

# Dürfen Gentherapien so viel kosten? Ethische Bewertung der hohen Preise und des performanceorientierten Erstattungsmodells

# 22

Karla Alex und Julia König

## 22.1 Struktur des Kapitels

In diesem Kapitel wird untersucht, ob hohe Preise für Gentherapien<sup>1</sup> gerechtfertigt sind und ob die Problematik, die mit hohen Preisen verbunden ist, durch das Erstattungsmodell „pay for performance“ (P4P) behoben werden kann. Dazu wird zunächst beschrieben, wie Preise für neue Arzneimittel, zu denen auch Gentherapien zählen, in Deutschland festgelegt werden (Abschn. 22.2). Danach wird P4P als Beispiel für ein Erstattungsmodell vorgestellt (Abschn. 22.3).

Die anschließende ethische Analyse (Abschn. 22.4) prüft zunächst, ob sich durch P4P-Modelle das Recht auf Gesundheit und Gesundheitsversorgung aller Menschen nachhaltig garantieren lässt (Abschn. 22.4.1; vgl. zum „nachhaltigen Recht auf Gesundheit“ Alex 2021). Dann wird aufgezeigt, dass Kosten-Nutzen-Analysen zur Festlegung von Preisen für neue Gentherapien aus ethischer Sicht grundsätzlich

---

<sup>1</sup> „Ein Gentherapeutikum ist ein biologisches Arzneimittel, dessen Wirkstoff eine Nukleinsäure (Träger der Erbinformationen) enthält oder daraus besteht. Es wird eingesetzt, um eine Nukleinsäuresequenz zu regulieren, zu reparieren, zu ersetzen, hinzuzufügen oder zu entfernen. Die therapeutische, prophylaktische oder diagnostische Wirkung steht in unmittelbarem Zusammenhang mit der rekombinanten Nukleinsäuresequenz, die es enthält oder mit dem Produkt, das auf Basis dieser genetischen Information gebildet wird“ (siehe unter: <https://www.pei.de/DE/arzneimittel/atmp/gentherapeutika/gentherapeutika-node.html> [03.05.2023]).

---

K. Alex (✉) · J. König

Nationales Centrum für Tumorerkrankungen (NCT), NCT Heidelberg, eine Partnerschaft zwischen DKFZ und dem Universitätsklinikum Heidelberg, Medizinische Fakultät Heidelberg, Abteilung für Medizinische Onkologie, Sektion Translationale Medizinethik, Universität Heidelberg, Heidelberg, Deutschland  
e-mail: [Karla.Alex@med.uni-heidelberg.de](mailto:Karla.Alex@med.uni-heidelberg.de)

kritisch zu sehen sind und ein Problem für Zugangsgerechtigkeit und damit auch für die nachhaltige Garantie eines Rechts auf Gesundheit darstellen (Abschn. 22.4.2). Am Ende steht die Frage, ob P4P mit der Idee der Menschenwürde (Art. 1 I 1 GG) vereinbar ist (Abschn. 22.4.3; vgl. bereits König et al. 2020).

---

## 22.2 Wie kommen die Preise zustande?

Neue Gentherapien für seltene genetische Erkrankungen und Krebserkrankungen sind hochspezialisierte Behandlungsmethoden, die denjenigen, für die sie entwickelt wurden, großen Gesundheitsnutzen bringen und für sie lebensrettend sein können (van Overbeek et al. 2021). In die Entwicklung der Therapien fließen viele personelle, zeitliche und letztlich finanzielle Ressourcen, die von der ersten Idee bis zur Prüfung in klinischen Zulassungsstudien mit hohen Risiken für Misserfolge verbunden sind (van Overbeek et al. 2021; Witte und Greiner 2021; siehe auch Blache et al., Kap. 8). Daher verlangen die Hersteller der Therapien (siehe auch: Cohnen et al., Kap. 16) oft Preise in Millionenhöhe für das fertige Produkt (siehe Tab. 22.1), um bei erwartbar geringer Verkaufszahl die investierten Ressourcen aufzurechnen und in die Entwicklung weiterer neuer Therapien für seltene Erkrankungen investieren zu können (Witte und Greiner 2021). Zudem verfolgen sie grundsätzlich eine Gewinnabsicht (ibid.). Hersteller rechtfertigen die hohen Preise damit, dass innovative Einmaltherapien, wie etwa die Gentherapie der  $\beta$ -Thalassämie, einer Erkrankung des Blutes, deutliche finanzielle Einsparungen bedeuten könnten, da teure lebenslange Behandlungen wegfielen.<sup>2</sup> Es gibt länderspezifische Unterschiede in der Preisgestaltung (Jørgensen et al. 2020). Des Weiteren unterliegen die Preise für Gentherapien marktbedingten Schwankungen. Aufgrund der Patentschutzregelungen können die Preise nach Auslauf des Patentschutzes sinken (Witte und Greiner 2021). Wenn die Arzneimittel nicht mehr unter Patentschutz stehen, können andere Hersteller sie als sog. „Biosimilars“ anbieten, die die gleiche Wirkung haben.<sup>3</sup> Das kann die Preise teilweise senken (Steiner et al. 2021).

Von der Europäischen Arzneimittelagentur („European Medicines Agency“, EMA) sind (Stand 27.04.2023) 14 Gentherapeutika für den europäischen Markt zugelassen.<sup>4</sup> Diese gehören zur Gruppe Arzneimittel für neuartige Therapien („Advanced Therapy Medicinal Products“, ATMPs). Der bei Neuzulassung zu zahlende Preis wird in vielen europäischen Ländern meist erst Monate nach Marktzulassung in Verhandlungen endgültig festgesetzt, was den faktischen Zugang zu teuren neuen

---

<sup>2</sup>Siehe unter: <https://www.biopharmadive.com/news/bluebird-withdraw-zynteglo-germany-price/598689/> [07.05.2023]; <https://www.pfizer.de/newsroom/news-stories/gentherapie-die-ursache-seltener-erkrankungen-behandeln> [05.05.2023].

<sup>3</sup>Vgl. die Empfehlungen der Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft zur Behandlung mit Biosimilars. Siehe unter: [https://www.akdae.de/fileadmin/user\\_upload/akdae/Arzneimitteltherapie/LF/PDF/Biosimilars-KF.pdf](https://www.akdae.de/fileadmin/user_upload/akdae/Arzneimitteltherapie/LF/PDF/Biosimilars-KF.pdf) [30.05.2023].

<sup>4</sup>Siehe unter: <https://www.pei.de/DE/arzneimittel/atmp/gentherapeutika/gentherapeutika-node.html> [04.05.2023]; <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/glybera> [04.05.2023].

**Tab. 22.1** Liste der aktuell in Deutschland zugelassenen Gentherapeutika und ihrer Therapie-kosten laut G-BA (Angaben ohne Gewähr)<sup>a</sup>

Liste der von der EMA aktuell zugelassenen Gentherapeutika (alphabetisch nach Handelsname)	Wirkstoff	Anwendungsbereich	Therapiekosten (aktuell, laut G-BA; vor Verhandlungen zwischen Herstellern und Krankenkassen)
Abecma®	Idecabtagen vicleucel (CAR-T-Zelltherapie)	Onkologische Erkrankungen (Multiples Myelom, mind. 3 Vortherapien)	350.000 € [1]
Breyanzi®	Lisocabtagen maraleucel (CAR-T-Zelltherapie)	Onkologische Erkrankungen (Diffus großzelliges B-Zell-Lymphom, primär mediastinales großzelliges B-Zell-Lymphom und follikuläres Lymphom Grad 3B, nach $\geq 2$ Vortherapien)	345.000 € [2]
Carvykti®	Ciltacabtagene autoleucel (CAR-T-Zelltherapie)	Onkologische Erkrankungen (Multiples Myelom, mind. 3 Vortherapien)	420.000€ [3]
Hemgenix®	Etranacogen Dezaparovec	Krankheiten des Blutes und der blutbildenden Organe: Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel)	Daten nicht vorliegend [4]; Einmaldosis in den USA 3,5 Mio. US\$ [5]
Imlygic®	Talimogen laherparepvec	Onkologische Erkrankungen (Melanom, Stadium IIIB, IIIC, IVMI1a)	142.563,65 € / 72.287,80 € – 289.151,20 € / 93.108,37 € (Preise variieren je nach Indikation) [6]
Kymriah®	Tisagenlecleucel (CAR-T-Zelltherapie)	Onkologische Erkrankungen (Diffus großzelliges B-Zell-Lymphom)	275.000 € [7]
Libmeldy®	Atidarsagen autotemcel OTL-200	Stoffwechselkrankheiten (Metachromatische Leukodystrophie mit biallelischer Mutation im ARSA-Gen)	2.875.000 Mio. € [8]
Luxturna®	Voretigen Neparovec	Augenerkrankungen (Erbliche Netzhautdystrophie)	702.100 € [9]
Roctavian®	Valoctocogen Roxaparovec	Krankheiten des Blutes und der blutbildenden Organe (Hämophilie A)	2.143.958,40 € [10]

(Fortsetzung)

**Tab. 22.1** (Fortsetzung)

Liste der von der EMA aktuell zugelassenen Gentherapeutika (alphabetisch nach Handelsname)	Wirkstoff	Anwendungsbereich	Therapiekosten (aktuell, laut G-BA; vor Verhandlungen zwischen Herstellern und Krankenkassen)
Strimvelis®	autologe, CD34+ -angereicherte Zellfraktion, die CD34+ -Zellen enthält, die mit einem gamma-retroviralen Vektor transduziert wurden, der für die humane Adenosin-Desaminase (ADA)-cDNA-Sequenz aus humanen hämatopoetischen Stamm-/Progenitorzellen (CD34+) codiert [11]	schwere kombinierte Immundefekte aufgrund von Adenosin-Desaminase-Mangel (ADA-SCID), wenn kein geeigneter Human-Leukozyten-Antigen (HLA)-kompatibler Stammzellspender aus der Familie verfügbar ist [11]	Keine Angaben gefunden
Tecartus®	Brexucabtagen-Autoleucel/ Autologe Anti-CD19-transduzierte CD3+ Zellen	Onkologische Erkrankungen (Mantelzell-Lymphom, ab der 2. Linie)	360.000 € [12]
Upstaza®	Eladocagene Exuparovec	Stoffwechselkrankheiten (Aromatische-L-Aminosäure-Decarboxylase(AADC)-Mangel, $\geq 18$ Monate)	4.165.000 € [13]
Yescarta®	Axicabtagen-Ciloleucel (CAR-T-Zelltherapie)	Onkologische Erkrankungen (Diffus großzelliges B-Zell-Lymphom und primäres mediastinales großzelliges B-Zell-Lymphom, nach mind. 2 Vortherapien)	282.000 € [14]
Zolgensma®	Onasemnogen-Abeparovec	Krankheiten des Nervensystems (Spinale Muskelatrophie)	2.314.550 € [15]

**Tab. 22.1** (Fortsetzung)

Abkürzungen: EMA: Europäische Arzneimittelagentur; G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; CAR-T-Zelltherapie: Chimeric Antigen Rezeptor-T-Zelltherapie; IQWiG: Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen.

