigkeiten durch teilweise fehlende Randomized Controlled Trials</li> <li>• Notwendige personelle Aufstockung beim G-BA, um eine Überlastung zu verhindern</li> <li>• Herausforderungen bei der Umsetzung des neuen europäischen HTA-Vorgehens (EU-HTA)</li> <li>• Fragliche Sinnhaftigkeit anwendungsbegleitender Datenerhebung bei gleichzeitiger Forderung nach Datenerfassung</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Langfristige Outcome-Datenerhebung (z. B. Wirksamkeit) für eine Vielzahl an Patienten/-innen</li> <li>• Definition richtiger Outcome-Parameter und deren Erfassung</li> <li>• Ethische und moralische Fragen den finanziellen Wert von Leben betreffend</li> <li>• Starke Zurückhaltung einzelner Versorger gegen die Verfahren</li> <li>• Uneinigkeit der Krankenkassen bei Implementierung neuer Erstattungsmodelle</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Zukünftige Abwägung des ATMP 1L-Einsatzes je nach Patient/-in</li> <li>• Vielzahl ähnlicher Zelltherapien für dieselbe Indikation</li> <li>• Teilweise ATMP-Anwendung im ambulanten Umfeld durch niedergelassene Onkologen/-innen</li> <li>• Umfassende Fortbildungen von Ärzten/-innen erforderlich</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Optimale Zuweisung an autorisierte CAR-T-Zentren für die Behandlung</li> <li>• Aufbau und Qualifikation von CAR-T-Zentren</li> <li>• Wohnortnahe Versorgung mit ATMPs in ganz Deutschland</li> <li>• Einsatz bei nicht lebensbedrohlichen Indikationen</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Allokation von Budgets des Gesundheitssystems zur Abdeckung der Kosten</li> <li>• Genterapien mit Preisen von bis zu 2 Millionen Euro je Patient/-in</li> <li>• Verhandlung von Festbetragsgruppen bei vielen ATMPs für eine Indikation</li> </ul>

Quelle: Strategy& Analyse

## 2.1 Fortbestehende Herausforderungen in der Nutzenbewertung

Die Nutzenbewertung ist für zahlreiche ATMPs aktuell noch nicht auf europäischer Ebene standardisiert und sehr komplex. Die Studien liegen beispielsweise vielfach nicht als klassische randomisierte kontrollierte Studien (engl.: Randomized Controlled Trials, RCT), sondern ohne Kontrollgruppe vor,<sup>37</sup> da die Studien aufgrund von Gegebenheiten wie der teilweise niedrigen Inzidenzzahlen bei seltenen Erkrankungen und wegen der Schwere der Erkrankungen aus ethischen Gründen keine Kontrollgruppe enthalten können. Um die klinische Wirksamkeit verlässlich herauszufinden, sind jedoch sowohl RCTs vor der Zulassung als auch holistische Real World Evidence (RWE) nach der Zulassung notwendig. Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) wird Register jedoch nur für einzelne Indikationen aufbauen lassen.<sup>38</sup> In diesem Zusammenhang ist auch das Vorhaben zu begrüßen, die verschiedenen Krebsregister zusammenzuführen und dadurch die Verfügbarkeit hochwertiger Daten aus der Versorgung zu verbessern. Diese Daten können auch biopharmazeutische Unternehmen nutzen, um die Versorgung von Tumorpatientinnen und Tumorpatienten weiter zu verbessern und die Forschung in der Onkologie zu stärken.

Eine Herausforderung für das Health Technology Assessment (HTA) ergibt sich aus der jährlich zunehmenden Anzahl an Zulassungen von ATMPs – in nächster Zeit werden pro Jahr voraussichtlich zwischen fünf bis zehn neue ATMPs auf den Markt kommen.<sup>8,11</sup> Die Etablierung des europäischen HTA-Verfahrens (EU-HTA)<sup>39</sup> bringt eine zusätzliche Komplexität, da ATMPs eine der ersten Therapieformen sein werden, die dieses Verfahren durchlaufen werden. Um zu vermeiden, dass früher auf dem Markt erscheinende Therapien gegenüber anderen Produkten für dieselbe Indikation bevorzugt werden, ist ein gezieltes Health Technology Assessment mit einheitlichen Kriterien erforderlich,<sup>40</sup> um eine hohe Objektivität zu erreichen. Es sollte ausreichend sein, dass die Kriterien und Prozesse frühzeitig den Unternehmen mitgeteilt werden und der Übergang zwischen EU und lokalen Prozessen geklärt ist. Auch mit Blick auf die Gleichbehandlung, darf es bei der Einführung zu keinen Verzögerungen kommen.

