

IMPLICONplus

Gesundheitspolitische Analysen

Neue langwirksame Gentherapien

Herausforderungen für die GKV

von Fabian Berkemeier,
Stephanie Sussmann
und Mathilda Diel

12 | 2018

Bibliographische Information Der Deutschen Bibliothek

Die Deutsche Bibliothek verzeichnet diese Publikation in der Deutschen Nationalbibliographie; detaillierte bibliographische Daten sind im Internet über dnb.ddb.de abrufbar.

albring & albring pharmaceutical relations GmbH, Berlin

Verantwortlich: Dr. Manfred Albring, Helmut Laschet
Gestaltung: roman und braun medienproduktionen
Umschlaggestaltung: Robert Roman
Internet: www.implicon.de
ISSN: 2199-4978

Neue langwirksame Gentherapien

Herausforderungen für die GKV

von Fabian Berkemeier,
Stephanie Sussmann
und Mathilda Diel

Die Behandlung schwerwiegender Erkrankungen durch Gentherapien stellt seit Jahrzehnten eines der großen Ziele der medizinischen Forschung dar. Der zugrundeliegende Ansatz ist ein Transfer von Genmaterial in Zellen durch die Verwendung eines Vektors mit dem Ziel, die Umsetzung der Genexpression der Zelle zu verändern (Kay 2011). Je nach Indikation und Therapieansatz kann dabei entweder ein funktionales Gen einer Zelle hinzugefügt, ein dysfunktionales Gen einer Zelle korrigiert oder ein natürliches Gen modifiziert werden, um eine bestimmte Funktion zu erfüllen. Die Zahl genetischer Therapien wird in den kommenden Jahren stark zunehmen. 45 Gentherapien für 42 Erkrankungen befinden sich aktuell in späten Phasen klinischer Entwicklung. Diese hochinnovativen Präparate eröffnen schwerkranken Patienten neue Behandlungsoptionen, könnten jedoch die Krankenkassen unterschiedlich stark belasten. Dies könnte eine Anpassung des Erstattungs- und Finanzierungssystems der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) erforderlich machen.

...

...

Aufeuropäischer Ebene existiert seit 2012 ein spezifisches Zulassungsverfahren für neuartige Therapien (advanced therapy medicinal products – ATMP), dem auch Gentherapeutika zugeordnet sind. Ebenfalls im Jahr 2012 erhielt das erste Gentherapeutikum nach mehr als 50 Jahren gentechnischer Grundlagenforschung die Zulassung in Europa (Ylä-Herttuala 2012).

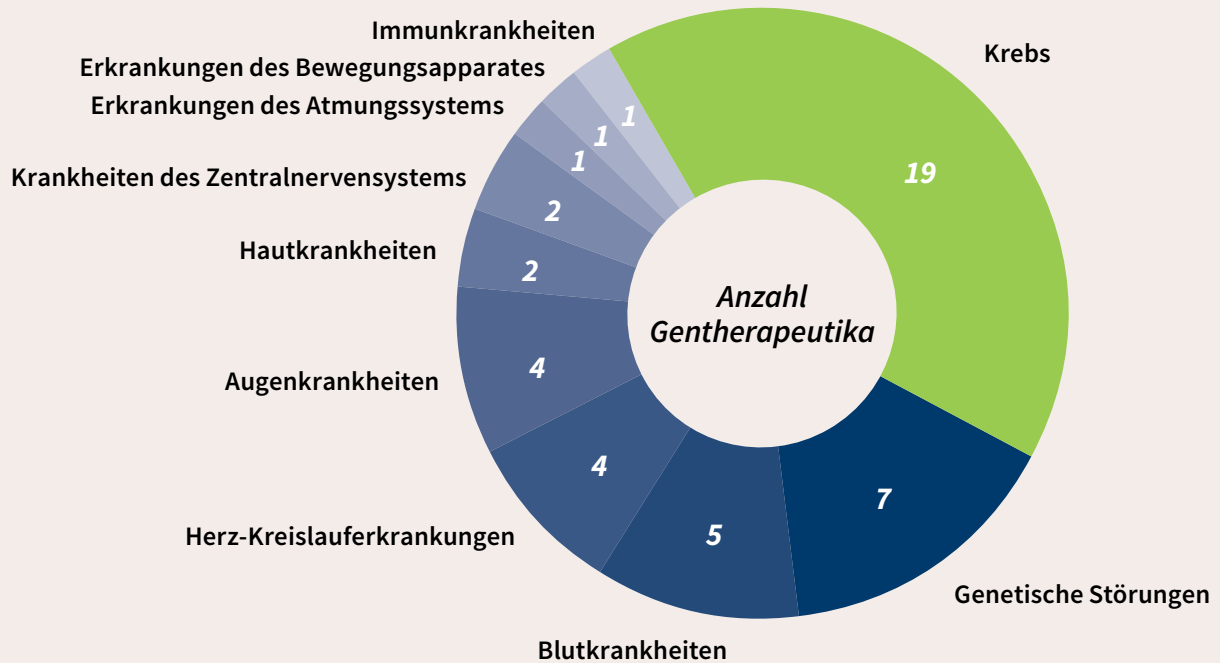
Die bisherige wissenschaftliche Literatur lässt erwarten, dass zukünftig mit zahlreichen Zulassungen und Markteinführungen von Gentherapeutika zu rechnen ist, die mit hohen Behandlungskosten einhergehen können. Dies kann – wie im Folgenden dargestellt – Auswirkungen auf das Erstattungs- und Finanzierungssystem der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) haben. Eine Studie des IGES Instituts, die im Auftrag des Unternehmens Merck Serono GmbH entstand, ist daher der Frage nachgegangen, mit welchen Zulassungen und Markteinführungen für welche Patientengruppen in den kommenden Jahren zu rechnen ist (Berkemeier 2018). Dabei wurden systematisch internationale Studienregister und Datenbanken zu klinischen Studien ausgewertet. Im Fokus standen dabei langwirksame Gentherapien, die sich in einem fortgeschrittenen Stadium der klinischen Entwicklung (Phase III) befinden. Langwirksame Gentherapeutika müssen nur einmalig oder mehrmals mit anschließenden mehreren therapiefreien Jahren verabreicht werden, während kurzwirksame Gentherapien andererseits kontinuierlich verabreicht werden müssen.