\*Referenzen: für Spalte 1: <https://www.pei.de/DE/arzneimittel/atmp/gentherapeutika/gentherapeutika-node.html> [23.10.2023] und [https://www.pei.de/SharedDocs/Downloads/DE/newsroom/veroeffentlichungen-arzneimittel/rhb/21-03-18-rhb-strimvelis.pdf?\\_\\_blob=publicationFile&v=3](https://www.pei.de/SharedDocs/Downloads/DE/newsroom/veroeffentlichungen-arzneimittel/rhb/21-03-18-rhb-strimvelis.pdf?__blob=publicationFile&v=3) [23.10.2023] [04.05.2023]; für Spalten 2 bis 4: [1] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/781/>; [2] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/869/>; [3] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/924/>; [4] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/953/>; [5] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/953/> und: EU gets first hemophilia B gene therapy. In: Nat Biotechnol 41: 438 (2023). <https://doi.org/10.1038/s41587-023-01760-5>; [6] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/243/>; [7] [https://www.g-ba.de/downloads/39-261-4456/2020-09-17\\_AM-RL-XII\\_Tisagenlecleucel\\_DLBC\\_L\\_D-530\\_BAnz.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/39-261-4456/2020-09-17_AM-RL-XII_Tisagenlecleucel_DLBC_L_D-530_BAnz.pdf); [8] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/684/>; [9] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/813/>; [10] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/877/>; [11] [https://www.pei.de/SharedDocs/Downloads/DE/newsroom/veroeffentlichungen-arzneimittel/rhb/21-03-18-rhb-strimvelis.pdf?\\_\\_blob=publicationFile&v=3](https://www.pei.de/SharedDocs/Downloads/DE/newsroom/veroeffentlichungen-arzneimittel/rhb/21-03-18-rhb-strimvelis.pdf?__blob=publicationFile&v=3); [12] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/657/>; [13] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/868/>; [14] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/833/>; [15] <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/689/> [Zugriff zu allen Internetlinks: 23.10.2023].

Gentherapien in Ländern, in denen erst nach Preiseinigung Erstattungsfähigkeit gegeben ist, deutlich erschwert (Wasem et al. 2021: 22; Bomhof et al. 2022). In Deutschland sind alle ATMPs nach Marktzulassung von den gesetzlichen Krankenkassenversicherungen (GKV) erstattungspflichtig (Wasem et al. 2021). Der Preis für Gentherapien bemisst sich in Deutschland zunächst nach der vom Hersteller festgelegten bzw. mit den GKV und ihren Spitzenverbänden vereinbarten Summe (Jørgensen et al. 2020), wird dann aber neu verhandelt, nachdem eine sog. frühe Nutzenbewertung der ATMPs durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) vorgenommen wurde. Dies ist ein Health-Technology-Assessment nach folgendem Maßstab:

„Der Gemeinsame Bundesausschuss bewertet den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Hierzu gehört insbesondere die Bewertung des Zusatznutzens gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie, des Ausmaßes des Zusatznutzens und seiner therapeutischen Bedeutung“. (§ 35a I 1 SGB V)

Wenn die frühe Nutzenbewertung abgeschlossen ist, finden die Preisbildungsverhandlungen zwischen GKV und Herstellern statt oder werden fortgesetzt. Diese Verhandlungen orientieren sich vor allem am durch den G-BA festgestellten Grad des Zusatznutzens. Arzneimittel ohne Zusatznutzen werden einer Festbetragsgruppe zugeordnet. Fehlt diese, orientiert sich der verhandelte Preis an den Kosten der Vergleichstherapie. Auf dieser Grundlage wird versucht, eine Einigung zwischen GKV-Verbänden und Hersteller zu erreichen. Kann keine Einigung erzielt werden, entscheidet ein Schiedsgericht (Witte und Greiner 2021). Dem Hersteller steht es frei, das Medikament vom Markt zu nehmen (oder dem Markt vorzuent-

halten), sollte er sich mit den GKV nicht auf einen Preis einigen (Witte und Greiner 2021: 6).<sup>5</sup>

Eine Liste mit den aktuell in Deutschland zugelassenen Gentherapeutika sowie den vom G-BA angegebenen Therapiekosten findet sich in Tab. 22.1. Es wird deutlich, dass Preise in Millionenhöhe keine Seltenheit sind.

Van Overbeek et al. (2021) fassen in einer systematischen Überblicksarbeit die Forschungsliteratur zu mit neuen Gentherapien verbundenen ökonomischen und anderen Herausforderungen bei der Einführung der Therapien auf dem Markt zusammen. Dabei wird deutlich, dass Gesundheitssysteme in Europa, USA und Kanada durch neue Gentherapeutika vor viele ökonomische Herausforderungen gestellt werden. Die größte Herausforderung stellen sicherlich die hohen initialen Kosten dar, die mit einer oft nur einmaligen Gabe einer neuen Therapie verbunden sind. Darüber hinaus können aber weitere Zusatzkosten auftreten, die zum Zeitpunkt der Anwendung der Gentherapie noch unbekannt sind. Dass bei Behandlungsbeginn Kosten für ggf. nötige Folgetherapien unklar sind, ist sicherlich kein Alleinstellungsmerkmal von Gentherapien, jedoch ist eine unbekannte Summe an Mehrkosten gerade dann besonders relevant, wenn die initialen Kosten, wie im Fall neuer Gentherapien, bereits sehr hoch sind (van Overbeek et al. 2021). Letztlich sind es dann doch wieder die hohen initialen Kosten, die das Problem darstellen. Zudem ist, so van Overbeek et al. (2021) weiter, auch die Unklarheit darüber, ob eine Gentherapie hält, was sie verspricht, eine ökonomische Herausforderung, die die Markteinführung erschwert. Der Prozess in Deutschland, der eine frühe Nutzenbewertung mit Prüfung des Zusatznutzens, wie oben dargestellt, erfordert, bevor finale Preisverhandlungen stattfinden, illustriert dies. Eine weitere ökonomische Herausforderung, die van Overbeek et al. beschreiben, besteht in der Ungewissheit darüber, ob die effektiv entstandenen Kosten in angemessenem Verhältnis zu den durch die Gentherapie eingesparten Kosten für alternative Behandlungs- und Betreuungsangebote stehen (van Overbeek et al. 2021).

---

<sup>5</sup>Ein Beispiel ist die gescheiterte Preisverhandlung zwischen dem Hersteller Bluebird und den deutschen GKV für das Gentherapeutikum Zynteglo® („Betibeglogene autotemcel“) zur Behandlung der  $\beta$ -Thalassämie, einer Erkrankung des Blutes. Bluebird verlangte einen Preis von 1.580.000 € und schlug dafür eine Zahlung von zunächst 315.000 € vor. Die restliche Summe sollte bei anhaltendem Erfolg des Gentherapeutikums, das nur einmal gegeben wird, in vier weiteren jährlichen Raten abgegolten werden. Bluebird argumentierte, dass die hohen Kosten gerechtfertigt seien, da durch die Einmalmedikation lebenslange teure Behandlungen eingespart würden (siehe unter: <https://thalassaemia.org.cy/it/news/bluebird-puts-e1-57m-price-on-gene-therapy-zynteglo/> [07.05.2023]; <https://www.biopharmadive.com/news/bluebird-withdraw-zynteglo-germany-price/598689/> [07.05.2023]; Ronco et al. 2021; siehe auch Morgan et al., Kap. 3).

Zudem ist zu bedenken, dass zur Behandlung der  $\beta$ -Thalassämie grundsätzlich auch eine allogene Stammzelltransplantation von einer:m gesunden passenden Spender:in in Frage kommt. Diese zur Gabe von Zynteglo® alternative Behandlungsmethode kostet, soweit uns bekannt, in etwa 300.000 €, was der ersten (und bei nicht anhaltendem Erfolg einzigen) Rate für Zynteglo® entsprochen hätte, und ist mit einem besser abzuschätzenden Verhältnis von Risiken zu erhofftem Nutzen verbunden, als es Zynteglo® zum Zeitpunkt der Preisverhandlungen war. Dies könnte ein Grund dafür gewesen sein, dass die GKV nicht bereit waren, initial den vollen Preis für Zynteglo® zu zahlen, dass P4P erwogen wurde, aber letztlich scheiterte.

