

Der AMNOG Orphan Tracker erfasst zweimonatlich die wichtigsten Änderungen aller Orphan-Verfahren im und nach dem AMNOG und stellt diese übersichtlich zusammen. Die Analysen werden aus Daten der SKC-eigenen MAIS Datenbank generiert.

## AMNOG Dashboard

Alle Orphan Drug Verfahren

272 (+4)

Abgeschlossene Orphan Drug Verfahren

248 (+6)

Abgeschlossene Orphan Drug Verfahren mit verhandeltem/geschiedstem Rabatt

208 (+3)

## Neue Orphan Drug Verfahren

Wirkstoff	Handelsname	Einreichungsgrund	Indikation
Belantamab-Mafodotin	Blenrep®	Neubewertung nach Fristablauf	Multiples Myelom, mind. 4 Vortherapien, Monotherapie
Pitolisant	Wakix®	Neues Anwendungsgebiet	Narkolepsie, mit oder ohne Kataplexie, (Kinder und Jugendliche, 6 -17 Jahre)
Luspatercept	Reblozyl®	Neues Anwendungsgebiet, Überschreitung der 30 Millionen € Umsatzgrenze	β-Thalassämie, nicht-transfusionsabhängige Anämie
Tabelecleucel	Ebvallo® <span style="border: 1px solid black; border-radius: 5px; padding: 2px;">ATMP</span>	Ersteinreichung	Rezidierte oder refraktäre EBV+ PTLD, vorbehandelt, ab 2 Jahre

EBV - Epstein-Barr-Virus, PTLD - positive Posttransplantations-lymphoproliferative Erkrankung

## Abgeschlossene Orphan Drug Verfahren

Wirkstoff	Handelsname	Indikation	Höchster Zusatznutzen
Valoctocogene roxaparvovec	Roctavian® <span style="border: 1px solid black; border-radius: 5px; padding: 2px;">ATMP</span>	Hämophilie A	Nicht quantifizierbar
Brexucabtagene-Autoleucel	Tecartus® <span style="border: 1px solid black; border-radius: 5px; padding: 2px;">ATMP</span>	Akute lymphatische r/r B-Zell-Leukämie, ab 26 Jahren	Nicht quantifizierbar
Olipudase alfa	Xenpozyme®	Mangel an saurer Sphingomyelinase Typ A/B oder Typ B	Nicht quantifizierbar
Asciminib	Scemblix®	Chronische myeloische Leukämie, Ph+, nach ≥ 2 Vortherapien	Gering
Vutrisiran	Amvuttra®	Hereditäre Transthyretin-Amyloidose mit Polyneuropathie (Stadium 1 oder 2)	Gering
Lonafarnib	Zokinvy®	Hutchinson-Gilford-Progerie-Syndrom oder progeroide Laminopathie, ab 12 Monaten	Nicht quantifizierbar

Für Tecartus® wurde in der Indikation „Akute lymphatische rezidierte oder refraktäre B-Zell-Leukämie, ab 26 Jahren“ vom Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) eine anwendungsbegleitende Datenerhebung gefordert.

Ph+ - Philadelphia-Chromosom positiv; r/r – rezidiert/refraktär

## Neue Rabatte in Orphan Drug Verfahren

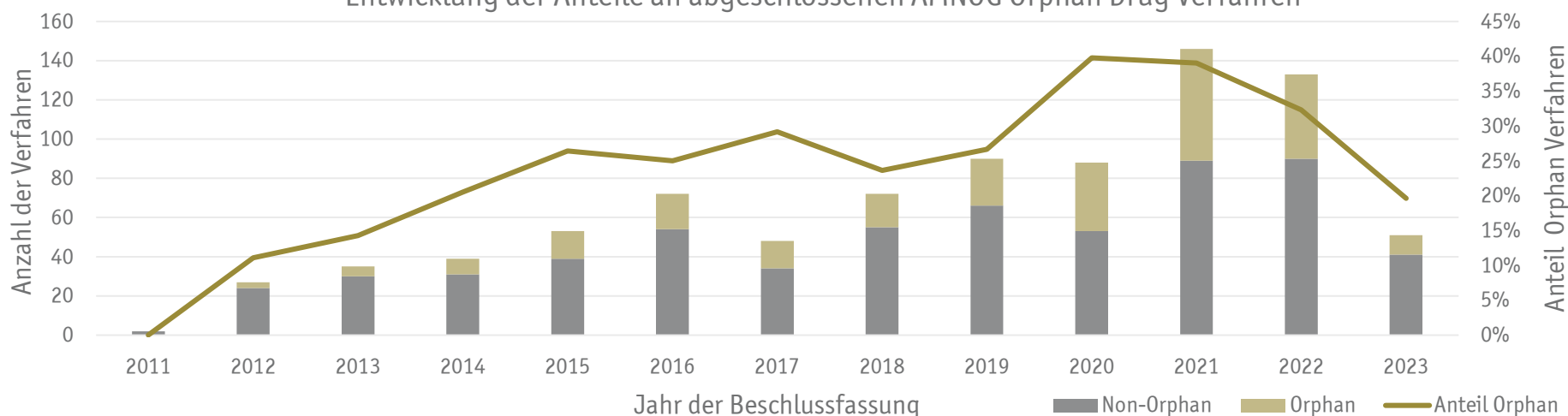
Wirkstoff	Handelsname	Indikation	Höchster Zusatznutzen	Verhandelter Rabatt*
Ripretinib	Qinlock®	Gastrointestinale Stromatumoren (GIST), ≥ 3 Vortherapien	Erheblich	18,51 %
Avapritinib	Ayvakyt®	Akute myeloische Leukämie, Mastrozytose, nach mind. 1 Vortherapie	Nicht quantifizierbar	13,06 %
Idecabtagen vicleucel	Abecma® <span style="border: 1px solid black; border-radius: 5px; padding: 2px;">ATMP</span>	Multiples Myelom, mind. 3 Vortherapien	Nicht quantifizierbar	31,43 %

**!** Auffällig ist, dass Qinlock® trotz besserem Zusatznutzen einen höheren Rabatt erhalten hat. Allerdings wurde Ayvakyt® in anderer Indikation bereits verhandelt. Der Rabatt liegt nun insgesamt bei 45,19 % des Launchpreises.

\* Netto Jahrestherapiekostenrabatt

## SKC Insight

Entwicklung der Anteile an abgeschlossenen AMNOG Orphan Drug Verfahren



**!** Ein klarer Trend ist erkennbar, dass nicht nur die Anzahl an Verfahren pro Jahr, sondern auch der Anteil an Orphan Drug Verfahren seit Beginn des AMNOG stetig gestiegen ist. Seit 2021 ist dieser Trend allerdings rückläufig mit einem klar erkennbaren Einbruch des Orphan-Anteils für 2023. Ob die Aufteilung der bisherigen Verfahren in 2023 repräsentativ für das gesamte Jahr ist, bleibt abzuwarten.

## ATMPs im Fokus ATMP

ATMPs werden immer präsenter: Mit Eivallo® ist ein neues ATMP-Verfahren gestartet, Roctavian® und Tecartus® erhielten beide einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen und für Abecma® wurde ein Erstattungsbetrag festgelegt.