## 2.2 Fehlende Rahmenbedingungen für innovative Erstattungsmodelle

Ein zentraler Aspekt in der Diskussion um innovative ATMPs ist die Frage der Erstattung durch die gesetzlichen und privaten Krankenkassen. Bei bestehenden Erstattungsverfahren erstatten Krankenkassen die signifikanten Kosten der ATMPs auch bei Patientinnen und Patienten ohne Behandlungserfolg vollständig. Aus diesem Grund versuchen die unterschiedlichen Akteurinnen und Akteure des Gesundheitswesens, die Erstattung weiterzuentwickeln. Bis Mitte des Jahres 2021 wurden allerdings die Schwierigkeiten innovativer, zum Beispiel erfolgsabhängiger Erstattungsmodelle deutlich.<sup>41</sup> Gerade die Erhebung und Definition von Outcome-Parametern stellen eine große Herausforderung dar. Hier spielen auch Befürchtungen eine Rolle, dass diese Therapien ihre Wirkung womöglich langfristig verlieren könnten,<sup>42,43</sup> der Behandlungserfolg gemessen an den hohen Kosten also nicht nachhaltig ist, weil bspw. eine erneute Therapie mit ATMPs erforderlich sein könnte und bis jetzt keine Daten über einen Zeitraum von 10 Jahren verfügbar sind.

Die Diskussion um innovative Erstattungsmodelle wird wahrscheinlich über 2025 hinaus anhalten, weil einzelne Krankenkassen und auch der Medizinische Dienst (MD) diesbezüglich weiterhin Fragen aufwerfen könnten.<sup>41,44</sup> Aufgrund der Nutzenbewertung stellt die Generierung klinischer Evidenzen bereits einen elementaren Schritt für ATMPs dar, darüber hinaus kann der G-BA noch anwendungsbegleitende Datenerhebung beauftragen. Biopharmazeutische Unternehmen werden in der Regel RWE unabhängig von diesen Auflagen als Evidenz für die langfristige Wirkung von ATMPs erheben. Hier sollten einheitliche Standards eingeführt werden und Redundanzen, d. h. parallele RWE-Studien verhindert werden.

### 2.3 Unsicherheiten bei der Auswahl und Anwendung

Schwierigkeiten bei der Auswahl dieser Therapien zeigten sich exemplarisch bei den beiden seit 2018 in Europa zugelassenen CAR-T-Zelltherapien für DLBCL (diffuses großzelliges B-Zell-Lymphom). Ihr Wirkmechanismus ist nahezu identisch, Unterschiede bestehen hingegen primär in den leicht verschiedenen Herstellungsprozessen, im Aufbau der einzelnen Produkte und den möglichen Nebenwirkungen. Direkte Head-to-Head-Studien der CAR-T-Zelltherapien untereinander gibt es nicht.

Außerdem erlauben die Behandlungsleitlinien der medizinischen Fachgesellschaften oftmals (noch) mehrere Therapieoptionen wie beispielsweise bei DLBCL in der 3L neben CAR-T-Zelltherapien auch allogene Stammzelltherapien und palliative Chemotherapien, sodass für die behandelnden Ärztinnen und Ärzte Unsicherheiten beim Einsatz der ATMPs bestehen.<sup>3</sup> Werden die Therapien in den kommenden Jahren unter Umständen nicht nur stationär, sondern auch teilweise ambulant angewendet,<sup>23</sup> müssen künftig nicht nur Ärztinnen und Ärzte in spezialisierten Zentren, sondern auch in der Breite umfangreich über mögliche Vor- und Nachteile einzelner Therapieoptionen noch intensiver und auch in der Breite informiert werden. Dazu benötigen sie standardisierte Entscheidungshilfen und Foren zur Abstimmung, um größere Sicherheit bei der Anwendung zu gewinnen.

### 2.4 Sicherstellung des Behandlungszugangs für Patientinnen und Patienten

Eine grundsätzliche Schwierigkeit beim ATMP-Einsatz zeigte sich ebenfalls am Beispiel der CAR-T-Zelltherapien: die Zuweisung an eines der rund 40 spezialisierten Behandlungszentren (CAR-T-Zentren) durch niedergelassene Onkologinnen und Onkologen sowie Kliniken.<sup>46</sup> Die Zuweisenden stellen in aller Regel zunächst die Diagnose – und entscheiden im Therapieverlauf über die Zuweisung an ein Behandlungszentrum. Oft sind die zuweisenden Ärztinnen und Ärzte noch nicht ausreichend über das Potenzial der CAR-T-Zelltherapien und die passenden Patientenprofile informiert. Daneben besteht Unsicherheit bezüglich der teilweise neuartigen Nebenwirkungsprofile bei einigen Patientinnen und Patienten aufgrund ausgewählter klinischer Berichte. Diese Nebenwirkungen sind aber weitestgehend behandelbar und reversibel. Dabei unterstützt auch der jeweilige umfangreiche und spezifische Risk Management Plan (RMP), der Bestandteil der Zulassung ist.