## 22.3 Wie können die Preise bezahlt werden? Beispiel P4P für CAR-T-Zelltherapie

Um die hohen Preise für Gentherapien finanzieren zu können, werden neue Erstattungsmodelle diskutiert (Wasem et al. 2021). Eines davon ist „pay for performance“ (P4P). P4P ist eine „Methode zur Vergütung von Versorgungsleistungen, bei der die Höhe der Vergütung davon abhängig gemacht wird, dass definierte Erfolgsziele erreicht werden.“<sup>6</sup> Das ergebnisorientierte Erstattungsmodell („outcomes-/performance-based reimbursement“) P4P ist eine Form der wertbasierten Bepreisung („value-based pricing“) (Buch et al. 2021; Gonçalves 2022). Ergebnisorientierte Bepreisung wird für die Erstattung neuer Gentherapien in der Krebsmedizin (CAR-T-Zelltherapien) seit einigen Jahren auch in Europa (Deutschland, Italien, Spanien, Frankreich, Vereinigtes Königreich) genutzt (Jørgensen et al. 2020). Mit P4P sollen initiale Unsicherheiten adressiert werden, die im Rahmen der Erstattungsverhandlungen nach der Zulassung bei Markteintritt auftreten (Wasem et al. 2021), und die finanzielle Verantwortung soll zwischen Hersteller und Krankenkassen geteilt werden. Eine Alternative zu ergebnisorientierten Erstattungsmodellen, um hohe Preise für neue Gentherapien zu senken, stellen individuelle Rabattvereinbarungen zwischen Herstellern und GKV dar (Jørgensen et al. 2020). Diese sind jedoch i. d. R. nicht öffentlich bekannt. Die Intransparenz führt dazu, dass sowohl eine ethische als auch eine öffentliche und gesundheitsökonomische Diskussion erschwert wird. Intransparenz in der Preisgestaltung und in Bezug auf nicht öffentliche Rabattvereinbarungen wird auch in der Literatur kritisch gesehen (van Overbeeke et al. 2021; Gonçalves 2022).

Es gibt unterschiedliche Arten der ergebnisorientierten Erstattung nach dem Modell des P4P. Ein Beispiel stellen Vereinbarungen dar, die die Zahlung der Gesamtsumme eines Medikamentes in mehreren Raten vorsehen, die nur dann fällig werden, wenn die Wirkung anhält (Beispiel Zynteglo®, siehe Fn. 5). Ein weiteres Beispiel für P4P stellen Vereinbarungen dar, die vorsehen, dass der Gesamtpreis zunächst gezahlt wird, aber bei ausbleibendem Erfolg des Medikamentes ein Teilpreis zurückerstattet wird. Das könnte man vielleicht treffender unter den Begriff „Non-pay for non-performance“ (Minderzahlungen bei Qualitätsdefiziten)<sup>7</sup> fassen. Jedoch stellen P4P und „non-pay for non-performance“ zwei Seiten derselben Medaille dar.<sup>8</sup> Wir werden, da dieser Begriff gebräuchlicher ist, im Folgenden nur

<sup>6</sup>Siehe unter: [https://aok-bv.de/lexikon/p/index\\_06435.html](https://aok-bv.de/lexikon/p/index_06435.html) [05.05.2023].

<sup>7</sup>Siehe unter: [https://aok-bv.de/lexikon/p/index\\_06435.html](https://aok-bv.de/lexikon/p/index_06435.html) [05.05.2023].

<sup>8</sup>Zahlung für Erfolg (P4P) und Nichtzahlung für Nichterfolg („non-pay for non-performance“) sind zwar zwei Seiten derselben Medaille. Aus ethischer Sicht könnte es aber einen Unterschied machen, ob P4P als Jahreszahlung (Zynteglo®; siehe Fn. 5 oben) oder Teilerstattung am Jahrestag (Kymriah®, siehe hier, Abschn. 22.3) angeboten wird. Aus betriebswirtschaftlicher Sicht macht es zudem einen Unterschied, ob der Kostenträger (z. B. eine GKV) eine (weitere) Zahlung verweigern kann oder der Hersteller die Erstattung eines Teilpreises verweigern kann. Denn, muss der Kostenträger in Vorleistung treten, um den vollen Preis des Herstellers zu bezahlen, den er dann bei Misserfolg erstattet bekommt, ist der Kostenträger dadurch zunächst deutlich stärker finanziell belastet als in Fällen, in denen eine erfolgsabhängige Jahreszahlung vereinbart wurde.

von P4P (nicht von „non-pay for non-performance“) sprechen und verwenden synonym auch die Begriffe „performanceorientierte Erstattung“ und „ergebnisorientierte Erstattung“. Die Gründe für die „Minderzahlung“ und was genau „Performance“ im P4P-Modell bedeutet, werden nun exemplarisch erläutert.

P4P wurde auch in Deutschland im Rahmen der Zulassung für die CAR-T-Zelltherapie während der frühen Nutzenbewertung angewendet (Jørgensen et al. 2020; König et al. 2020; Gonçalves 2022).<sup>9</sup>

Bei der CAR-T-Zelltherapie handelt es sich um eine zelluläre Therapie mit T-Zellen, die genetisch modifiziert wurden, um einen chimären Antigenrezeptor zu exprimieren. Den Patient:innen werden hierfür eigene T-Zellen (spezialisierte Zellen des Immunsystems) entnommen. Diese werden genetisch verändert und wieder in die Patient:innen rücktransfundiert, d. h. über das Blut wieder in den Körper eingebracht (Kochenderfer et al. 2009; siehe auch Harrer/Abken, Kap. 10). Die CAR-T-Zelltherapie ist eine innovative neue Behandlungsmethode, die zur Behandlung unterschiedlicher Krebsarten bei Kindern sowie Erwachsenen zum Einsatz kommt (siehe Tab. 22.1 zu den zugelassenen Anwendungsgebieten). Sie hat das Potenzial, bei Betroffenen einen deutlichen Zugewinn an Lebenszeit und Lebensqualität zu generieren oder diese sogar von der betreffenden Krebserkrankung zu heilen (siehe Neelapu et al. 2018). Die CAR-T-Zelltherapie ist, je nach Produkt, Patient:innenkollektiv und Diagnose, erst ab der zweiten Therapielinie zugelassen. Das hat zur Folge, dass sie in manchen Fällen auch eine sog. „Letzt-Instanz-Therapie“ ist. Das heißt, sie kommt dann zum Einsatz, wenn keine andere Therapie mehr zur Verfügung steht.

Der vom Hersteller festgesetzte Preis des CAR-T-Zelltherapeutikums Kymriah® (Tisagenlecleucel) betrug auf dem deutschen Markt zunächst 320.000 €. <sup>10</sup> 2019 haben sich die Pharmafirmen Novartis und Gilead jedoch mit verschiedenen GKV-Vereinigungen darauf geeinigt, den GKV einen Teil des Preises zurückzuerstatten, wenn Kymriah® (Novartis) bzw. Yescarta® (Axicabtagene ciloleucel; Gilead) ein bestimmtes Therapieziel der individuellen Patient:innen, die das Medikament erhalten haben, nicht erreicht. Dieses Therapieziel war das Überleben über einen definierten Zeitraum. Die im Fall des Nichterfolgs erlassene Summe war nicht öffentlich bekannt. Jørgensen et al. (2020: 4) vermuten basierend auf Recherchen („based on our primary research“, *ibid.*), dass die Zeitspanne, an der das Überleben ge-

---

<sup>9</sup> Aktuell wird P4P für die CAR-T-Zelltherapie in Deutschland nicht angewendet. So findet sich bei *keinem* der zugelassenen CAR-T-Zelltherapeutika ein Hinweis auf Vereinbarungen zu P4P unter: [https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/arzneimittel/verhandlungen\\_nach\\_amnog/ebv\\_130b/ebv\\_nach\\_130b.jsp](https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/arzneimittel/verhandlungen_nach_amnog/ebv_130b/ebv_nach_130b.jsp) [08.05.2023]. Es findet sich allerdings für Alofisel® (Derivadstrocel) ein solcher Hinweis (unter: [https://www.gkv-spitzenverband.de/media/dokumente/krankenversicherung\\_1/arzneimittel/amnog\\_sonst\\_vb/18031sv20180601.pdf](https://www.gkv-spitzenverband.de/media/dokumente/krankenversicherung_1/arzneimittel/amnog_sonst_vb/18031sv20180601.pdf) [08.05.2023]).

<sup>10</sup> Siehe unter: [https://www.g-ba.de/downloads/39-261-3700/2019-03-07\\_AM-RL-XII\\_Tisagenlecleucel-DLBCL\\_D-375\\_BAnz.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/39-261-3700/2019-03-07_AM-RL-XII_Tisagenlecleucel-DLBCL_D-375_BAnz.pdf) [05.05.2023].



messen wurde, 12 Monate und der erlassene Preis 50 % betragen. Das hätte bedeutet, dass z. B. für Kymriah® zunächst der volle Preis von 320.000 € fällig geworden wäre. Wenn Patient:innen nach (z. B.) einem Jahr nicht mehr leben (und an der mit dem CAR-T-Zelltherapeutikum somit „erfolglos“ behandelten Erkrankung versterben), wäre eine (nicht öffentlich bekannte) Summe (z. B. die Hälfte) zurückerstattet worden. Das heißt, im Falle erfolgloser Therapie würde letztlich weniger als 320.000 € gezahlt. Somit hätte sich der Preis für Kymriah® zusammengesetzt aus Summe X, die in beiden Fällen (Überleben und Nichtüberleben) unter dem Strich hätte gezahlt werden müssen, z. B. 160.000 €, und aus Summe Y, die nur im Falle von Überleben unter dem Strich zusätzlich gezahlt hätte werden müssen (bzw. nicht rückerstattet worden wäre), z. B. weitere 160.000 €.

