

# Erfolgreicher Market Access für Gentherapien

---

## Strategische Herausforderungen und Lösungsansätze

Dies ist eine Executive Summary zum Whitepaper „Erfolgreicher Market Access für Gentherapien“. Das vollständige Whitepaper stellen wir Ihnen gerne auf Anfrage zur Verfügung.



schönermark  
kielhorn  
collegien



## Gentherapien sehen sich mit diversen Hindernissen konfrontiert

## Der Vormarsch der Gentherapien und die damit verbundenen Herausforderungen

Bei vielen seltenen und sehr schweren, d.h. lebensbedrohlichen Krankheiten, besteht ein extrem hoher ungedeckter Bedarf nach Therapieoptionen. Standardtherapien in der Versorgung konzentrieren sich oftmals auf die Verminderung krankheitsbedingter Symptome mittels kontinuierlicher medikamentöser Gaben. Gentherapien hingegen stellen eine einmalig applizierte, **potentiell kurative Therapieoption** dar. Insbesondere Patienten mit erblich bedingten Erkrankungen werden in Zukunft von den neuen Methoden profitieren können. Die Anzahl der Gentherapien, die sich in den vorklinischen und klinischen Phasen befinden, hat sich in den vergangenen Jahren verdoppelt. Dabei haben sich einzelne Therapiefelder, wie das der **Onkologie** oder der Behandlung **seltener (monogenetischer) Erkrankungen** herauskristallisiert, die sich derzeit in der (prä)-klinischen Erprobung befinden. Das Innovationsrad dreht sich unaufhörlich weiter, jedoch bestehen derzeit noch keine einheitlichen internationalen Regelungen, die den Einsatz und die Erstattung gentherapeutischer Produkte regulieren.

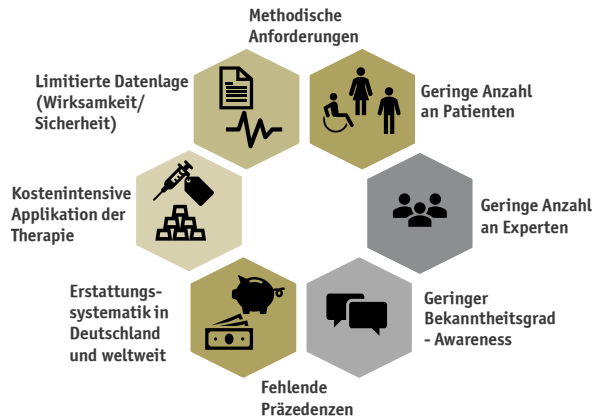


Abbildung 1: Herausforderungen im Zulassungs- und Nutzenbewertungsprozess für Gentherapien

Die **größten Herausforderungen für den Market Access** stellen sich in Bezug auf die **Evidenz** und die **adäquate Erstattung** dieser Einmaltherapien. Die oftmals limitierte Evidenz, geringe Patientenzahlen und die fehlende Erhebung von Langzeitdaten zu Wirksamkeit und Sicherheit limitieren die Aussagesicherheit der Beurteilung des therapeutischen Nutzens und des damit verbundenen Wertes der Therapie. Neben diesen und weiteren Kernhindernissen, zusammenfassend in Abb. 1 dargestellt, spielt die Erschwinglichkeit und die damit gekoppelte noch unklare **Erstattungs-systematik** eine, auf internationaler Ebene, brisante Rolle.

## Regulatorisches Umfeld der Gentherapien

## Regulatorische Aspekte (FDA, EMA, G-BA) im Hinblick auf hoch innovative Gentherapien

Verschiedene Behörden, die am Zulassungs- und Market Access Prozess beteiligt sind, wie bspw. die **U.S. FDA** und **europäische EMA**, sowie der **Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA)** in Deutschland, haben sich teilweise bereits sehr intensiv mit potentiell neuen Anforderungen an das klinische Studiendesign für Gentherapien auseinandergesetzt, um einen möglichen Adjustierungsbedarf der bisherigen Richtlinien aufdecken und umsetzen zu können.



Die **FDA** veröffentlichte bereits spezifische **Guidelines für die Industrie** und Akteure, die sich z.B. mit der Herstellung oder der Planung, Ausführung und Langzeitkontrolle gentherapeutischer (prä-) klinischer Studien beschäftigen. Ähnlich sieht es in Europa aus.



Um den neuen Anforderungen des Marktzulassungsprozesses der Gentherapien gerecht zu werden, stellt auch die **EMA Richtlinien** zur Verfügung, an denen sich pharmazeutische Unternehmen orientieren können, um bspw. vorherrschende Risiken einer gentherapeutischen Anwendung zu minimieren. Hierbei stehen ebenfalls die Themenblöcke Herstellung, Handhabung, Applikation und die klinische Nachbeobachtung der Studienteilnehmer im Fokus des Risikomanagements.

Sowohl FDA als auch EMA stehen dafür in einem **engen Austausch mit relevanten Stakeholdern des Gesundheitswesens**, mit dem Ziel bestehende Herausforderungen frühstmöglich adressieren zu können.



