

P R E S S E M E L D U N G

Neues Erstattungsmodell für Gentherapie fördert frühen, bezahlbaren Patientenzugang und unterstützt Krankenkassen bei finanzieller Risikominimierung

- Innovative Gentherapie ist seit 1. Mai in Deutschland verfügbar und kann die bisherige lebenslange Substitutionstherapie mit Gerinnungsfaktoren bei Patienten mit schwerer und mittelschwerer Hämophilie B für einen längeren Zeitraum ersetzen
- 96 % aller Patienten in der Zulassungsstudie HOPE-B benötigten nach der Infusion der Gentherapie keine routinemäßige Faktor-IX-Prophylaxe mehr, was zu einer Verbesserung der Lebensqualität führt.¹
- Um das Gesundheitssystem zukünftig nicht durch notwendige, aber hohe Einmalzahlungen für Gentherapeutika, zu überfordern, sind neue Erstattungsmodelle erforderlich.

Hattersheim, 2. Mai 2023 – Im Februar wurde die erste Gentherapie für Hämophilie B, eine seltene Form der sogenannten Bluterkrankheit, von der Europäischen Kommission zugelassen². Die steigende Zahl zu erwartender neuartiger Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products; ATMP) stellt allerdings die Kostenträger vor erhebliche Herausforderungen. Um Patienten diese innovative Therapie so früh wie möglich zur Verfügung zu stellen, bietet CSL Behring eine neue Option an, die insbesondere hohe Einmalzahlungen für Einmaltherapien wie die Gentherapien vermeidet und damit finanzielle Risiken für die Kostenträger ausschließt.

Neue Gentherapie bei ungedecktem medizinischen Bedarf

Die bisherigen medizinischen Innovationen bei Hämophilie B haben das Leben der Patienten und die Behandlungsstandards erheblich verbessert. Dennoch gibt es nach wie vor einen unerfüllten medizinischen Bedarf: Auch unter lebenslanger prophylaktischer Behandlung kann es zu wiederkehrenden Einblutungen z. B. in die Gelenke kommen. Diese können das Gelenk schädigen, zu Deformitäten und Schmerzen führen und im Falle einer Hirnblutung tödlich ausgehen. Darüber hinaus bestehen weiterhin anhaltende psychosoziale Belastungen und körperliche Einschränkungen aufgrund der Angst vor Blutungen. Die bisherige lebenslange prophylaktische Behandlung in Form von regelmäßigen Injektionen bedeutet für die meisten Patienten außerdem eine Einschränkung der Lebensqualität.

Der wissenschaftliche Fortschritt und das Wissen über genetische Ursachen von Erkrankungen ermöglichen heute Krankheiten und nicht nur deren Symptome zu behandeln. In Zukunft können Krankheiten auf diese Weise noch gezielter behandelt werden. Die neue Gentherapie bietet Patienten mit schwerer und mittelschwerer Hämophilie B die Möglichkeit, einen bislang unerfüllten medizinischen Bedarf zu decken: 96 % aller Patienten in der Zulassungsstudie HOPE-B benötigten nach der Infusion der Gentherapie keine routinemäßige Faktor-IX-Prophylaxe mehr, was zu einer Verbesserung der Lebensqualität führt.¹

Gesundheitssystem ist nicht auf eine große Anzahl von ATMP vorbereitet

Gentherapien gehören zu jenen sogenannten neuartigen Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products; ATMP), bei denen nur eine einmalige Gabe als Behandlung vorgesehen ist, da der therapeutische Effekt dauerhaft über viele Jahre bestehen soll. Sie können eine lebenslange Dauertherapie langfristig ersetzen oder erstmals überhaupt eine Therapie ermöglichen. Die derzeitigen Erstattungsmodelle in Deutschland sind allerdings nicht auf eine große Anzahl von ATMP ausgerichtet. Bislang sind ATMP für seltene oder ultraseltene Erkrankungen zugelassen, in der Entwicklung sind aber

auch neuartige Therapien für Volkskrankheiten, wie z.B. Diabetes, die weitere Herausforderungen mit sich bringen.