---

## 22.4 Wie sind die hohen Preise und wie ist P4P ethisch zu bewerten?

### 22.4.1 P4P vs. „nachhaltiges Recht auf Gesundheit“

Das Recht auf Gesundheit ist ein Recht aller Menschen, die heute und in Zukunft leben (werden), Zugang zu den Lebensbedingungen zu erhalten, die ihre Gesundheit bewahren und befördern. Von den Vereinten Nationen (United Nations, UN) wird es daher als universales Recht bezeichnet (ICESCR 1966; CESCR 2000). Man kann dieses Recht aufgrund seiner Universalität als Recht verstehen, das nachhaltig gesichert werden muss. Man kann somit von dem Ideal der Garantie eines „nachhaltigen Rechts auf Gesundheit“ (Alex 2021) sprechen, wie es eine von uns in einer anderen Arbeit formuliert hat. Diese Arbeit (Alex 2021) wird im Folgenden zur Beantwortung der Fragestellung des Kapitels („Dürfen Gentherapien so viel kosten?“) herangezogen.<sup>11</sup> Der Begriff *Nachhaltigkeit* ist in Alex (2021) von einer wirtschaftsethischen Nachhaltigkeitskonzeption (nach Elkington 1999) und von dem Nachhaltigkeitsbegriff in der Umweltethik (nach WCED 1987, einem Dokument der UN) geprägt.

Wichtig für den Begriff der Nachhaltigkeit im wirtschaftsethischen Diskurs ist dreierlei. Nach Elkington können Unternehmen genau dann „nachhaltig“ genannt werden, wenn sie erstens ökonomisch sinnvolle Entscheidungen treffen (was für gewinnorientierte Unternehmen wie für Unternehmen ohne Gewinnabsicht gleichermaßen gilt), dabei aber zweitens aktiv zum Umweltschutz beitragen und drittens auch aktiv zur Verbesserung der sozialen Lebensbedingungen beitragen (Elkington 1999). Die Aspekte zwei (positive Auswirkungen auf die Umwelt) und drei (positive Auswirkungen auf die Gesellschaft) definiert Elkington (1999) dabei als gleich-

---

<sup>11</sup> Für die über die genannten völkerrechtlichen Grundlagen hinausgehenden normativen Grundlagen dieses Rechtes verweisen wir auf die detaillierten Erläuterungen in Alex (2021, vor allem Abschn. 1, 2.1 und 2.4).

bedeutend mit dem Ziel der ökonomisch sinnvollen Unternehmensführung. Das heißt, ein Unternehmen, bei dem allein Gewinnmaximierung das Ziel ist, kann nie „nachhaltig“ genannt werden. Umgekehrt heißt es aber auch, dass gewinnorientierte Unternehmen in einem durch Auswirkungen auf Umwelt und Gesellschaft begrenzten Rahmen nach Elkington auch wirtschaftliche Ziele verfolgen können. Die drei Aspekte ökonomische, Umwelt- und soziale Faktoren wurden in das Konzept eines „nachhaltigen Rechts auf Gesundheit“ (Alex 2021) übernommen, was den Diskurs zum Nachhaltigkeitsbegriff aus der Wirtschaftsethik in die Medizinethik sowie in den Bereich der Diskussion um Rechte, die in der Medizinethik eine Rolle spielen (nämlich das Recht auf Gesundheit), überträgt. Neben den drei Aspekten des Nachhaltigkeitsbegriffs nach Elkington ist das Verständnis von Nachhaltigkeit, genauer: nachhaltiger Entwicklung (auch hier sieht man wiederum den ökonomischen Aspekt) der UN für das neue Konzept des „nachhaltigen Rechts auf Gesundheit“ zentral.

Nachhaltige Entwicklung wird von den UN als „Entwicklung, die die Bedürfnisse gegenwärtiger Generationen erfüllt, ohne zukünftigen Generationen die Fähigkeit zu nehmen, ihre Bedürfnisse zu erfüllen“ (WCED 1987) verstanden. Elementar ist dabei die Sicherung der Grundbedürfnisse.

Gemäß dem Konzept eines „nachhaltigen Rechts auf Gesundheit“ (Alex 2021) kann ein Recht daher genau dann „nachhaltig“ genannt werden, wenn es zwei Bedingungen erfüllt: Das Recht muss erstens sowohl gegenwärtigen als auch zukünftigen Generationen zustehen. Das ist beim Recht auf Gesundheit wie bei allen Menschenrechten (da diese universal sind) der Fall (ICESCR 1966; CESCR 2000). Um „nachhaltig“ genannt werden zu können, muss ein Recht zweitens in einem Anspruch der Rechtsträger (das sind beim Recht auf Gesundheit, wie gesagt, alle Menschen) darauf bestehen, dass bestimmte ökonomische, soziale und Umweltbedingungen erhalten oder geschaffen werden. Diese zweite Bedingung ergibt sich aus dem oben beschriebenen Verständnis davon, was der Begriff der Nachhaltigkeit umfasst, nämlich Berücksichtigung von ökonomischen, Umwelt- und sozialen Aspekten. Anders gesagt: Wenn man in einer Sache diese drei Aspekte findet, dann ist sie, daran gemessen wie „Nachhaltigkeit“ in der ethischen Debatte verstanden wird, eine nachhaltige Sache. In Alex (2021) hat eine von uns somit festgestellt, dass das Recht auf Gesundheit eine solche Sache ist. Denn das Recht auf Gesundheit (ICESCR 1966; CESCR 2000) ist gerade mit einem solchen Anspruch verbunden nämlich einem Anspruch der Rechtsträger darauf, dass bestimmte ökonomische, soziale und Umweltbedingungen, die ‚gesund machen‘, erhalten oder geschaffen werden. Da das Recht auf Gesundheit zudem allen Menschen zukommt, ist das Recht auf Gesundheit ein „nachhaltiges Recht“. Das heißt, wenn man bei dem Recht auf Gesundheit von einem „nachhaltigen Recht auf Gesundheit“ spricht, hat man ganz genau auf den Begriff gebracht, was mit diesem Recht laut UN (ICESCR 1966; CESCR 2000) verbunden ist. Man kann das Konzept der UN von „nachhaltiger Entwicklung“ (WCED 1987) somit auf ein Konzept eines „nachhaltigen Rechts auf Gesundheit“ ausweiten. In dem Begriff eines universalen Rechts auf Gesundheit der

UN ist der Begriff eines nachhaltigen Rechts auf Gesundheit damit enthalten. Dies wird in Alex (2021) noch konkretisiert, indem dort zwischen Rechten Einzelner und Rechten aller differenziert wird.<sup>12</sup> Für das nachhaltige Recht auf Gesundheit gilt somit:

- (1) Es ist ein Recht Einzelner.
- (2) Es ist zugleich ein Recht aller, einschließlich zukünftiger Generationen.
- (3) Das Recht beinhaltet einen Anspruch darauf, dass ökonomische Faktoren zu seiner Umsetzung berücksichtigt werden. Dabei darf aber, genau wie auch im Fall der Nachhaltigkeitsdefinition von Elkington (1999; siehe oben), die Gewinnmaximierung nicht in den Vordergrund treten, sondern finanzielle Aspekte dürfen nur insoweit berücksichtigt werden, als sie zweckdienlich sind, um Gesundheit zu fördern.<sup>13</sup>
- (4) Das Recht beinhaltet einen Anspruch darauf, dass die Umwelt geschützt wird.

Die Berücksichtigung von Umweltfaktoren (4) ist grundsätzlich Teil des nachhaltigen Rechts auf Gesundheit, nicht aber auf Gesundheitsversorgung, da das nachhaltige Recht auf Gesundheitsversorgung nur einer von mehreren Bestandteilen des nachhaltigen Rechts auf Gesundheit ist. Das Recht auf Gesundheit erhaltende/fördernde Umweltbedingungen ist ein gleichrangiger, weiterer Bestandteil (Alex 2021: 41). Wir untersuchen nun, ob das P4P-Modell zur Erstattung von Gentherapien dem Anspruch gerecht wird, ein nachhaltiges Recht auf Gesundheitsversorgung zu garantieren. Der Einfachheit halber sprechen wir jedoch nur von einem nachhaltigen Recht auf *Gesundheit* (meinen damit jedoch in der nachfolgenden Analyse ausschließlich das Recht auf Gesundheitsversorgung, und nicht etwa das Recht auf Erhalt von bestimmten Umweltbedingungen). Das heißt, wir untersuchen, ob P4P dreierlei gewährleisten kann: Rechte einzelner Gruppen, z. B. von Menschen mit seltenen Erkrankungen, auf Zugang zu vorhandenen Gentherapien (1), Rechte aller Menschen auf Gesundheitsversorgung (2), Berücksichtigung ökonomischer Faktoren nur insoweit, als sie (1) und (2) dienen (3). Um zu prüfen, ob P4P mit einem nachhaltigen Recht auf Gesundheit (wie genannt, immer ausschließlich bezogen auf das Recht auf Gesundheitsversorgung) vereinbar ist, sehen wir uns zwei Situationen an: einmal die Situation, in der die durch P4P finanzierten Gentherapien eher nicht so

---

<sup>12</sup>Für die konkrete Argumentation, siehe insbesondere Abschnitt 2.4 in Alex (2021).

<sup>13</sup>Siehe zur Begründung: „So zu handeln, dass die Gesundheit eines jeden gefördert wird, unabhängig davon, um wessen Gesundheit es sich handelt, hat einen ‚objektiven Grund‘. Die Achtung des Eigenwerts eines jeden Menschen steht an erster Stelle. Daher erscheint es vernünftig zu argumentieren, dass jede Entscheidung, die den Eigenwert eines gegenwärtigen oder zukünftigen Individuums nicht nur indirekt, sondern direkt missachtet, nicht zu rechtfertigen ist. Nur wenn es keine solche Missachtung gibt, erfordert das akteursneutrale Recht der Gesellschaft (heute und in Zukunft) die Einbeziehung ökonomischer Diskussionen und die Suche nach einem Gesundheitssystem (und einer gesundheitsbezogenen Wirtschaftsform), das universell zugänglich ist und so lange wie möglich aufrechterhalten werden kann (vgl. Reidpath et al. 2015)“ (Alex 2021: 44; im Original englischsprachig; Übersetzung K. A.).

gute Ergebnisse erzielen, zum anderen die Situation, in der sie relativ gute Ergebnisse erzielen.