Zusätzlich besteht das Risiko für die Onkologinnen und Onkologen, wenig in den weiteren Therapieverlauf eingebunden zu werden. Bei der Lösung zeigt sich zum einen ein inhärentes Problem dezentral organisierter Gesundheitssysteme wie in Deutschland bei der Zuweisung aufgrund fehlender zentraler Vorgaben für die Zuweisung an Spezialzentren. Des Weiteren wird deutlich, wie schwierig es sein wird, angesichts der Vielzahl der künftig verfügbaren ATMPs rasch klare, eindeutige Behandlungsleitlinien als Handlungsempfehlung für behandelnde Medizinerinnen und Mediziner zu schaffen, insbesondere als Erst- und Zweitlinientherapie (sobald zugelassen). Es ist nicht auszuschließen, dass die wirtschaftlichere Therapieoption insbesondere beim Vorliegen therapeutischer Alternativen mit ähnlicher Wirksamkeit und Verträglichkeit präferiert wird. Die Entscheidung über den Einsatz bei nicht unmittelbar lebensbedrohlichen Indikationen mit hoher Prävalenz bzw. Inzidenz wird für kontroverse Diskussionen sorgen, vor allem wenn schon effektive klassische Behandlungsoptionen existieren, etwa für Diabetes Typ 1<sup>47</sup> als ein Beispiel außerhalb der Onkologie.

### 2.5 Unklare ökonomische Auswirkungen auf das Gesundheitssystem

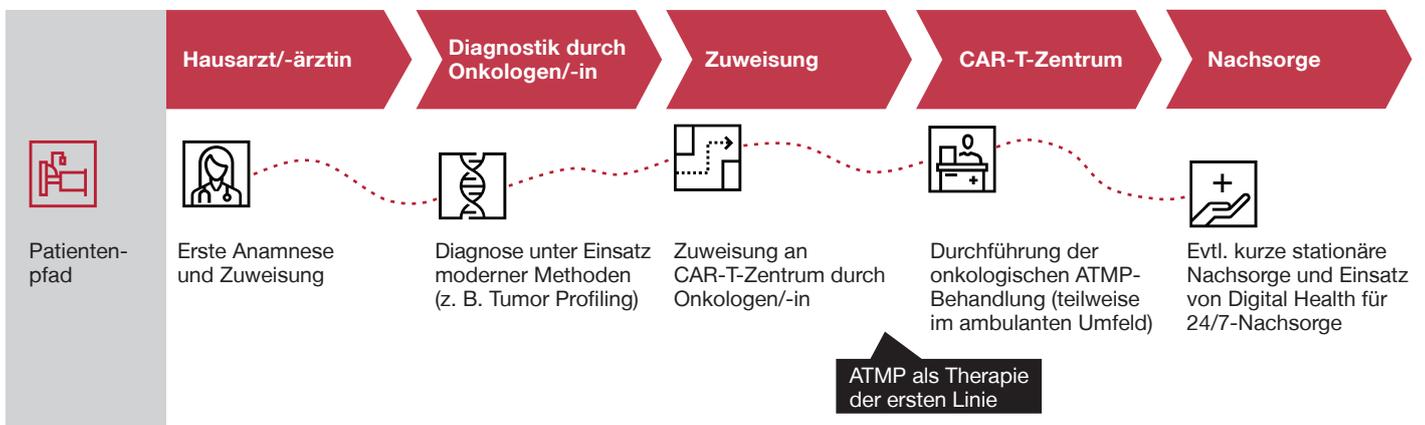
Für seltene Erkrankungen (sogenannte Orphan Diseases mit einer Prävalenz von maximal 5 Erkrankten pro 100.000 Einwohnern<sup>48</sup>) sind erste ATMPs auf dem Markt, wozu per Definition etwa CAR-T-Zelltherapien für seltene Blutkrebsarten gehören. Kommen ATMPs künftig auch für häufigere Krebserkrankungen, etwa Brustkrebs,<sup>49</sup> zum Einsatz, verschiebt dies die Ausgaben relativ stark – weg von anderen Therapieoptionen hin zu ATMPs. Gerade dann wird der Einsatz innovativer Erstattungsmodelle wie Outcome-based Reimbursement elementar, um ein kosteneffizientes Gesundheitssystem sicherzustellen<sup>50</sup>, da die Erstattung durch die Krankenkassen nur bei entsprechendem Therapieerfolg geleistet wird.