Die Erstattung von Gentherapien, die bisherige Dauertherapien ersetzen, besteht aktuell in der Zahlung eines Einmalpreises, was dazu führt, dass diese Therapien als „hochpreisig“ wahrgenommen werden. Der Einmalpreis wird unter Vereinbarung von Annahmen erzielt, da in der Regel zum Zeitpunkt der Zulassung nur Daten der klinischen Prüfung, aber keine langfristigen Daten zur Wirkdauer zur Verfügung stehen können. Einen angemessenen Ausgleich der Interessen zwischen Kostenträgern und Unternehmen zu erreichen ist damit schwierig, und die hohe Anzahl der zu erwartenden neuen ATMP kann das Gesundheitssystem vor eine große finanzielle Herausforderung stellen.

Lösungsansatz für eine nachhaltige Finanzierbarkeit

CSL Behring arbeitet in Europa intensiv daran, Einmaltherapien und deren Finanzierbarkeit in Einklang zu bringen.

Angesichts vieler neuartiger Einmaltherapien, die sich derzeit in Entwicklung befinden und Dauertherapien ersetzen können, hält CSL Behring ein adaptives, jährliches, leistungsbezogenes Zahlungsmodell für das deutsche Gesundheitssystem als besonders geeignet.

Im Gegensatz zu bisherigen Modellen, die eine hohe Einmalzahlung vorsehen, sollen stattdessen jährliche Zahlungen bei fortwährendem Therapieerfolg geleistet werden, die sich an die Preisentwicklung der bisherigen Therapien anpassen. Das entspricht prinzipiell den Zahlungsmodalitäten der Dauertherapie bei chronischen Erkrankungen wie der Hämophilie B. Hier erfolgt jedoch die Zahlung der Therapiekosten jährlich ein Leben lang. Bei Therapieversagen oder beim Erreichen eines zu vereinbarenden maximalen Zahlungszeitraums erfolgen keine weiteren Zahlungen durch die Kostenträger an den pharmazeutischen Unternehmer. Dadurch wird zum einen das Risiko einer ungerechtfertigten Zahlung im Falle eines Therapieversagens vermieden, zum anderen aber auch gewährleistet, dass sich der Erstattungsbetrag an sinkende Kosten der bisherigen Dauertherapie anpasst und damit das Risiko einer unwirtschaftlichen Erstattung ausgeschlossen wird. Die Zahlung ist an den patientenindividuellen Therapieerfolg gekoppelt.

Letztendlich sollen die Krankenkassen nicht mit höheren jährlichen Kosten belastet werden, als für die bisherige Dauertherapie.

Die Höhe der Jahrestherapiekosten für die Gentherapie orientiert sich an den durchschnittlichen Jahrestherapiekosten der bisherigen Dauertherapie, unter Berücksichtigung des Zusatznutzens der Gentherapie. Dieses Erstattungsmodell bietet CSL Behring den Krankenkassen freiwillig bereits ab dem ersten Tag der Verfügbarkeit des Arzneimittels in Deutschland an und somit noch vor der Verhandlung mit dem GKV-Spitzenverband. Im Rahmen dieses sogenannten „Tag-EINS“-Vertrags wird eine im Vergleich zur gesetzlichen Regelung zeitlich deutlich frühere Geltung des Erstattungsbetrags ermöglicht und damit eine frühzeitige Entlastung der Kostenträger gewährleistet. CSL Behring kann jedoch keinen (Einmal-)Preis in den öffentlichen Verzeichnissen ausweisen, da dies nicht in Einklang mit dem vorgeschlagenen Zahlungsmodell stünde. Um jedoch Preistransparenz zu gewährleisten, erfolgt im Rahmen des „Tag-EINS“-Vertrags eine Offenlegung des Erstattungsbetrags für das erste Jahr, der bis zu einer abschließenden Vereinbarung mit dem GKV-Spitzenverband gilt.