Vorab möchten wir aber noch bemerken, dass es uns hier um die Frage geht, ob das Recht auf Gesundheit nachhaltig sichergestellt werden kann, wenn P4P angewendet wird, das heißt: ob das nachhaltige Recht auf Gesundheit mittels P4P geschützt werden kann. Das beinhaltet aber selbstverständlich ein Gesundheitssystem, das finanziell stabil ist. Pharmazeutische Unternehmen müssten, um selbst „nachhaltig“ genannt werden zu können, Preise neuer Gentherapien immer so gering wie möglich halten, um den Zugang zu garantieren. Ob und warum pharmazeutische Unternehmen (wie alle Unternehmen) aus ethischer, und zwar gerade auch aus wirtschaftsethischer, Sicht nachhaltig wirtschaften sollen, ist eine Debatte, die wir hier nicht führen (siehe nochmals Elkington 1999). Grundsätzlich wird also nun geprüft, ob P4P eine Möglichkeit darstellt, unabhängig davon, ob ein pharmazeutisches Unternehmen nachhaltig wirtschaftet, ein nachhaltiges *Recht* aller auf Gesundheit zu garantieren.

Wenn die Therapie in den meisten Fällen nicht den gewünschten Erfolg zeigt, kommt es bei P4P oft zu einer Rückerstattung, womit das Gesundheitssystem finanziell weniger stark belastet wird, als wenn für die (im Fall, den wir uns für den Moment ansehen, wenig wirksame) Therapie immer der volle Preis zu zahlen wäre. Somit bietet P4P im Fall schlecht wirksamer Therapien einen deutlichen ökonomischen Vorteil für die Zahlenden gegenüber einer Vereinbarung, bei der immer der volle Preis zu zahlen ist. Das entspricht in der Definition des nachhaltigen Rechts auf Gesundheit Aspekt (3): zur Garantie des Rechtes müssen ökonomische Faktoren berücksichtigt werden.<sup>14</sup> Das Recht Einzelner auf eine bestimmte Therapie (1 in genannter Definition) wird zudem mit P4P eher gewahrt, als wenn sehr hohe Preise ohne Rückerstattungsmöglichkeit für die von Einzelnen benötigte neue Gentherapie festgesetzt werden. Das Recht aller auf Zugang zu anderen Gesundheitsleistungen, was Teil (2) der obigen Definition eines nachhaltigen Rechts auf Gesundheit entspricht, wird ebenfalls durch die finanziell weniger starke Belastung des Gesundheitssystems scheinbar gewahrt.

Wenn jedoch die Therapie meist die erwünschten Ergebnisse erzielt, wird zwar das Recht Einzelner auf Zugang zu bestmöglicher Therapie scheinbar gewahrt (das ist Teil 1 der Definition des nachhaltigen Rechts auf Gesundheit), da P4P zumindest eine gewisse finanzielle Entlastung für das Gesundheitssystem darstellt, nämlich in den Fällen, in denen die Therapie nicht wie gewünscht wirkt (3). Allerdings gilt: Je besser die Therapie „funktioniert“, desto geringer ist (bei sehr hohen Preisen wie für neue Gentherapien) die Entlastung. Zudem kann wie bei den herkömmlichen Festpreisen so auch mit einem P4P-Modell der vom Hersteller verlangte Preis so hoch sein, dass die Krankenkassen grundsätzlich nicht bereit sind, den Preis zu bezahlen. Dies zeigte sich, als der Hersteller Bluebird das Medikament Zynteglo®, das erfolgsabhängig bis zu 1,58 Mio. € hätte kosten sollen, vom Markt nahm (siehe De-

---

<sup>14</sup>Die im Folgenden in Klammern eingefügten Zahlen beziehen sich auf die oben gelisteten vier Bestandteile des nachhaltigen Rechts auf Gesundheit. Darunter sind, wie erklärt, nur (1) bis (3) für das nachhaltige Recht auf Gesundheitsversorgung relevant.

tails in Fn. 5 sowie in Abschn. 22.4.2). Somit hatten Einzelne (1), die Interesse an dieser Therapie hatten, in Deutschland keinen Zugang mehr zu Zytenglo®. Auch mit P4P besteht die finanzielle Belastung des Gesundheitssystems durch neue Gentherapeutika fort (3). Die finanziellen Auswirkungen auf das Gesundheitssystem werden von P4P-Modellen bei den hochpreisigen Medikamenten, bei denen das Modell aktuell zur Diskussion steht, nicht ausreichend berücksichtigt, insbesondere dann nicht, wenn die Therapien, für die P4P-Vereinbarungen zur Diskussion stehen oder geschlossen werden, meist die gewünschten Ergebnisse erzielen würden. Daher kann das Recht auf Gesundheit nicht nachhaltig garantiert werden. Denn durch eine zu starke finanzielle Belastung des Gesundheitssystems läuft dieses Gefahr, nicht nur Patient:innen, die teure Gentherapien benötigen (1), sondern auch anderen Patient:innen, die andere Gesundheitsleistungen in Anspruch nehmen möchten (2), nur noch ein immerhin etwas eingeschränktes Angebot machen zu können. Teure Gentherapien können somit, ob mit oder ohne P4P, zu Einschränkungen des Kreises von Patient:innen, mit seltenen Erkrankungen oder Krebserkrankungen führen, für die die neuesten Therapien auf dem Markt verfügbar und grundsätzlich erstattungsfähig sind, oder, sofern verfügbar und erstattungsfähig, für die die GKV einer Erstattung der Therapie zustimmt. Nicht nur wird die Indikationsstellung von den GKV akribisch geprüft, sondern es könnte sogar die grundsätzliche Gefahr bestehen, dass Patient:innen mit schlechteren Überlebenschancen bevorzugt für die Therapie ausgewählt werden, wenn Vereinbarungen getroffen werden, bei denen die Krankenkasse weniger zahlt, wenn Patient:innen sterben, wie es der Spiegel treffend formuliert hat (*Spiegel Online* 2019; vgl. auch König et al. 2020).<sup>15</sup>

P4P ist somit im Beispielfall zur Erstattung der CAR-T-Zelltherapie nicht mit einem nachhaltigen Recht auf Gesundheit vereinbar, was aus ethischer Sicht nahelegt, dass es keine zufriedenstellende Lösung zur Finanzierung teurer neuer Gentherapien darstellt. Gentherapien kosten, wie das Beispiel zeigt, auch mit P4P noch sehr viel, was mit dem Ideal eines nachhaltigen Rechts auf Gesundheit nicht vereinbar ist. Darüber hinaus stellen die hohen Preise ein Problem für Zugangsgerechtigkeit dar, wie nachfolgend gezeigt wird.

## 22.4.2 Kosten-Nutzen-Analysen vs. Zugangsgerechtigkeit und nachhaltiges Recht auf Gesundheit

Das nachhaltige Recht auf Gesundheit basiert auf dem Ideal der Zugangsgerechtigkeit. Zugangsgerechtigkeit verstehen wir im Zusammenhang mit Gesundheitsversorgung als gleichen Zugang aller zu den ihren individuellen Bedürfnissen entsprechenden Gesundheitsleistungen (vgl. Perelman 1967: 16). Für die Diskussion

---

<sup>15</sup>Wichtig zu bedenken ist, dass es die Ärzt:innen bzw. ein interdisziplinäres Tumorboard sind, die die Therapieentscheidung treffen, und nicht die GKV. Es muss jedoch auch bedacht werden, dass die Kostenzusage von der jeweiligen Krankenkasse vor der Verabreichung der Gentherapie beantragt wird und diese dann die Zusage zur Kostenübernahme erteilt oder nicht. Die Krankenkasse legt ihrer Entscheidung Informationen zu den Patient:innen zugrunde.

darüber, ob Zugangsgerechtigkeit zu neuen Gentherapien gegeben ist, stellt sich die Frage: Wer kann sich so teure Therapien leisten? Im Kontext des deutschen Gesundheitssystems ist, wie gezeigt (Abschn. 22.2), die GKV erstattungspflichtig. Daher muss sichergestellt werden, dass die von der EMA zugelassenen Arzneimittel von den GKV erstattet werden können. Ferner muss sichergestellt werden, dass die GKV oder in der Tat die jeweiligen Abteilungen in Krankenhäusern der Maximalversorgung, die die erforderlichen Infrastrukturen haben, um neue, teure Therapien anzubieten, durch hohe Zusatzkosten für neue Arzneimittel nicht gezwungen sind, ihr Angebot an oder ihre Erstattung von anderen Gesundheitsleistungen langfristig einzuschränken. Das zu betonen, ist wichtig. Denn Zugangsgerechtigkeit beinhaltet gleichen Zugang aller zu dem, was sie benötigen (Perelman, *ibid.*). Deshalb ist es unerlässlich, eine individuelle ethische Perspektive mit einer am Gemeinwohl orientierten Perspektive in Einklang zu bringen, wie es das Konzept eines nachhaltigen Rechts auf Gesundheit (Abschn. 22.4.1) vorsieht. Das bedeutet, dass aus ethischer Sicht sowohl die moralischen Rechte von Individuen, die bestimmte, sehr teure Therapien benötigen, berücksichtigt werden müssen als auch die Gesellschaft als Ganze bzw., im Fall der Diskussion um Gentherapien in Deutschland, das Recht auf Gesundheit der Gesamtheit der GKV-Versicherten. Um beide Perspektiven (Rechte Einzelner, Rechte aller) zu vereinen, muss Hochpreisigkeit von Gentherapien vermieden werden. Wir verstehen darunter zumindest Preise, die die GKV (oder, wenn diese die Kosten nicht übernehmen, die Selbstzahler:innen oder Krankenhäuser) finanziell so stark belasten, dass die Stabilität des Gesundheitssystems bedroht ist. Denn nur durch Vermeidung von Hochpreisigkeit in diesem Sinn kann zweierlei sichergestellt werden: 1. dass die Entscheidung im Einzelfall nicht aus ökonomischen Gründen gegen Verabreichung oder sogar gegen Markteinführung eines bestimmten Gentherapeutikums fällt, um das öffentlich finanzierte Gesundheitssystem nicht zu stark durch hohe Kosten zu belasten; und 2. dass immer dann, wenn Einzelne eine sehr teure Therapie erhalten, die finanzielle Belastung des Gesundheitssystems nicht dazu führt, dass andere GKV-Versicherte darunter leiden. Wichtig ist vor allem, dass eine Entscheidung gegen die Erstattung teurer Gentherapien, wie im Fall von Zytenglo®, zwar dem Gemeinwohl nützen kann (da sie die öffentlichen Gesundheitskassen finanziell schont), dabei aber dem:r/den Einzelnen bzw. Gruppen von Patient:innen schadet, denen ein teures Medikament so verwehrt wird, vorausgesetzt, mit dem Medikament ist ein Zusatznutzen verbunden.