## KAPITEL 3

### 3. Chancen für Akteurinnen und Akteure im Gesundheitswesen

Den geschilderten Herausforderungen stehen die Chancen für die Patientinnen und Patienten sowie die Akteurinnen und Akteure im Gesundheitswesen gegenüber. Die größte besteht darin, ein innovatives, nachhaltiges und zukunftsfähiges Gesundheitssystem zu schaffen. Die vorherige Bundesregierung hat die 2020er Jahre zur „Dekade gegen Krebs“ ausgerufen<sup>51</sup> – und damit die Prophylaxe/Vorbeugung und effektive Behandlung, wenn möglich sogar kurative Ansätze der Krankheit zur politischen Priorität erhoben. Aus dieser Erklärung folgt die Selbstverpflichtung, diesem Anspruch durch innovationsfördernde Rahmenbedingungen gerecht zu werden. Dazu sollte gehören, den Zugang zu ATMPs als festen Bestandteil des onkologischen Therapiestandards in ausgewählten CAR-T-Zentren zu vereinfachen.

**ABBILDUNG 4**  
Vereinfachter Patientenpfad durch ATMPs in der Onkologie (in der Zukunft)



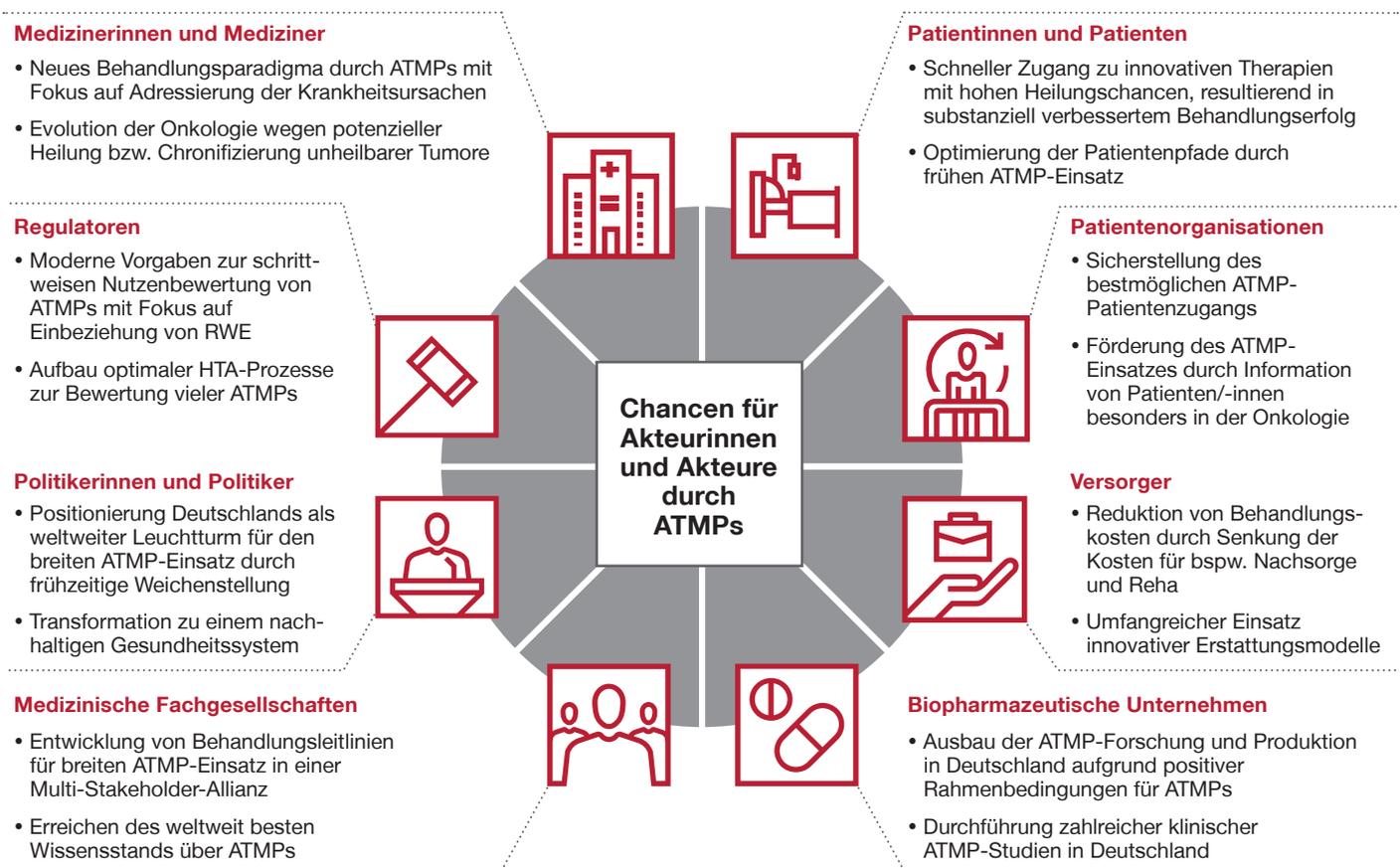
Quelle: Strategy& Analyse

#### 3.1 Konkrete Chancen des flächendeckenden ATMP-Einsatzes

- **Patientinnen und Patienten** würden von einer potenziell effizienteren Behandlung mit weniger Nebenwirkungen profitieren, weil ATMPs eine zielgerichtete Krebstherapie mit potenziell kurativem Charakter ermöglichen.
- **Patientenorganisationen** können mit detaillierten Informationen gezielt den Patientenzugang, insbesondere in der Onkologie, verbessern. Daneben besteht die Möglichkeit, den Patientinnen und Patienten einen breiten Zugang zu klinischen Studien von ATMPs anzubieten.
- **Versorger** können mit potenziell niedrigeren Gesamtkosten durch den ATMP-Einsatz die erheblichen Kosten für die Behandlung von Krebs reduzieren.