Preisgestaltung und Erstattung – Prinzip „Zahlen für Erfolg“

„Wir sind davon überzeugt, dass dieses neue Erstattungsmodell auf Basis der jährlichen Kosten der bisherigen Dauertherapie zu einer nachhaltigen Finanzierbarkeit führt und unter Berücksichtigung der langfristigen Wirksamkeit und der Kosten der lebenslangen Therapie sogar Einsparungen im Gesundheitswesen ermöglicht. Wir folgen hier dem Prinzip Krankenkassen „Zahlen nur für Erfolg“, sagte Stefan Neudörfer, Head of Market Access & Pricing, Commercial Operations Europe. „Das Angebot von CSL Behring spiegelt auf der einen Seite unseren Glauben an die Vorteile und die Langlebigkeit der neuen Gentherapie wider und auf der anderen Seite unser Interesse an einem finanzstarken Gesundheitssystem, in dem neuartige Therapien frühzeitig beim Patienten ankommen.“

Über Hämophilie B

Hämophilie B ist eine lebensbedrohliche seltene Krankheit. Menschen mit dieser Krankheit sind besonders anfällig für Blutungen in den Gelenken, Muskeln und inneren Organen, was zu Schmerzen, Schwellungen und Gelenkschäden führt. Die derzeitige Behandlung von mittelschwerer bis schwerer Hämophilie B umfasst lebenslange prophylaktische Infusionen von Faktor IX, um niedrige Werte des Blutgerinnungsfaktors vorübergehend auszugleichen.³

Über CSL Behring

[CSL Behring](#) ist ein weltweit führendes Unternehmen im Bereich Biotherapeutika, das sich seinem Versprechen, Leben zu retten, verpflichtet hat.

Wir erforschen, entwickeln und liefern innovative Therapeutika für Menschen mit Erkrankungen in den Bereichen Immunologie, Hämatologie, Herz-Kreislauf- und Stoffwechselkrankheiten, Atemwegserkrankungen und Transplantation. Dabei konzentrieren wir uns ganz auf die Bedürfnisse der Patienten.

Für die Herstellung unserer Therapien nutzen wir drei strategische wissenschaftliche Plattformen: Plasmafraktionierung, rekombinante Proteintechnologie sowie Zell- und Gentherapie. Damit fördern wir kontinuierliche Innovation und verbessern die Art und Weise, wie Produkte ungedeckte medizinische Bedürfnisse erfüllen. Dies mit dem Ziel, Patienten helfen zu können, ein erfülltes Leben zu führen.

CSL Behring betreibt mit CSL Plasma eines der weltweit größten Netzwerke zur Plasmagewinnung. Unser Mutterhaus, [CSL Limited](#) (ASX:CSL; USOTC: CSLLY), hat seinen Hauptsitz in Melbourne, Australien, beschäftigt über 30.000 Mitarbeitende und liefert lebensrettende Therapeutika an Menschen in mehr als 100 Ländern.

Inspirierende Geschichten über das Versprechen der Biotechnologie lesen Sie auf [CSLBehring.com/Vita](#), oder folgen Sie uns auf [Twitter.com/CSL](#). Weitere Informationen finden Sie auf [CSLBehring.de](#).

Referenzen

- ¹ Pipe SW et al. Gene Therapy with Etranacogene Dezaparvovec for Hemophilia B. N Engl J Med 2023; 388(8):706–18.
- ² European Medicines Agency. HEMGENIX Summary of Positive Opinion; <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/hemgenix>. [Letzter Zugriff 16.03.2023]
- ³ Srivastava A et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia 2020; 26(Suppl 6):1-158.

Kontakt

CSL Behring GmbH

Stephanie Fuchs
Senior Communications Business Partner
Commercial Operations Europe
Telefon: +49 151 584 388 60
E-Mail: Stephanie.Fuchs@cslbehring.com
www.cslbehring.de

Agentur

Merike Kiesel
Edelman GmbH
Telefon: +49 (0) 221 828281 67
Merike.Kiesel@edelman.com
www.edelman.de