Um die Preise von Gentherapien zu regulieren, wurde (wie gezeigt, siehe Abschn. 22.3) versucht, P4P zu nutzen. P4P ist jedoch mit einem nachhaltigen Recht auf Gesundheit nicht immer vereinbar (siehe Abschn. 22.4.1). Zudem wird in Deutschland das Verfahren der sog. frühen Nutzenbewertung durch den G-BA durchgeführt, das Grundlage der Preisverhandlungen über neue Gentherapien ist (siehe Abschn. 22.2). Dieses Verfahren stellt nach Julian Witte und Wolfgang Greiner eine Alternative „zum international verbreiteten Ansatz, auf Basis von Kosten-Effektivitäts-Schwellenwerten Höchstbeträge zu ermitteln, dar“ (Witte und Greiner 2021: 5). Erstattungsbeträge werden in Deutschland, anders als im internationalen Vergleich, demzufolge *nicht* auf Basis von Schwellenwerten ermittelt, die maximal für einen bestimmten erwarteten Gewinn an Lebensqualität und

Lebenszeit gezahlt werden (Silbert und Shuman 2019). Somit bilden „Schwellenwert[e], d[ie] aussag[en], was die Gesellschaft für ein gewonnenes QALY zu zahlen bereit ist“ (Wasem et al. 2021: 25), in Deutschland keine Bemessungsgrundlage. Eine rein auf QALYs (qualitätsadjustierte Lebensjahre) basierende Be- preisung ist, wie Kluger et al. (2020) vermuten, in Deutschland ggf. generell verfassungswidrig. Während wir die rechtliche Dimension nicht beurteilen können und auch auf die ethische Evaluierung konkret von QALYs erst unten (Abschn. 22.4.3) knapp eingehen, zeigen wir nun auf, welche Probleme mit der Nutzenbewertung des G-BA verbunden sind.

Auch ohne Schwellenwerte für QALYs ist bei einer ökonomischen Kosten- Nutzen-Rechnung – darunter verstehen wir ein Modell, in dem Preise sich daran orientieren, wie hoch der Zusatznutzen ist (Porter 2010), – zur Festlegung eines Preises von Gentherapeutika Vorsicht geboten, und zwar gerade, da jede Preis- bildung, die sich am Therapieergebnis orientiert, bei sehr guten Therapieergeb- nissen zu sehr hohen Preisen führen wird. Dies trifft sowohl auf Preisbildungs- modelle zu, die „nur“ den Zusatznutzen der Therapie und die Kosten der Vergleichs- therapie (mit geringerem/höherem Zusatznutzen) zugrunde legen, wie es ganz grundsätzlich im in Deutschland angewendeten Verfahren (siehe Abschn. 22.2) ge- schieht, als auch auf Preisbildungsmodelle, die zusätzlich zu den (oder vor den, wie im Fall von Kymriah®) Ergebnissen des G-BA-Bewertungsprozesses auf einer am Ergebnis orientierten Erstattung beruhen (siehe Abschn. 22.3). In beiden Fällen ist bei sehr gutem erwartbaren und ggf. (bei P4P zusätzlich) tatsächlichem Therapie- ergebnis der Preis genau dann sehr hoch, wenn Vergleichstherapien ebenfalls bereits sehr teuer sind.

Im Grunde führt dieses Modell, wie es aktuell in Deutschland etabliert ist, ver- mutlich dazu, dass ATMPs, darunter sehr viele Gentherapien, sowie auch andere neu entwickelte Therapien, immer teurer werden. Das scheint im Preisbildungs- prozess des G-BA angelegt.<sup>16</sup> Zwar ist erwartbar, dass die hohen Preise mit der Zeit angepasst werden könnten, da das Patent ausläuft (Abschn. 22.2) oder wenn eine ausreichende Zahl an Gentherapeutika verkauft wurde, um die teuren Herstellungskosten zu kompensieren, zu bedenken ist aber auch, dass immer mehr (teure) Gentherapeutika eine Marktzulassung erhalten (van Overbeeke et al. 2021). Während ein einzelnes teures Gentherapeutikum, das als „orphan drug“ nur für sehr wenige Pa- tient:innen entwickelt wurde, „die Nachhaltigkeit der Gesundheits-Budgets vermut- lich nicht gefährdet, könnten Nachhaltigkeitsprobleme bedeutsamer werden, sobald Gentherapeutika für weit verbreitete Erkrankungen eine Marktzulassung erhalten“ (van Overbeeke et al. 2021; Übersetzung K. A.). Das nachhaltige Recht auf Gesund- heit ist somit auch in Preisbildungsmodellen gefährdet, die keine QALY-Schwellen- werte und kein P4P verwenden. Das Problem ist die Kosten-Nutzen-Bewertung an sich, wenn diese dazu führt, dass immer höhere Preise generiert werden.

Es ist aus Gründen der Zugangsgerechtigkeit sehr wichtig, dass es nicht zu Fäl- len kommt, in denen neue Therapien mit Zusatznutzen nicht erstattet werden. Zu solchen Fällen könnte es kommen, wenn das Verhältnis des medizinischen Nutzens

<sup>16</sup>Vgl. auch Howard et al. (2015) zu Preissteigerungen von Krebsmedikamenten in den USA.

(Zusatznutzen, der in der frühen Nutzenbewertung festgestellt wurde) zu dem verlangten Preis des Herstellers aus Sicht der GKV nicht gerechtfertigt ist, da das Budget der GKV begrenzt ist. Die Tendenz scheint gegenwärtig eher dahin zu gehen, die finanzielle Stabilität des Gesundheitssystems langfristig dadurch zu garantieren, dass der Zugang zu sehr teuren Therapien für eine kleine Gruppe von Patient:innen (z. B. Patient:innen mit seltenen genetischen Erkrankungen) eingeschränkt wird, nicht aber Leistungen der medizinischen Grundversorgung eingeschränkt werden. Dies ist eine Möglichkeit, Zugangsgerechtigkeit zu vielen Therapien (außer z. B. zu teuren Gentherapien) zu gewährleisten. Die erwähnte Tendenz illustriert z. B. der Fall von Zytenglo® (angenommen Zytenglo® hat Zusatznutzen), das, wie gezeigt (siehe Fn. 5), in Deutschland nun grundsätzlich nicht mehr angeboten wird. Durch dieses Vorgehen entfernt man sich jedoch erheblich von der ethisch gebotenen Zugangsgerechtigkeit für alle. Denn Patient:innen, die von Zytenglo® profitiert hätten, haben keinen (bzw. nur eingeschränkten) Zugang. Diese stellen sich nun in der Tat die Frage: Wer kann sich so teure Therapien leisten, wenn die GKV sie nicht erstatten? Natürlich stellen die GKV sich diese Frage ebenfalls: Wie können wir, als GKV, uns so teure Therapien leisten?

Der Prozess der frühen Nutzenbewertung von Arzneimitteln als alleinige Grundlage von Preisverhandlungen ist insofern nicht optimal, sollte er dazu führen, dass Therapien immer teurer werden oder dass keine Einigung auf einen Preis erfolgt und hochspezialisierte Therapien nicht angeboten werden.

In der Tat ist es wichtig, dass sich der Preis am Nutzen orientiert. Ein Menschenleben ist jedoch unbezahlbar. Sollte daher der Preis für ein Medikament, das ein Menschenleben retten kann, ebenfalls unbezahlbar sein? Nein. Die Kosten des Therapeutikums dürfen nicht an dieser Unbezahlbarkeit (im übertragenen Sinn) des Menschenlebens festgemacht werden. Der Wert des menschlichen Lebens erfordert gerade seine Unveräußerlichkeit. Eine für einen Kostenträger unbezahlbare für einen Menschen lebensrettende Therapie hat gerade dann keinen Preis, der ihrem Nutzen entspricht, wenn die Therapie unbezahlbar ist, sondern in diesem Fall hat die Therapie einen Preis, der ihrem Nutzen *widerspricht*. Grundsätzlich ist nur der Preis angemessen, der auch bezahlbar ist. Das gilt für medizinisch erforderliche Behandlungen immer. Man könnte aber sogar, vorsichtig formuliert, sagen: Für (potenziell) lebensrettende Therapien gilt in besonderem Maß, dass ihr Preis ihrem Nutzen nur dann entspricht, wenn er gerade nicht zu hoch ist. Aus ethischer Sicht ergibt sich daraus einerseits die Forderung an pharmazeutische Unternehmen, selbst nachhaltig (verstanden als gleichermaßen orientiert an sozialen, ökonomischen und Umweltaspekten) zu wirtschaften. Diese Forderung muss in der Wirtschaftsethik weiter diskutiert werden. Unabhängig davon ist es wichtig, einen Weg zu finden, über den selbst bei nicht im klassischen Sinn nachhaltigen pharmazeutischen Unternehmen das nachhaltige Recht auf Gesundheit sichergestellt werden kann.