In **Deutschland** sind pharmazeutische Unternehmen im Zuge des **AMNOG-Verfahrens** verpflichtet, eine Nutzenbewertung des Gentherapie-Produktes zu durchlaufen, an welche sich die Preisverhandlung mit dem Spitzenverband der gesetzlichen Krankenkassen (GKV-SV) anschließt.

## Bisherige Gentherapien lassen einen Blick in die Zukunft zu und zeigen potentielle Chancen und Risiken auf

## Gentherapien auf dem Markt

Anhand der bisher zugelassenen Gentherapien wird deutlich, dass pharmazeutische Unternehmen derzeit die **Chancen von Gentherapien auf dem Markt** austesten. Zwischen 2012 und 2018 wurden insgesamt **fünf Einmal-Therapien** zur Behandlung seltener genetischer Erkrankungen mithilfe einer gentherapeutischen Applikation durch die **FDA** oder **EMA** zugelassen. Es ist zu erwarten, dass sich neben **Glybera<sup>®</sup>**, **Kymriah<sup>®</sup>**, **Yescarta<sup>™</sup>**, **Strimvelis<sup>®</sup>** und **Luxturna<sup>™</sup>** in den nächsten Jahren weitere Gentherapien auf den internationalen Märkten wiederfinden werden.

Die bis dato geltenden **Therapiekosten** der einmaligen gentherapeutischen Applikation sind in Abb. 2 veranschaulicht. Insgesamt lässt sich sagen, dass die ersten **Key Learnings** bereits aus den Präzedenzen abgeleitet werden können, das System der Gentherapien jedoch noch in den Kinderschuhen steckt, sowohl in Bezug auf **regulatorische Aspekte** als auch in Bezug auf die **Regelerstattung**. So lässt sich am Beispiel von Glybera<sup>®</sup> sehen, dass neben der Zulassung auch andere Aspekte essentiell für den Weg in eine **regelmäßige Erstattung** sind.

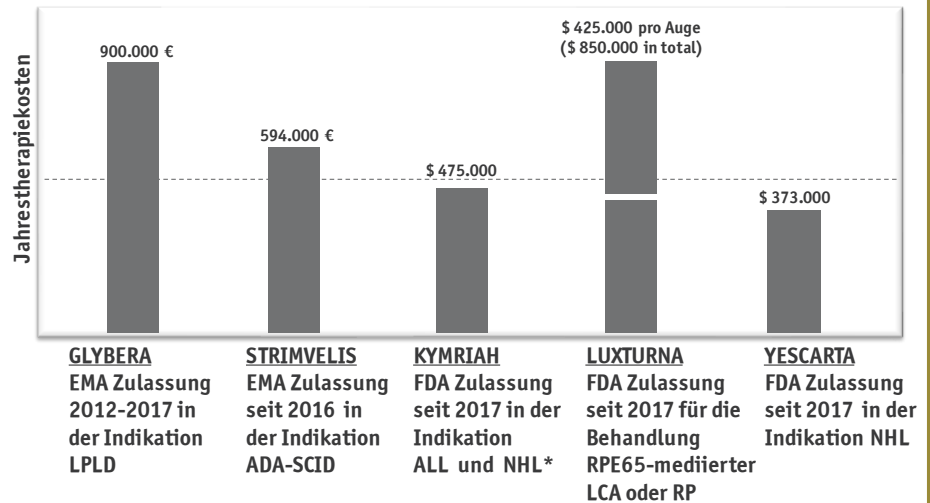


Abbildung 2: Übersicht bisheriger zugelassener Gentherapien im Hinblick auf ihren Zulassungsstatus und derzeitigen Erstattungsbeträge. \* zweite Indikation (unbepreist)

## Pot. Erstattungsmodelle können nach dem Ausmaß der Risikosplittung und der Art und dem Level der Evidenz gemappt werden

## Die Erstattungsproblematik im Bereich der Gentherapien

Eine der wesentlichen **Herausforderungen** im Bereich der Gentherapie ist die Frage nach einer **adäquaten Erstattung**. Bisherige Systeme stoßen zunehmend an ihre Grenzen und werden der Gentherapie inhärenten Erstattungsproblematik nicht gerecht. Aus diesem Grund werden **potentielle Lösungsansätze** dargestellt und diskutiert. Der strategische Optionenraum innovativer Erstattungsmodelle für Gentherapien ist immens. Im Folgenden sind fünf Archetypen dargestellt, anhand derer die verschiedenen Möglichkeiten differenziert dargestellt werden können. Der **Status quo** wird dabei durch das **Upfront Payment** bezeichnet. Die Preissetzung erfolgt auf Basis der zur Zulassung vorhandenen Evidenz, weitere Evidenz muss nicht erhoben werden, wodurch das Ausmaß der Risikosplittung als niedrig eingeschätzt wird, da Langzeitwirksamkeit und -sicherheit nur hypothetisch bewertet werden können.