In der Untersuchung wurde auch die Anzahl potenziell betroffener GKV-Versicherter geschätzt und der Frage nachgegangen, wie künftige langwirksame Gentherapien im deutschen Gesundheitssystem abgebildet werden.

45 Gentherapien für 42 Indikationen in Phase II/III Studien

Im Rahmen der schrittweisen Selektion innerhalb der Untersuchung wurden bis zum Mai 2018 45 langwirksame Gentherapeutika erfasst. Zum Zeitpunkt der Veröffentlichung der IGES Studie im September 2018 waren davon bereits drei langwirksame Gentherapien zentral in der EU zugelassen. Nach dem augenblicklichen Stand wurde noch eine vierte Therapie in der EU zugelassen. Weitere 41 langwirksame Gentherapien befinden sich gegenwärtig in der fortgeschrittenen klinischen Entwicklung. Knapp die Hälfte der zugelassenen Gentherapien sollen bei onkologischen Erkrankungen (19 von 45) zum Einsatz kommen, gefolgt von Therapien zur Behandlung genetischer Störungen (7 von 45) sowie fünf bei hämatologischen Erkrankungen.

ABBILDUNG 1: THERAPIEGEBIETE NEUER LANGWIRKSAMER GENTHERAPIEN*



* davon 3 in der EU zugelassen, 42 in fortgeschrittener Phase klinischer Entwicklung, Stand 08/2018

Quelle: IGES Institut

Anmerkung: Eine Gentherapie (rAd5 H101, Nr. 13) befindet sich in der Entwicklung für Erkrankungen in zwei verschiedenen Therapiegebieten, hier erfolgte eine Mehrfachzuordnung.

Insgesamt könnten die sich in der Entwicklung befindenden Gentherapien das zukünftige Behandlungsspektrum auf 42 Krankheiten erweitern. Für viele Erkrankungen befinden sich weitere Gentherapien in der Entwicklung (z. B. für das diffuse großzellige B-Zell-Lymphom und die Hämophilie B).

Hinsichtlich der epidemiologischen Charakterisierung sind die 42 Erkrankungen durch eine große Heterogenität gekennzeichnet. Ein großer Teil der Indikationen betrifft nur 1.000 bis zu 10.000 GKV-Patienten. Der Median der GKV-Populationsgröße liegt bei 2.675 Versicherten. Sechs der neuen Gentherapien richten sich gegen extrem seltene Krankheiten mit nur weniger als 100 Betroffenen. In Entwicklung befinden sich aber andererseits auch Therapien, die Erkrankungen mit 100.000 bis hin zu 6,5 Millionen Versicherten betreffen. Insbesondere für diese „großen“ Erkrankungen besteht jedoch noch eine starke Unsicherheit hinsichtlich des exakten Anwendungsgebietes im Falle einer Zulassung sowie der tatsächlich zu erwartenden Patientenzahlen in der Versorgung.