- **Medizinische Fachgesellschaften** erhalten mit dem breiten ATMP-Einsatz notwendige Erfahrungen und können damit den weltweit höchsten Wissensstand zu bestimmten innovativen Therapien erreichen. Daneben können sie bereits in zahlreichen klinischen Studien umfangreich Erfahrung sammeln und einen bereits hohen Wissensstand weiter ausbauen.
- Wenn Real-World-Evidence-Ansätze umfangreich eingesetzt werden, können **Regulatoren** den langfristigen Nutzen von ATMPs durch Auswertung der Patientendaten und Überlebensraten über mehrere Jahre besser bewerten.
- **Medizinerinnen und Mediziner** profitieren von einem neuen Behandlungsparadigma aufgrund der potenziellen Heilung der zugrundeliegenden Ursache und der Möglichkeit, die Lebenszeit und -qualität von Patientinnen und Patienten zu verbessern.
- Mit förderlichen Rahmenbedingungen können **biopharmazeutische Unternehmen** die (klinische) Erforschung und Herstellung von ATMPs in Deutschland weiter verbessern.
- Mit einer frühzeitigen Weichenstellung (*siehe Kapitel 3.2*) können **Politikerinnen und Politiker** Deutschland als weltweiten Leuchtturm für den optimalen Einsatz von Innovation zum Wohle der Patientinnen und Patienten sowie als „Nucleus“ für medizinische Innovation etablieren. Ähnliche Innovationserfolge wie bei der Entwicklung von COVID-19-Impfstoffen durch deutsche Biotechnologie-Firmen könnten als Ziel avisiert werden.

**ABBILDUNG 5**  
**Chancen für Beteiligte**



Quelle: Strategy& Analyse

### 3.2 Maßnahmen, um Chancen von ATMPs optimal zu nutzen

Die skizzierten Chancen nutzen und bis 2025 ATMPs als breit zugänglichen Versorgungsstandard inklusive umfangreicher Anwendung in der Drittlinie und teilweise Einsatz in der Erst- bzw. Zweitlinie etablieren – das kann nur gelingen, wenn alle Beteiligten im Gesundheitssystem rasch gemeinsam die richtigen Weichen stellen. Dazu zählen insbesondere die folgenden sechs Maßnahmen. In *kursiv* sind konkrete politische Handlungsfelder beschrieben.

1

Das AMNOG-Verfahren (gemäß „Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz“) sollte weiterentwickelt werden,<sup>52</sup> insbesondere mit Blick auf die Nutzenbewertung von Therapien bei seltenen lebensbedrohlichen Erkrankungen ohne klassische RCTs mit einer Kontrollgruppe durch ein stringentes und vereinfachtes Vorgehen für die Bewertung bei Kombination von Real World Evidence mit nicht-klassischen RCTs.

*Die Politik sollte proaktiv für die innovativen ATMPs, für die häufig keine klassischen RCTs durchgeführt werden, einen breiten Marktzugang im Sinne des Patientenwohles gewährleisten.*

2

Die Schaffung innovationsfreundlicher politischer Rahmenbedingungen und die Erhöhung der Bereitschaft u. a. der Krankenkassen, geeignete innovative Erstattungsmodelle einzusetzen, kann den Patientenzugang verbessern und helfen, gemeinschaftlich einheitliche infrastrukturelle Rahmenbedingungen über alle Kassen hinweg zu etablieren.<sup>53,54</sup>

*Entwicklung eines Gesetzesentwurfes zur Förderung des Einsatzes innovativer Erstattungsmodelle und eventuell erneute Adaption des Morbi-RSA zur potenziellen Einführung dedizierter Risikopools für ATMPs.*

3

Erfolgsabhängige Erstattungsmodelle, kombiniert mit der Erstattung der Therapiekosten für ATMPs über mehrere Jahre, können helfen, die Auswirkungen hoher Einmalkosten zu senken.<sup>53</sup>

*Schaffung der infrastrukturellen Rahmenbedingungen zur Zahlung von Therapiekosten über einen längeren Zeitraum in Kombination mit der Erfassung der Anwendungsdaten über mehrere Jahre.*

## 4

Rasch adaptierbare, eindeutige Behandlungsleitlinien in Kombination mit gesicherter Akzeptanz durch Krankenkassen und MD würden Ärztinnen und Ärzten größere Sicherheit beim ATMP-Einsatz verschaffen.<sup>54</sup> Dadurch würden zudem die infrage kommenden Patientenprofile und die Empfehlungen zur Therapiesequenz geschärft. Daneben sollte der Austausch zwischen niedergelassenen Ärztinnen und Ärzten und jenen Ärztinnen und Ärzten an nicht-zertifizierten mit denen an zertifizierten Zentren intensiviert werden.