**Installment Payment Plans**, welche nicht zwingend auf Basis weiterer Evidenz beruhen, können ähnlich eingeschätzt werden. Bei der Generierung von Post-Launch Evidenz steigt hingegen auch das Ausmaß der Risikosplittung zwischen den Kostenträgern und den pharmazeutischen Unternehmen, wie bei den **individuellen und kollektiven Outcome-based-Approaches** zu erkennen ist. Ein hohes Ausmaß an Risikosplittung auf gesellschaftlicher Ebene wird trotz eines niedrigen Levels an post-launch Evidenz nur durch eine **Kollektivierung des Aufwands** erreicht.

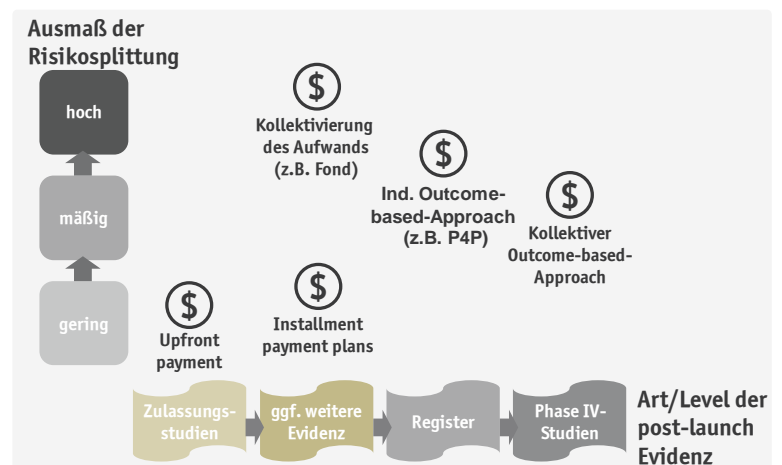


Abbildung 3: Potentielle Erstattungsmodelle in der Übersicht

## SKC – Key Learnings

## Das VUCA des Genterapiefeldes erfordert eine fundierte Strategie für einen erfolgreichen Market Access

Auf Basis der Analysen haben sich spezifische Aspekte herauskristallisiert, welche von entscheidender Bedeutung sind, um den Zulassungs- und Erstattungsprozess erfolgreich zu meistern:

- Die Rolle des Medikaments in der **Versorgungsrealität** sollte evaluiert werden;
- **Follow-up Daten** sollten erhoben werden, um den Unsicherheitsaspekt zu adressieren;
- Die **Zielpopulation** sollte unter Berücksichtigung der prinzipiell und tatsächlich geeigneten Patienten bestimmt werden;
- Ein **differenzierte Nutzendarstellung** unter Einbezug der Kostenträgersicht und auf Basis der Zielpopulation sollte erfolgen;
- Die **Herstellung** der genterapeutischen Optionen kann einen entscheidenden Einfluss auf den market uptake haben;
- Applikationsspezifische Aspekte und damit die Entwicklung von **Schulungen und Trainings** sollten frühzeitig in den Prozess eingebunden werden;
- Mit einer internationalen **Gesamtstrategie** können die länderspezifischen Besonderheiten adressiert und genutzt werden;
- Die **Mobilisierung des Marktes** ist ein zentraler Faktor bei der Einführung neuer Genterapien;
- Die gesamthafte Einbindung der **Value Story** stellt einen entscheidenden Erfolgsfaktor dar.

Insgesamt ist ein **kollaborativer Ansatz** aller Beteiligten von zentraler Bedeutung, um allen Patienten den Zugang zu innovativen Genterapien zu ermöglichen.

VUCA = volatility, uncertainty, complexity, ambiguity

## SKC – Partner, auf die Sie bauen können

## Vision & Mission

**Unsere Vision bei SKC** ist ein Gesundheitssystem, in dessen Mittelpunkt die bestmögliche Behandlung für Patienten steht.

**Wir sind davon überzeugt**, dass die bestmögliche Lösung eines Gesundheitsproblems nur in einer wettbewerbsorientierten, von Innovationen geprägten und vertrauensvollen Umgebung stattfinden kann.

**Wir glauben**, dass durch digitale Technologien, interdisziplinäre Netzwerke und hoch professionelle Standards ein besseres, effektiveres, effizienteres und faires Gesundheitssystem möglich ist.

### Pharmazeutische Industrie

- Strategischer Market Access, AMNOG und Erstattung
- Stakeholder und Public Affairs Management
- Strategische Preisgestaltung

### MedTech & Biotechnologie

- Marktzugang für Innovative Medizinische Geräte (National / International)
- Portfolio Analyse und Management

### Gesetzliche Krankenversicherung

- Digitalisierung
- Leistungs-Kosten-Management
- Strategische Organisationsentwicklung

SKC Beratungsgesellschaft mbH  
Pelikanplatz 21  
30177 Hannover  
Tel +49 511 64 68 14 – 0  
[www.skc-beratung.de](http://www.skc-beratung.de)  
[kontakt@skc-beratung.de](mailto:kontakt@skc-beratung.de)