Erschwerte Nutzenbewertung und Preisfindung

Besonderen Herausforderungen stellen sich für langwirksame Gentherapien im Rahmen der Nutzenbewertung und Preisfindung. Seit 2011 erfolgt diese für innovative Arzneimittel auf Basis der frühen Nutzenbewertung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) gemäß § 35a SGB V. Durch eine Änderung der Verfahrensordnung des G-BA (Beschluss vom 16. März 2018) gilt diese auch für Präparate, die ausschließlich oder überwiegend im stationären Sektor zur Anwendung kommen.

Für den Nachweis eines Zusatznutzens bedarf es i. d. R. geeigneter Evidenz aus randomisierten kontrollierten Zulassungsstudien (RCTs) gegen die vom G-BA definierte zweckmäßige Vergleichstherapie (zVT). Aufgrund des hohen therapeutischen Bedarfs in vielen Indikationsgebieten, in denen sich Gentherapien in der Entwicklung befinden, kommen oftmals beschleunigte Zulassungsverfahren in Frage. In diesen Fällen liegen zum Zeitpunkt der frühen Nutzenbewertung häufig nur Daten aus einarmigen und/oder offenen klinischen Studien vor, auf deren Basis der Nachweis eines Zusatznutzens nur sehr begrenzt möglich ist. Daher wird eine Preisfindung oftmals herausfordernd sein. In der Folge könnten sich negative Auswirkungen auf die zukünftige Verfügbarkeit von Gentherapeutika für Patienten in Deutschland ergeben.

Unabhängig vom Ausmaß des Zusatznutzens erfolgt die Preisfindung dann auf Basis eines Vergleichs von Therapiekosten zwischen zVT und dem bewerteten Arzneimittel. In der Regel werden Behandlungskosten dabei bisher als Jahrestherapiekosten operationalisiert, ein stark auf kontinuierliche Therapien ausgelegtes Konzept. Im Falle von langwirksamen Gentherapien ist zu erwarten, dass das Konzept von Jahrestherapiekosten regelhaft nicht geeignet sein wird, die tatsächlichen Behandlungskosten über die Dauer der Therapie exakt darzustellen. Stattdessen bilden die Jahrestherapiekosten für Einmalgaben von Gentherapeutika die gesamten Behandlungskosten über mehrere Jahre – bis hin zu einer lebenslangen Heilung – ab, während sie bei kontinuierlichen Therapien lediglich die Behandlungskosten für jeweils ein Jahr abbilden.

Schneller und homogener Patientenzugang erschwert

Die Versorgung mit neuen Gentherapien könnte im stationären Sektor unter den derzeitigen Bedingungen dann nur erschwert erfolgen. In diesen Fällen erfolgt die Erstattung innovativer Arzneimittel und Behandlungsmethoden zu Lasten der GKV über die Abbildung im Fallpauschalensystem (Diagnosis-Related Groups). Der Prozess der Abbildung eines neuen Arzneimittels in eine DRG kann jedoch einen Zeitraum von bis zu drei Jahren in Anspruch nehmen (GKV-Spitzenverband 2018). Um diesen Zeitraum zu überbrücken, besteht unter anderem gemäß § 6 Abs.2 KHEntgG die Möglichkeit dezentral befristete Entgelte für neue Untersuchungs- und Behandlungs-