*Eingeschränkte Möglichkeiten für politische Akteurinnen und Akteure mit Ausnahme der Schaffung eines innovationsfreundlichen und -fördernden Klimas.*

## 5

Viele ATMPs auf dem Markt werden das Erfordernis erzeugen, einen einheitlichen Mechanismus zur Zuweisung zu schaffen, um Heterogenität zwischen Therapien abzubauen. Unter Einbeziehung der Fachgesellschaften und führenden Behandlungseinrichtungen sollten vor Markteinführung gemeinsame Netzwerke und klare Ansätze für die Zuweisung etabliert werden<sup>53</sup>, um die Zuweisung zu spezialisierten ATMP-Zentren effizient und verlässlich zu organisieren.

*Schaffung der notwendigen Rahmenbedingungen durch Gesetze zur Verbesserung der integrierten Versorgung und der klinischen Studienlandschaft. Die Politik sollte den breiten Zugang von Patienten zu klinischen Studien von ATMPs in Deutschland fördern.*

## 6

Der Wert innovativer ATMPs muss stärker hervorgehoben werden, um fundierte Preisdiskussionen führen zu können. Darüber hinaus benötigen wir einen Fokuswechsel im Gesundheitssystem – hin zur Betrachtung der Gesamtbehandlungskosten chronischer Erkrankungen über mehrere Jahre verteilt gegenüber den (vergleichsweise signifikanten) Einmalkosten für potenziell kurative ATMPs.<sup>55</sup>

*Stärkerer Fokus der Politik auf Hervorhebung der Wirksamkeit innovativer Therapien und weniger Betrachtung der Einmalkosten losgelöst von der Wirksamkeit.*

---

## KAPITEL 4

### 4. Fazit

Alle Akteurinnen und Akteure im Gesundheitswesen einen zwei gemeinsame übergeordnete Ziele: die bestmögliche Behandlung für die Patientinnen und Patienten und der schnelle Zugang zu neuen Therapien. Verständlich ist, dass die unterschiedlichen Gruppen medizinische Innovationen wie die ATMPs aus verschiedenen subjektiven und objektiven Perspektiven betrachten.

Gesundheitsökonomische Analysen sowie aussagekräftige Studien- und Versorgungsdaten können einen Beitrag leisten, Debatten rund um ATMPs auf Basis von Fakten und fundierten, nachprüfaren Hypothesen zu führen – zumal die Gesamtkosten für diese Therapien oftmals auf lange Sicht teilweise niedriger sein dürften als bei klassischen Behandlungen von Erkrankungen, da beispielsweise für Behandelte teilweise keine weiteren Therapien und Folgebehandlungen erforderlich sind, sie kürzere Nachsorgezeiten brauchen und früher in die Arbeitswelt zurückkehren können. Bei Entscheidungen über den optimalen Therapieeinsatz sollten schließlich in erster Linie die Wirksamkeit und Verträglichkeit den Ausschlag geben – zum Wohle der Patientinnen und Patienten. Um dieses Ziel zu erreichen, ist besonders die Politik gefragt, notwendige gesundheitspolitische Rahmenbedingungen zu schaffen und als Vermittlerin für einen gesellschaftlichen Konsens zwischen den Partikularinteressen zu agieren.

---

## KAPITEL 5

### 5. Referenzen

Alle Internetquellen wurden zum letzten Mal am 2. November 2021 abgerufen.