Dies streicht nochmals klar heraus, dass Gentherapien nicht so viel kosten dürfen. Im Folgenden werden wir erneut einen Blick auf P4P werfen – einem Versuch, zu verhindern, dass Gentherapien so viel kosten. Zwar haben wir oben bereits dargestellt, dass P4P keine ideale Lösung darstellt, Gentherapien zu finanzieren, da es



dem nachhaltigen Recht auf Gesundheit zuwiderläuft, es könnten aber noch gravierendere Probleme mit P4P verbunden sein, wie ein möglicher Verstoß gegen die Menschenwürde.

### 22.4.3 Sind performanceorientierte Preisregulierungsmodelle mit Menschenwürde vereinbar?

Das deutsche Gesundheitssystem ist so konzipiert, dass zugelassene Arzneimittel, die in ihm zur Anwendung kommen, vergütet werden müssen. Anders als Erstattungsmodelle mit Festpreisen für bestimmte Güter orientieren sich performanceorientierte Erstattungsmodelle an der Leistung (engl. „performance“), die durch das zu vergütende Gut erbracht wird. Im Falle der Diskussion der Vergütung der CAR-T-Zelltherapie durch das performanceorientierte Erstattungsmodell P4P war Leistung als Überleben der jeweiligen Patient:innen über einen gewissen Zeitraum definiert (*Finanz Nachrichten* 2019). Bei dem performanceorientierten Erstattungsmodell in Form der Rückerstattung (siehe Abschn. 22.2) wird prospektiv ein bestimmter Preis gezahlt und das Arzneimittel angewendet. Nach Anwendung erfolgt nach einem vorher definierten Zeitraum eine retrospektive Bewertung der Leistung des Arzneimittels anhand eines ebenfalls vordefinierten Parameters. Hat das Arzneimittel seine Leistung *nicht* erbracht, wird ein Teil des gezahlten Preises rückerstattet. Der Betrag, der für das Arzneimittel erstattet werden muss, setzt sich daher zusammen aus einem Preis X, der immer zu zahlen ist (also nicht rückerstattet wird) und einem Preis Y, der nur zu zahlen ist, wenn das Arzneimittel die vordefinierte Leistung erbracht hat (da im Falle der Nichtleistung rückerstattet wird). Erbringt es diese nicht, dann wird nur X gezahlt, Y wird zurückerstattet. Parameter für die Leistung ist hier das Überleben der Patient:innen über einen definierten Zeitraum.

Durch die Festsetzung des Preises X wird ein monetärer Betrag für den Überlebensversuch der Patient:innen, die dieses Arzneimittel erhalten sollen, bestimmt. Das tatsächliche Überleben der Patient:innen über einen definierten Zeitraum wird durch die zuzügliche Summe Y ebenfalls mit einem Betrag versehen. Damit wird ein monetärer Betrag für Zeitspannen individuellen menschlichen Lebens festgesetzt (König et al. 2020). Bei einer Erstattung nach einem Festpreismodell erfolgt dies nicht. In den herkömmlichen Erstattungsmodellen wird für jedes Arzneimittel ein Festpreis vereinbart, der mit jeder Gabe gezahlt werden muss. Die Kosten sind unabhängig von der Wirkung des Medikamentes. In einem Festpreismodell wird das Medikament nicht weiter verabreicht, wenn es sich als unwirksam erweist. Das vorgeschlagene performanceorientierte Erstattungsmodell zur Vergütung der CAR-T-Zelltherapie ist ein Novum im deutschen Gesundheitssystem und die Statthaftigkeit dieses Vorgehens ist zumindest zu überprüfen (König et al. 2020).

Menschliches Leben ist wesentlich durch seine Zeitlichkeit definiert, wobei Zeit nicht nur ein wesentlicher Aspekt des menschlichen Lebens ist, sondern auch zur Qualität des menschlichen Lebens gehört (Beauchamp und Childress 2019:

252–256). Durch die monetäre Bewertung eines definierten zeitlichen Abschnittes menschlichen Lebens wird daher auch die Lebensqualität monetär bewertet.<sup>17</sup> Diese monetäre Bewertung entspricht zwar nicht dem Konzept der monetären QALY-Methode, die in Deutschland verfassungswidrig sein könnte (Kluger et al. 2020; siehe auch Abschn. 22.4.2), aber als *monetäre LY*-Methode („life years“) einem ähnlichen Verfahren. Lebensqualität wird hier mit Lebensjahren gleichgesetzt. Mit der Festsetzung eines monetären Betrages (Preis X) für den Überlebensversuch und eines Betrages für das Überleben (Summe aus X und Y) der einzelnen Patient:innen erfolgt somit eine monetäre Bewertung der Qualität menschlichen Lebens. Die Vereinbarkeit mit dem der Verfassung zugrunde liegenden Konzept der Menschenwürde (Art. 1 I 1 GG) ist daher auch aus ethischer Sicht und auch für P4P zu prüfen.

Erfolgt eine *normative* Bewertung der Lebensqualität anhand des vordefinierten Zeitraumes des Überlebens, wird nach Quante ein naturalistischer Standard von Lebensqualität angewendet, der weder mit einer intrinsischen noch mit einer absoluten Interpretation der Menschenwürde vereinbar ist (Quante 2014: 27–41). Mit einer Lebensqualitätsbewertung nach dem naturalistischen Standard beschreibt Quante eine Bewertung, die rein auf biologischen oder medizinischen Fakten beruht. Damit wird die Qualität des menschlichen Lebens allein auf der Grundlage eines externen Bewertungsmaßstabes festgemacht, der laut Quante nicht mit der Menschenwürde vereinbar ist (ibid.). Eine Lebensqualitätsbewertung kann nur dann mit der Menschenwürde vereinbar sein, wenn sie nach dem personalen oder dem intersubjektiv-rationalen Standard erfolgt, da beide Standards auf der personalen Autonomie beruhen, „die es verlangt und rechtfertigt, dass wir einander Respekt schulden; und genau dieser Respekt ist der zentrale Aspekt des absoluten Wertes des menschlichen Lebens, der in der ‚Menschenwürde‘ ihren Ausdruck findet“ (ibid.).

Da die zur *monetären* Bewertung herangezogene Leistung im Rahmen der performanceorientierten Erstattung für die CAR-T-Zelltherapie ein definierter Überlebenszeitraum ist, erfolgt die *monetäre* Bewertung nach einem naturalistischen Standard. Es ergibt sich die Frage, ob die monetäre Bewertung nach naturalistischem Standard von einer normativen Bewertung des Lebens wirklich zu trennen ist. Falls die Antwort „Nein“ lautet, bestehen ernsthafte Bedenken darüber, ob P4P mit Menschenwürde vereinbar ist. Grundsätzlich sollte dabei bedacht werden, dass monetäre Wertzuschreibungen nicht in einem normativ freien Raum agieren.

Darüber hinaus stellt sich im Rahmen der performanceorientierten Erstattung die Frage, was die Vergütung des Preises X rechtfertigt, wenn die Leistung des Arzneimittels getrennt, durch den Zusatz von Y, vergütet wird. Definiert sich der Wert eines Arzneimittels über die Leistung, die es für die Patient:innen erbringt, was der Fall ist, wenn nach Leistung erstattet werden soll, dann muss aus logischen Gründen erst geklärt werden, warum erstattet werden sollte, wenn keine Leistung

---

<sup>17</sup>Dies würde überdies auch gelten, wenn im P4P nicht nur „Überleben“ als Parameter verwendet wird, sondern z. B. eine Teilrückzahlung bei Krankheitsfortschritt innerhalb der ersten 12 Monate nach der CAR-T-Zelltherapie. Auch dann wäre letztlich die Zeitlichkeit wesentliches (und für die Rückzahlung entscheidendes) Kriterium der Lebensqualität.

erbracht wurde. Ein Arzneimittel, das die Patient:innen vor dem Tod bewahren soll, hat seine Leistung nicht erbracht, wenn die Patient:innen versterben.

Es liegen daher ernstzunehmende moralische Bedenken darüber vor, ob die performanceorientierte Erstattung in ihrer oben beschriebenen Form statthaft ist. Diese Bedenken müssen vor der Etablierung des Modells im deutschen Gesundheitssystem adressiert werden.

---

## 22.5 Fazit

Ergebnis unserer ethischen Analysen in Abschn. 22.4.1 und 22.4.2 ist, dass weder der gegenwärtige Prozess zur Preisgestaltung von ATMPs noch das ergebnis-/performanceorientierte Erstattungsmodell P4P (im Fall von Kymriah®/Yescarta®) mit einem nachhaltigen Recht auf Gesundheit und somit auch nicht mit Zugangsgerechtigkeit vereinbar sind. Zudem läuft die Zusatznutzenbewertung Gefahr, dazu beizutragen, dass Preise immer höher werden. Das belastet nicht nur das gesamte Gesundheitssystem, sondern bedroht auch das Recht Einzelner auf Zugang zu innovativen Gentherapien. Größere Transparenz bei der Preisgestaltung könnte ein erster Schritt sein, um den benannten Problemen entgegenzuwirken.

Ergebnis unserer ethischen Analyse in Abschn. 22.4.3 ist schließlich, dass weitere ernstzunehmende moralische Bedenken bzgl. der Statthaftigkeit von P4P vorliegen, die es zu prüfen gilt. So muss vor der Einführung des P4P-Modells in das deutsche Gesundheitssystem nicht nur geklärt werden, ob es den Grundsätzen von Nachhaltigkeit und Gerechtigkeit entgegenläuft, sondern auch, ob dieses Erstattungsmodell mit dem ethischen und verfassungsrechtlichen Konzept der Menschenwürde vereinbar ist.

Einführend haben wir dargestellt, wie die Preise von Gentherapeutika formal in Deutschland festgesetzt werden, da dies notwendiger praktischer Bezug unserer theoretischen, abstrakteren anschließenden Analysen war. Zwar schlagen wir in diesem Kapitel keine konkreten Modifizierungen dieses Prozesses vor, möchten aber Leser:innen mit Expertise im Preisbildungsprozess für Gentherapien in Deutschland darin bestärken, auf Grundlage unserer Analyse konkrete Handlungsempfehlungen zu entwickeln. Zudem begrüßen wir genauere Analysen der hier vorgestellten Argumente. So möchten wir unsere Kolleg:innen aus der Angewandten Ethik (Medizin- wie Wirtschaftsethiker:innen) ermuntern, das Preisregulierungsmodell P4P und die Rolle von Kosten-Nutzen-Bewertungen im Prozess der Preisbildung von Gentherapien und anderen ATMPs genauer zu analysieren. Dabei kann an unsere ethische Analyse (Abschn. 22.4) angeknüpft werden.

**Danksagung** Wir danken Prof. Dr. Dr. Eva C. Winkler (Heidelberg) für wertvolle Hinweise zu einer vorherigen Version dieses Textes sowie Hannah Schickl und Prof. Dr. Boris Fehse für die exzellente editorielle Begleitung und wichtigen Hinweise zu den zentralen Argumenten dieses Kapitels.

## Literatur

- Alex K (2021) Ethical conceptualization of a sustainable right to health(care). In: Schildmann J et al (Hrsg) Defining the value of medical interventions. Normative and empirical challenges. Kohlhammer, Stuttgart, S 29–48. Unter: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/n/wt606037/ch03/>. Zugegriffen am 07.05.2023
- Beauchamp TL, Childress JF (2019) Principles of biomedical ethics, Achte. Aufl. Oxford University Press, New York/Oxford
- Bomhof CHC et al (2022) Physicians' perspectives on ethical issues regarding expansive anti-cancer treatments. A qualitative study. *AJOB Empir Bioeth* 13(4):275–286
- Buch C et al (2021) Risk-sharing schemes to finance expensive pharmaceuticals. Interdisciplinary analyses. In: Schildmann J et al (Hrsg) Defining the value of medical interventions. Normative and empirical challenges. Kohlhammer, Stuttgart, S 99–114. Unter: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/n/wt606037/ch07/>. Zugegriffen am 07.05.2023
- CESCR = Committee on Economic, Social and Cultural Rights (2000) General comment no. 14. The right to the highest attainable standard of health (art. 12), adopted at the twenty-second session of the committee on economic, social and cultural rights, on 11 August 2000 (contained in Document E/C.12/2000/4). Unter: <https://www.refworld.org/pdfid/4538838d0.pdf>. Zugegriffen am 24.10.2023
- Elkington J (1999) Cannibals with forks. The triple bottom line of 21st century business. Capstone, Oxford
- Finanz Nachrichten (2019) DGAP-News: Novartis Pharma GmbH und GWQ ServicePlus schließen Vertrag über ein innovatives Erstattungsmodell für die CAR-T-Zelltherapie (deutsch). 06.03.2019. Unter: <https://www.finanznachrichten.de/nachrichten-2019-03/46132853-dgap-news-novartis-pharma-gmbh-und-gwq-serviceplus-schliessen-vertrag-ueber-ein-innovatives-erstattungsmodell-fuer-die-car-t-zelltherapie-deutsch-016.htm>. Zugegriffen am 10.05.2023
- GG = Grundgesetz für die Bundesrepublik Deutschland (GG) vom 23.05.1949, in der im Bundesgesetzblatt Teil III, Gliederungsnummer 100-1, veröffentlichten bereinigten Fassung. Zuletzt geändert durch Art. 1 des Gesetzes vom 19.12.2022. In: BGBl (2022): 2478. Unter: <https://www.gesetze-im-internet.de/gg/BJNR000010949.html>. Zugegriffen am 08.05.2023
- Gonçalves E (2022) Value-based pricing for advanced therapy medicinal products: emerging affordability. *Eur J Health Econ* 23:155–163
- Howard DH et al (2015) Pricing in the market for anticancer drugs. National Bureau of Economic Research, Working paper 20867. Unter: [https://www.nber.org/system/files/working\\_papers/w20867/w20867.pdf](https://www.nber.org/system/files/working_papers/w20867/w20867.pdf). Zugegriffen am 07.05.2023
- International covenant on economic, social and cultural rights (ICESCR). Resolution 2200A (XXI) of 16 December 1966, entry into force 3 January 1976, in accordance with article 27. United Nations. Unter: <https://www.ohchr.org/en/professionalinterest/pages/cescr.aspx>. Zugegriffen am 24.10.2023
- Jørgensen J et al (2020) Outcomes-based reimbursement for gene therapies in practice: the experience of recently launched CAR-T cell therapies in European countries. *J Mark Access Health Policy* 8(1):1715536
- Kluger S et al (2020) Is QALY-based rationing illegal in countries with a natural-law-constitution?. A multidisciplinary systematic review. *Ethics Med Public Health* 14:2352–5525
- Kochenderfer JN et al (2009) Construction and preclinical evaluation of an anti-CD19 chimeric antigen receptor. *J Immunother* 32(7):689–702
- König J et al (2020) Am individuellen Therapieergebnis orientierte Erstattungsverfahren in der Onkologie: ethische Implikationen am Beispiel der CAR-T-Zelltherapie. *Ethik Med* 32:85–92
- Neelapu SS et al (2018) CAR T-cell therapy in large B-cell lymphoma. *N Engl J Med* 378(11):1065
- van Overbeke E et al (2021) Market access of gene therapies across Europe, USA, and Canada: challenges, trends, and solutions. *Drug Discov Today* 26(2):399–415

- Perelman C (1967) Über die Gerechtigkeit. Mit einer Einleitung von Theodor Viehweg. Übersetzt von Ulrike Blüm und Ottmar Ballweg. Beck'sche Schwarze Reihe. Band 45. C. H. Beck, München
- Porter ME (2010) What is value in health care? *N Engl J Med* 363(2):2477–2481
- Quante M (2014) Menschenwürde und personale Autonomie. Demokratische Werte im Kontext der Lebenswissenschaften. Meiner, Hamburg
- Reidpath DD et al (2015) Is the right to health compatible with sustainability? *J. Glob. Health* 5(1):1–4
- Ronco V et al (2021) Price and reimbursement of advanced therapeutic medicinal products in Europe: are assessment and appraisal diverging from expert recommendations? *J Pharm Policy and Pract* 14(30):1–11
- SGB V = Das Fünfte Buch Sozialgesetzbuch – Gesetzliche Krankenversicherung (SGB V) vom 20.12.1988. Zuletzt geändert durch Art. 1b des Gesetzes vom 20.12.2022. In: BGBl (2022): 2793. Unter: [https://www.gesetze-im-internet.de/sgb\\_5/BJNR024820988.html](https://www.gesetze-im-internet.de/sgb_5/BJNR024820988.html). Zugegriffen am 07.05.2023
- Silbert GAY, Shuman AG (2019) How should we determine the value of CAR-T-Cell Therapy? *AMA J Ethics* 21(10):E844–E851
- Spiegel Online (2019) Wenn der Patient stirbt, zahlt die Krankenkasse weniger. 06.03.2019. Unter: <https://www.spiegel.de/gesundheit/diagnose/krebsmittel-kymriah-novartis-erstattet-geld-zurueck-wenn-patient-stirbt-a-1256506.html>. Zugegriffen am 07.05.2023
- Steiner S et al (2021) Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderungen und Perspektiven aus Sicht der Vertragsärzteschaft. In: Schröder H et al (Hrsg) *Arzneimittel-Kompass 2021. Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderungen und Perspektiven*. Springer, Berlin, S 191–208
- Wasem J et al (2021) Gesellschaftliche und volkswirtschaftliche Sicht auf die (zukünftige) Finanzierbarkeit von Arzneimitteln. In: Schröder H et al (Hrsg) *Arzneimittel-Kompass 2021. Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderungen und Perspektiven*. Springer, Berlin, S 19–34
- WCED = World Commission on Environment and Development (1987) Report of the world commission on environment and development. Our common future. United Nations. Unter: <https://sustainabledevelopment.un.org/content/documents/5987our-common-future.pdf>. Zugegriffen am 23.10.2023
- Witte J, Greiner W (2021) Arzneimittelpreise aus gesellschaftlicher Perspektive. In: Schröder H et al (Hrsg) *Arzneimittel-Kompass 2021. Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderungen und Perspektiven*. Springer, Berlin, S 3–17

**Open Access** Dieses Kapitel wird unter der Creative Commons Namensnennung 4.0 International Lizenz (<http://creativecommons.org/licenses/by/4.0/deed.de>) veröffentlicht, welche die Nutzung, Vervielfältigung, Bearbeitung, Verbreitung und Wiedergabe in jeglichem Medium und Format erlaubt, sofern Sie den/die ursprünglichen Autor(en) und die Quelle ordnungsgemäß nennen, einen Link zur Creative Commons Lizenz beifügen und angeben, ob Änderungen vorgenommen wurden.

Die in diesem Kapitel enthaltenen Bilder und sonstiges Drittmaterial unterliegen ebenfalls der genannten Creative Commons Lizenz, sofern sich aus der Abbildungslegende nichts anderes ergibt. Sofern das betreffende Material nicht unter der genannten Creative Commons Lizenz steht und die betreffende Handlung nicht nach gesetzlichen Vorschriften erlaubt ist, ist für die oben aufgeführten Weiterverwendungen des Materials die Einwilligung des jeweiligen Rechteinhabers einzuholen.