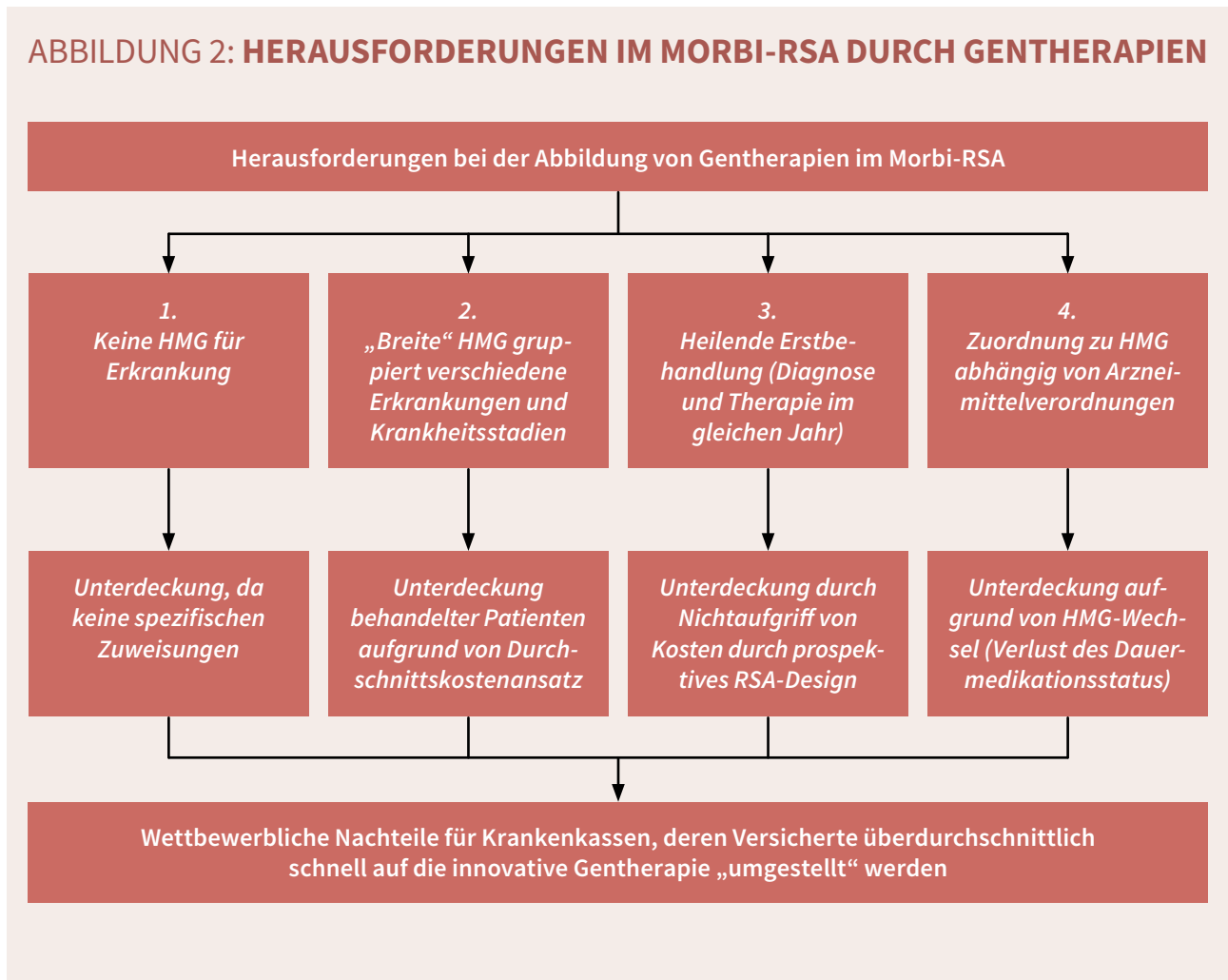
methoden (NUB-Entgelte) zwischen einzelnen Krankenhäusern und gesetzlichen Krankenkassen zu verhandeln. Dies erfolgt auf der Grundlage einer positiven Antragsbewertung durch das Institut für das Entgeltsystem im Krankenhaus (IneK). Bedingt durch festgelegte Zeitpunkte und Fristen des Prozesses verbleibt dabei eine erhebliche zeitliche Finanzierungslücke von rund sechs bis 18 Monaten zwischen Arzneimiteleinführung und Erstattung über ein NUB-Entgelt („NUB-Lücke“). In dieser Zeit muss auf einzelfallbasierte Antragsverfahren zurückgegriffen werden, welche die Gefahr eines heterogenen Patientenzugangs etwa in Abhängigkeit von der Kassenzugehörigkeit oder dem Wohnort bergen.