- 1 <https://www.aerzteblatt.de/archiv/196295/CAR-T-Zell-Therapie-Aussichten-und-Risiken>
- 2 <https://www.pharma-fakten.de/news/details/821-gentherapie-neue-therapeutische-moeglichkeiten-fuer-viele-bislang-unheilbare-krankheiten/>
- 3 <https://www.onkopedia.com/de/onkopedia/guidelines/diffuses-grosszelliges-b-zell-lymphom/@@guideline/html/index.html>
- 4 <https://www.healio.com/news/hematology-oncology/20190312/will-car-t-cells-become-firstline-therapy-for-hematologic-malignancies>
- 5 <https://www.dgho.de/aktuelles/presse/pressearchiv/2019/ausblick-2025-weiter-steigende-zahlen-an-krebspatienten-bedarf-an-flaechendeckenden-versorgungsmodellen>
- 6 [https://www.rki.de/DE/Content/Service/Presse/Pressemitteilungen/2019/16\\_2019.html](https://www.rki.de/DE/Content/Service/Presse/Pressemitteilungen/2019/16_2019.html)
- 7 Mordor Intelligence: Global Cancer Therapy Market (2020-2025), 2020.
- 8 Evaluate Pharma. Oncology Revenue and Launch Forecast, November 2021.
- 9 Yu JX, Upadhaya S, Tatake R, Barkalow F, Hubbard-Lucey VM. Cancer cell therapies: the clinical trial landscape. *Nat Rev Drug Discov.* 2020 Sep;19(9):583-584.  
<https://www.nature.com/articles/d41573-020-00099-9>
- 10 <https://alliancerm.org/sector-report/h1-2021-report>
- 11 Quinn C, Young C, Thomas J, Trusheim M; MIT NEWDIGS FoCUS Writing Group. Estimating the Clinical Pipeline of Cell and Gene Therapies and Their Potential Economic Impact on the US Healthcare System. *Value Health.* 2019 Jun;22(6):621-626.  
<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1098301519301883>
- 12 Global Data. B-Cell Non Hodgkins Lymphoma Forecast, November 2020.
- 13 El-Galaly TC, Cheah CY, Kristensen D, Hutchison A, Hay K, Callréus T, Villa D. Potentials, challenges and future of chimeric antigen receptor T-cell therapy in non-Hodgkin lymphomas. *Acta Oncol.* 2020 Jul;59(7):766-774.  
<https://www.tandfonline.com/doi/full/10.1080/0284186X.2020.1741680>
- 14 Barmer, Interview mit Professor Christof von Kalle, “Wird Krebs heilbar? – Zukunft der Krebstherapie”, 2020.
- 15 <https://www.pharma-fakten.de/news/details/831-krebs-in-15-jahren-heilbar/>
- 16 IGES Institut: Langwirksame Gentherapien: aktuelle Entwicklungsaktivitäten und Herausforderungen für das GKV-System, 2018.  
[https://www.iges.com/sites/igesgroup/iges.de/myzms/content/e6666/e22790/e23474/e23475/e23476/attr\\_objs23480/IGES\\_LangwirksameGentherapien\\_20180906\\_ger.pdf](https://www.iges.com/sites/igesgroup/iges.de/myzms/content/e6666/e22790/e23474/e23475/e23476/attr_objs23480/IGES_LangwirksameGentherapien_20180906_ger.pdf)

- 
- 17 <https://www.jwatch.org/na51508/2020/05/14/liquid-biopsy-detects-cancer-asymptomatic-people>
  - 18 Ranschaert, Erik R., Morozov, Sergey, Algra, Paul R. Artificial Intelligence in Medical Imaging. Springer, 2019.  
<https://www.springer.com/gp/book/9783319948775>
  - 19 Sakamoto T, et al. A narrative review of digital pathology and artificial intelligence: focusing on lung cancer. *Transl Lung Cancer Res.* 2020 Oct;9(5):2255-2276. doi: 10.21037/tlcr-20-591. PMID: 33209648; PMCID: PMC7653145.  
<https://tlcr.amegroups.com/article/view/43299/html>
  - 20 <https://genomemedicine.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13073-019-0703-1>
  - 21 <https://www.dkfz.de/de/presse/pressemitteilungen/2020/dkfz-pm-20-12a-Tumormutationslast-als-Biomarker-bei-Krebs-Wissenschaftler-ueberpruefen-die-Leistung-von-sechs-Genests.php>
  - 22 Hinshaw DC, Shevde LA. The Tumor Microenvironment Innately Modulates Cancer Progression. *Cancer Res.* 2019 Sep 15;79(18):4557-4566.  
<https://cancerres.aacrjournals.org/content/79/18/4557.long>
  - 23 [https://ashpublications.org/blood/article/134/Supplement\\_1/2868/423386/Outpatient-Treatment-with-Lisocabtagene-Maraleucl](https://ashpublications.org/blood/article/134/Supplement_1/2868/423386/Outpatient-Treatment-with-Lisocabtagene-Maraleucl)
  - 24 <https://www.dana-farber.org/cellular-therapies-program/car-t-cell-therapy/faq-about-car-t-cell-therapy/>
  - 25 <https://www.derstandard.de/story/2000107329512/wie-der-koerper-krebs-aus-eigener-kraft-besiegen-koennte>
  - 26 <https://www.cancertherapyadvisor.com/home/cancer-topics/lymphoma/lymphoma-axi-cel-first-line-setting-treatment/>
  - 27 FAZ. Zukunft der Krebsmedizin (Verlagsspezial), 2020  
<https://www.faz.net/asv/zukunft-der-krebsmedizin-2020/>
  - 28 <https://www.futuremedicine.com/doi/10.2217/cer-2019-0065>
  - 29 <https://www.healthaffairs.org/doi/10.1377/hblog20190827.553404/full>
  - 30 Waldman AD, Fritz JM, Lenardo MJ. A guide to cancer immunotherapy: from T cell basic science to clinical practice. *Nat Rev Immunol.* 2020 Nov;20(11):651-668  
<https://www.nature.com/articles/s41577-020-0306-5>
  - 31 <https://www.nature.com/articles/d41586-020-02675-w>
  - 32 Depil S, Duchateau P, Grupp SA, Mufti G, Poirot L. 'Off-the-shelf' allogeneic CAR T cells: development and challenges. *Nat Rev Drug Discov.* 2020 Mar;19(3):185-199.
  - 33 <https://www.iovance.com/wp-content/uploads/TIL-Cell-Gene-Therapy-Fardis-Expert-Insight-2020.pdf>
  - 34 <https://www.aacr.org/blog/2018/11/19/3944-2-til-therapy>
  - 35 Xie G, Dong H, Liang Y, Ham JD, Rizwan R, Chen J. CAR-NK cells: A promising cellular immunotherapy for cancer. *EBioMedicine.* 2020 Sep;59:102975.  
[https://www.thelancet.com/journals/ebiom/article/PIIS2352-3964\(20\)30351-0/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/ebiom/article/PIIS2352-3964(20)30351-0/fulltext)