Morbi-RSA deckt Gentherapien weitgehend nicht ab

Für die Finanzierung der neuen Gentherapien bei den oben genannten Indikationen ist ein Blick auf das generelle Finanzierungssystem der GKV wichtig. Seit 2009 erfolgt eine Allokation der Versichertenbeiträge zur GKV aus dem Gesundheitsfonds an die einzelnen gesetzlichen Krankenkassen durch den morbiditätsorientierten Risikostrukturausgleich (Morbi-RSA). Die Systematik des Morbi-RSA zielt bewusst nicht auf eine Vollkostenerstattung jeder einzelnen möglichen Erkrankung für den einzelnen Versicherten ab, um wettbewerbliche Anreize zwischen den einzelnen Krankenkassen zu einer möglichst wirtschaftlichen Behandlung zu setzen. Auf Basis gesetzlicher Vorgaben zur Krankheitsauswahl (Schweregrad, Häufigkeit und Kostenintensität innerhalb der GKV) bildet der Morbi-RSA über hierarchisierte Morbiditätsgruppen (HMG) zurzeit 80 Erkrankungen ab.

Aufgrund des Designs des Morbi-RSA ergeben sich durch die Einführung solcher langwirksamen Gentherapeutika spezifische Herausforderungen, die bei ungleich verteilter Inanspruchnahme zwischen den Krankenkassen (z. B. aufgrund von Prävalenzunterschieden) zu wettbewerblichen Verzerrungen führen könnten. Vier maßgebliche Herausforderungen wurden im Rahmen der Studie für die identifizierten Gentherapien untersucht und sind in Abbildung 2 skizziert. Für die Zuordnung ist es dabei entscheidend, ob und wie die jeweilige Erkrankung, die durch eine langwirksame Gentherapie behandelt wird, im Morbi-RSA abgebildet ist. Da mehrere Herausforderungen für die im Morbi-RSA abgebildeten Erkrankungen auftreten können, sind auch Mehrfachzählungen möglich. Die Herausforderungen betreffen außerdem eine unterschiedliche Anzahl an GKV-Versicherten.

ABBILDUNG 2: HERAUSFORDERUNGEN IM MORBI-RSA DURCH GENTHERAPIEN



Quelle: IGES Institut

Die erste Herausforderung für die Refinanzierung langwirksamer Gentherapien folgt aus der bewusst unvollständigen Abbildung von Morbidität im Morbi-RSA. Wenn im Morbi-RSA keine HMG für eine Erkrankung definiert ist, können die assoziierten Behandlungskosten einer langwirksamen Gentherapie im Morbi-RSA-Regressionsverfahren lediglich der Alters- und Geschlechtsgruppe (AGG) des Versicherten oder zufällig bestehenden, HMG-relevanten Komorbiditäten des Versicherten „fälschlich“ zugeordnet werden. Die Folge ist eine Unterdeckung von Versicherten, die mit einer langwirksamen Gentherapie für Erkrankungen behandelt werden, die nicht im Morbi-RSA abgebildet sind. Die Herausforderung einer Nichtabbildung im Morbi-RSA betrifft zehn der 42 identifizierten Erkrankungen und potenziell die geringste Anzahl an betroffenen Versicherten mit einer Spanne zwischen 50.000 und 58.000 Versicherten.

Die zweite Herausforderung ergibt sich für Erkrankungen, die zwar über HMG im Morbi-RSA abgebildet sind, diese HMG jedoch ein breiteres Spektrum unterschiedlicher Erkrankungen umfasst. Daraus folgt für Versicherte mit überdurchschnitt-

lichen Behandlungskosten, wie es im Falle langwirksamer Gentherapien häufig der Fall sein wird, eine Unterdeckung. Krankenkassen mit gegenüber der Gesamt-GKV-Population höherer Inanspruchnahme einer spezifischen (kostenintensiven) Behandlung befinden sich innerhalb der betreffenden HMG in einer Unterdeckung. Die Herausforderung einer ungenauen Abbildung durch eine „breite“ HMG betrifft 28 der 42 Erkrankungen und mit einer Spanne von 7.718.000 bis 8.546.000 Versicherten die meisten Versicherten.

Die dritte Herausforderung betrifft Fälle, in denen durch eine langwirksame oder heilende Gentherapie unmittelbar nach der Diagnose einer Erkrankung deren Behandlung erfolgen und abgeschlossen werden kann. In diesen Fällen einer potentiell heilenden Erstbehandlung existieren für den Versicherten im Vorjahr keine geeigneten Diagnosekodierungen, durch die eine Zuordnung der Ausgaben zur geeigneten HMG im prospektiven Design des Morbi-RSA erfolgen könnte. Die Folgen sind analog zur Herausforderung 1, das heißt die Ausgaben werden der AGG des Versicherten bzw. potentiell existierenden Komorbiditäten „fälschlich“ zugeordnet. Auch hier ergeben sich Wettbewerbsnachteile durch Unterdeckung für Versicherungen mit überdurchschnittlicher Inanspruchnahme langwirksamer Gentherapien. Diese Herausforderung tritt für neun von 42 Erkrankungen auf. Mit einer Spanne von 63.000 bis 84.000 Versicherten betrifft die Herausforderung die zweitwenigsten Versicherten.

Die vierte Herausforderung ergibt sich für Erkrankungen, in denen kontinuierliche Arzneimitteltherapien durch langwirksame Gentherapien ersetzt werden. In Bereichen, in denen die kontinuierliche Arzneimitteltherapie einen signifikanten Anteil der krankheitsassoziierten Behandlungskosten ausmacht, kann im Morbi-RSA eine Abbildung über eine entsprechende HMG mit Arzneimittelkriterium erfolgen. Dies ist beispielsweise für die Multiple Sklerose oder die Hämophilie (A und B) der Fall. Für beide Erkrankungen existieren jeweils HMG mit und ohne Arzneimittelkriterium (Bundesversicherungsamt 2017).

Versicherte, welche eine langwirksame Gentherapie anstatt einer kontinuierlichen Therapie erhalten, erhöhen für Erkrankungen mit Arzneimittelkriterium die Zuschläge der HMG mit Arzneimittelkriterium (ihrer „alten“ HMG) für das Folgejahr. Diese Zuschläge erhalten Krankenkassen jedoch nur für Versicherte, welche auch im Folgejahr die entsprechenden Arzneimittelkriterien erfüllen – also genau nicht für langwirksam gentherapeutisch behandelte Versicherte, das diese im Folgejahr behandlungsfrei sind. Dadurch ergeben sich wettbewerbliche Nachteile für Krankenkassen, deren Versicherte überdurchschnittlich schnell auf die innovative Gentherapie umgestellt werden.

Acht der 42 identifizierten Erkrankungen sind durch eine HMG mit Arzneimittelkriterium im Morbi-RSA abgebildet, mit 7.233.000 bis 8.062.000 Versicherten betrifft diese Herausforderung die zweithöchste Anzahl an Versicherten.

Die hohen Zahlen für die beiden Herausforderungen „breite HMG“ sowie „HMG mit Arzneimittelkriterium“ sind dabei jedoch maßgeblich durch das Indikationsgebiet mit der höchsten epidemiologischen Quantifizierung (der Arthrose) beeinflusst.

Alle dargestellten Herausforderungen treten bereits heute in unterschiedlichem Maße auf. Jedoch könnten langwirksame Gentherapien dazu führen, dass sämtliche beschriebenen Effekte zukünftig an Bedeutung gewinnen werden. Die erste Herausforderung (keine HMG für Erkrankung) und zweite („breite“ HMG) betreffen grundsätzlich alle Hochkostentherapien. Die dritte Herausforderung (heilende Erstbehandlung) tritt aktuell bereits im Therapiegebiet der Hepatitis C auf, in der durch die Einführung von NS5B-Hemmern und deren Kombinationstherapeutika eine Heilung von Patienten ermöglicht wurde. Die beschriebene vierte Herausforderung (Zuordnung zu HMG abhängig von Arzneimittelverordnungen) tritt aktuell bereits bei der Multiplen Sklerose auf.

Zur Lösung dieser Herausforderungen sind unterschiedliche Ansätze geeignet, welche durch die Fachöffentlichkeit seit Jahren diskutiert werden. Dazu gehören etwa eine Vollabdeckung von Morbidität im Morbi-RSA, die Aufgabe des prospektiven Designs oder die Einführung eines sogenannten Risikopools zum Vollkostenausgleich für besonders kostenintensive Therapien.

Neue Herausforderungen für schnellen, homogenen und nachhaltigen Patientenzugang

Die Zahl genetischer Therapien wird in den kommenden Jahren stark zunehmen, was sich an der zentralen Zulassung erster Gentherapeutika in den vergangenen Jahren sowie sich aktuell an den im Zulassungsprozess befindlichen Präparate zeigt. Damit gehen einerseits neue, verbesserte Therapieoptionen für Patienten einher, für die bisher oftmals keine heilenden oder langfristig krankheitskontrollierenden Behandlungsmöglichkeiten existierten. Andererseits stellen Gentherapien das Erstattungs- und Finanzierungssystem der GKV potentiell vor bedeutsame Herausforderungen. Hierzu gehören die frühe Nutzenbewertung, die Finanzierung und Sicherstellung des Patientenzugangs im stationären Sektor sowie die Mittelallokation über den Morbi-RSA.