- 
- 36 Manfredi F, Cianciotti BC, Potenza A, Tassi E, Noviello M, Biondi A, Ciceri F, Bonini C, Ruggiero E. et al. TCR Redirected T Cells for Cancer Treatment: Achievements, Hurdles, and Goals. *Front Immunol.* 2020 Sep 3;11:1689. doi: 10.3389/fimmu.2020.01689. PMID: 33013822; PMCID: PMC7494743.  
<https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fimmu.2020.01689/full>
- 37 <https://www.aerztezeitung.de/Politik/Register-als-Alternative-zu-RCT-409951.html>
- 38 <https://www.g-ba.de/presse/pressemitteilungen/874/>
- 39 [https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/en/IP\\_21\\_3142](https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/en/IP_21_3142)
- 40 <https://link.springer.com/article/10.1007/s10198-019-01147-x>
- 41 [https://der-arzneimittelbrief.de/de/2019\\_03\\_P4P\\_DAE.pdf](https://der-arzneimittelbrief.de/de/2019_03_P4P_DAE.pdf)
- 42 Andreas Storm (Hrsg.). AMNOG-Report 2019, 2019.  
<https://www.presseportal.de/download/document/579161-amnog-report-2019.pdf>
- 43 [https://www.gwq-serviceplus.de/aktuelles/news/3-arzneimittel-forum-der-gwq-rueckblick\\_5029](https://www.gwq-serviceplus.de/aktuelles/news/3-arzneimittel-forum-der-gwq-rueckblick_5029)
- 44 Andreas Storm (Hrsg.). AMNOG-Report 2020, 2020.  
<https://www.dak.de/dak/download/report-2335144.pdf>
- 45 <https://www.cancertherapyadvisor.com/home/cancer-topics/lymphoma/lymphoma-axitisa-cel-real-world-use-treatment-efficacy-safety/>
- 46 [https://www.dag-kbt.de/CAR-T\\_Zell\\_Therapie.html](https://www.dag-kbt.de/CAR-T_Zell_Therapie.html)
- 47 <https://www.eurostemcell.org/towards-safe-and-scalable-cell-therapy-type-1-diabetes-simplifying-beta-cell-differentiation>
- 48 <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview>
- 49 Fuentes-Antrás J, Guevara-Hoyer K, Baliu-Piqué M, García-Sáenz JÁ, Pérez-Segura P, Pandiella A, Ocaña A et al. Adoptive Cell Therapy in Breast Cancer: A Current Perspective of Next-Generation Medicine. *Front Oncol.* 2020 Oct 27;10:605633  
<https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fonc.2020.605633/full>
- 50 <https://www.deutsche-apotheker-zeitung.de/news/artikel/2018/08/08/pay-for-performance-das-erstattungsmodell-der-zukunft>
- 51 <https://www.aerzteblatt.de/nachrichten/97663/Bundesregierung-bringt-Hightechstrategie-auf-den-Weg>
- 52 Vergleichen Sie bitte auch: BPI Positionspapier: 5 Kernforderungen für eine zukunftssichere Gesundheitsversorgung. 2020.
- 53 Vergleichen Sie bitte auch: BPI Positionspapier: Ergebnisorientierte Vergütungsmodelle ermöglichen - Anpassungen am Risikopool des Morbi-RSA erforderlich. 2020.
- 54 Vergleichen Sie bitte auch: vfa bio-Positionspapier: Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP). 2020.
- 55 Vergleichen Sie bitte auch: BPI: Risiken & Nebenwirkungen, Pharmareport 2020 Ausgabe 3. 2020.

---

## 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 284.000 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](http://www.strategyand.pwc.com)



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