Zwar ist es zum aktuellen Zeitpunkt aufgrund fehlender Erfahrungen zur Preisfindung bei langwirksamen Gentherapien nicht möglich, eine evidenzbasierte Quantifizierung zukünftiger Ausgaben zu treffen. Trotzdem liefern die identifizierten Erkrankungen sowie die Dimensionierung der korrespondierenden Patientenpopulationen deutliche Hinweise darauf, dass zukünftig signifikante Ausgaben durch innovative Gentherapien entstehen könnten. Die bereits existierenden Herausforderungen für das Finanzsystem der GKV einschließlich wettbewerblicher Verzerrungen zwischen den Krankenkassen werden daher zunehmend an Bedeutung

gewinnen. Eine frühzeitige Adressierung der beschriebenen Herausforderungen wäre daher empfehlenswert.

Nach jahrzehntelanger öffentlicher und privatwirtschaftlicher Investition in die Forschung und Entwicklung von Gentherapien werden diese zukünftig ein integraler Bestandteil des therapeutischen Spektrums sein. Dadurch verlagert sich nunmehr die Herausforderung hin zur Weiterentwicklung des Erstattungs- und Finanzierungssystems der GKV, um einen schnellen, homogenen und nachhaltigen Patientenzugang zu gewährleisten.

Addendum: Methodisches Gesamtkonzept und Limitationen der Studie

Das methodische Gesamtkonzept der Studie besteht aus drei aufeinander aufbauenden Elementen.

Zunächst erfolgte eine Identifikation von klinischen Studien zu gentherapeutischen Präparaten anhand mehrerer internationaler Studienregister sowie weiterer Datenbanken zu klinischen Studien im Rahmen einer systematischen Registerrecherche. Nach Aufbereitung der Treffer wurden die untersuchten Interventionen extrahiert und in drei Schritten durch mindestens zwei Reviewer selektiert. Über dieses Vorgehen wurden langwirksame Gentherapien identifiziert, die bereits zugelassen sind oder sich in der fortgeschrittenen Entwicklung (Phase III) befinden.

Für sämtliche eingeschlossenen Gentherapien wurden in einem zweiten Schritt anhand von Studienregistereinträgen sämtliche Erkrankungen erfasst, für die aktuell klinische Entwicklungsprogramme ab einer laufenden Phase II-Studie existieren. Für diese Indikationsgebiete erfolgte jeweils eine Dimensionierung der potentiellen GKV-Population in Deutschland anhand epidemiologischer Literaturrecherchen.

In einem dritten Schritt wurde die Abbildung sämtlicher eingeschlossener Erkrankungen im Morbi-RSA untersucht. Dabei wurde insbesondere das mögliche Auftreten der beschriebenen vier Herausforderungen analysiert. Es erfolgte eine Zuordnung jeder dieser vier Herausforderungen für jede eingeschlossene Erkrankung.

Innerhalb der Studie wurden ausschließlich Gentherapeutika (nach ATMP-Klassifikation) betrachtet. Damit die gewählte Suchstrategie zur Identifikation von Interventionen mit klinischen Studien gewährleistet war, wurden nur diejenigen Produkte identifiziert, die hinsichtlich ihrer Entwicklung am weitesten vorangeschritten waren und damit eine besonders hohe Wahrscheinlichkeit für eine Zulassung aufwiesen. Gleichzeitig ist jedoch davon auszugehen, dass Gentherapien für Indikationen mit besonders hohem therapeutischem Bedarf oder für seltene Leiden auch auf Basis von Phase-II-Studien zugelassen werden können. Die Konzentration auf

Gentherapeutika mit mindestens einer Phase III Studie führt daher tendenziell zu einer Untererfassung.

Mit Blick auf das Kriterium der Langwirksamkeit findet möglicherweise eine Unter- oder Überschätzung der Anzahl langwirksamer Gentherapien statt, da die tatsächliche Wirkdauer erst retrospektiv beschrieben werden kann.

Gleichzeitig ist zum gegenwärtig nicht abschätzbar, wie viele Versicherte zukünftig gentherapeutisch behandelt werden. Zum einen fehlt es bisher an Literatur und Erfahrungswerten zur Zulassungswahrscheinlichkeit bei Gentherapien in fortgeschrittenen Entwicklungsprogrammen, sodass sich aktuell noch nicht beurteilen lässt, wie viele der angesprochenen 45 langwirksamen Gentherapien in den nächsten Jahren tatsächlich zugelassen werden. Darüber hinaus besteht bis zum Zeitpunkt einer Zulassung Unsicherheit hinsichtlich der formal zugelassenen Indikationen, insbesondere hinsichtlich der zugelassenen Therapielinien und Subtypen von Erkrankungen.

Fabian Berkemeier, Stephanie Sussmann

IGES Institut
Friedrichstraße 180
10117 Berlin
www.iges.com

Mathilda Diel

AiM GmbH (Teil der IGES Gruppe)
Assessment in Medicine, Research and Consulting
Marie-Curie-Straße 8
79539 Lörrach
www.aim-germany.com

Literatur

Bundesversicherungsamt (2017): Festlegungen für das Ausgleichsjahr 2016.

Bonn: Bundesversicherungsamt.

<https://www.bundesversicherungsamt.de/risikostrukturausgleich/festlegungen.html>

[Abruf am: 12.7.2018].

Berkemeier F, Diel M, Sussmann S (2018): Langwirksame Gentherapien: aktuelle

Entwicklungsaktivitäten und Herausforderungen für das GKV-System.

www.iges.com/gentherapien

[Abruf am: 11.11.2018].

Gemeinsamer Bundesausschuss (2018): Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Verfahrensordnung – Freistellung von Arzneimitteln von der Nutzenbewertung – Änderung im 5. Kapitel der Verfahrensordnung sowie der Anlage V – Antrag auf Freistellung von der Nutzenbewertung vom 16. März 2018.

[https://www.g-ba.de/downloads/39-261-3259/2018-03-16_VerFO_](https://www.g-ba.de/downloads/39-261-3259/2018-03-16_VerFO_Freistellung-AM-Nutzenbewertung_Anlage-V_BAnz.pdf)

[Freistellung-AM-Nutzenbewertung_Anlage-V_BAnz.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/39-261-3259/2018-03-16_VerFO_Freistellung-AM-Nutzenbewertung_Anlage-V_BAnz.pdf)

[Abruf am: 01.11.2018].

GKV-Spitzenverband (2018): Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden (NUB).

[https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/krankenhaeuser/](https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/krankenhaeuser/drg_system/neue_untersuchungs_und_behandlungsmethoden_nub/neue_untersuchungs_und_behandlungsmethoden_nub.jsp)

[drg_system/neue_untersuchungs_und_behandlungsmethoden_nub/](https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/krankenhaeuser/drg_system/neue_untersuchungs_und_behandlungsmethoden_nub/neue_untersuchungs_und_behandlungsmethoden_nub.jsp)

[neue_untersuchungs_und_behandlungsmethoden_nub.jsp](https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/krankenhaeuser/drg_system/neue_untersuchungs_und_behandlungsmethoden_nub/neue_untersuchungs_und_behandlungsmethoden_nub.jsp)

[Abruf am: 12.7.2018].

Kay MA (2011): State-of-the-art gene-based therapies: the road ahead.

Nature Reviews Genetics 12(5), 316. ISSN: 1471-0064.

Ylä-Herttuala S (2012): Endgame: Glybera Finally Recommended for Approval as the First Gene Therapy Drug in the European Union.

Molecular Therapy 20(10), 1831-1832. DOI: 10.1038/mt.2012.194.

Bitte besuchen Sie uns auch unter www.implicon.de.

Hier finden Sie unter der Rubrik „News“ die wichtigsten gesundheitspolitischen Nachrichten des letzten Monats.

Impressum:

Herausgeber: Dr. med. Manfred Albring, Tel.: 030/431 02 95

Redaktion: Helmut Laschet (verantwortlich)

Anschrift: Warnauer Pfad 3, 13503 Berlin

Layout: Robert Roman, Roman und Braun

Wissenschaftlicher Beirat:

Dr. med. Jürgen Bausch

Ehrenvorsitzender der Kassenärztlichen Vereinigung Hessen

Professor Dr. Gerd Glaeske

Zentrum für Sozialpolitik (ZeS) der Universität Bremen

Professor Roger Jaeckel

Director Market Access D.A.CH Baxter Deutschland GmbH, Unterschleißheim

Professor Dr. Klaus Jacobs

Geschäftsführung Wissenschaftliches Institut der AOK

Univ.-Professor Dr. Günter Neubauer

Direktor des Instituts für Gesundheitsökonomik (IfG), München

Professor Dr. Eberhard Wille

Stellvertretender Vorsitzender des Sachverständigenrats zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen