

Zugang zu medizinischen Innovationen in Österreich

M. Gleitsmann¹, A. Pitzschke¹, C. Böhler²

1) Economica GmbH

2) Bristol Myers Squibb (BMS)

Zu den StudienautorInnen



Dr. Martin Gleitsmann. Promovierter Jurist und als Sozialversicherungsreferent beim NÖ Bauernbund, bei der SVA der gewerblichen Wirtschaft und bei der Wirtschaftskammer Österreich tätig inklusive zahlreicher Funktionen als Versicherungsvertreter in den SV- Trägern. In weiterer Folge leitete er 20 Jahre die Abteilung Sozialpolitik und Gesundheit der WKÖ und gestaltete die politischen Entwicklungen in den Bereichen Arbeitsrecht, Arbeitsmarkt, Soziales, Gesundheit, Pflege und Migration maßgeblich mit. Daneben übte er u.a. die Funktion eines Präsidenten des Hauptverbandes der SV, eines geschäftsführenden Obmannes der SVA der gewerblichen Wirtschaft und als Verwaltungsrat im AMS aus.

Seit 2019 freut er sich, seine Erfahrungen als Senior Researcher im Economica Institut für Wirtschaftsforschung , als Lehrbeauftragter für Gesundheitspolitik und Gesundheitsplanung an der IMC FH Krems und als Consultant einbringen zu können.



Priv.-Doz. Dr. Andrea Pitzschke ist promovierte Biochemikerin (UK, 2003), hat in Molekularbiologie habilitiert (AT, 2013), lehrt an der BOKU Molekularbiologie und Bioinformatik, und arbeitet freiberuflich als Wissenschaftsjournalistin. Sie ist eine Neugier-getriebene, Fachliteratur-affine Wissenschaftlerin mit über 20 Jahren akademischer Karriere. Aus Forschungstätigkeiten in Deutschland, Großbritannien und Österreich sind vielzählige respektable Publikationen (u.a. Science, PNAS, Frontiers Microbiology) hervorgegangen.

Mit ihrem Faible, komplexe u.a. medizinische Sachverhalte zu erfassen und diese zielgruppenspezifisch aufzubereiten, adressiert PD Dr. Pitzschke seit 2017 umwelt- und gesundheitsökonomische Fragestellungen als Senior Researcher beim Economica Institut für Wirtschaftsforschung.



Dr. Christian Böhler ist promovierter Gesundheitsökonom und war nach seinem Studium in Deutschland und England als Scientific Officer beim Institut für Technologische Zukunftsforschung des Gemeinsamen Forschungszentrums der Europäischen Kommission (DG-JRC-IPTS) in Sevilla, dem Dachverband der österreichischen Sozialversicherungsträger sowie dem mit den Vereinten Nationen (UN) affilierten Europäischen Zentrum für Wohlfahrtspolitik und Sozialforschung in Wien tätig. Dr. Böhler kann darüber hinaus auf eine lange internationale Lehrtätigkeit zurückblicken, so z.B. als Honorary Lecturer der School of Health & Related Research / Health Economics and Decision Sciences (SchARR) der University of Sheffield (UK). Hinzu kommen externe Beratertätigkeiten, wie z.B. im Rahmen des NICE Single Technology Appraisal Programms in England oder für das Austrian Institute for Health Technology Assessment (AIHTA).

Seit 2021 ist Dr. Böhler für den Bereich Health Economics & Outcomes Research (HEOR) bei Bristol Myers Squibb (BMS) in Österreich verantwortlich.

I. Studienbericht

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung

2. Methoden

- 2.1 Erstellung der Datenbasis
- 2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes
- 2.3 Quantitative Auswertung

3. Ergebnisse

- 3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes
- 3.2 Unterscheidung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box
- 3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box
- 3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box
- 3.5 „From Trial to Patient“ – AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

4. Diskussion

5. Fazit

II. Executive Summary

Studienbericht

M. Gleitsmann¹, A. Pitzschke¹, C. Böhler²

- 1) **Economica Institut für Wirtschaftsforschung**
- 2) **Bristol Myers Squibb (BMS)**

I. Studienbericht

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung

2. Methoden

- 2.1 Erstellung der Datenbasis
- 2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes
- 2.3 Quantitative Auswertung

3. Ergebnisse

- 3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes
- 3.2 Unterscheidung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box
- 3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box
- 3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box
- 3.5 „From Trial to Patient“ – AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

4. Diskussion

5. Fazit

II. Executive Summary

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung



Hintergrund:

Das österreichische Gesundheitssystem steht im Zentrum der aktuellen politischen Debatte. Zentrale Themen dieser Debatte betreffen z.B. Finanz-Ausgleichsverhandlungen zwischen Bund, Ländern und Gemeinden, Fachkräftemangel, strukturelle Aspekte der Zusammenarbeit verschiedener Träger sowie die Digitalisierung im Gesundheitswesen. Ein in vielfältigem Kontext immer wieder debattierter Punkt ist aber auch der Zugang zu medizinischen Innovationen.

Obwohl das österreichische Gesundheitssystem laut internationalen Studien einen vergleichsweise guten Zugang zu medizinischen Innovationen bietet (z.B. IQVIA, 2022), stellt sich somit die Frage, ob und – falls ja – in welchem Umfang innovative Therapien nicht, nur für ausgewählte Therapiebereiche oder nur mit Einschränkungen zugänglich sind.

In diesem Kontext spielt eine Besonderheit im Gesundheitssystem Österreichs eine maßgebliche Rolle, die in internationalen vergleichenden Studien bisher kaum Beachtung fand. Sie betrifft die strikte Trennung von Verantwortlichkeiten für den intra- und extramuralen Bereich, was sich in unterschiedlichen Entscheidungs- und Finanzierungsstrukturen sowie klar voneinander abgetrennten Verfahrensweisen zur Aufnahme von Innovationen in die Erstattung widerspiegelt. Während im extramuralen Bereich der Zugang zu Innovationen über ein Antragsverfahren beim Dachverband der österreichischen Sozialversicherung geregelt ist (Dachverband, 2022), wurde mit der jüngsten Gesetzgebung (VUG, 2024) auch die Umsetzung der EU-HTA Richtlinie (EU-Regulation 2021/2282) im Rahmen der Etablierung eines Medikamenten-Bewertungsboards für den intramuralen Bereich vorangetrieben.

Diesbezüglich könnte die vorliegende Arbeit kaum von höherer Relevanz sein, geht es doch allen Akteuren darum, sowohl die bestmögliche Versorgung von PatientInnen als auch die uneingeschränkte Funktionalität unseres Gesundheitssystems langfristig zu sichern.

Quellen:

- IQVIA (2022): Newton M., Scott K, Troein P. EFPIA Patients W.A.I.T.-Indicator Survey – Updated July 2022
- Dachverband der österreichischen Sozialversicherungsträger (2022): Arbeitsbehelf Erstattungskodex. Online verfügbar: [Arbeitsbehelf EKO Stand 2022 \(ohne Schriften\).pdf \(sozialversicherung.at\)](#) (Abgerufen am 22.01.2024)
- Vereinbarungsumsetzungsgesetz (VUG) 2024

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung



Problemstellung:

Medizinische Innovationen zielen darauf ab, Leben zu verlängern bzw. die gesundheitsbezogene Lebensqualität von PatientInnen in Österreich zu verbessern. Diese Nutzwertvorteile setzen jedoch einen guten Zugang zu diesen Innovationen in Österreich voraus.

Die strikte Trennung in der Erstattung von Therapien zwischen dem intra- und extramuralen Bereich wirft die Frage auf, ob sich hierdurch auch erkennbare Unterschiede im Zugang zu Innovationen für PatientInnen in Österreich ergeben. Internationale Studien attestieren Österreich zwar einen guten Zugang zu medizinischen Innovationen (z.B. IQVIA, 2022), jedoch wird dort den Unterschieden im Zugang zwischen intra- und extramuralen Bereich nicht ausreichend Rechnung getragen.

Die erkenntnisleitende Fragestellung lautet daher, ob sich im Rahmen der Trennung zwischen dem intra- und extramuralen Bereich in Österreich auch mögliche Unterschiede im Zugang zu medizinischen Innovationen für PatientInnen ergeben und welche Faktoren den Zugang zu medizinischen Innovationen fördern beziehungsweise erschweren könnten.

Quellen:

- IQVIA (2022): Newton M., Scott K, Troein P. EFPIA Patients W.A.I.T-Indicator Survey – Updated July 2022

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung



Zielsetzung:

Dieses Projekt verfolgt das Ziel, auf Grundlage einer Gesamtbetrachtung medizinischer Innovationen in den Jahren 2016 bis 2022 den Zugang für PatientInnen in Österreich zu untersuchen und sowohl zugangsförderliche Faktoren als auch Zugangshürden anhand einer vergleichenden Analyse von Absatzzahlen quantitativ zu erfassen.

Im Fokus stehen dabei sämtliche auf europäischer Ebene zugelassenen pharmazeutische Innovationen im Untersuchungszeitraum sowie deren Diffusion in den österreichischen Markt, welchen Zugangsvoraussetzungen und ggf. -beschränkungen diese Innovationen unterliegen, und wie sich diese getrennt nach intra- und extramuralen Bereich auswirken.

I. Studienbericht

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung

2. Methoden

2.1 Erstellung der Datenbasis

2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes

2.3 Quantitative Auswertung

3. Ergebnisse

3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes

3.2 Unterscheidung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box

3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box

3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box

3.5 „From Trial to Patient“ – AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

4. Diskussion

5. Fazit

II. Executive Summary

2.1 Erstellung der Datenbasis

Beschreibung der Datenquellen



Zur Erstellung der Datenbasis wurden verschiedene Informationsquellen in eine gemeinsamen Datenbank zusammengeführt:

Innovationen mit EU-Marktzulassung

Ausgangspunkt hierfür war die Komplett-Liste der European Public Assessment Reports (EPAR) der European Medicines Agency (EMA, 2022) zum Zeitpunkt 23.05.2023. Diese umfasst sämtliche humanmedizinische Innovationen, für die eine Marktautorisierung in der EU beantragt wurde (n=1997)

Die EPAR-Liste ist öffentlich verfügbar. Abgerufene Einträge wurden auf Innovationen mit Marktauthorisierung im Zeitraum 2016 bis 2022 eingegrenzt. Gleichfalls wurden Generika und Biosimilars a priori von einer weiteren Betrachtung ausgenommen, gemäß des expliziten Studienfokus auf medizinische Innovationen. Die so vorgefilterte Liste umfasst insgesamt 397 Innovationen.

Datenquellen

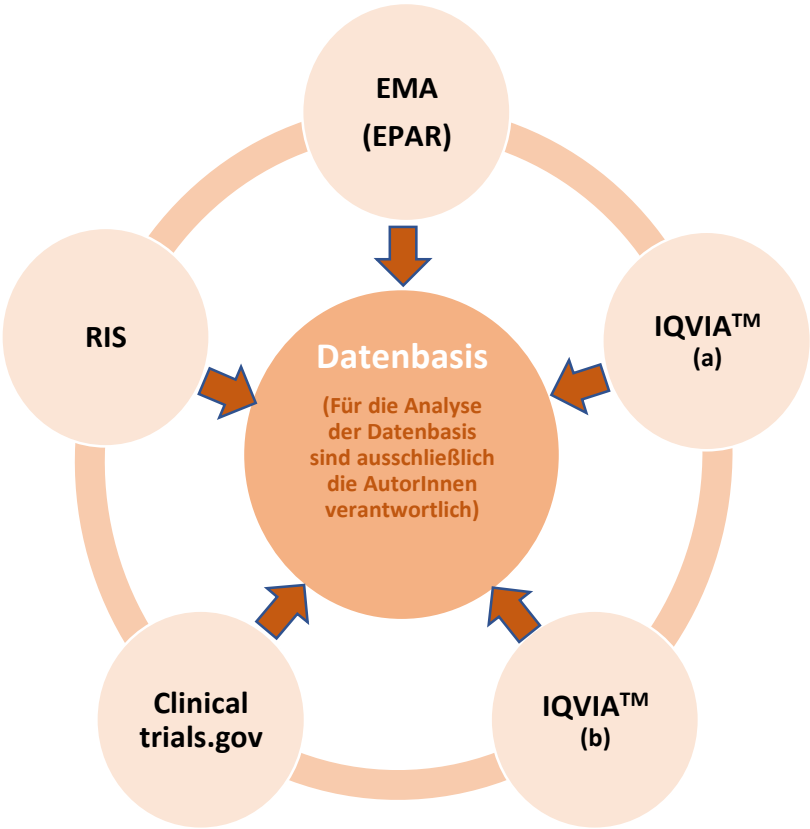


Schaubild 1: Eigene Darstellung

Tabelle 1: Beschreibung der Datenquellen

Datensatz	Beschreibung
European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023	Liste aller Assessment Reports der European Medicines Agency (EMA) für Innovationen, zu denen ein Autorisierungsantrag auf europäischer Ebene gestellt wurde.
IQVIA™ (a): Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023)	Datensatz mit EKO-Status sowie Absatz- und Umsatzdaten zu allen ins Warenverzeichnis aufgenommenen Produkten mit Patentschutz zwischen 2016 und 2022. Für No-Box Produkte beinhaltet dieser Datensatz ebenso Absatzinformationen aus dem Nachbarland Deutschland.
IQVIA™ (b): Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)	Datensatz mit Produkten, die nicht ins Warenverzeichnis aufgenommen wurden, zu denen jedoch Verbräuche in Österreich nachgewiesen werden konnten.
Clinicaltrials.gov	Datensatz mit Informationen zur internationalen Beteiligung an klinischen Studien.
Rechtsinformationssystem des Bundes (RIS)	Amtliche Verlautbarungen der Sozialversicherungen – Änderungen des Erstattungskodex.

Quellen:

- EMA (2023) European Public Assessment Reports (EPAR). Online verfügbar: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> (Zugriff am 23.05.2023)
- IQVIATM: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)

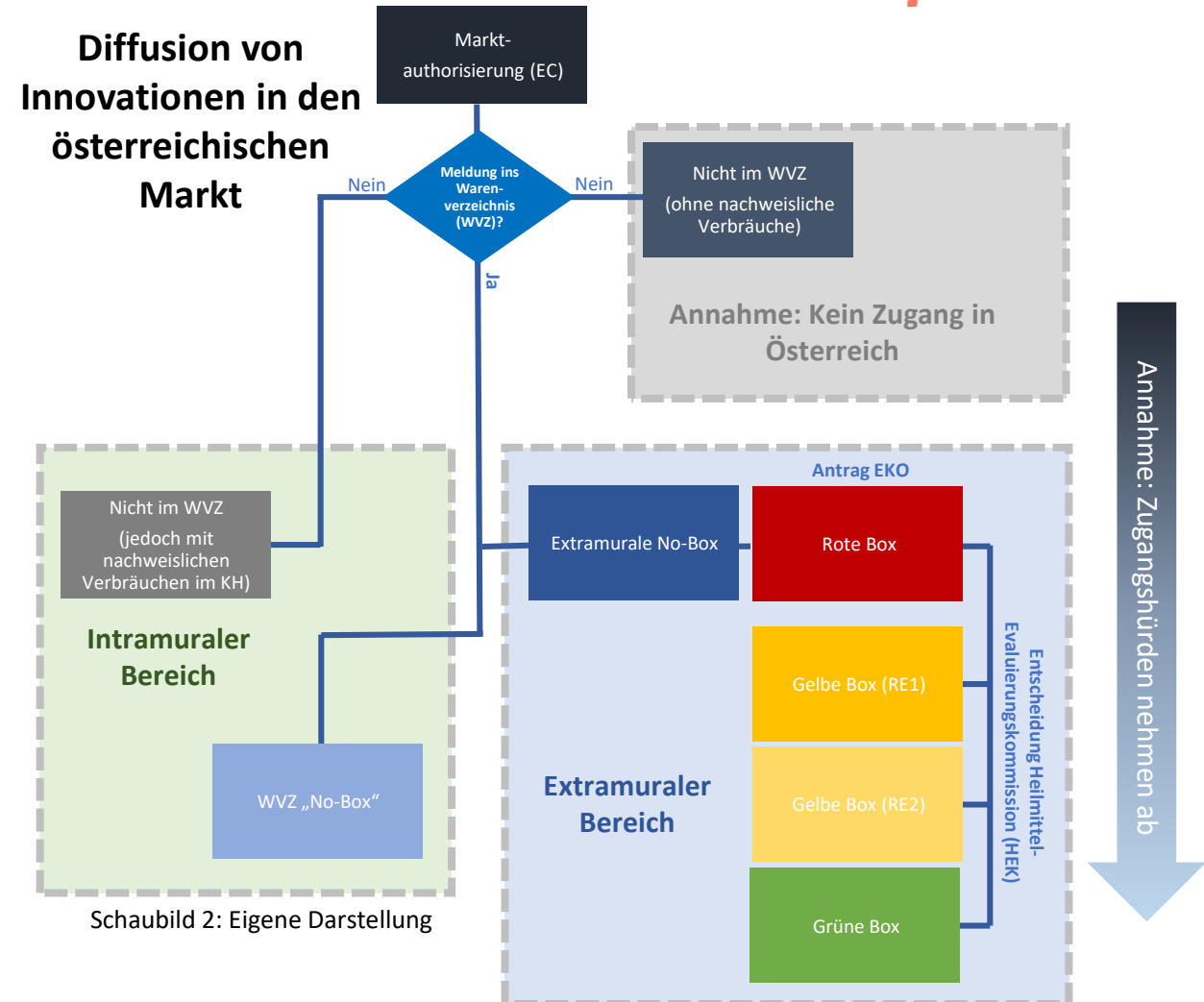
2.1 Erstellung der Datenbasis

Beschreibung der Datenquellen

Diffusion von Innovationen in den österreichischen Markt:

Um die Diffusion von Innovationen in den österreichischen Markt zu erfassen, wurden Daten von IQVIA™ (a) bezogen. Diese umfassen sämtliche Produkte mit Patentschutz ab 2016, die sich mit Ende des Jahres 2022 im österreichischen Warenverzeichnis (WVZ) und damit auch (im weiteren Sinne) im Boxensystem des österreichischen Erstattungskodex (EKO) befanden. Dies schließt auch jene Produkte mit ein, die durch Meldung in das Warenverzeichnis in die „No-Box“ des Boxensystems aufgenommen wurden, was sowohl Innovationen im intramuralen als auch im extramuralen Bereich betrifft. Darüber hinaus umfasst diese Definition auch jene Produkte, für die im extramuralen Bereich nach Meldung in das Warenverzeichnis ein erfolgreicher Antrag auf Aufnahme in den grünen oder gelben Bereich des EKO erfolgte, sowie jene, die sich gerade im Antragsverfahren und damit in der roten Box des EKO befinden. Dieser Datensatz umfasst insgesamt 214 Arzneispezialitäten.

Ein ergänzender Datensatz von IQVIA™ (b) betrifft jene Innovationen, die sich zwar auf der EPAR-Liste befinden, aber nicht ins österreichische Warenverzeichnis gemeldet wurden. Für diese Innovationen wurden Informationen hinsichtlich bekannter Verbräuche in österreichischen Krankenhäusern abgefragt. Zu insgesamt 18 Arzneispezialitäten lagen Verbräuche vor.



Quellen:

- IQVIATM: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
- Dachverband der österreichischen Sozialversicherungsträger (2022): Arbeitsbehelf Erstattungskodex. Online verfügbar: [Arbeitsbehelf EKO Stand 2022 \(ohne Schriften\).pdf \(sozialversicherung.at\)](#) (Abgerufen am 22.01.2024)

2.1 Erstellung der Datenbasis

Beschreibung der Datenquellen



„From Trial to Patient“ - Innovationen mit österreichischer Beteiligung an Studien zum Wirkstoff:

Informationen zur österreichischen Studienbeteiligung an Wirkstoffen, die den Innovationen im Analyse-Datensatz zugrundeliegen, entstammen dem internationalen Webportal für klinische Studien, www.clinicaltrials.gov. Innerhalb dieser Datenbank wurden Innovationen anhand ihres jeweiligen Wirkstoffes recherchiert, gefiltert nach den Kriterien *„Interventionsstudie, Studie abgeschlossen bis 31.12.2022, mit Resultaten, Standort Österreich“*.

Die Studienbeteiligung wurde gemäß Wirkstoff dem jeweiligen Produkt zugeordnet, wobei auf Übereinstimmung mit Therapiebereich geachtet wurde. Hierdurch konnten insgesamt 101 Innovationen innerhalb des Analyse-Datensatzes mit österreichischer Beteiligung an Studien zum Wirkstoff identifiziert werden. Ziel war es, einen möglichen Zusammenhang zwischen AT-Studienbeteiligung und Launch, Erstattungsstatus sowie ggf. Absatz einer Innovation in Österreich quantitativ zu untersuchen.

„No-Box“-Innovationen mit vergeblichen Anträgen zur Aufnahme in den grünen oder gelben Bereich des Erstattungskodex:

Schließlich wurde das Rechtsinformationssystem des Bundes (RIS) abgefragt, um Verlautbarungen der Sozialversicherungen zu etwaigen Anträgen von vertriebsberechtigten Unternehmen zur Aufnahme einer Innovation in den grünen oder gelben Bereich des EKO zu analysieren. Sobald ein solcher Antrag beim Dachverband der österreichischen Sozialversicherungsträger (Dachverband) eingeht, ändert sich der EKO-Boxenstatus einer Arzneyspezialität von „No-Box“ auf „rote Box“. Diese Statusänderung wird mittels amtlicher Verlautbarung bekanntgegeben und ist über das RIS öffentlich einsehbar.

Sämtliche in der No-Box befindliche Innovationen wurden hinsichtlich erfolgter Anträge zur Aufnahme in den grünen oder gelben Bereich des EKO kategorisiert. Von 121 im Datensatz befindlichen No-Box-Innovationen wurden 31 mit mindestens einem bisherigen EKO-Aufnahmeantrag identifiziert.

Quellen:

- www.clinicaltrials.gov
- Rechtsinformationssystem des Bundes – Amtliche Verlautbarungen der Sozialversicherung. Online verfügbar: <https://www.ris.bka.gv.at/> (Zugang am 26.12.2023)

I. Studienbericht

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung

2. Methoden

2.1 Erstellung der Datenbasis

2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes

2.3 Quantitative Auswertung

3. Ergebnisse

3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes

3.2 Unterscheidung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box

3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box

3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box

3.5 „From Trial to Patient“ – AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

4. Diskussion

5. Fazit

II. Executive Summary

2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes

Integration der Datenquellen und Eingrenzung des Analyse-Datensatzes



Integration der Datenquellen:

Ausgangspunkt zur Integration der unterschiedlichen Datenquellen war der EPAR-Datensatz humanmedizinischer Innovationen mit Marktautorisierung zwischen den Jahren 2016 und 2022.

Der Markenname der Arzneyspezialität diente als Schlüssel zum Matching der IQVIA-Daten mit dem EPAR-Datensatz. Fehler im Matching-Prozess wurden händisch im Vieraugenprinzip überprüft und bereinigt. Der entstandene Datensatz wurde um Kategorien zur österreichischen Beteiligung an Wirkstoffstudien und (für No-Box-Innovationen) frühere Anträge zur Aufnahme in den grünen bzw. gelben Bereich des EKO erweitert.

Eingrenzung des Analyse-Datensatzes:

Ausgehend von der EPAR-Liste aller EMA-zugelassenen Innovationen (Stand 23.05.2023), wurden nur Marktzulassungen von Humanprodukten zwischen 2016 und 2022 herausgefiltert. Produkte ohne Patentschutz, Impfstoffe, Kontrazeptiva sowie Diagnostika wurden exkludiert.

Zugelassene Produkte, die jedoch erst im Jahr 2023 ins WVZ aufgenommen wurden, sind nicht im Analysedatensatz enthalten, da dies ansonsten zu einer Überschätzung der Anzahl jener Innovationen geführt hätte, die nicht ins WVZ gemeldet wurden und somit der grundsätzlichen Annahme fehlender Verfügbarkeit unterliegen. Neue Kombinationen bereits bestehender Wirkstoffe wurden ebenso vom Analysedatensatz exkludiert.

Eingrenzung des Analyse-Datensatzes

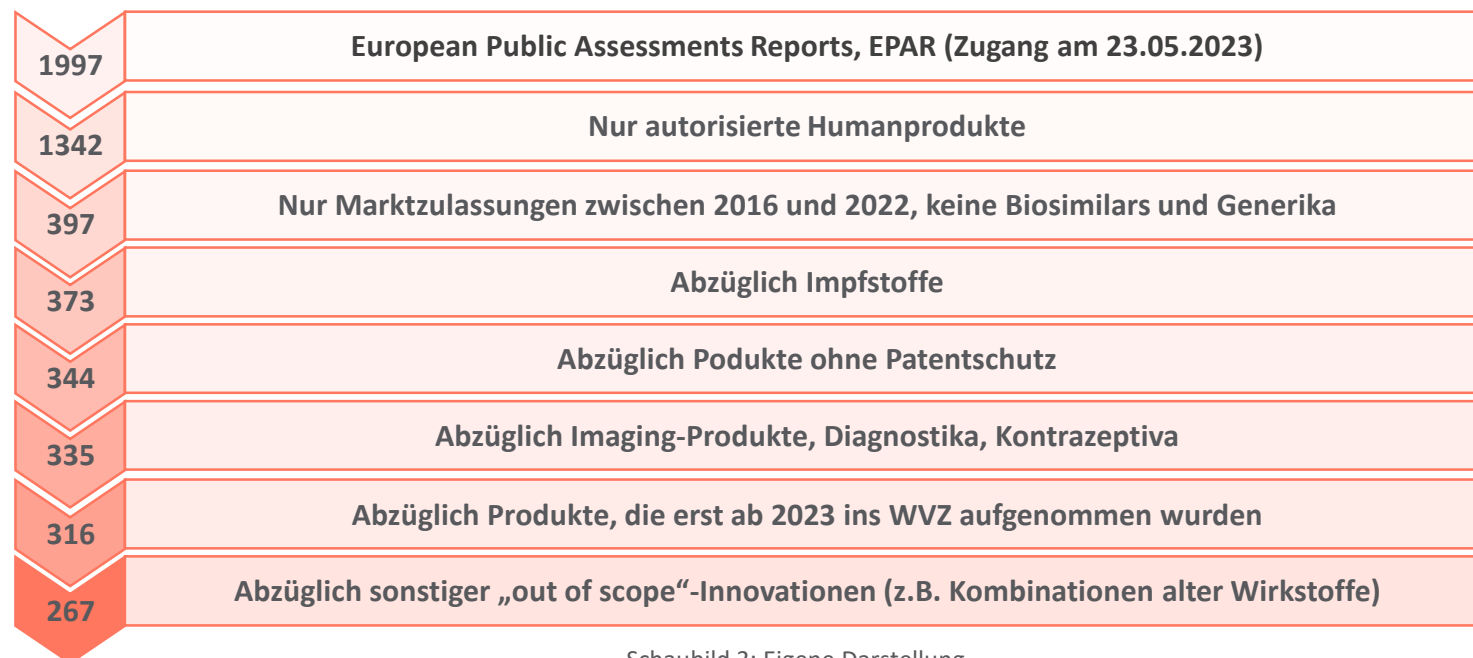


Schaubild 3: Eigene Darstellung

2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes

Integration der Datenquellen und Eingrenzung des Analyse-Datensatzes



Beschreibung des Analyse-Datensatzes:

Die Kombination der unterschiedlichen Datenquellen führte zu einem Datensatz, der tiefgehende Analysen erlaubt.

Neben allgemeinen medizinischen und die Marktautorisierung betreffenden Informationen liegen durch die Kombination der Datenquellen auch Informationen zur Diffusion der Innovation in den österreichischen Markt vor. Ebenso erfasst sind Absatz- und Umsatzinformationen in Österreich und - für No-Box-Innovationen - Deutschland, Informationen zur österreichischen Teilnahme an Wirkstoffstudien und - für No-Box-Innovationen - bisherige Anträge zur Aufnahme in den grünen oder gelben Bereich des Erstattungskodex.

Daten aus den in Tabelle 1 gelisteten Quellen wurden in eine gemeinsame Tabelle zusammengeführt. Dieser Haupt-Datensatz ermöglicht komplexe Datenfilter- und Sortieranwendungen. Hierbei kommt jedem der 267 Produkte eine Zeile im Datensatz zu, und den vier Hauptquellen – EPAR, IQVIA, RIS und Clinical trials – gemäß dem Umfang erfasster Kategorien - verschieden viele Spalten. Die Kategorien (d.h. Spalten) des EPAR-Datensatzes wurden direkt übernommen, wobei für die Kategorie „ATC-code“ fehlende sowie unvollständige Einträge durch entsprechende Einzelrecherchen nachzutragen waren. Die exakte Differenzierung der ATC-codes ist Grundvoraussetzung, Therapiebereiche abgrenzen und bspw. spezifische Aussagen zu Krebsmedikamenten treffen zu können.

Der IQVIA-Datensatz umfasst zwei Spaltensets; dies sind zum einen Österreich-spezifische Kategorien (z.B. Boxenstatus, Absatzmengen), und - für Innovationen der No-Box - zusätzlich auch Deutschland-spezifische Kategorien (z.B. Erstattungsstatus, Absatzmengen). Weitere Kategorien, die Berechnungen einzelner Primärdaten darstellen (z.B. Absatzanteil Ö/DE), wurden als zusätzliche Spalten in den Datensatz eingefügt (Tabelle 2).

Zwecks Übersichtlichkeit enthält der hier beschriebene Haupt-Datensatz nur die unmittelbar wesentliche Information bezüglich „clinical trials“, nämlich i) ob und ii) wieviele Studienbeteiligungen es seitens Österreich gab. Produkte mit österreichischer Studienbeteiligung sind in einer separaten Tabelle nochmals gelistet, welche Detailinformationen (u.a. Studienphase, beteiligte Institutionen, Patienten(ziel)gruppe) enthält und wiederum die wichtigsten Kategorie-Spalten des Hauptdatensatzes (Boxenstatus, ATC-code) rekapituliert. Der detaillierte Sub-Datensatz zu klinischen Studien wurde aufbereitet, um beispielsweise Bundesland-spezifische Aussagen ableiten zu können. Hierfür wurden aus der ursprünglichen Kategorie „locations“ (welche sämtliche internationale Standorte, an denen Patienten behandelt wurden, listet) alle österreichischen Institutionen in eine separate Spalte kopiert, und aus dieser die Zuordnung zu Bundesländern getroffen (eine Spalte pro Bundesland). Dieser Ansatz ermöglicht vielfältige Analysen, beispielsweise Vergleiche zum Studienengagement in einzelnen Bundesländern, zu Wirkstoffen mit kooperationsintensiven Studien, oder zum Boxenstatus eines Produkts, das besonders intensiv beforscht wurde.

2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes

Integration der Datenquellen und Eingrenzung des Analyse-Datensatzes



Tabelle 2: Beschreibung des Analyse-Datensatzes

Ebene	Gruppe	Quelle	Variabeln
Alle Innovationen	Allgemeine Informationen zur medizinischen Innovation	EPAR (EMA)	Medicine name / Therapeutic area / International non-proprietary name, common name / Active substance / Product number / Authorisation status / ATC code / Additional monitoring / Conditional approval / Exceptional circumstances / Accelerated assessment / Orphan medicine / Marketing authorisation date / Marketing authorisation holder, company name / Human pharmacotherapeutic group / Date of opinion / Decision date / Revision number / Condition / indication / First published / Revision date
	Diffusion in den AT-Markt	IQVIA 2023 (a)	Aufnahme ins Warenverzeichnis (=AT-Produktlaunch) / Datum Aufnahme WVZ / Boxenstatus EKO (grün; gelb (RE1); gelb (RE2); rot; No-Box)
	Klinische Studie am Wirkstoff	Clinicaltrials.gov	AT-Teilnahme an Studien zum klinischen Wirkstoff / Anzahl der Studienteilnahmen / Studienzentren (AT)
Innovationen im EKO-Boxensystem	Absatz/ Umsatz (AT)	IQVIA 2023 (a)	Absatz (2022) Counting Units (Apotheke) / Umsatz (FAP) 2022 (Apotheke) / Absatz (2022) Counting Units (Krankenhaus) / Umsatz (FAP) 2022 (Krankenhaus)
No-Box-Innovationen	EKO-Anträge	RIS	Erfolgte Anträge zur Aufnahme in den grünen / gelben Bereich des EKO
	Absatz/ Umsatz (DE)	IQVIA 2023 (a)	Erstattungsstatus / Absätze (2022) Counting Units / Umsätze (2022) FAP
Innovationen nicht im WVZ	Verbräuche (Krankenhaus, AT)	IQVIA 2023 (b)	Verbräuche (2022)

Abkürzungen:

AT: Österreich; ATC: Anatomical Therapeutic Chemical Classification; DE: Deutschland; EKO: Erstattungskodex; EMA: European Medicines Agency; EPAR: European Public Assessment Reports; FAP: Fabriksabgabepreis; WVZ: Warenverzeichnis;

Datenbasis*

- IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
- European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
- Clinicaltrials.gov
- Rechtsinformationssystem des Bundes – Amtliche Verlautbarungen der Sozialversicherung. Online verfügbar: <https://www.ris.bka.gv.at/> (Zugang am 26.12.2023)

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

I. Studienbericht

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung

2. Methoden

2.1 Erstellung der Datenbasis

2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes

2.3 Quantitative Auswertung

3. Ergebnisse

3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes

3.2 Unterscheidung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box

3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box

3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box

3.5 „From Trial to Patient“ – AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

4. Diskussion

5. Fazit

II. Executive Summary

2.3 Quantitative Auswertung



Der Zeithorizont für das Analyse-Sample reicht von 2016 bis 2022. Produkte, deren Marktauthorisierung in diesen Zeitraum fällt, deren Aufnahme in den EKO jedoch erst nach 2022 stattfand, wurden im Sinne einer unverzerrten Ergebnisbetrachtung vom Analyse-Sample ausgeschlossen. Die Meldung ins österreichische Warenverzeichnis sowie der EKO-Boxenstatus reflektiert die Ist-Situation zum 31.12.2022. Absatz-/Umsatzinformationen der im Analyse-Sample befindlichen Produkte beziehen sich jeweils auf das Gesamtjahr 2022.

Jedem Produkt im Datensatz entspricht eine Zeile im Analyse-Sample. Unterschiedliche Packungsgrößen / Handelsformen wurden im Sinne ihres Absatzes anhand von „Counting-Units“ zu einem Datenpunkt zusammengefasst. Produkte, die zu über 80% über Krankenhaus-Apotheken abgegeben wurden, werden im Rahmen dieser Analyse als „intramural“ gewertet. Die anderen Produkte gelten somit als „extramural“. Eine Ausnahme gilt nur, falls für ein überwiegend intramural abgegebenes Produkt ein Antrag zur Aufnahme in den grünen oder gelben Bereich des EKO gestellt wurde. Für diese Innovationen wurde entsprechend der Intention eines solchen Antrags - unabhängig vom Absatzweg - eine Zuordnung zum extramuralen Bereich vorgenommen.

Im Ergebnis lässt sich die Diffusion von Innovationen in den österreichischen Markt eindeutig anhand der Meldung ins Warenverzeichnis, Absätzen und der damit verbundenen Zuordnung in den intramuralen bzw. extramuralen Bereich nachvollziehen. Auch ist es möglich, für den extramuralen Bereich die Zugehörigkeit zum Boxensystem innerhalb des EKO zu verfolgen.

Darüber hinaus wurden echte No-Box-Produkte hinsichtlich ihrer Absätze (gemessen in Counting Units) in Österreich mit jenen in Deutschland verglichen. Die Vergleichbarkeit der Absätze in beiden Märkten wurde mittels des Einwohnerverhältnis hergestellt. Innovationen mit besonderen Zugangsbedingungen (z.B. Produkte außerhalb der Erstattung in Deutschland) sind nicht für diesen Vergleich geeignet und wurden daher von der Analyse ausgeschlossen. Ergebnisse wurden grafisch (logarithmisch skaliert) aufbereitet und lassen sich sowohl als absolute sowie prozentuale Abweichung von einem proportionalen Absatz der Innovation in beiden Märkten zusammenfassen.

Die quantitative Auswertung des Analyse-Datensatzes wurde mit MS Excel durchgeführt. Kategorische Variablen wurden mittels Frequenzen und Prozentsätzen zusammengefasst. Für metrisch skalierte Daten stehen Statistiken zur zentralen Tendenz zur Verfügung.

I. Studienbericht

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung

2. Methoden

- 2.1 Erstellung der Datenbasis
- 2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes
- 2.3 Quantitative Auswertung

3. Ergebnisse

- 3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes
- 3.2 Unterscheidung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box
- 3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box
- 3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box
- 3.5 „From Trial to Patient“ – AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

4. Diskussion

5. Fazit

II. Executive Summary

3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes



Tabelle 3: Deskriptive Analyse nach Marktzugangskategorie

Zugangskategorie	Gesamt	Anteil an allen Produkten	Produkte mit Orphan-Designation	Anteil an allen Produkten	Produkte mit AT-Studienbeteiligung	Anteil an allen Produkten	Produkte mit EKO-Antrag	Anteil an allen Produkten
Grüne Box	10	3,7%	0	0,0%	4	40,0%	10	100,0%
Gelbe Box (RE 2)	9	3,4%	0	0,0%	3	33,3%	9	100,0%
Gelbe Box (RE 1)	59	22,1%	9	15,3%	33	55,9%	59	100,0%
Rote Box	5	1,9%	1	20,0%	3	60,0%	5	100,0%
No-Box	121	45,3%	49	40,5%	43	35,5%	38	31,4%
Davon intramural*	44	16,5%	19	43,2%	15	34,1%	n.a.	n.a.
Davon extramural*	65	24,3%	26	40,0%	25	38,5%	31	47,5%
Davon „sonstige“**	12	4,5%	4	33,3%	3	25,0%	7	58,3%
Nicht im WVZ mit Verbräuchen	13	4,9%	7	53,8%	3	23,1%	n.a.	n.a.
Nicht im WVZ ohne Verbräuche	50	18,7%	21	42,9%	12	24,5%	n.a.	n.a.
Gesamt	267	100%	87	32,6%	101	37,8%	121	45,3%

* Die Unterteilung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box wird in Kapitel 3.2 genauer beschrieben

** „Sonstige“ No-Box-Innovationen unterteilen sich in jene, für die zumindest eine Handelsform im EKO-vertreten ist (n=5 „unechte No-Box“) und jene, für die keine Umsatz-Absatzdaten zur Verfügung standen (n=7)

Tabelle 3 liefert eine deskriptive Zusammenfassung des Analyse-Datensatzes nach Marktzugangskategorie. Hierbei werden alle im Datensatz befindlichen Innovationen gemäß ihrer Meldung ins Warenverzeichnis (WVZ), ihrem Boxenstatus im Erstattungskodex sowie ihrem Absatz / ihrer Verbräuche entsprechend kategorisiert. Die Aufteilung der No-Box in den intramuralen sowie extramuralen Bereich wird in Kapitel 3.2. genauer beschrieben. „Sonstige“ No-Box-Innovationen unterteilen sich in jene, für die zumindest eine Handelsform im EKO-vertreten ist (n=5 „unechte No-Box“) und jene, für die Umsatz- bzw. Absatzdaten unbekannt sind (n=7).

Es zeigt sich, dass sich ein Großteil der Innovationen, die zwischen 2016 und 2022 eine Zulassung erhalten haben, zum Erhebungszeitpunkt (Ende 2022) in der No-Box befinden. Eine grafische Aufbereitung des Analyse-Datensatzes nach Zugangskategorie findet sich auf der nächsten Folie (Schaubild 4).

Datenbasis*

- IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
- European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
- Clinicaltrials.gov
- Rechtsinformationssystem des Bundes – Amtliche Verlautbarungen der Sozialversicherung. Online verfügbar: <https://www.ris.bka.gv.at/> (Zugang am 26.12.2023)

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes

Diffusion von Innovationen in den österreichischen Markt nach Marktzugangskategorie

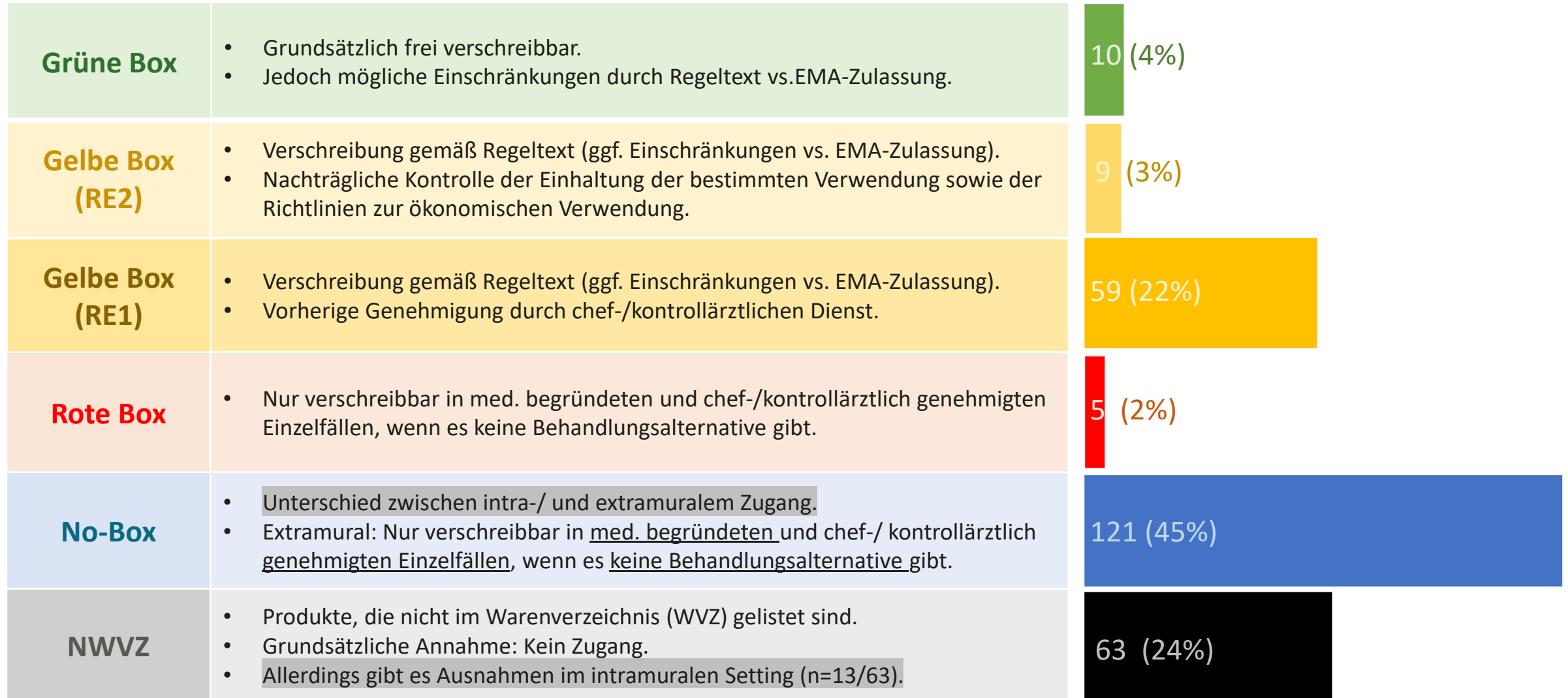


Schaubild 4: Eigene Darstellung

Datenbasis*

- IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
- European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes

Tabelle 4 ordnet den Analyse-Datensatz nach dem Jahr der EU-Marktautorisierung. Es zeigt sich bereits hier ein Zusammenhang zwischen der Markteintrittswahrscheinlichkeit einer Innovation, also der Meldung ins österreichische Warenverzeichnis und der österreichischen Beteiligung an einer Studie zum Wirkstoff.

Während der Anteil der Innovationen mit Studienbeteiligung bei allen Arzneyspezialitäten im Untersuchungszeitraum (n=267) bei 38% liegt, so liegt der entsprechende Anteil bei jenen Innovationen, die ins österreichische Warenverzeichnis gemeldet wurden (n=204) bei 42%. Der Anteil von Innovationen mit österreichischer Beteiligung an einer Studie zum Wirkstoff in der Gruppe jener Arzneyspezialitäten, bei denen keine Meldung ins österreichische Warenverzeichnis erfolgte (n=63), liegt dagegen bei nur 24% (Schaubild 5).

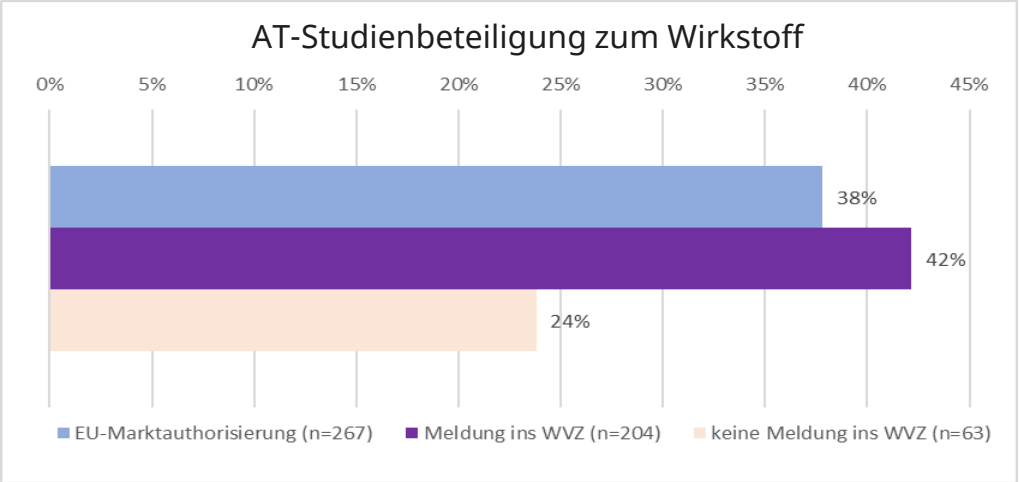


Tabelle 4: Deskriptive Analyse nach Zulassungsjahr

Jahr der Marktautorisierung	EU-Zulassungen				AT-Markteintritt (WVZ-Meldung)				Kein AT-Markteintritt (keine WVZ-Meldung)			
	Gesamt		Davon mit AT-Studienbeteiligung		Gesamt		Davon mit AT-Studienbeteiligung		Gesamt		Davon mit AT-Studienbeteiligung	
	n	%	n	%	n	%	n	%	n	%	n	%
2016	31	11,6%	17	54,8%	29	14,2%	17	58,6%	2	3,2%	0	0,0%
2017	36	13,5%	17	47,2%	30	14,7%	16	53,3%	6	9,5%	1	16,7%
2018	47	17,6%	17	36,2%	37	18,1%	16	43,2%	10	15,9%	1	10,0%
2019	25	9,4%	12	48,0%	21	10,3%	9	42,9%	4	6,3%	3	75,0%
2020	44	16,5%	19	43,2%	30	14,7%	14	46,7%	14	22,2%	5	35,7%
2021	43	16,1%	10	23,3%	35	17,2%	8	22,9%	8	12,7%	2	25,0%
2022	41	15,4%	9	22,0%	22	10,8%	6	27,3%	19	30,2%	3	15,8%
Gesamt	267	100%	101	37,8%	204	100%	86	42,2%	63	100,0%	15	23,8%

Datenbasis*
• IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
• European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
• Clinicaltrials.gov

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes



Tabelle 5 kategorisiert den Analyse-Datensatz nach dem anatomisch-therapeutisch-chemischen Klassifikationssystem (ATC). Ein Großteil der Innovationen im Analyse-Datensatz fällt in die Gruppe der antineoplastischen und immunmodulierenden Substanzen (ATC-code „L“). In eben dieser Kategorie ist auch die österreichische Beteiligung an Wirkstoffstudien am höchsten.

Tabelle 5: Deskriptive Analyse nach ATC-Klassifizierung (anatomische Hauptgruppen)

ATC-code	Gesamt	Grüne Box	Gelbe Box (RE1)	Gelbe Box (RE2)	Rote Box	No-Box	Wirkstoff mit Studienbeteiligung	Studienbeteiligungen
A (Alimentäres System und Stoffwechsel)	28 (10%)	0 (0%)	3 (5%)	3 (33%)	0 (0%)	11 (9%)	6 (6%)	14 (6%)
B (Blut und blutbildende Organe)	23 (9%)	0 (0%)	6 (10%)	0 (0%)	0 (0%)	10 (8%)	11 (11%)	27 (11%)
C (Kardiovaskuläres System)	7 (3%)	0 (0%)	3 (5%)	0 (0%)	1 (20%)	3 (2%)	4 (4%)	11 (4%)
D (Dermatika)	4 (1%)	0 (0%)	2 (3%)	1 (11%)	0 (0%)	1 (1%)	1 (1%)	3 (1%)
G (Urogenitalsystem und Sexualhormone)	2 (1%)	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)	1 (1%)	0 (0%)	0 (0%)
H (Hormone, systemisch (ohne Sexualhormone))	7 (3%)	1 (10%)	1 (2%)	0 (0%)	0 (0%)	2 (2%)	2 (2%)	4 (2%)
J (Antiinfektiva für systemische Gabe)	35 (13%)	0 (0%)	5 (8%)	2 (22%)	1 (20%)	17 (14%)	6 (6%)	17 (7%)
L (Antineoplastische und immunmodulierende Substanzen)	110 (41%)	0 (0%)	30 (51%)	3 (33%)	1 (20%)	59 (49%)	55 (54%)	135 (55%)
M (Muskel- und Skelletsystem)	6 (2%)	0 (0%)	1 (2%)	0 (0%)	0 (0%)	3 (2%)	1 (1%)	1 (0%)
N (Nervensystem)	22 (8%)	5 (50%)	3 (5%)	0 (0%)	2 (40%)	5 (4%)	5 (5%)	20 (8%)
R (Respirationstrakt)	10 (4%)	4 (40%)	4 (7%)	0 (0%)	0 (0%)	1 (1%)	6 (6%)	10 (4%)
S (Sinnesorgane)	7 (3%)	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)	0 (0%)	5 (4%)	4 (4%)	4 (2%)
V (Verschiedene)	6 (2%)	0 (0%)	1 (2%)	0 (0%)	0 (0%)	3 (2%)	0 (0%)	0 (0%)
Summe	267 (100%)	10 (100%)	59 (100%)	9 (100%)	5 (100%)	121 (100%)	101 (100%)	246 (100%)

Abkürzungen: ATC: Anatomisch-Therapeutisch-Chemisches Klassifikationssystem
Quelle: Anatomical Therapeutic Chemical (ATC) Classification (who.int), Zugang am 05.02.2024

Datenbasis*
• IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
• European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
• Clinicaltrials.gov

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

I. Studienbericht

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung

2. Methoden

- 2.1 Erstellung der Datenbasis
- 2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes
- 2.3 Quantitative Auswertung

3. Ergebnisse

- 3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes
- 3.2 Unterscheidung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box
- 3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box
- 3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box
- 3.5 „From Trial to Patient“ – AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

4. Diskussion

5. Fazit

II. Executive Summary

3.2 Unterscheidung zwischen intra- und extramuraler No-Box

Kein einheitlicher Zugang für PatientInnen



Warenverzeichnis und „No-Box“-Status:

Medizinische Innovationen, die in das österreichische Warenverzeichnis (WVZ) gemeldet werden, landen zunächst alle in der „No-Box“.

Die extramurale No-Box:

Innovationen im extramuralen Bereich können sodann auf Antrag des vertriebsberechtigten Unternehmens in die grüne oder gelbe Box des Erstattungskodex aufgenommen werden. Für Innovationen, deren Antragstellung gerade läuft, wurde die rote Box geschaffen.

Extramurale Innovationen verbleiben jedoch auch dann in der No-Box, wenn ein Aufnahmeantrag in den Erstattungskodex (EKO):

- (noch) nicht gestellt wurde
- vom Dachverband der österreichischen Sozialversicherung (DV) abgelehnt wurde, oder
- eine Einigung zwischen vertriebsberechtigtem Unternehmen und DV nicht zustande kam.

Für extramurale Innovationen gelten sodann die zuvor beschriebenen boxenspezifischen Zugangsbedingungen.

Die intramurale No-Box:

Für Innovationen, die in den intramuralen Bereich der Versorgung von PatientInnen fallen, gilt dieses Boxensystem jedoch nicht. Nach der Aufnahme ins WVZ verbleiben diese Innovationen also auf unbestimmte Zeit in der No-Box.

Die Unterscheidung zwischen intra- und extramuraler No-Box ist auch budgetrelevant. Ausgaben für Innovationen der extramuralen No-Box werden von der Sozialversicherung getragen. Hingegen werden Ausgaben für intramurale Innovationen je nach Krankenanstaltenträger u.a. über Landesgesundheitsfonds finanziert.

Quellen:

- Dachverband der österreichischen Sozialversicherungsträger (2022): Arbeitsbehelf Erstattungskodex. Online verfügbar: [Arbeitsbehelf EKO Stand 2022 \(ohne Schriften\).pdf \(sozialversicherung.at\)](#) (Abgerufen am 22.01.2024)
- Zimmermann, Nina; Habimana, Katharina (2017): Arzneimittelausgaben in Österreich. Gesundheit Österreich, Vienna.

3.2 Unterscheidung zwischen intra- und extramuraler No-Box

Kein einheitlicher Zugang für PatientInnen



Kategorisierung des Analyse-Datensatzes:

Da es keine *a priori* verfügbaren Daten zur Unterteilung in intra- und extramurale Innovationen gibt, wurden im Rahmen dieser Studie die Absätze der Innovationen getrennt nach niedergelassenen Apotheken und Krankenhaus-/ Anstaltsapotheken bewertet. Dies folgt der Annahme, dass eine Innovation, deren Absätze zu mindestens 80% über Anstaltsapotheken abgewickelt werden, auch grundsätzlich dem intramuralen Bereich zuzuordnen ist.

Eine Ausnahme bilden lediglich jene Innovationen, deren intramuraler Absatzanteil höher als 80% ist, für die das vertriebsberechtigte Unternehmen jedoch einen Antrag zur Aufnahme in den EKO gestellt hat (da hiermit eine klare Zuordnung zum extramuralen Bereich vorwegzunehmen ist).

Um zu erheben, für welche Innovationen innerhalb der No-Box bereits eine Antragstellung zur Aufnahme in den grünen oder gelben Bereich des EKO erfolgte, wurden Verlautbarungen der Sozialversicherung vom Rechtsinformationssystem (RIS) des Bundes abgerufen und auf entsprechende Anträge zu den 121 in der No-Box befindlichen Arzneyspezialitäten hin geprüft.

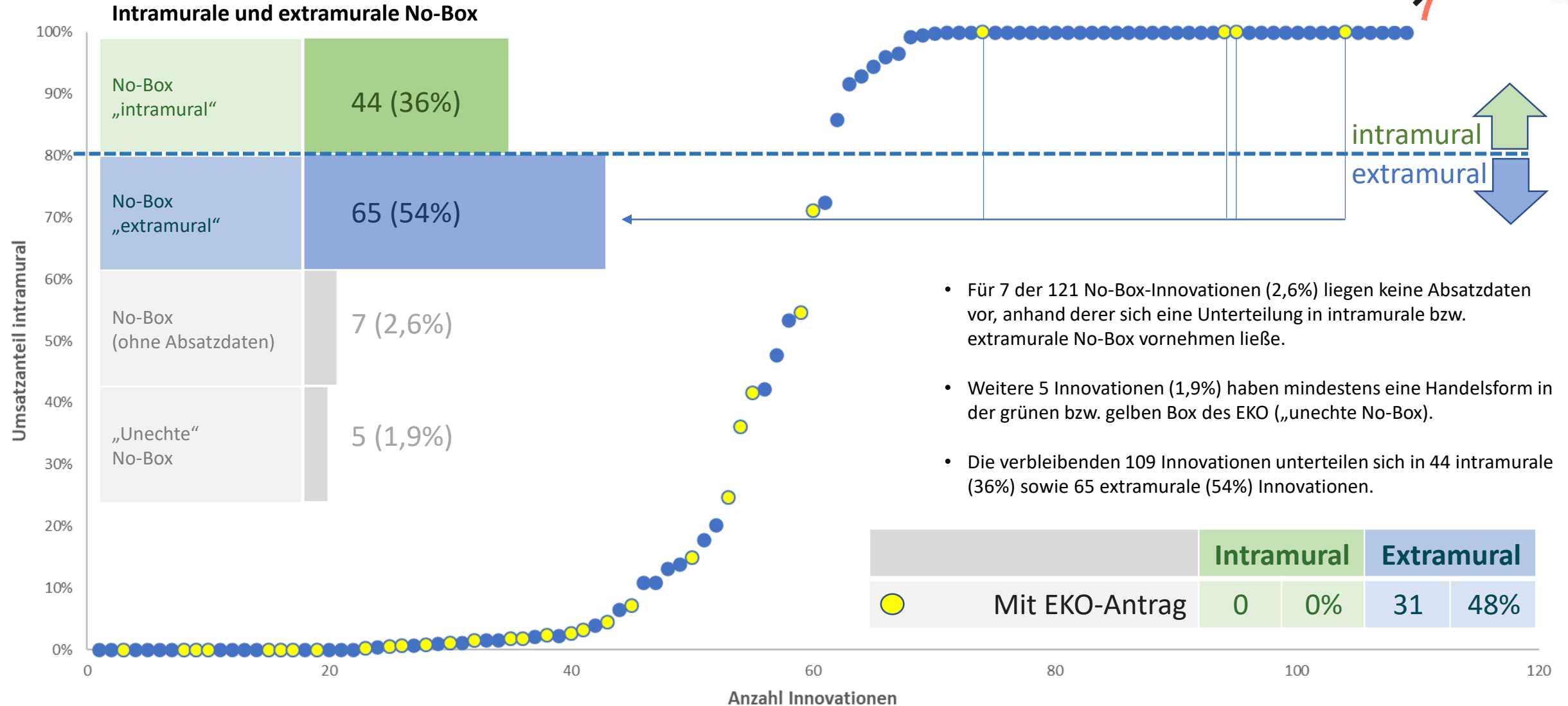
Liegen für eine Innovation keine Absatzdaten vor, oder gibt es zumindest eine Handelsform, die sich nicht in der No-Box befindet („unechte“ No-Box), so wurden diese von der weiteren Betrachtung der No-Box-Innovationen in Österreich ausgeschlossen.

Quellen:

- Rechtsinformationssystem des Bundes – Amtliche Verlautbarungen der Sozialversicherung. Online verfügbar: <https://www.ris.bka.gv.at/> (Zugang am 26.12.2023)

3.2 Unterscheidung zwischen intra- und extramuraler No-Box

Kein einheitlicher Zugang für PatientInnen



- Für 7 der 121 No-Box-Innovationen (2,6%) liegen keine Absatzdaten vor, anhand derer sich eine Unterteilung in intramurale bzw. extramurale No-Box vornehmen ließe.
- Weitere 5 Innovationen (1,9%) haben mindestens eine Handelsform in der grünen bzw. gelben Box des EKO („unechte No-Box“).
- Die verbleibenden 109 Innovationen unterteilen sich in 44 intramurale (36%) sowie 65 extramurale (54%) Innovationen.

Schaubild 6: Eigene Darstellung

Datenbasis*

- IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
- European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
- Rechtsinformationssystem des Bundes – Amtliche Verlautbarungen der Sozialversicherung. Online verfügbar: <https://www.ris.bka.gv.at/> (Zugang am 26.12.2023)

3.2 Unterscheidung zwischen intra- und extramuraler No-Box Innovationen mit Orphan-Designation in der No-Box



Innovationen mit „Orphan-Designation“:

Gemäß der Verordnung (EC) No 141/2000 Artikel 3 ist ein medizinisches Produkt als Orphan einzustufen, wenn es:

- zur Diagnose, Prävention oder Behandlung einer lebensbedrohlichen oder chronisch einschränkenden Erkrankung dient und nicht mehr als 5 in 10.000 Personen zum Zeitpunkt der Antragstellung betrifft
- zur Diagnose, Prävention oder Behandlung einer lebensbedrohlichen oder chronisch schwer einschränkenden Erkrankung dient und es ohne entsprechende Anreize unwahrscheinlich ist, dass der Investition [in die Innovation] ausreichend Erträge gegenüberstehen würden
- es gegenwärtig keine adäquate zugelassene Methode zur Diagnose, Prävention oder Behandlung der Erkrankung gibt
- es eine solche Alternative bereits gibt, die zu bewertende Innovation jedoch einen signifikanten Mehrwert für die Betroffenen darstellt.

Kategorisierung des Analyse-Datensatzes:

Innovationen, für die laut EPAR-Datensatz eine Orphan-Designation vorliegt, wurden als solche im Analyse-Datensatz kategorisiert.

Originaltext (EC) No 141/2000:

Article 3 Criteria for designation 1.

1. A medicinal product shall be designated as an orphan medicinal product if its sponsor can establish:
 - (a) that it is intended for the diagnosis, prevention or treatment of a life-threatening or chronically debilitating condition affecting not more than five in 10 thousand persons in the Community when the application is made, or
that it is intended for the diagnosis, prevention or treatment of a life-threatening, seriously debilitating or serious and chronic condition in the Community and that without incentives it is unlikely that the marketing of the medicinal product in the Community would generate sufficient return to justify the necessary investment and
 - (b) that there exists no satisfactory method of diagnosis, prevention or treatment of the condition in question that has been authorised in the Community or, if such method exists, that the medicinal product will be of significant benefit to those affected by that condition.
2. The Commission shall adopt the necessary provisions for implementing this Article in the form of an implementing Regulation in accordance with the procedure laid down in Article 72 of Council Regulation (EEC) No 2309/93 (1).

Quellen:

- REGULATION (EC) No 141/2000 OF THE EUROPEAN PARLIAMENT AND OF THE COUNCIL of 16 December 1999 on orphan medicinal product. Online verfügbar: <https://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:L:2000:018:0001:0005:en:PDF>: (Zugang am 22.01.02024)

3.2 Unterscheidung zwischen intra- und extramuraler No-Box

Innovationen mit Orphan-Designation in der No-Box

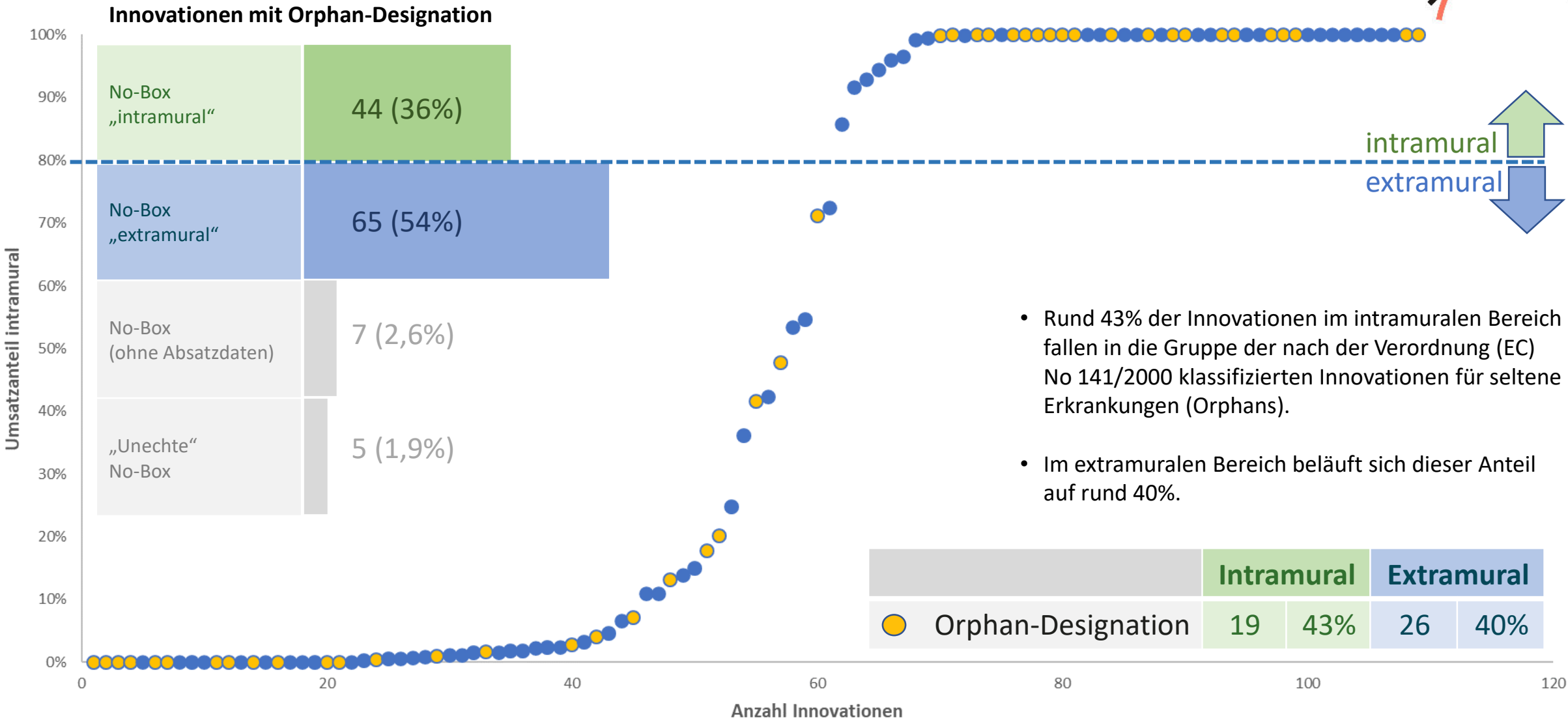


Schaubild 7: Eigene Darstellung

Datenbasis*
• IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
• European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.2 Unterscheidung zwischen intra- und extramuraler No-Box AT-Studienbeteiligung in der intramuralen und extramuralen No-Box



Innovationen mit AT-Studienbeteiligung:

Informationen zur österreichischen Studienbeteiligung an Wirkstoffen, die den Innovationen im Analyse-Datensatz zugrundeliegen, entstammen der Quelle *clinicaltrials.gov*.

Innerhalb dieser Datenbank wurden die im Analyse-Datensatz befindlichen Innovationen (n=267) anhand ihres jeweiligen Wirkstoffes recherchiert, gefiltert nach den Kriterien „Interventionsstudie, Studie abgeschlossen bis 31.12.2022, mit Resultaten, Standort Österreich“.

Dabei wurde zu den einzelnen Wirkstoffen erfasst, ob und an wievielen Studien Österreich beteiligt war. Die Studienbeteiligung wurde gemäß Wirkstoff dem jeweiligen Produkt zugeordnet, wobei auf Übereinstimmung mit dem Therapiebereich geachtet wurde.

Kategorisierung des Analyse-Datensatzes:

Im Ergebnis lassen sich die Innovationen im Analyse-Datensatz unterteilen in jene, zu denen es mindestens eine klinische Studie am Wirkstoff mit österreichischer Beteiligung gab, sowie jene, bei denen dies nicht der Fall ist.

Ziel war es, einen möglichen Zusammenhang zwischen AT-Studienbeteiligung und Launch, Erstattungsstatus sowie ggf. Absatz einer Innovation in Österreich quantitativ zu untersuchen.

Quellen:

- *clinicaltrials.gov*

3.2 Unterscheidung zwischen intra- und extramuraler No-Box

AT-Studienbeteiligung in der intramuralen und extramuralen No-Box

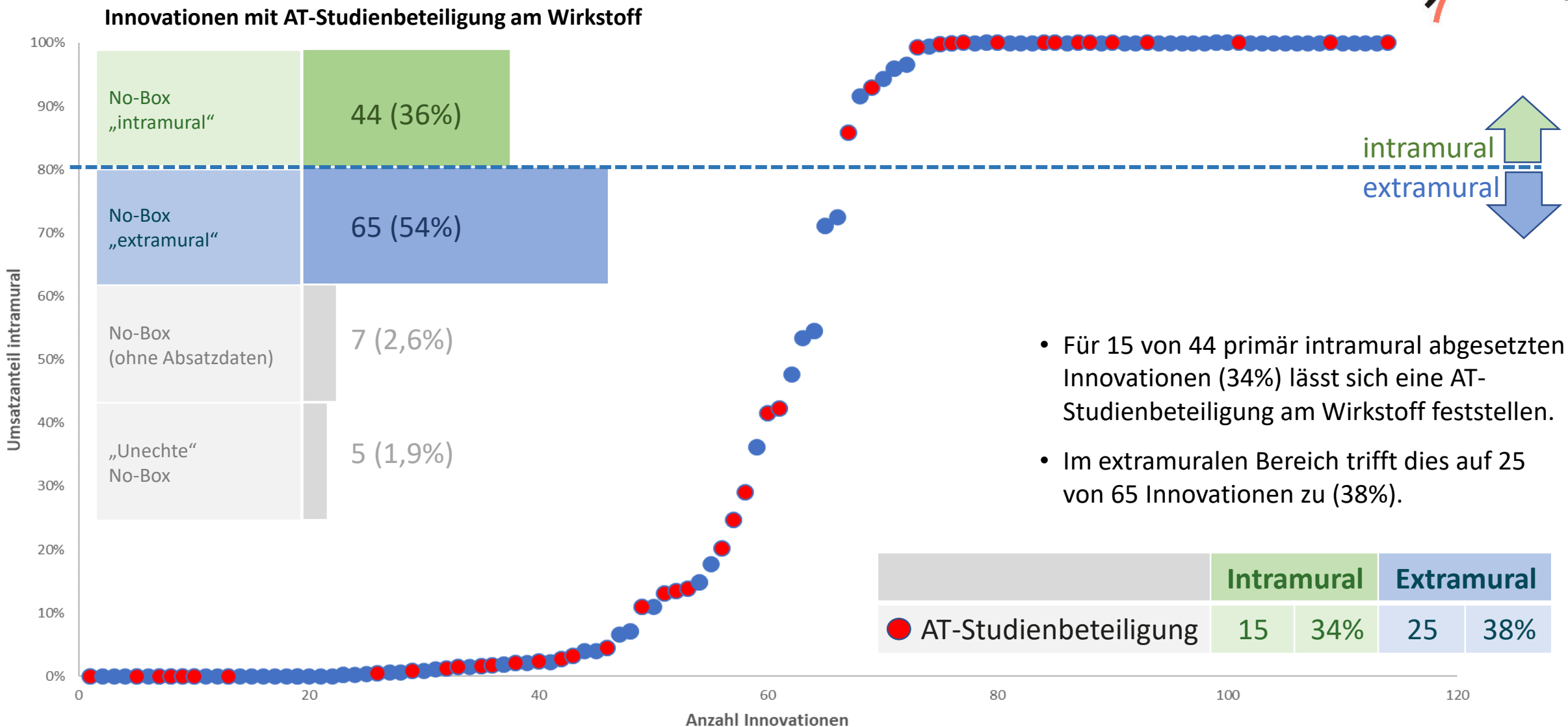


Schaubild 8: Eigene Darstellung

3.2 Unterscheidung zwischen intra- und extramuraler No-Box

Zusammenfassung



- Die No-Box ist charakterisiert durch einen heterogenen Zugang, der sich grob in die beiden Blöcke „intramural“ und „extramural“ unterteilen lässt.
- Diese Bereiche sind sowohl im Sinne des Zugangs zu Innovationen als auch im Sinne ihrer Erstattung voneinander abzugrenzen.
- Während extramurale No-Box-Innovationen durch Antrag in die grüne bzw. gelbe Box des EKO aufgenommen werden können, verbleiben intramurale Innovationen nach Aufnahme in das Warenverzeichnis auf unbestimmte Zeit in der No-Box.
- Im Analyse-Datensatz (n=267) befinden sich 121 No-Box Produkte (45%), von denen 44 (36%) dem intramuralen und 65 (54%) dem extramuralen Setting zuzuordnen sind.
- 43% der intramuralen No-Box-Innovationen werden als Orphan Drugs klassifiziert. Im extramuralen Bereich beläuft sich dieser Anteil auf 40%.
- Eine AT-Studienbeteiligung am Wirkstoff liegt bei 34% der intramuralen No-Box-Innovationen vor. Im extramuralen Bereich liegt dieser Anteil bei 38%.

I. Studienbericht

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung

2. Methoden

- 2.1 Erstellung der Datenbasis
- 2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes
- 2.3 Quantitative Auswertung

3. Ergebnisse

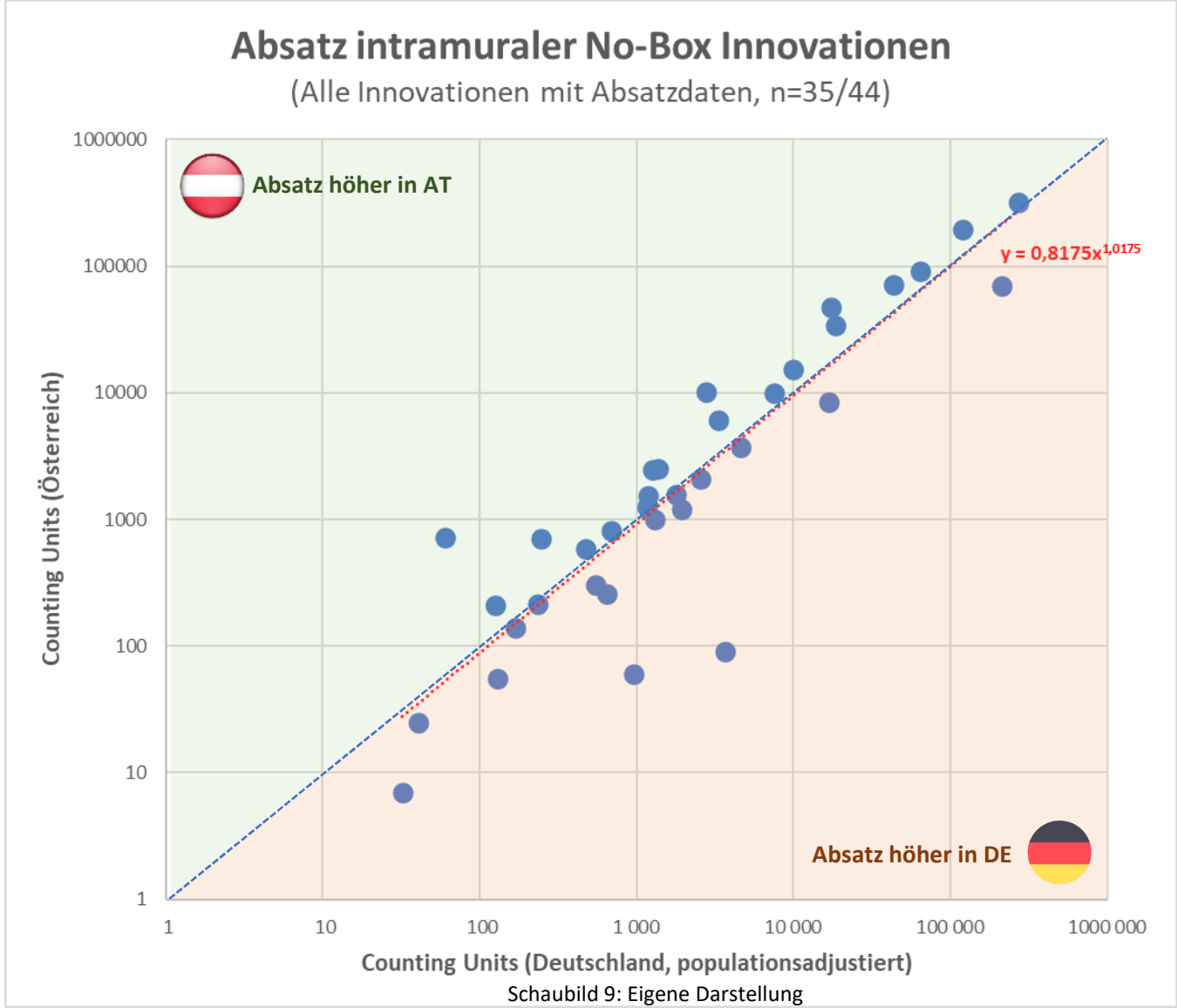
- 3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes
- 3.2 Unterscheidung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box
- 3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box
- 3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box
- 3.5 „From Trial to Patient“ – AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

4. Diskussion

5. Fazit

II. Executive Summary

3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box Absatzvergleich zwischen Österreich und Deutschland



Intramurale No-Box (gesamt)	n=44 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	n=35 (80%)

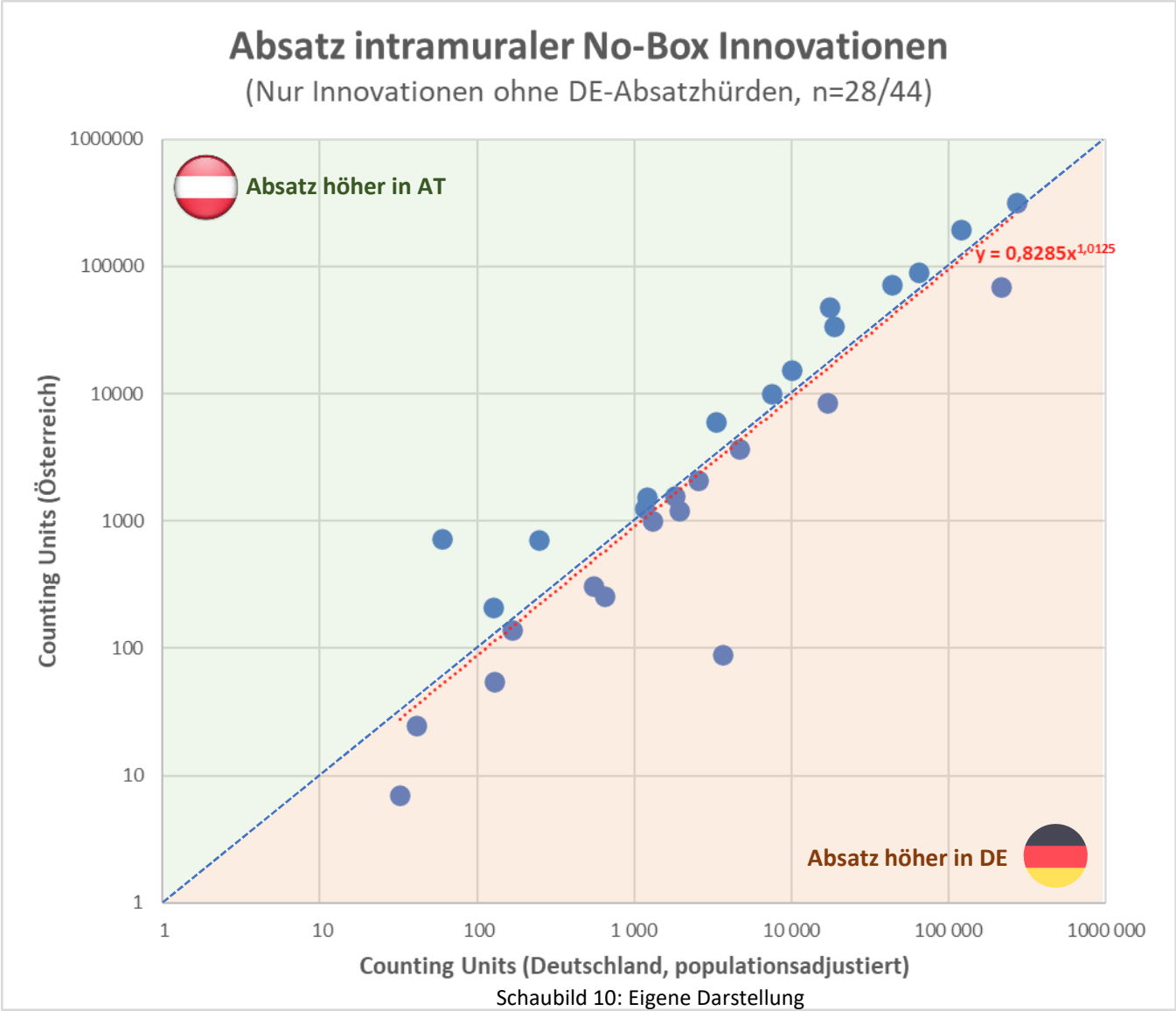
- Von der Gesamtzahl aller intramuralen No-Box-Innovationen (n=44) liegen für 35 Produkte Absatzzahlen für beide Märkte vor (80%).
- Schaubild 9 reiht diese Innovationen logarithmisch nach Absatz (gemessen in Counting Units) in Deutschland (auf der Horizontalen) und Österreich (auf der Vertikalen).
- Die Diagonale repräsentiert somit ein exakt proportionales Absatzverhältnis zwischen beiden Märkten.
- Um Absätze in beiden Märkten vergleichbar zu machen, wurden jene in Deutschland anhand des Größenverhältnis der Bevölkerung in beiden Ländern justiert.
- Die rot eingefärbte Trendlinie wurde (als Gegenfunktion zur logarithmischen Skala) als Exponentialfunktion gezeichnet.
- Dass sich die meisten Innovationen dicht entlang der Diagonalen reihen, weist auf ein proportionales Absatzverhältnis hin.
- Dieses Ergebnis wird auch durch die Trendlinie verdeutlicht, die fast exakt mit der Diagonalen überlappt.

Datenbasis*
• IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWWZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
• European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box

Durchweg guter Zugang zu medizinischen Innovationen



Intramurale No-Box (gesamt)	n=44 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	n=35 (80%)
Ohne besondere DE-Zugangsregeln	n=28 (64%)

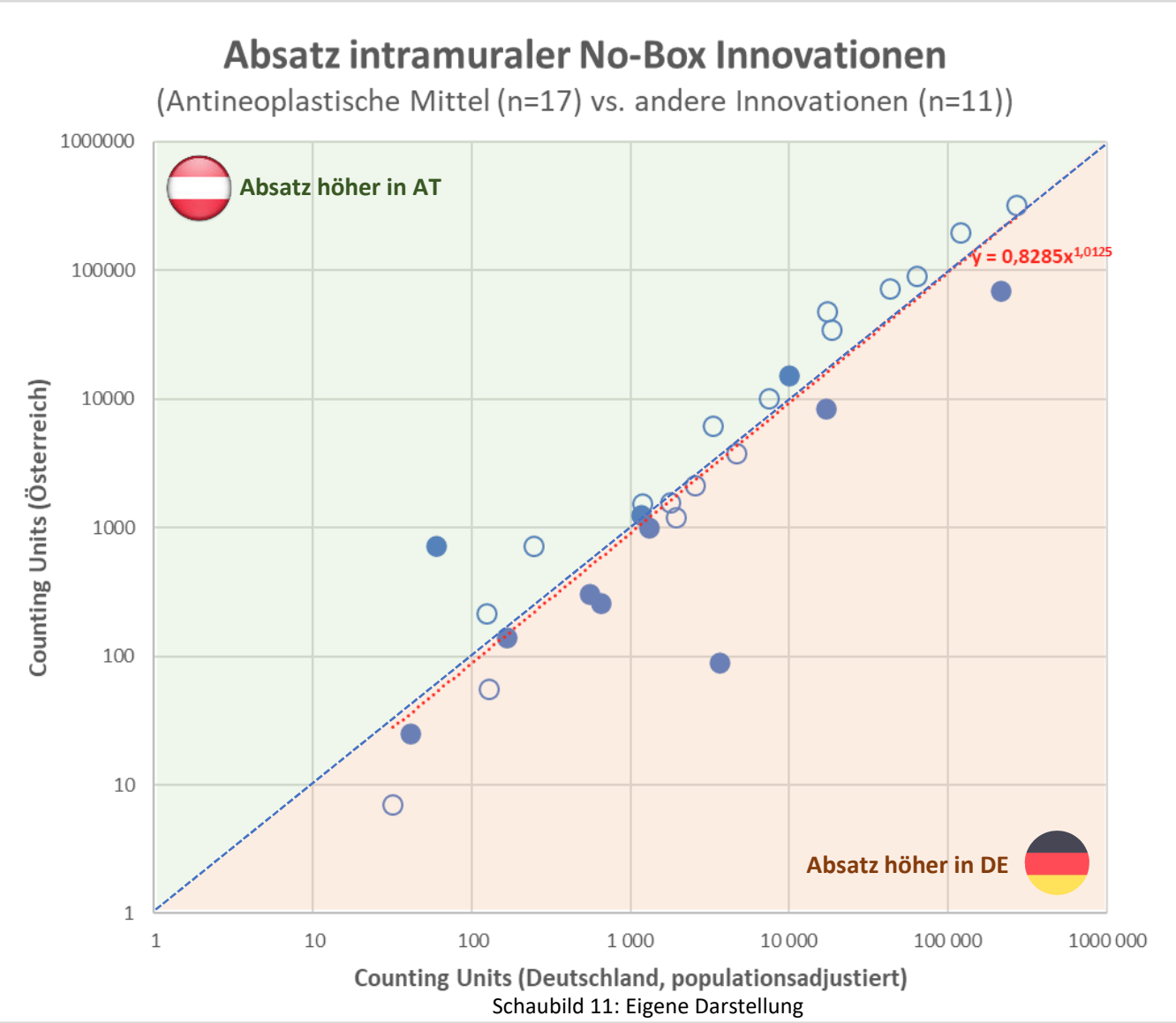
- Da für einige Innovationen der intramuralen No-Box in Deutschland besondere Zugangsvoraussetzungen gelten, ist diesbezüglich die Vergleichbarkeit eingeschränkt. In diesen Fällen können Besonderheiten zu einem Mehr- bzw. Minderabsatz in Deutschland gegenüber Österreich führen.
- Zu diesen Besonderheiten zählen z.B. Innovationen, die in Deutschland keiner Erstattung unterliegen, oder auch jene, für die besondere Preisvereinbarungen gelten.
- Um die größtmögliche Vergleichbarkeit der Daten beider Länder zu gewährleisten, wurden die betroffenen 7 Innovationen von der weiteren Analyse exkludiert.
- Es verbleiben 28 Produkte zur Analyse in der intramuralen No-Box.
- Von diesen 28 Innovationen liegen jeweils 14 (50%) unterhalb und 14 (50%) oberhalb der Diagonalen, die ein exakt proportionales Absatzverhältnis kennzeichnet.

Datenbasis*
• IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
• European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box

Dominanz antineoplastischer Mittel



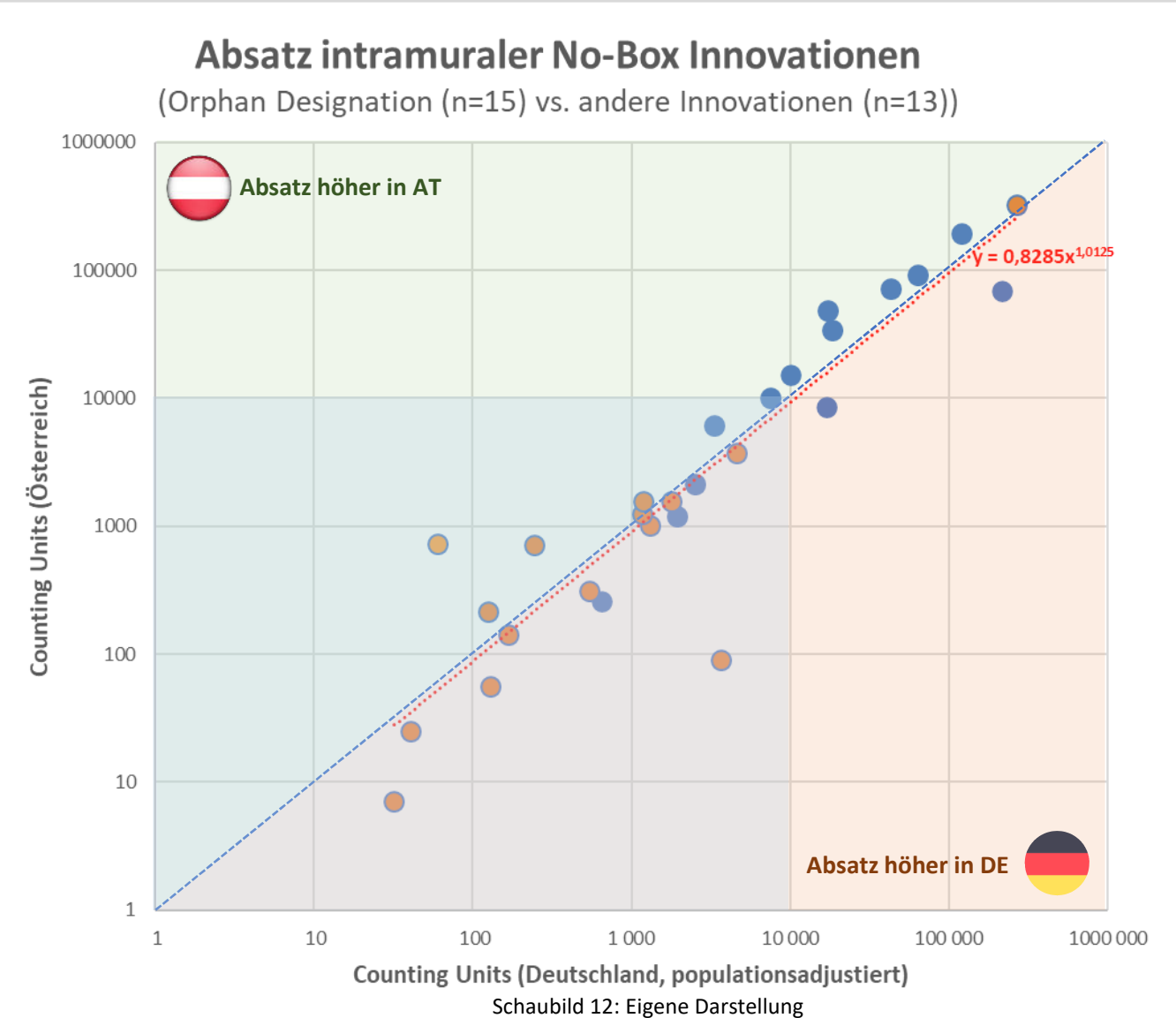
Intramurale No-Box (gesamt)	n=44 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	n=35 (80%)
Ohne besondere DE-Zugangsregeln	n=28 (64%)
Davon antineoplastische Mittel	17/28 (61%)

- Unterteilt man die verbleibenden 28 Produkte der intramuralen No-Box nach pharmakotherapeutischen Gruppen, so zeigt sich, dass die große Mehrheit aller Innovationen in die Gruppe der antineoplastischen Mittel zur Krebsbehandlung (ATC-L01) fällt.
- Besonders auffällig ist, dass diese Innovationen zumeist nur marginal von der Diagonalen abweichen, die ein exakt proportionales Absatzverhältnis zwischen beiden Märkten kennzeichnet. 11 der 17 Innovationen (65%) liegen (leicht) oberhalb und 6 Innovationen (leicht) unterhalb dieser Diagonalen (35%).
- Eine Interpretation dieser Beobachtung ist, dass sich im Bereich der Krebsbehandlung der Absatz einer Innovation am medizinischen Bedarf orientiert, da sich keine nennenswerten Absatzunterschiede aufgrund marktspezifischer Zugangsvoorraussetzungen zeigen.
- Die verbleibenden 11 Innovationen der intramuralen No-Box fallen in 9 unterschiedliche pharmakotherapeutische Gruppen.

Datenbasis*
• IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
• European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box Produkte mit Orphan-Designation



Intramurale No-Box (gesamt)	n=44 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	n=35 (80%)
Ohne besondere DE-Zugangsregeln	n=28 (64%)
● Davon Orphan Designation	15/28 (54%)

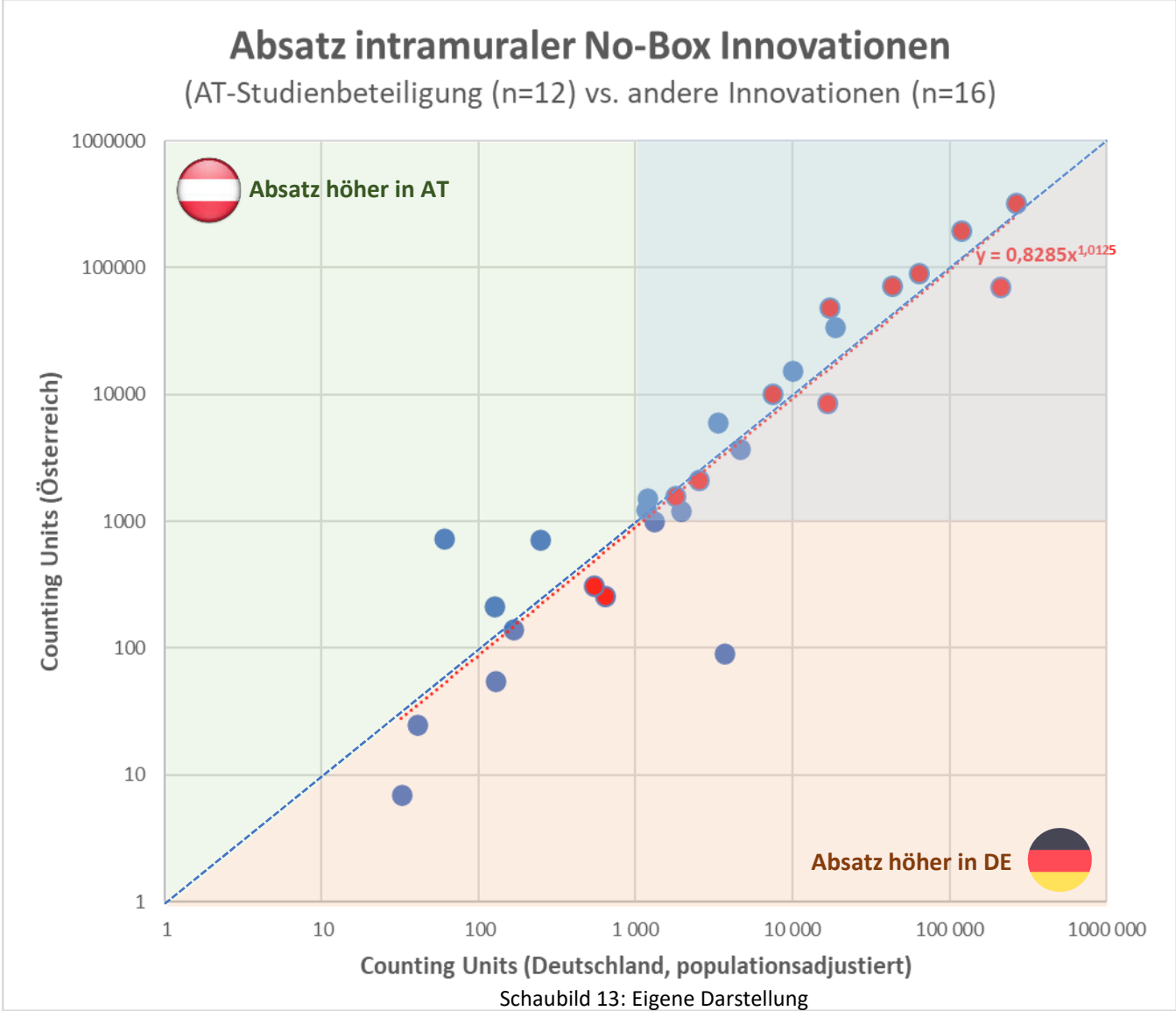
- 15 der 28 Innovationen (54%) haben eine **Orphan-Designation**.
- Während 6 dieser 15 Innovationen einen höheren Absatz in Österreich aufweisen (40%), liegen die verbleibenden 9 Innovationen mit Orphan-Designation unterhalb der Diagonalen im Schaubild (60%).
- Ihr Absatz liegt vornehmlich (93%) im südwestlichen Bereich des Schaubildes (<10.000 Counting Units/Jahr).
- Dies könnte (definitionsgemäß) damit zusammenhängen, dass Orphans zur Behandlung seltener Erkrankungen auf kleinere PatientInnenpopulationen abzielen.
- Davon abweichend gibt es jedoch einen deutlich höheren Absatz für eine Innovation mit Orphan-Designation (>100.000 Counting Units/Jahr in beiden Märkten) sowie jeweils eine Innovation mit deutlich höherem Absatz in Deutschland bzw. Österreich (Schaubild 12).

Datenbasis*
• IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
• European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box

AT-Studienbeteiligung in der intramuralen No-Box



Intramurale No-Box (gesamt)	n=44 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	n=35 (80%)
Ohne besondere DE-Zugangsregeln	n=28 (64%)
Davon mit AT-Studienbeteiligung	12/28 (43%)

- 12 der 28 intramuralen No-Box-Innovationen (43%) zeichnen sich durch eine österreichische Beteiligung an einer Studie zum Wirkstoff aus.
- Jeweils die Hälfte dieser Innovationen (50%) liegt bezüglich ihres Absatzes marginal unterhalb bzw. oberhalb der Diagonalen, die ein exakt proportionales Absatzverhältnis zwischen beiden Märkten kennzeichnet.
- Auffällig ist jedoch die Häufung von innovationen mit österreichischer Studienbeteiligung im nordöstlichen Quadranten des Schaubildes. 83% dieser Innovationen zeichnen sich durch einen Absatz oberhalb von 1.000 Counting Units/Jahr aus.
- Dies deutet auf einen positiven Zusammenhang zwischen (österreichischer) Studienbeteiligung und Absatz hin.

Datenbasis*
• IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
• European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
• Clinicaltrials.gov

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box

Zusammenfassung



- Die intramurale No-Box umfasst 44 Innovationen. Für 28 dieser Innovationen liegen vergleichbare Absatzzahlen aus den beiden Märkten Deutschland und Österreich vor.
- Grundsätzlich zeigt sich ein sehr ausgewogenes Absatzverhältnis zwischen beiden Märkten, mit 50% der Innovationen marginal unterhalb bzw. oberhalb eines exakt proportionalen Absatzes. Demgemäß deckt sich auch die Regressionsgerade fast exakt mit einem proportionalen Absatzverhältnis in beiden Märkten.
- Den Löwenanteil (61%) aller Innovationen der intramuralen No-Box stellen Mittel zur Krebsbehandlung dar (ATC-L01). Auch hier zeigen sich nur marginale Abweichungen von einem exakt proportionalen Absatzverhältnis. Dementsprechend lassen sich keine Indizien für Zugangshürden feststellen, weder in Österreich gegenüber Deutschland noch vice versa. Die verbleibenden 11 Innovationen unterteilen sich in 9 pharmakotherapeutische Gruppen.
- 60 Prozent der Innovationen mit Orphan-Designation haben einen erhöhten Absatz in Deutschland. Diese Innovationen sind größtenteils durch einen Absatz von weniger als 10.000 Counting Units/Jahr in beiden Märkten gekennzeichnet.
- Von den 12 Innovationen, zu denen es eine österreichische Beteiligung an Studien zum Wirkstoff gab, zeichnen sich 10 (83%) durch einen Absatz von mehr als 1.000 Counting Units/Jahr aus.

I. Studienbericht

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung

2. Methoden

- 2.1 Erstellung der Datenbasis
- 2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes
- 2.3 Quantitative Auswertung

3. Ergebnisse

- 3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes
- 3.2 Unterscheidung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box
- 3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box
- 3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box
- 3.5 „From Trial to Patient“ – AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

4. Diskussion

5. Fazit

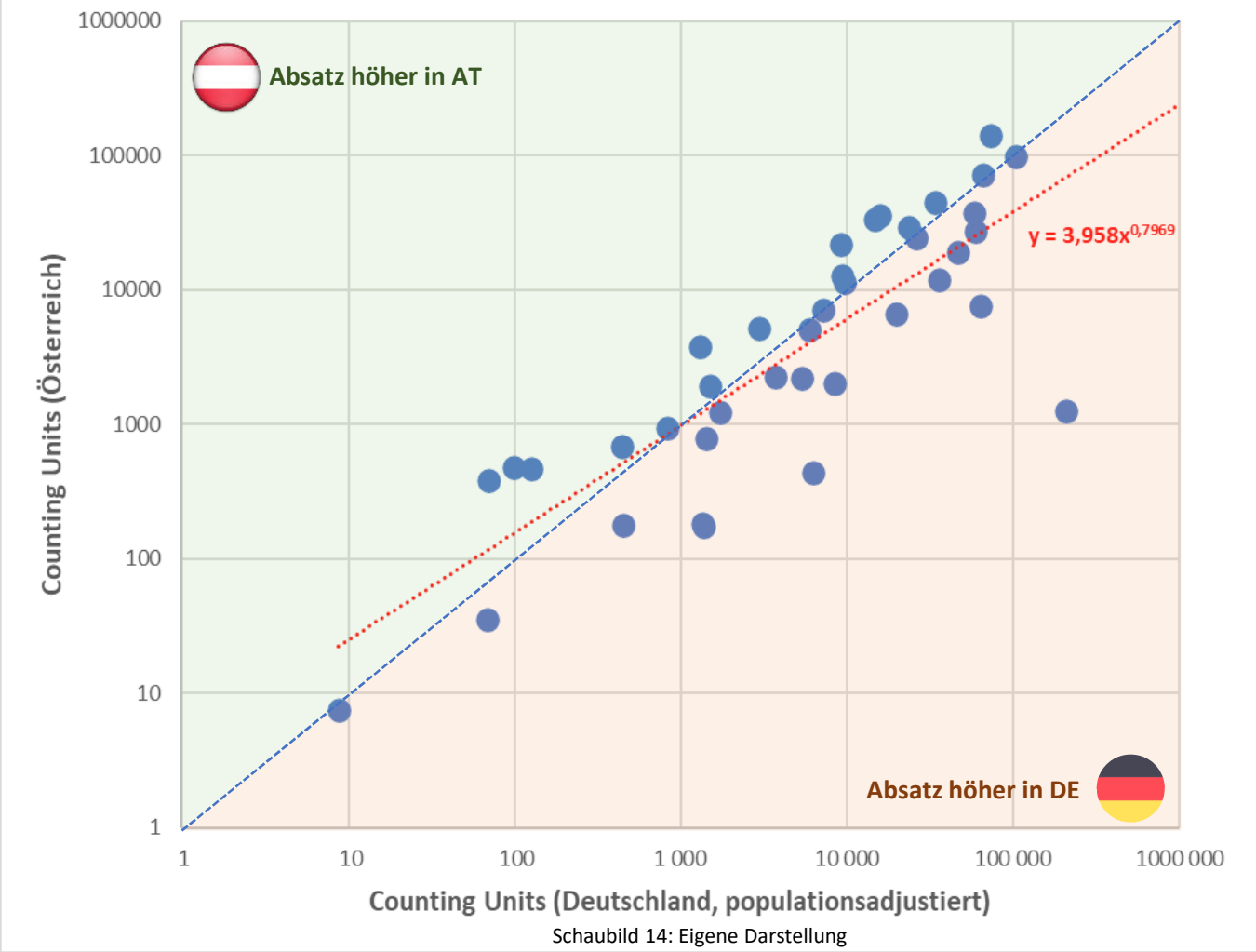
II. Executive Summary

3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box

Zugang stark abhängig von therapeutischer Gruppe

Absatz extramuraler No-Box Innovationen

(Nur Innovationen ohne DE-Absatzhürden, n=40/65)



Extramurale No-Box (gesamt)	65 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	58 (89%)
Ohne besondere DE-Zugangsregeln	40 (62%)

- 65 der No-Box-Innovationen sind dem extramuralen Setting zuzuordnen.
- Für 58 Innovationen (89%) liegen Absatzdaten aus beiden Märkten vor.
- Besondere Zugangsregeln in Deutschland (z.B. keine Erstattung oder besondere Preisvereinbarungen) bestehen für 18 der verbleibenden Innovationen, sodass 40 Produkte (62%) der Analyse zugrundeliegen.
- 23 dieser 40 Innovationen (58%) zeichnen sich durch einen verhältnismäßig höheren Absatz im deutschen gegenüber dem österreichischen Markt aus.
- Für diese 23 Innovationen zeigt sich ein teils deutliches Absatzgefälle zwischen Deutschland und Österreich.
- Die 17 Innovationen mit höherem Absatz in Österreich reihen sich vornehmlich entlang der Diagonalen, die ein proportionales Absatzverhältnis kennzeichnet.

Datenbasis*

- IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
- European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023

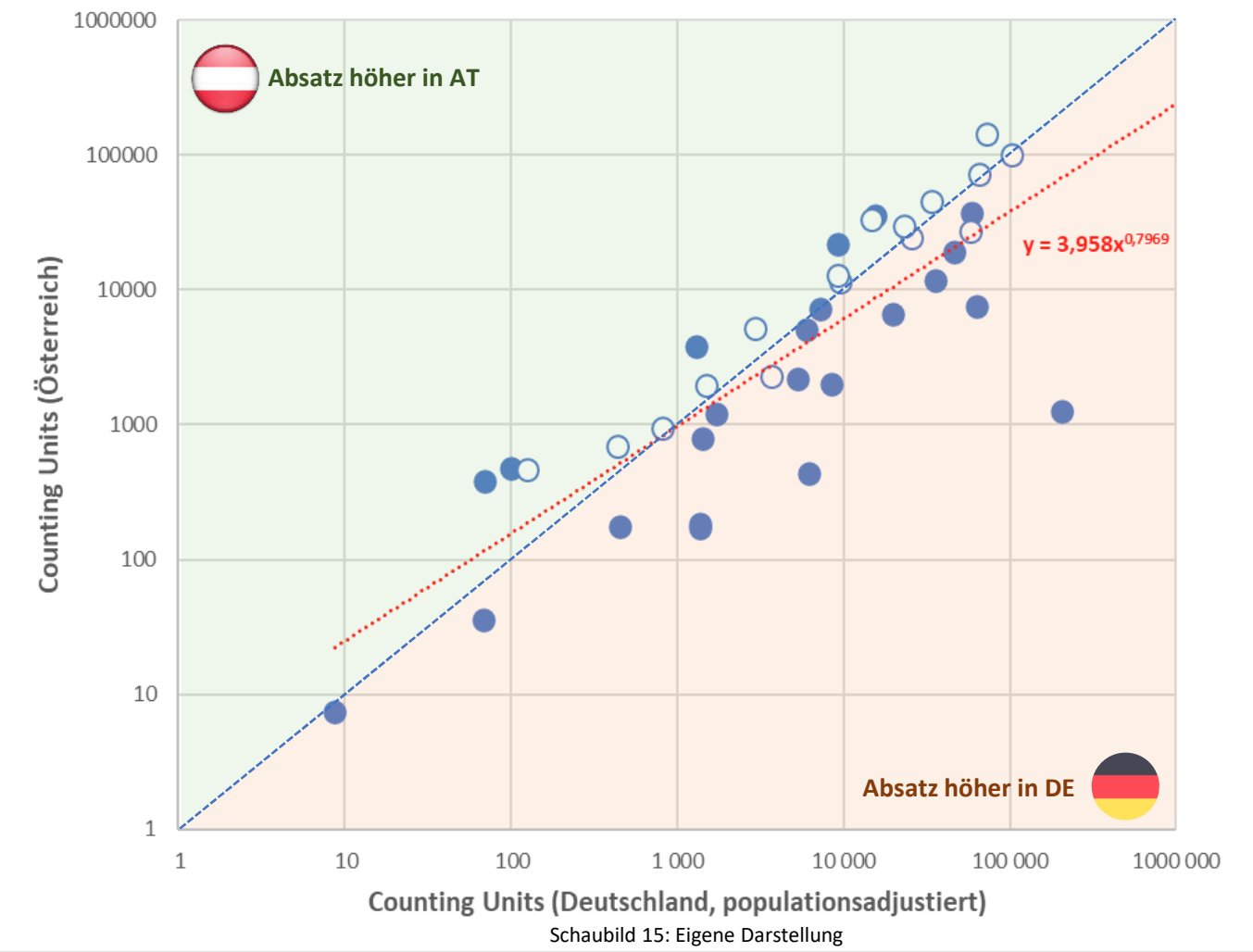
*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box

Zugang stark abhängig von therapeutischer Gruppe

Absatz extramuraler No-Box Innovationen

(Antineoplastische Mittel (n=16) vs. andere Innovationen (n=24))



Extramurale No-Box (gesamt)	65 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	58 (89%)
Ohne besondere DE-Zugangsregeln	40 (62%)
 Davon antineoplastische Mittel	16/40 (40%)

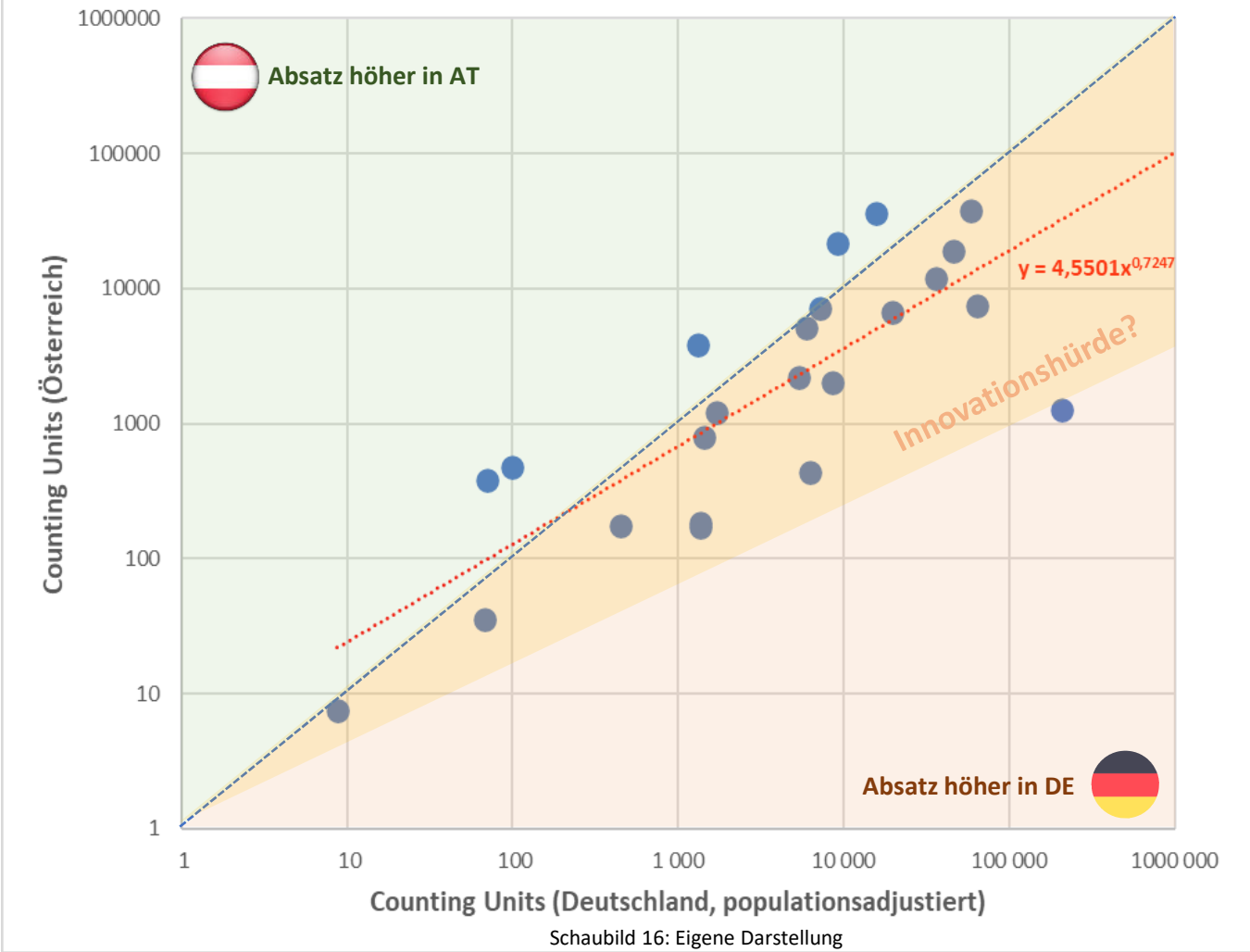
- Unterteilt man die verbleibenden 40 Produkte nach pharmakotherapeutischen Gruppen, so zeigt sich auch in der extramuralen No-Box, dass die Mehrheit aller Innovationen (40%) der Gruppe der antineoplastischen Mittel zur Krebsbehandlung (ATC-L01) zuzurechnen ist.
- Wie in der intramuralen No-Box zeigt sich auch in der extramuralen No-Box bei den antineoplastischen Mitteln ein deutlich proportionales Absatzverhältnis zwischen beiden Märkten.
- Ein am medizinischen Bedarf orientierter Absatz in beiden Märkten könnte also auch in der extramuralen No-Box eine Erklärung für das proportionale Absatzverhältnis bei Mitteln zur Krebsbehandlung liefern. Diesbezüglich zeigen sich also keine Absatzgefälle, welche als Indiz für marktspezifische Zugangshürden gewertet werden könnten.
- Die 24 verbleibenden Innovationen teilen sich auf 14 pharmakotherapeutische Gruppen. Die größten hiervon sind antivirale Mittel zur systemischen Nutzung (n=5) und Immunsuppressiva (n=4).

3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box

Zugang stark abhängig von therapeutischer Gruppe

Absatz extramuraler No-Box Innovationen

(Nur Innovationen ohne antineoplastische Mittel, n=24/65)



Extramurale No-Box (gesamt)	65 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	58 (89%)
Ohne besondere DE-Zugangsregeln	40 (62%)
Ohne antineoplastische Mittel	24 (37%)

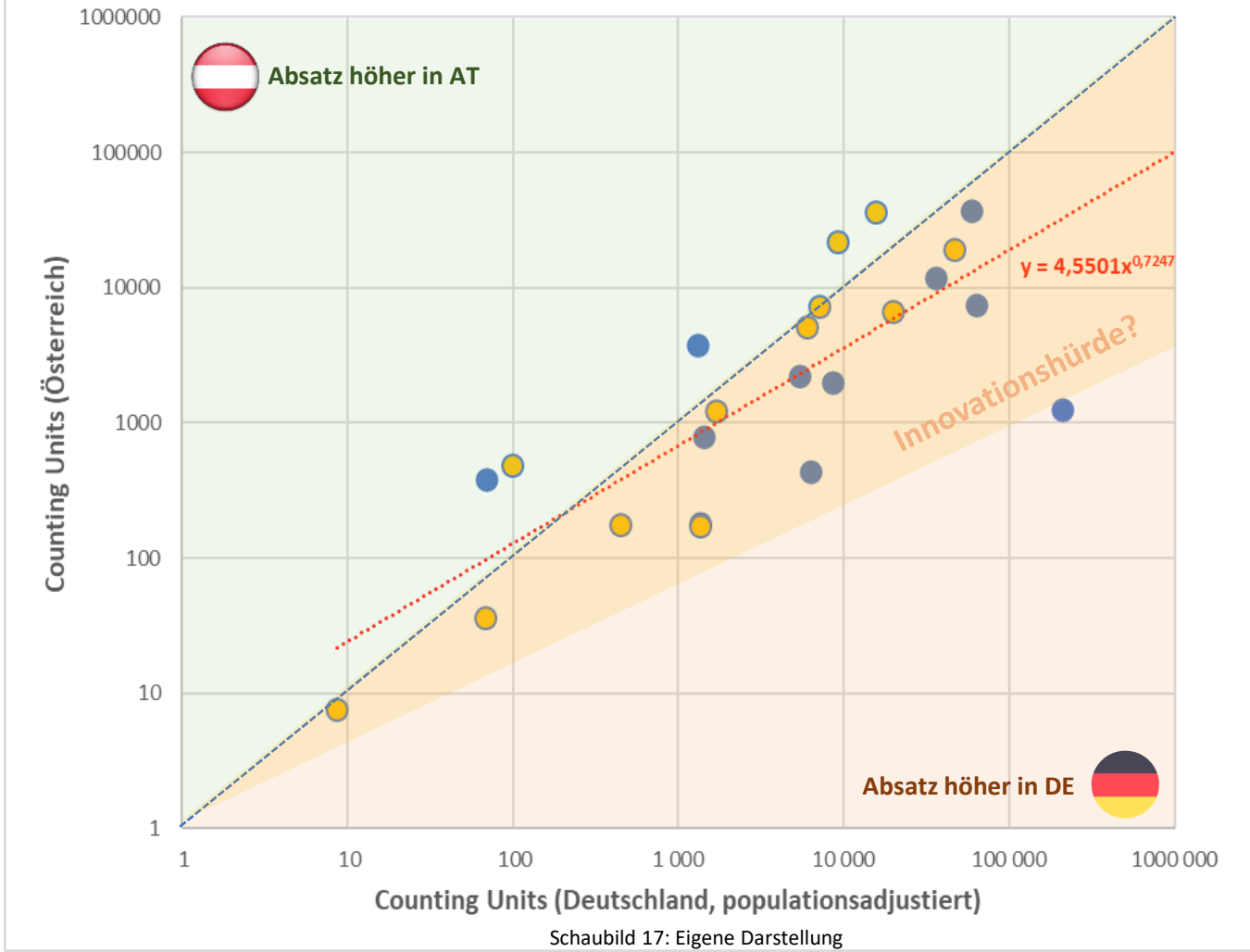
- Exkludiert man von der weiteren Analyse nun die Gruppe der antineoplastischen Mittel (ATC-L01), bei denen sich ein proportionales Absatzverhältnis zwischen beiden Märkten zeigt, so verbleiben 24 Innovationen verteilt auf 14 pharmakotherapeutische Gruppen. Die separate Auswertung für diese Teilmenge zeigt:
- nur 5 dieser 24 Innovationen weisen einen höheren Absatz in Österreich gegenüber Deutschland auf (21%).
- Bei den 19 Innovationen (79%), die sich demgegenüber durch einen höheren Absatz in Deutschland auszeichnen, zeigen sich teils erhebliche Abweichungen von einem proportionalen Absatzverhältnis (orange schattierter Bereich).

3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box

Zugang stark abhängig von therapeutischer Gruppe

Absatz extramuraler No-Box Innovationen

(Orphan-Designation (n=12) vs. andere Innovationen (n=12))

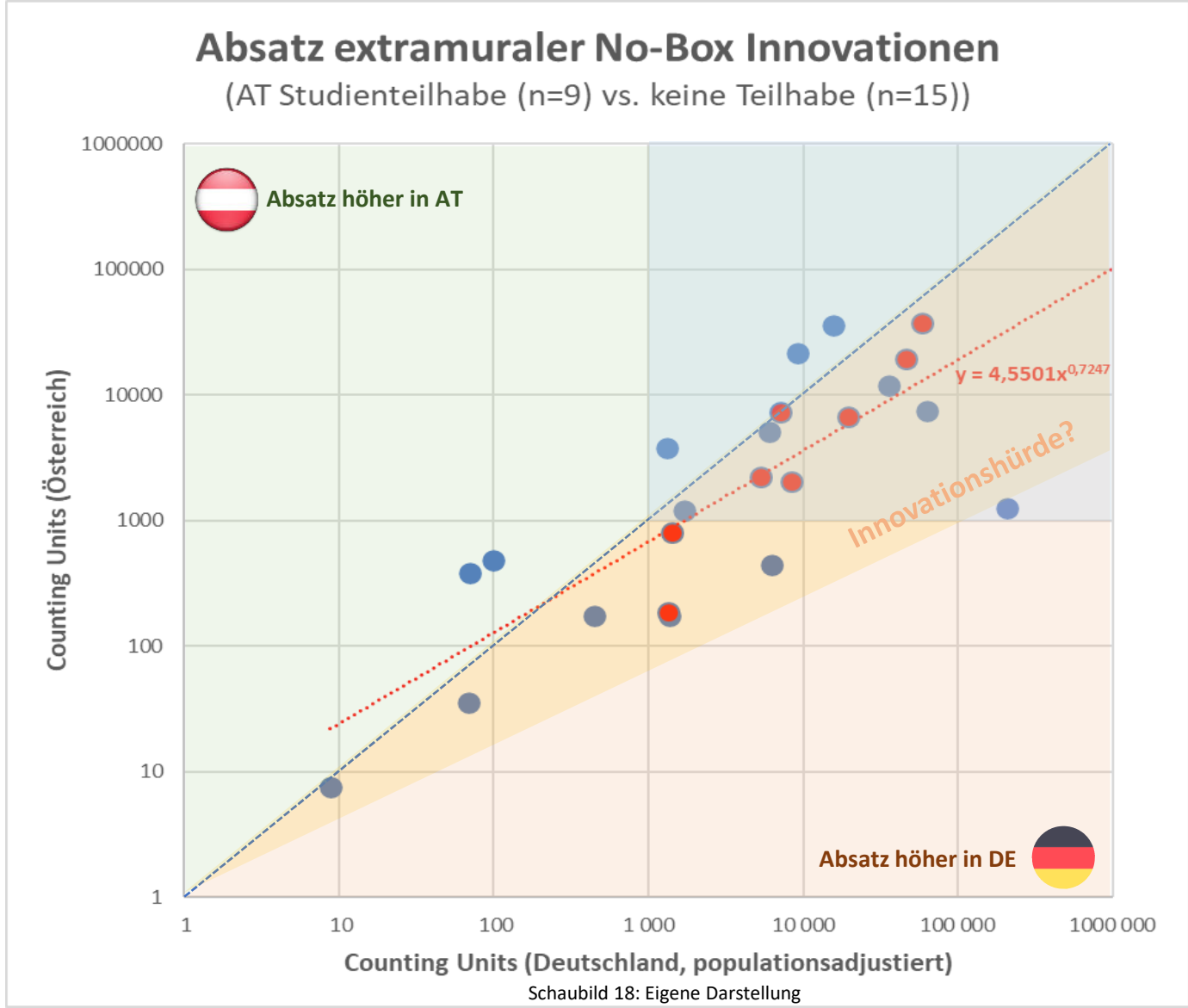


Extramurale No-Box (gesamt)	65 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	58 (89%)
Ohne besondere DE-Zugangsregeln	40 (62%)
Ohne antineoplastische Mittel	24 (37%)
 Davon Orphan Designation	12/24 (50%)

- Die Hälfte der verbleibenden extramuralen Innovationen (n=12) hat eine Orphan-Designation.
- Während 4 der 12 Innovationen mit Orphan-Designation einen höheren Absatz in Österreich aufweisen (33%), liegen die verbleibenden 8 Innovationen mit Orphan-Designation unterhalb der Diagonalen (66%). Diese Werte ähneln auch jenen im intramuralen Setting, wenngleich sie leicht darunter liegen.
- Jedoch zeigt sich im Gegensatz zum intramuralen Setting keine Häufung von Innovation mit Orphan-Designation im südwestlichen Quadranten des Schaubildes. Es besteht also kein erkennbarer Zusammenhang zwischen Orphan-Designation und Höhe des Absatzes im extramuralen Setting.

3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box

Zugang stark abhängig von therapeutischer Gruppe



Extramurale No-Box (gesamt)	65 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	58 (89%)
Ohne besondere DE-Zugangsregeln	40 (62%)
Ohne antineoplastische Mittel	24 (37%)
Davon mit AT-Studienbeteiligung	9/24 (38%)

- 9 der 24 extramuralen No-Box-Innovationen (38%) ohne antineoplastische Mittel zeichnen sich durch eine österreichische Beteiligung an einer Studie zum Wirkstoff aus.
- Keine dieser Innovationen hat einen vergleichsweise höheren Absatz in Österreich.
- Genau wie im intramuralen Setting häufen sich auch im extramuralen Bereich Innovationen mit österreichischer Studienbeteiligung im nordöstlichen Quadranten des Schaubildes. 78% dieser Innovationen zeichnen sich auch im extramuralen Bereich durch einen Absatz oberhalb von 1.000 Counting Units/Jahr aus.
- Dies impliziert auch im extramuralen Bereich einen positiven Zusammenhang zwischen (österreichischer) Studienbeteiligung und Absatz.

Datenbasis*

- IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
- European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
- Clinicaltrials.gov

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box

Zugang stark abhängig von therapeutischer Gruppe

Absatz extramuraler No-Box Innovationen
(EKO-Antrag (n=15) vs. kein Antrag (n=9))

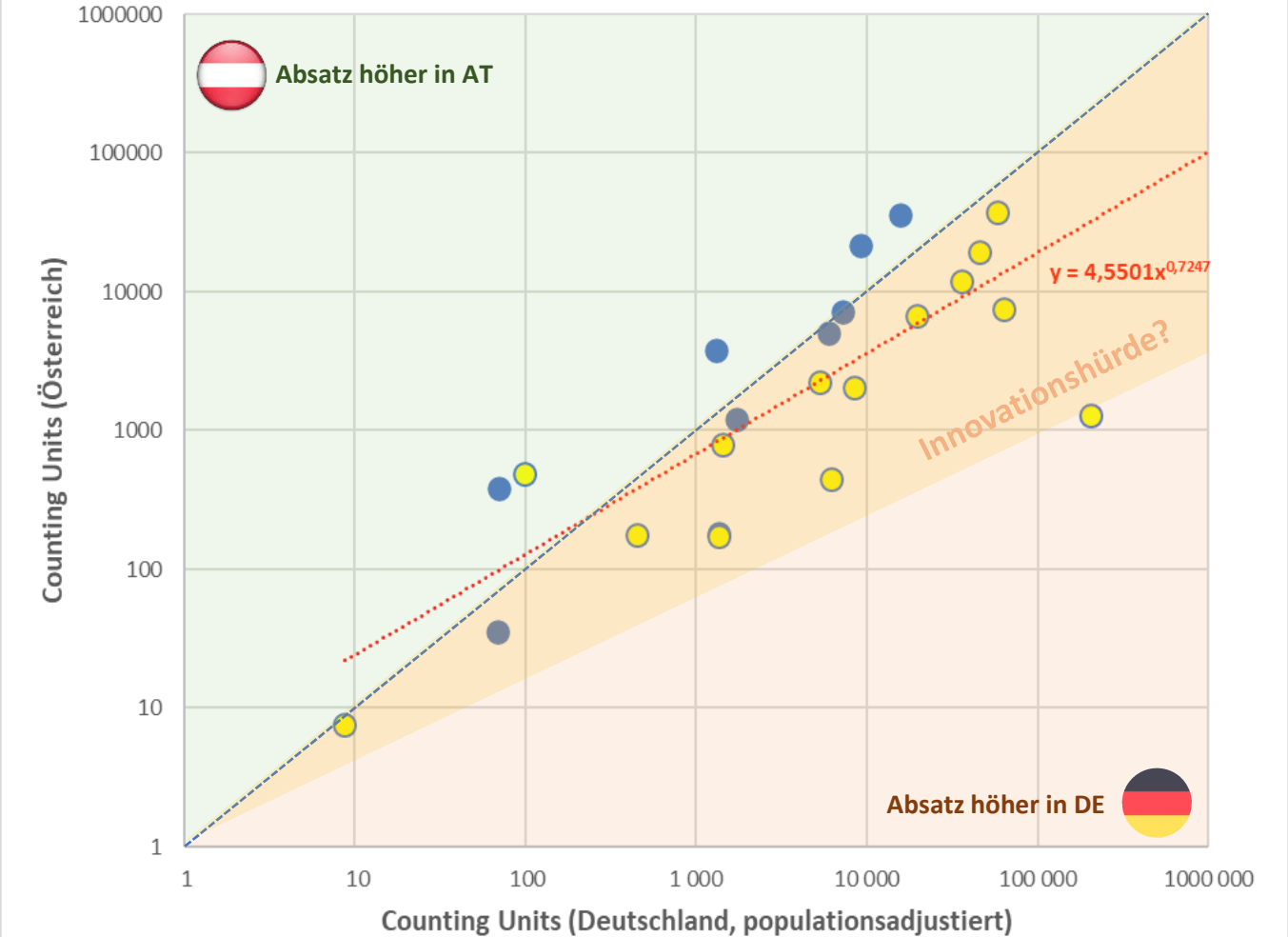


Schaubild 19: Eigene Darstellung

Datenbasis*
• IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
• European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
• Rechtsinformationssystem des Bundes – Amtliche Verlautbarungen der Sozialversicherung

Extramurale No-Box (gesamt)	65 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	58 (89%)
Ohne besondere DE-Zugangsregeln	40 (62%)
Ohne antineoplastische Mittel	24 (37%)
 Davon mit vergeblichem EKO-Antrag	15/24 (63%)

- Während von den insgesamt 65 Innovationen im extramuralen Bereich für insgesamt 31 (48%) zumindest bereits einmal ein Antrag auf Aufnahme in den grünen oder gelben Bereich des EKO gestellt wurde, zeigt sich in Bezug auf Absatzunterschiede zwischen Österreich und Deutschland ein deutlich differenziertes Bild.
- Während für 15 der 24 Innovationen (ohne antineoplastische Mittel) bereits (mindestens) ein EKO-Antrag vergeblich gestellt wurde (63%), so konzentrieren sich diese fast vollständig auf den Bereich unterhalb der Diagonalen. Demgemäß besteht ein Absatzdefizit in Österreich gegenüber Deutschland.
- Darüber hinaus wurde für 14 von 19 der Innovationen mit geringerem Absatz in Österreich (74%) bereits mindestens einmal vergeblich ein EKO-Aufnahmeantrag gestellt.
- Dies lässt sich als Indiz für Zugangshürden in der extramuralen No-Box interpretieren, die vertriebsberechtigte Unternehmen durch (teils wiederholte) Beantragung zur Aufnahme in den grünen oder gelben Bereich des EKO vergeblich zu überwinden suchen. Lediglich Mittel zur Krebsbehandlung scheinen von diesen Zugangshürden generell nicht betroffen zu sein.

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box

Zusammenfassung



- Die extramurale No-Box umfasst 65 Innovationen. Für 40 dieser Innovationen liegen vergleichbare Absatzzahlen aus den beiden Märkten Deutschland und Österreich vor.
- Wie in der intramuralen No-Box, so stellen auch im extramuralen Bereich die Mittel zur Krebsbehandlung (ATC L-01) den Großteil der Innovationen (40%). Ebenfalls analog zum intramuralen Bereich weisen diese Innovationen ein proportionales Absatzverhältnis zwischen den beiden Märkten Österreich und Deutschland auf. Dementsprechend lassen sich auch für den extramuralen Bereich in Bezug auf antineoplastische Mittel keine Zugangshürden für Österreich diagnostizieren.
- Die 24 verbleibenden Innovationen teilen sich auf 14 pharmakotherapeutische Gruppen auf. Die größten hiervon sind antivirale Mittel zur systemischen Nutzung (n=5) und Immunsuppressiva (n=4). Während 5 der 24 Innovationen einen moderat höheren Absatz in Österreich haben, zeigen sich bei den verbleibenden 19 Innovationen im extramuralen Bereich (79%) teils erheblich höhere Absätze im deutschen Markt.
- Genau wie im intramuralen Setting, häufen sich auch im extramuralen Bereich Innovationen mit österreichischer Studienbeteiligung im nordöstlichen Quadranten des Schaubildes. 78% dieser Innovationen zeichnen sich auch im extramuralen Bereich durch einen Absatz oberhalb von 1.000 Counting Units/Jahr aus.
- Während für 15 der 24 Innovationen (ohne antineoplastische Mittel) bereits (mindestens) ein EKO-Antrag vergeblich gestellt wurde (63%), so konzentrieren sich diese fast vollständig auf den Bereich, der einen höheren Absatz im deutschen Markt repräsentiert. Dies lässt sich als Indiz für Zugangshürden in der extramuralen No-Box interpretieren, die vertriebsberechtigte Unternehmen durch (teils wiederholte) Beantragung zur Aufnahme in den grünen oder gelben Bereich des EKO vergeblich zu überwinden suchen.

I. Studienbericht

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung

2. Methoden

- 2.1 Erstellung der Datenbasis
- 2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes
- 2.3 Quantitative Auswertung

3. Ergebnisse

- 3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes
- 3.2 Unterscheidung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box
- 3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box
- 3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box
- 3.5 „From Trial to Patient“ – AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

4. Diskussion

5. Fazit

II. Executive Summary

3.5 „From trial to patient“

AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen



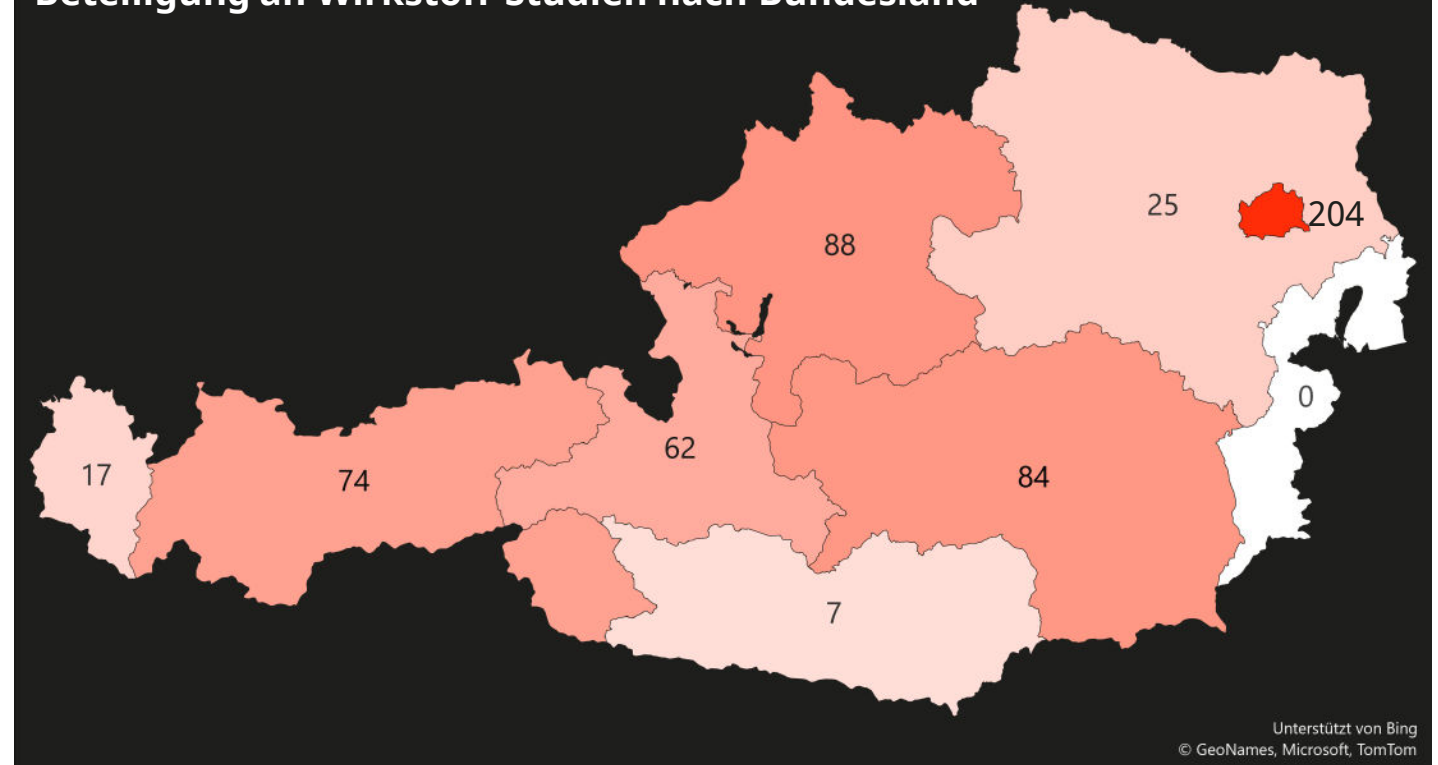
Österreich ist an 101 Produktinnovationen mit insgesamt 246 klinischen Studien beteiligt, deren Sponsoring fast ausschließlich (4 Ausnahmen) von Pharmaunternehmen stammt. Meist beteiligen sich Institutionen mehrerer Bundesländer an derselben Studie.

Sofern Studienbeteiligung Österreichs vorliegt, widmen sich durchschnittlich 2,4 Studien einer Innovation. Dieser Wert (2,4) gilt sowohl für Innovationen, die in Österreich gelauncht wurden als auch für jene, bei denen dies nicht der Fall ist.

Daraus lässt sich schließen, dass es für eine Markteinführung in Österreich von Bedeutung ist, dass eine klinische Studienbeteiligung vorliegt, aber nicht, wie viele Studienbeteiligungen je Innovation bestehen.

Das Bundesland Wien ist mit mindestens einer Institution in 84% der Österreich-bezogenen Studien vertreten. Bundesländer mit zunehmender geographischer Distanz zu Wien zeigen sich autonomer in ihrer Studienbeteiligung. So fanden 100% der in Niederösterreich durchgeführten Studien auch unter Beteiligung mindestens einer Wiener Institution statt, während Tirol über ein Viertel der Studien ohne Beteiligung Wiens durchführte. Burgenland ist das einzige Bundesland ohne klinische Studienbeteiligung.

Beteiligung an Wirkstoff-Studien nach Bundesland



Unterstützt von Bing
© GeoNames, Microsoft, TomTom

Schaubild 20: Eigene Darstellung

Datenbasis*

- IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
- European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
- Clinicaltrials.gov

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.5 „From trial to-patient“

AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen



Schaubild 21 fasst die österreichische Beteiligung an Wirkstoff-Studien nach Studienphase und Bundesland zusammen. Phase I-Studien bezeichnet hierbei Studien zur Verträglichkeit und Sicherheit einer medizinischen Innovation. Phase II-Studien beziehen sich auf die Wirksamkeit und Dosierung einer Arzneimittelspezialität, während Phase III-Studien zum einen die Wirksamkeit und Sicherheit im Fokus haben, und darüber hinaus auch ausschlaggebend für die Zulassung einer Arzneimittelspezialität sind.

Über alle studienbeteiligten Bundesländer hinweg dominieren Phase III-Studien und machen 67% (Steiermark) bis 88% (Vorarlberg) der Studienbeteiligungen je Bundesland aus. Eine Mitbeteiligung Wiens nimmt auf diese anteilige Bedeutung von Phase III-Studien in den einzelnen Bundesländern keinen Einfluss.

Durchschnittlich sind Institutionen aus 2,3 Bundesländern in dieselbe Studie involviert. Besonders gering (1,6) ist diese Kooperation bei nicht-Krebs-Produkten außerhalb des Warenverzeichnis (WVZ).

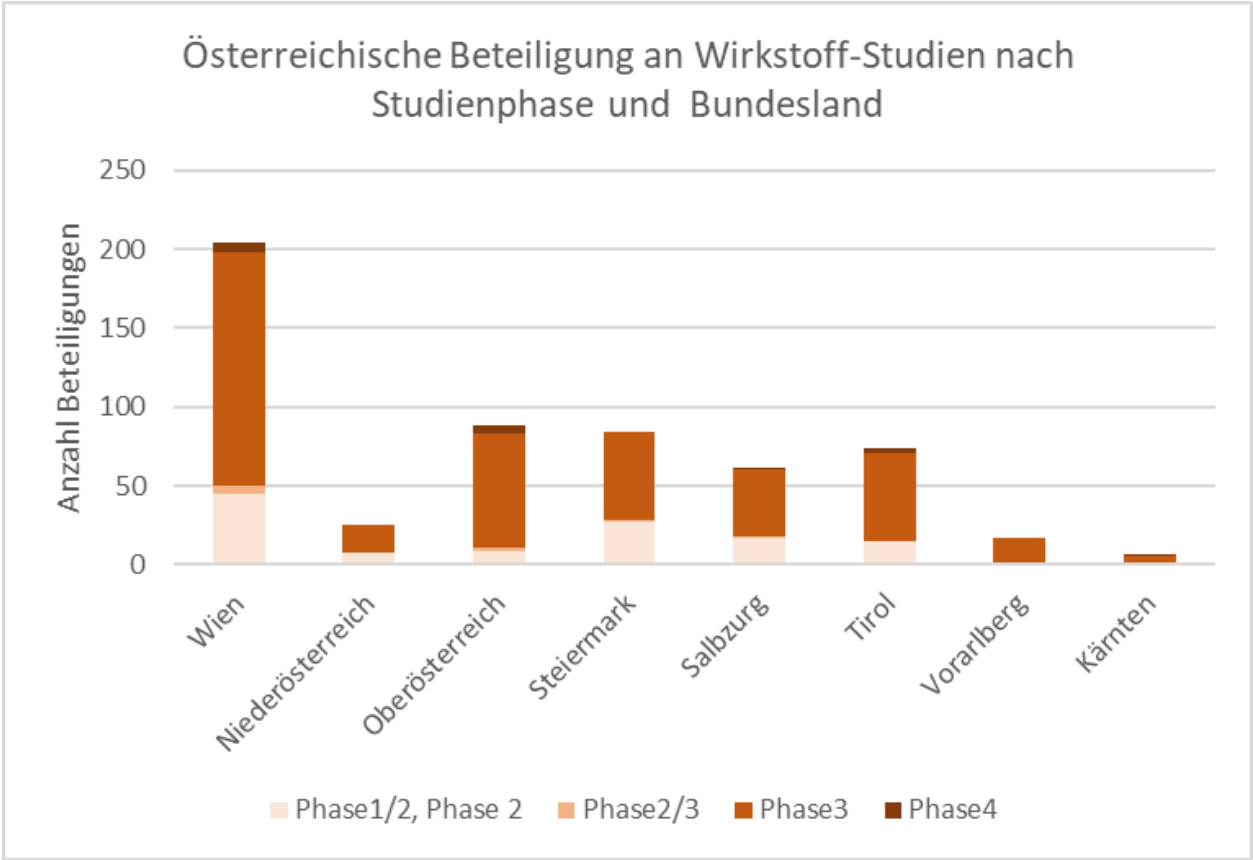


Schaubild 21: Eigene Darstellung

Datenbasis*
• IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWWZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
• European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
• Clinicaltrials.gov

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.5 „From trial to-patient“

AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

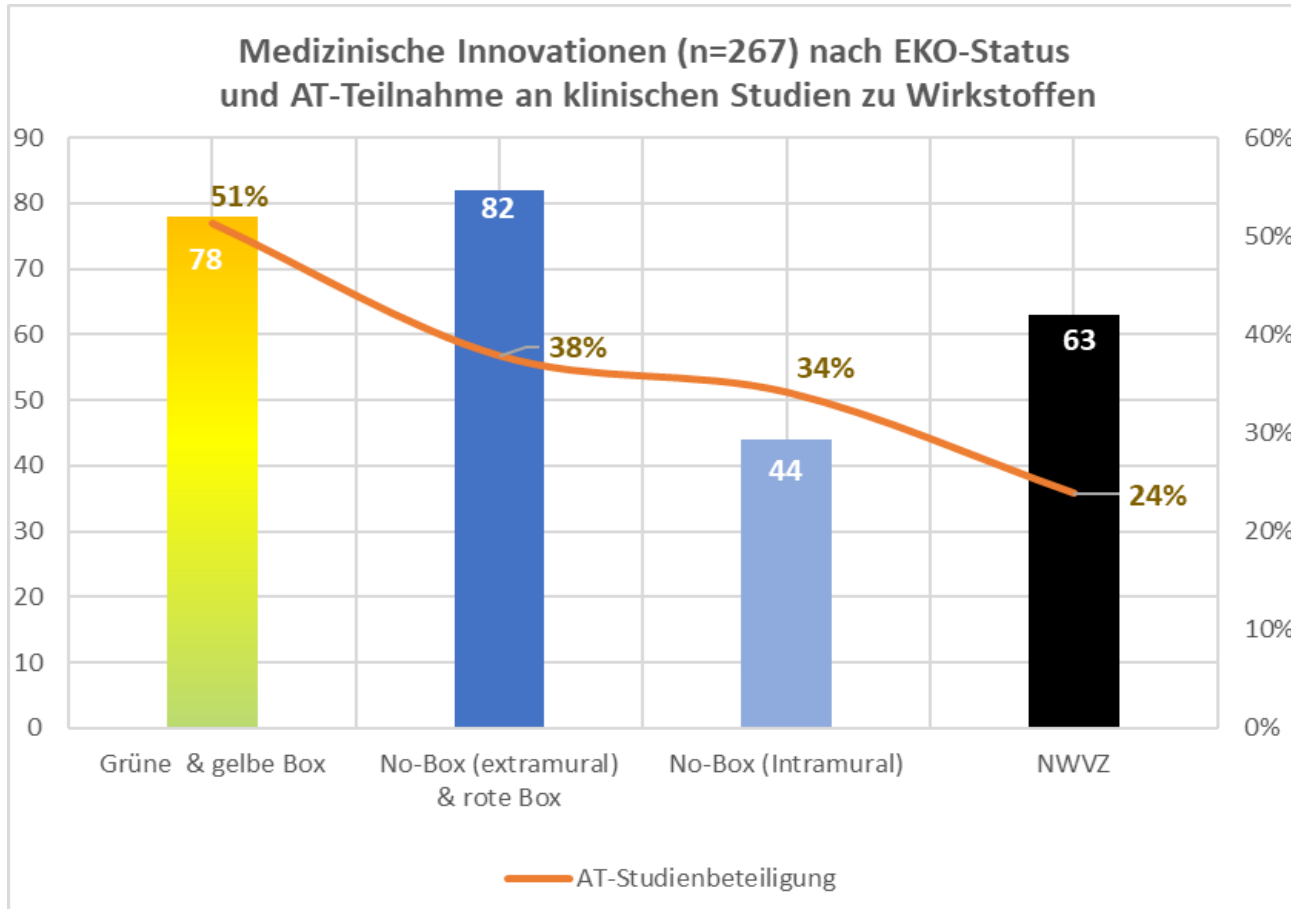


Schaubild 22: Eigene Darstellung

Leicht zugängliche medizinische Innovationen haben grundsätzlich eine höhere Studienbeteiligung als sonstige medizinische Innovationen. Hierbei zeichnet sich ein Trend ab:

Während 51% aller Innovationen in der grünen/gelben Box des Erstattungskodex eine österreichische Studienbeteiligung aufweisen, sind dies bei den Innovationen, die nicht ins österreichische Warenverzeichnis gemeldet wurden (NWVZ), gerade noch 24%.

In der No-Box liegt der Anteil jener Innovationen, zu denen es eine österreichische Studienbeteiligung zum Wirkstoff gab, zwischen 34% (intramural) und 38% (extramural).

Eine österreichische Studienbeteiligung zum jeweiligen Wirkstoff korreliert somit positiv mit einer weniger restriktiven Zugangskategorie. Dieser Zusammenhang ist bei nicht-Krebsprodukten noch wesentlich deutlicher ausgeprägt als bei jenen der ATC-Kategorie L-01.

Datenbasis*

- IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
- European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
- Clinicaltrials.gov

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.5 „From trial to-patient“

AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

Die Gesamtheit der No-Box-Innovationen, also sowohl jene im intramuralen als auch jene im extramuralen Bereich, umfasst 29 Produkte mit österreichischer Beteiligung an einer Wirkstoff-Studie (42,6%) und 39 Produkte (54,7%) ohne Beteiligung (Schaubild 23).

Eine österreichische Studienbeteiligung korreliert hierbei deutlich positiv mit der Absatzmenge medizinischer Innovationen.

So besteht bei No-Box-Innovationen im geringen Absatzbereich (<100 Counting Units/Jahr) überhaupt keine österreichische Studienbeteiligung. Im Absatzbereich zwischen 100 und 10.000 Counting Units/Jahr entspricht der Anteil von Innovationen mit österreichischer Studienbeteiligung bereits 42%. Im oberen Absatzbereich (>10.000 Counting Units/Jahr) beträgt dieser Anteil sogar rund 60% der medizinischen Innovationen.

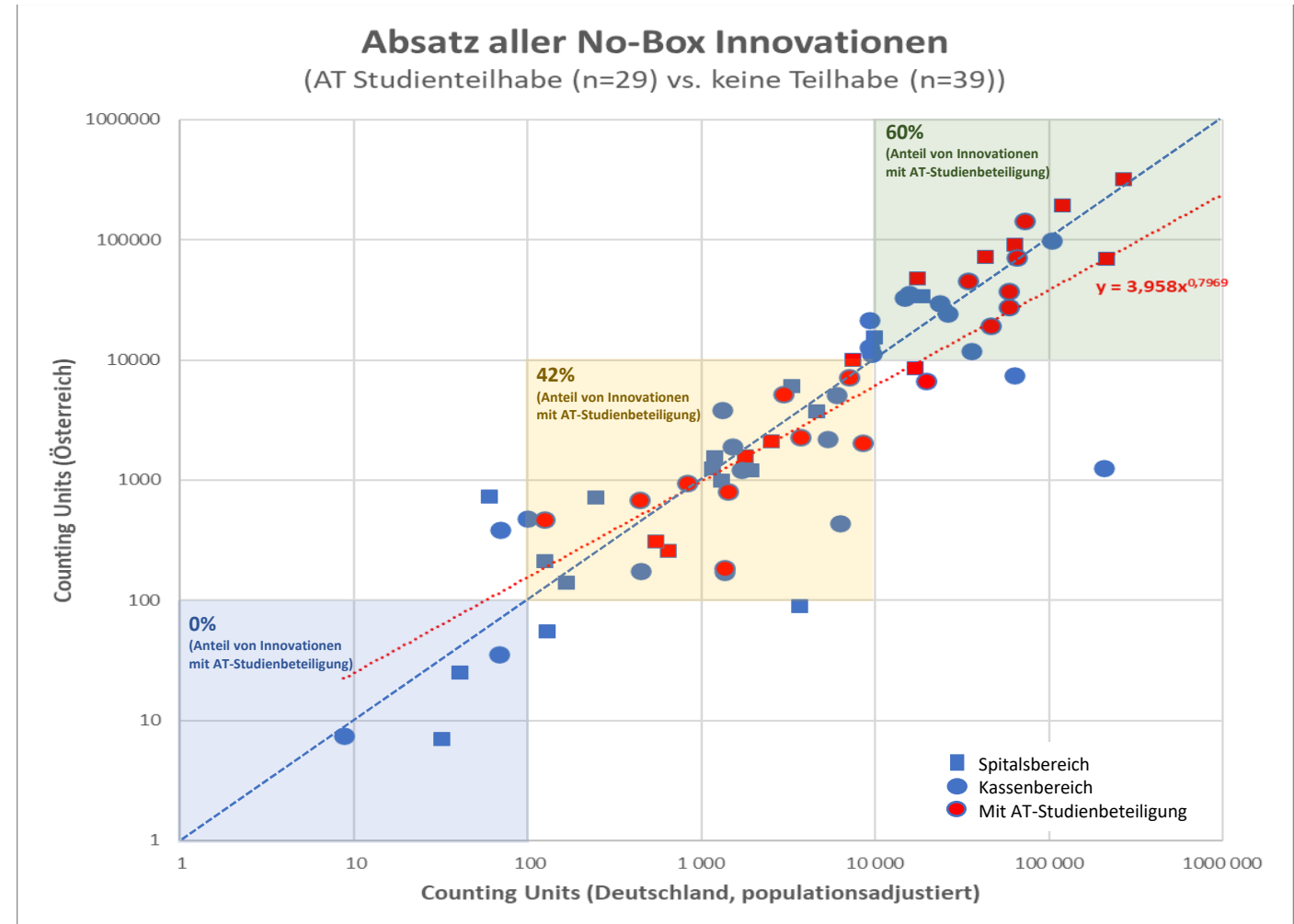


Schaubild 23: Eigene Darstellung

Datenbasis*

- IQVIA™: Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
- European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
- Clinicaltrials.gov

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

3.5 „From trial to-patient“

Zusammenfassung



- Österreich zeigt insgesamt ein beträchtliches Engagement in klinischen Studien. Zu 101 der 267 medizinischen Innovationen im Analyse-Datensatz hat Österreich sich an insgesamt 246 klinischen Studien beteiligt. Diese Beteiligungen betreffen primär die Studienphase III und somit eine für den PatientenInnen(-zugang) unmittelbar relevante Studienphase.
- Weiters zeigt sich, dass nahezu alle der hier analysierten medizinischen Innovationen, zu denen eine österreichische Teilnahme an einer Wirkstoff-Studie bestand, diese Studienbeteiligung von Seiten eines Pharmaunternehmens gesponsort wurde.
- Das Engagement im Rahmen von Wirkstoff-Studien variiert sehr zwischen den Bundesländern, jedoch bestehen vielfältige Kooperationen zwischen den Akteuren der einzelnen Bundesländer. Dass einzelne Bundesländer in klinischen Studien zu den betrachteten Innovationen weniger stark vertreten sind, darf jedoch keinesfalls als unterdurchschnittliches Engagement verstanden werden. Vielmehr beschäftigen sich vielzählige Studien mit anderen (medizinischen) Innovationen, die nicht in den Rahmen der hier vorliegenden Analyse fallen.
- Dass die Beteiligung an klinischen Studien positiv mit dem Zugang zu den jeweiligen Innovationen zusammenhängt, zeigt sich in mehrfacher Weise:
 - Eine Studienbeteiligung korreliert positiv mit einem besser zugänglichen EKO-Boxenstatus.
 - Eine Studienbeteiligung korreliert positiv mit dem Anteil extramuraler Absätze.
 - Eine Studienbeteiligung korreliert mit höheren Absatzmengen (Fokus No-Box).
- Schließlich ermöglicht eine Studienbeteiligung für deren TeilnehmerInnen auch immer den Zugang zu einer medizinischen Innovation im Rahmen der jeweiligen Studie.

I. Studienbericht

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung

2. Methoden

- 2.1 Erstellung der Datenbasis
- 2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes
- 2.3 Quantitative Auswertung

3. Ergebnisse

- 3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes
- 3.2 Unterscheidung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box
- 3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box
- 3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box
- 3.5 „From Trial to Patient“ – AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

4. Diskussion

5. Fazit

II. Executive Summary

Diskussion



Die medizinische Forschung bringt - nicht selten unter Mitbeteiligung Österreichs - Innovationen hervor, welche Krankheiten abwenden oder lindern, Genesungsprozesse beschleunigen und Komplikationen eindämmen können. Derartige Fortschritte kommen der Gesellschaft als Ganzes zugute. Unmittelbar Betroffene und deren Angehörige gewinnen an Lebenszeit und -qualität, die Nachhaltigkeit der Versorgungs- und Pflegesysteme wird gestärkt, und Produktivitätsverluste werden vermieden. Diese Vorteile für PatientInnen, Angehörige und die Gesellschaft als Ganzes erfordern jedoch einen angemessenen Zugang zu medizinischen Innovationen.

Bereits im Rahmen der Marktautorisierung durchlaufen medizinische Innovationen ein auf europäischer Ebene einheitliches Zulassungsverfahren. Sofern dem keine standortspezifischen Markteintrittsbarrieren entgegenstehen, folgt im Falle einer Marktautorisierung die Diffusion der medizinischen Innovation in den jeweiligen nationalen Markt. In diesem Kontext spielt eine Besonderheit im Gesundheitssystem Österreichs eine maßgebliche Rolle, die in internationalen vergleichenden Studien bisher kaum Beachtung fand. Sie betrifft die strikte Trennung von Verantwortlichkeiten für den intra- und extramuralen Bereich, was sich in unterschiedlichen Entscheidungs- und Finanzierungsstrukturen sowie klar voneinander abgetrennten Verfahrensweisen zur Aufnahme von Innovationen in die Erstattung widerspiegelt.

Vergleichbarkeit mit internationalen Studien

Ziel der vorliegenden Studie war es daher, die Diffusion medizinischer Innovationen nach erfolgter Marktautorisierung in den österreichischen Markt genau nachzuvollziehen. Hierbei zeigte sich zunächst, dass die Mehrheit der in der vorliegenden Studie erfassten Innovationen (rund 76%) bereits kurz nach erfolgter Marktauthorisierung ihre Aufnahme ins österreichische Warenverzeichnis fanden. Diese Beobachtung ist konsistent mit internationalen vergleichenden Studien, allen voran dem EFPIA W.A.I.T.-Indikator, der Österreich sowohl für die Berichtsjahre 2017 bis 2020 (IQVIA, 2022) als auch 2018 bis 2021 (IQVIA, 2023) eine Gesamt-Verfügbarkeit medizinischer Innovationen von rund 79% attestiert.

Quellen:

IQVIA (2022): Newton M., Scott K, Troein P. EFPIA Patients W.A.I.T.-Indicator Survey – Updated July 2022

IQVIA (2023): Newton M., Stoddart K, Travaglio M, Troein P. EFPIA Patients W.A.I.T.-Indicator Survey – Published April 2023

Diskussion



Damit bescheinigt der EFPIA W.A.I.T.-Indikator Österreich grundsätzlich einen im internationalen Vergleich guten Gesamtzugang zu medizinischen Innovationen. Allerdings spielt in diesem Kontext die Differenzierung zwischen Innovationen mit „voller Verfügbarkeit“ und jenen mit „eingeschränkter Verfügbarkeit“ eine wichtige Rolle. Durch eine „eingeschränkte Verfügbarkeit“ sind gemäß EFPIA W.A.I.T.-Indikator z.B. jene Innovationen gekennzeichnet, deren Erstattung sich nur auf Subgruppen der autorisierten Indikation(en) bezieht, oder bei denen Erstattungsentscheidungen grundsätzlich im Rahmen des Einzelfalls zu prüfen sind (wie beispielsweise in der roten Box oder der extramuralen No-Box des Erstattungskodex).

Differenziert man das für Österreich positiv zu wertende Gesamtergebnis des EFPIA W.A.I.T.-Indikators also nach Innovationen mit „voller“ bzw. „eingeschränkter“ Verfügbarkeit, so liegt der Anteil jener Innovationen mit „eingeschränkter Verfügbarkeit“ bei rund 39% (Berichtsjahre 2017-2020) bzw. bei rund 31% (Berichtsjahre 2018-2021) der insgesamt in Österreich verfügbaren Innovationen (IQVIA 2022 & 2023). Damit zeigt Österreich laut EFPIA W.A.I.T.-Indikator auch im internationalen Vergleich einen beträchtlichen Anteil von Innovationen mit nur „eingeschränkter Verfügbarkeit“. Diese differenzierte Betrachtung ist bei der Frage der Beurteilung des Gesamtzugangs zu medizinischen Innovationen in Österreich äußerst relevant.

Würde man im Rahmen der hier vorliegenden Studie den Anteil jener Innovationen der roten bzw. extramuralen No-Box (bei denen Erstattungsentscheidungen jeweils in medizinisch begründeten Ausnahmefällen als Einzelfallentscheidung zu treffen sind) den übrigen in Österreich verfügbaren Innovationen gegenüberstellen, so betrüge ihr Anteil rund 36%. Auch dieses Ergebnis der vorliegenden Arbeit ist somit direkt vergleichbar mit den Ergebnissen des EFPIA W.A.I.T.-Indikators. Es sei jedoch angemerkt, dass Innovationen in der gelben Box des Erstattungskodex grundsätzlich auch einer chef-/kontrollärztlichen Bewilligungspflicht unterliegen und dass der einer Erstattung zugrundeliegende Regeltext in aller Regel Abweichungen von der autorisierten Indikation – der Zulassung – aufweist. Hiermit steht also die Frage im Raum, ob auch bei diesen Innovationen die Definition der „eingeschränkten Verfügbarkeit“ gemäß EFPIA W.A.I.T.-Indikator anzuwenden wäre.

Die Position Österreichs beim W.A.I.T.-Indikator ist somit im Wesentlichen einer formalen Zuordnung zuzuschreiben, während die gegenständliche Untersuchung die tatsächliche Zugangssituation erfasst. Es stellt sich die Frage, inwiefern sich eine „eingeschränkte Verfügbarkeit“ auch tatsächlich auf den Zugang zu einer Innovation in Österreich auswirkt. Die vorliegende Arbeit hat sich primär dieser Fragestellung gewidmet und komplexe Zusammenhänge aufgedeckt.

Quellen:

IQVIA (2022): Newton M., Scott K, Troein P. EFPIA Patients W.A.I.T.-Indicator Survey – Updated July 2022

IQVIA (2023): Newton M., Stoddart K, Travaglio M, Troein P. EFPIA Patients W.A.I.T.-Indicator Survey – Published April 2023

Diskussion



Erfassung und Bewertung von Zugangshürden in Österreich

Um die Auswirkungen der beschriebenen „*eingeschränkten Verfügbarkeit*“ auf den Zugang zu medizinischen Innovationen genauer zu beleuchten, wurden Absatzzahlen sämtlicher zwischen 2016 und 2022 zugelassenen sowie in Österreich auf den Markt gebrachten Arzneyspezialitäten der intramuralen und extramuralen No-Box herangezogen. Als Vergleichsbasis dienten Absätze der jeweiligen Produkte im Nachbarland Deutschland, welche mittels des Verhältnisses von Einwohnern in beiden Ländern auf die Populationsgröße in Österreich angepasst wurden. Innovationen mit besonderen Zugangsbedingungen in Deutschland wurden von der Analyse ausgeschlossen und die Ergebnisse lassen sich sowohl als absolute sowie prozentuale Abweichung von einem proportionalen Absatz in beiden Märkten zusammenfassen.

Fraglich ist damit zunächst, inwiefern Deutschland als angemessene Vergleichsbasis überhaupt herangezogen werden kann. Neben vergleichbaren makroökonomischen, kulturellen und sprachlichen Faktoren steht hier in allererster Linie der Spitzenplatz Deutschlands im Sinne voller Verfügbarkeit im Rahmen des EFPIA W.A.I.T.-Indikators im Vordergrund. Mit einer vollen Verfügbarkeit von 91% aller Innovationen der Zulassungsjahre 2017 bis 2020 (IQVIA, 2022) sowie 87% in den Zulassungsjahren 2018 bis 2021 (IQVIA, 2023), eignet sich dieser Markt am besten als Benchmark für eingeschränkte Verfügbarkeit in anderen Märkten, inklusive Österreich.

Der somit auf Basis sämtlicher No-Box-Innovationen der Jahre 2016 bis 2022 durchgeführte Vergleich im Rahmen der hier vorliegenden Studie führte damit auch zu einer Vielzahl relevanter Ergebnisse, die sich differenziert nach dem intramuralen und extramuralen Bereich zusammenfassen lassen. Im intramuralen Kontext zeigt sich ein ausgewogenes Absatzverhältnis zwischen beiden Märkten, mit 50% der Innovationen marginal unterhalb bzw. oberhalb eines exakt proportionalen Absatzes. Sowohl im intramuralen als auch im extramuralen Setting zeigt sich darüber hinaus ein sehr ausgewogenes – proportionales – Absatzverhältnis für Mittel zur Krebsbehandlung, die auch insgesamt den Großteil medizinischer Innovationen der No-Box ausmachen. Im Ergebnis lassen sich, auf Grundlage eines Absatzvergleichs zwischen Österreich und Deutschland, also keine Zugangshürden für die intramurale No-Box sowie für Krebspatienten im intra- und extramuralen Setting konstatieren.

Quellen:

IQVIA (2022): Newton M., Scott K, Troein P. EFPIA Patients W.A.I.T-Indicator Survey – Updated July 2022

IQVIA (2023): Newton M., Stoddart K, Travaglio M, Troein P. EFPIA Patients W.A.I.T.-Indicator Survey – Published April 2023

Diskussion



Anders sieht es jedoch bei den Innovationen der extramuralen No-Box aus, die nicht dem onkologischen Therapiebereich zuzuordnen sind. Während 21% dieser Innovationen einen (moderat) höheren Absatzanteil in Österreich aufweisen, zeigen sich bei den verbleibenden 79% teils deutliche Abweichungen von einem proportionalen Absatzverhältnis zugunsten Deutschlands. Dies lässt sich durchaus als Indiz dafür werten, dass sich die extramurale No-Box für Innovationen, die nicht den Mitteln zur Krebsbehandlung angehören, als potenzielle Hürde im Zugang zu innovativen Therapien in Österreich auswirkt. Ganz besonders auffällig ist hierbei, dass sich gerade dort, wo Indizien für Zugangshürden zutage treten, auch jene Innovationen häufen, für die bereits (mindestens) ein EKO-Antrag vergeblich gestellt wurde (63%). Vertriebsberechtigte Unternehmen versuchen somit (teils mehrfach) durch Beantragung zur Aufnahme in den grünen oder gelben Bereich des Erstattungskodex, die bestehenden Hürden zu überwinden.

Auch wenn die hier angewandte Methodik eines Absatzvergleichs zwischen Deutschland und Österreich zweifelsohne Limitationen hat, so zeigen die quantitativen Ergebnisse teils deutliche Übereinstimmungen, die gerade durch die systemischen Unterschiede beider Länder an Aussagekraft gewinnen. Ganz besonders hervorzuheben ist hierbei das annähernd proportionale Absatzverhältnis im intramuralen Setting allgemein sowie der im Bereich der Krebsbehandlung fast exakt proportionale Absatz im intra- und extramuralen Kontext. Wenn sich trotz erheblicher Unterschiede in den Zugangs- und Erstattungssystemen beider Länder so deutlich vergleichbare Tendenzen abzeichnen, dann liegt diesbezüglich die Annahme nahe, dass ein gemeinsamer den Absatz dominierender Faktor in beiden Märkten wirkt. Gerade im Bereich der Krebsbehandlung könnte und sollte dieser gemeinsame Faktor der am Patienten orientierte medizinische Bedarf sein. Geht man also davon aus, dass sich systemspezifische Zugangsvoraussetzungen - gerade in der Krebsbehandlung - dem medizinischen Bedarf unterordnen, so ist dies sowohl Legitimation der angewandten Methodik als auch Erklärung für die Vergleichbarkeit der Ergebnisse. Es leiten sich hieraus aber auch Fragestellungen bezüglich der Sinnhaftigkeit von Zugangshürden insbesondere dann ab, wenn sie sich für PatientInnen und deren Behandler lediglich als administrative Hürden darstellen. Eine allenfalls bestehende Rationale für einen mit diesen Hürden intendierten Steuerungszweck wäre jedenfalls zu hinterfragen.

Diskussion



Handlungsempfehlungen

Die vorliegende Studie zeichnet ein differenziertes Bild hinsichtlich des Zugangs zu medizinischen Innovationen in Österreich. Im Rahmen einer Projektvorstellung am 21.02.2024 wurden bereits unterschiedliche Handlungsempfehlungen auf Grundlage dieser Studie breiter diskutiert. Einige dieser Handlungsempfehlungen werden im Folgenden nochmals beispielhaft aufgegriffen und vertieft:

Zunächst ist hier nochmals der durchwegs gute Zugang im intramuralen Bereich sowie - bei der Krebsbehandlung - auch im extramuralen Bereich hervorzuheben. Diesen guten Zugang gilt es jedenfalls langfristig zu erhalten und zu sichern. Diese Forderung gilt auch und gerade im Hinblick auf die bevorstehende Etablierung eines Medikamenten-Bewertungsboards für den intramuralen Bereich (sowie für Produkte an der Nahtstelle zwischen dem intra- und extramuralen Bereich). So zeichnet sich der gegenwärtig gute Zugang zu Innovationen im intramuralen Setting auch und gerade dadurch aus, als dass Innovationen sehr schnell nach ihrer Zulassung für PatientInnen in Österreich verfügbar werden. Insbesondere im Rahmen der notwendigen Verzahnung der EU-HTA-Richtlinie, die ein gemeinsames klinisches Assessment als Grundlage für HTA-Prozesse auf nationaler Ebene vorsieht, mit nationalen Bewertungsprozessen, ist darauf zu achten, dass effiziente und rasche Prozesse erhalten und weiter gestärkt werden und es nicht aufgrund möglicher Doppelgleisigkeiten zu Verzögerungen im Zugang zu Innovationen kommt. Hier gilt es also, im Rahmen der Umsetzung auf nationaler Ebene unter Einbindung aller relevanten Akteure, Prozesse und Verfahren zu entwickeln, die den Zugang zu Innovationen im intramuralen Setting langfristig sicherstellen.

Der nicht durch Einschränkungen gekennzeichnete Absatz bei Mitteln zur Krebsbehandlung in der No-Box des extramuralen Bereichs wirft zusätzlich die Frage auf, ob und inwiefern bestehende administrative Hürden für PatientInnen und deren BehandlerInnen tatsächlich auch weiterhin bestehen bleiben müssen bzw. ob diese nicht - ganz im Gegenteil - teilweise oder gänzlich abgebaut werden können. Sofern es nicht bereits Ausnahmen bzw. Einschränkungen von einer chefärztlichen Bewilligungspflicht gibt, wäre dies bei den diesbezüglichen Innovationen anzudenken bzw. auszuweiten. Gleichfalls stellt sich die Frage, warum solche Innovationen in einem bewilligungspflichtigen Status verweilen müssen, der auf diese Innovationen keine darstellbare Steuerungswirkung entfaltet. Basierend auf der Annahme, dass bei schwerwiegenden Erkrankungen, wie das bei Krebs der Fall ist, der medizinische Bedarf der den Absatz dominierende Faktor ist, wäre es ohnehin fraglich, warum notwendige medizinische Behandlungen teils wiederholt im Rahmen einer medizinischen Einzelfallentscheidung beantragt werden müssen. Wie der Vergleich zum Nachbarland Deutschland impliziert, wäre auch nicht zu erwarten, dass ein Wegfall einer solchen Bewilligungspflicht im Einzelfall zu einer Ausweitung der Gesamt-Nachfrage führen würde. Durch den Abbau administrativer Hürden ließen sich jedenfalls Ressourcen freimachen, die der Behandlung von PatientInnen zugute kommen könnten und sollten.

Diskussion



Was Innovationen der extramuralen No-Box angeht, die nicht dem onkologischen Therapiebereich zuzurechnen sind, so sollten die Auswirkungen der konstatierten Absatzunterschiede zulasten Österreichs noch genauer untersucht werden. Wenn PatientInnen den Zugang zu innovativen Therapien nicht oder nur eingeschränkt erhalten, so können sich die erwähnten Vorteile für PatientInnen, deren Angehörige sowie die Gesellschaft auch nicht einstellen. Dies ließe sich auf Grundlage der hier vorliegenden Studie weiter vertiefen sowie anhand verlorener (qualitätsadjustierter) Lebensjahre und der damit verbundenen gesellschaftlichen Kosten auf Populationsebene quantifizieren. Des Weiteren wäre der Einbezug der grünen und gelben Box in den Vergleich der Absatzunterschiede ein sinnvoller nächster Schritt, noch differenziertere Aussagen hinsichtlich der Zugangsfrage in Österreich ableiten zu können.

Wenn sich das bestehende Zugangs- und Erstattungssystem doch im Einzelfall als Zugangshürde erweist, stellt sich insbesondere angesichts der dynamischen pharmazeutischen Entwicklung die Frage, inwiefern dieses System patientInnen- und anwenderInnenfreundlicher zu gestalten und vor allem zu entbürokratisieren wäre. Diesbezüglich sind insbesondere auch Prinzipien der Gleichbehandlung zu berücksichtigen, denn PatientInnen mit einer anderen als einer Krebsindikation scheinen Erschwernissen im Zugang zu medizinischen Innovationen zu begegnen.

Schlussendlich sei nochmals auf die Bedeutung des Standorts Österreichs im Sinne der Teilhabe an klinischen Wirkstoffstudien hinzuweisen. Die Korrelation zwischen Studienbeteiligung und Absatz sowie einem zugangsfreundlichen Erstattungsstatus kann unterschiedlich ausgelegt werden. Zum einen könnte es sein, dass Unternehmen, die Österreich als einen guten Innovationsstandort erkennen, auch eher dazu geneigt sind, klinische Wirkstoffstudien unter Beteiligung Österreichs zu fördern. Eine weitere Erklärung wäre, dass eine Innovation auch und gerade dann einen besseren Erstattungsstatus erlangen kann, wenn zuvor eine österreichische Beteiligung an einer Studie zum Wirkstoff gegeben war. In beiden Fällen zeigt sich die erhebliche Relevanz klinischer Studien für den Standort Österreich, und diesen gilt es auch künftig nachhaltig zu fördern.

I. Studienbericht

1. Hintergrund, Problemstellung und Zielsetzung

2. Methoden

- 2.1 Erstellung der Datenbasis
- 2.2 Herleitung des Analyse-Datensatzes
- 2.3 Quantitative Auswertung

3. Ergebnisse

- 3.1 Deskriptive Analyse des Datensatzes
- 3.2 Unterscheidung zwischen intramuraler und extramuraler No-Box
- 3.3 Zugangsanalyse der intramuralen No-Box
- 3.4 Zugangsanalyse der extramuralen No-Box
- 3.5 „From Trial to Patient“ – AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen

4. Diskussion

5. Fazit

II. Executive Summary

Fazit



Die vorliegende Studie liefert ein differenziertes Bild hinsichtlich des Zugangs zu medizinischen Innovationen in Österreich. Bei Innovationen in der intramuralen No-Box zeigen sich im Mittel keine Absatzunterschiede zwischen Deutschland und Österreich. Die No-Box stellt für KrebspatientInnen und deren Verschreiber im extramuralen Bereich eine administrative Hürde dar - und ist dennoch oftmals der einzige Weg zur benötigten Therapie. Für alle anderen PatientInnen stellt die No-Box im extramuralen Bereich sowohl eine administrative als auch eine Zugangshürde dar - und ist dennoch oftmals der einzige Weg zur benötigten Therapie.

Im Mittelpunkt des Handelns sollte es daher stehen, den guten Zugang zu medizinischen Innovationen im intramuralen Setting langfristig zu sichern, administrative Hürden im extramuralen Bereich für KrebspatientInnen und deren Verschreiber abzubauen, sowie den Zugang zu anderen Innovationen der extramuralen No-Box nachhaltig zu fördern. Die Teilhabe an klinischen Wirkstoffstudien ist hierbei ein wichtiges Instrument.

Die Ergebnisse dieser Studie sollte allen Akteuren als Basis dienen, gemeinsam die bestmögliche Versorgung von PatientInnen in Österreich langfristig zu sichern.



Diese Studie wurde unterstützt von



Executive Summary

M. Gleitsmann¹, A. Pitzschke¹, C. Böhler²

- 1) **Economica Institut für Wirtschaftsforschung**
- 2) **Bristol Myers Squibb (BMS)**

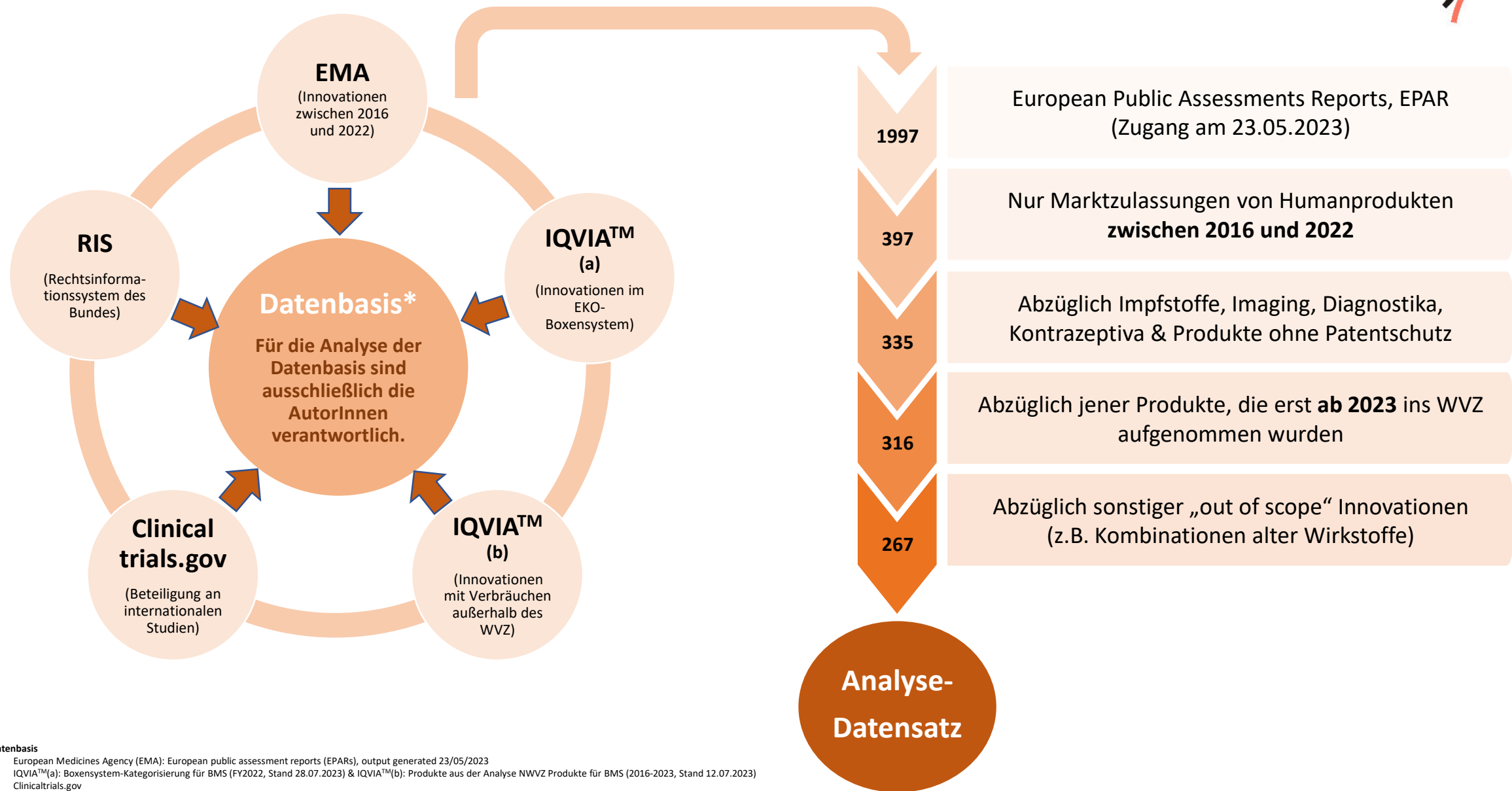
Hintergrund und Zielsetzung des Projektes



- Medizinische Innovationen verlängern Leben und verbessern Jahre in Gesundheit. Diese Vorteile ergeben sich jedoch nur, wenn ein guter Zugang zu diesen Innovationen in Österreich besteht.
- Obwohl das österreichische Gesundheitssystem im internationalen Vergleich relativ gut abschneidet, stellt sich die Frage, ob und in welchem Umfang innovative Therapien nicht oder nur mit Einschränkungen in Österreich zugänglich sind.
- Im Vergleich zu anderen europäischen Märkten zeichnet sich Österreich durch eine strikte Trennung im Zugang für innovative Therapien im Kassen- und Spitalsbereich aus.
- Dieses Projekt verfolgt das Ziel, etwaige Hürden im Zugang zu Innovationen für PatientInnen in Österreich zu erfassen und mögliche Auswirkungen anhand einer quantitativen Analyse vergleichend zu beurteilen.

Von der Datenbasis zum Analyse-Datensatz

Erstmalige Kombination unabhängiger Datenquellen



Datenbasis

- European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
- IQVIA™(a): Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & IQVIA™(b): Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
- Clinicaltrials.gov
- Rechtsinformationssystem des Bundes – Amtliche Verlautbarungen der Sozialversicherung

Wie kommen Innovationen in den österreichischen Markt?

Trennung zwischen Spital- und Kassenzugang

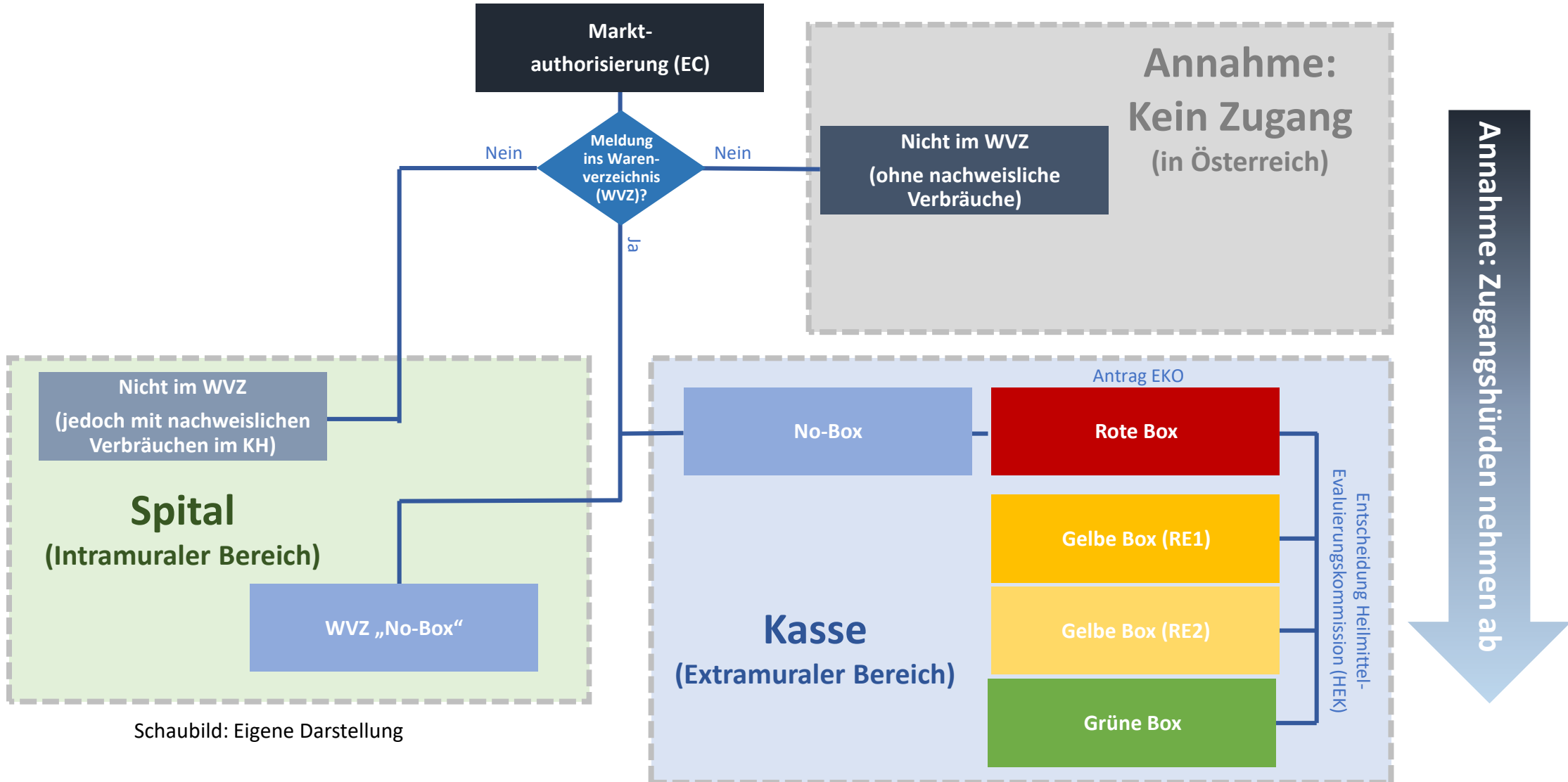


Schaubild: Eigene Darstellung

Wie ist der Zugang zu Innovationen geregelt?

...Und welche Einschränkungen gibt es?



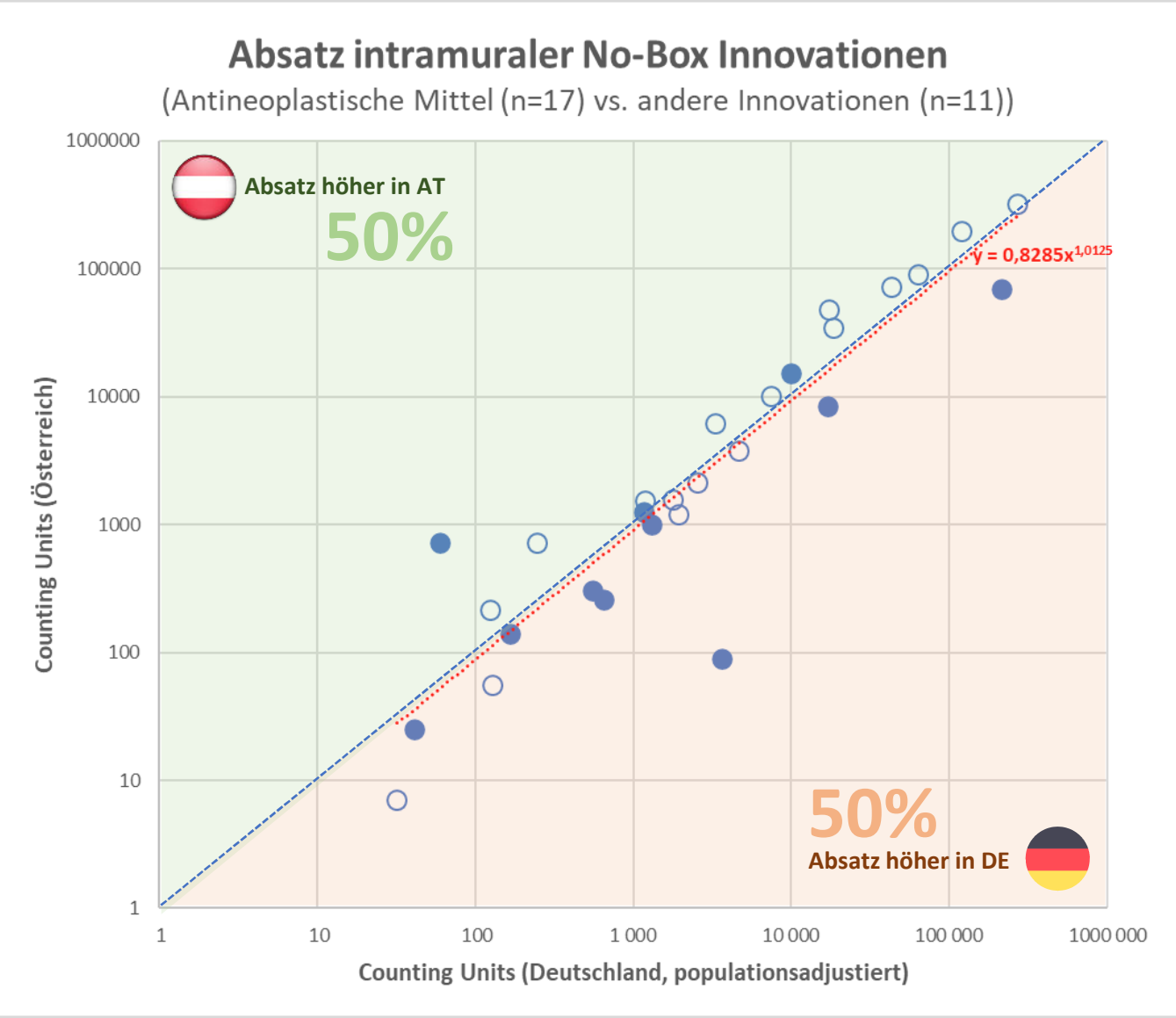
Grüne Box	- Grundsätzlich frei verschreibbar. - Jedoch mögliche Einschränkungen durch Regeltext vs.EMA-Zulassung.	10 (4%)			
Gelbe Box (RE2)	- Verschreibung gemäß Regeltext (ggf. Einschränkungen vs. EMA-Zulassung). - Nachträgliche Kontrolle der Einhaltung der bestimmten Verwendung sowie der Richtlinien zur ökonomischen Verwendung.	9 (3%)			
Gelbe Box (RE1)	- Verschreibung gemäß Regeltext (ggf. Einschränkungen vs. EMA-Zulassung). - Vorherige Genehmigung durch chef-/kontrollärztlichen Dienst.	59 (22%)			
Rote Box	Nur verschreibbar in med. begründeten und chef-/kontrollärztlich genehmigten Einzelfällen, wenn es keine Behandlungsalternative gibt.	5 (2%)			
No-Box	- Unterschied zwischen Kassen- und Spitalzugang. - Kasse: Nur verschreibbar in <u>med. begründeten</u> und chef-/ kontrollärztlich <u>genehmigten Einzelfällen</u>, wenn es <u>keine Behandlungsalternative</u> gibt.	<table><tr><td>Kasse 65 (24%)</td><td>Spital 44 (16%)</td><td>n/a 12 (4%)</td></tr></table>	Kasse 65 (24%)	Spital 44 (16%)	n/a 12 (4%)
Kasse 65 (24%)	Spital 44 (16%)	n/a 12 (4%)			
NWVZ	- Produkte, die nicht im Warenverzeichnis (WVZ) gelistet sind. - Grundsätzliche Annahme: Kein Zugang. - Allerdings gibt es Ausnahmen im Spitalsbereich (n=13/63).	63 (24%)			

Datenbasis*
• IQVIA™(a): Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & IQVIA™(b): Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
• European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023

*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

Innovationen im Spitalsbereich

Durchwegs guter Zugang zu medizinischen Innovationen



Spitalsbereich (gesamt)	n=44 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	n=35 (80%)
Ohne besondere DE-Zugangsregeln	n=28 (64%)
Davon Mittel zur Krebsbehandlung	17/28 (61%)

- Die Innovationen reihen sich dicht entlang der Diagonalen, und die Trendlinie deutet auf ein fast exakt **proportionales Absatzverhältnis** zwischen DE und AT hin.
- Rund 61%** der intramuralen No-Box-Innovationen sind **Mittel zur Krebsbehandlung**. Die verbleibenden 11 Innovationen fallen in 9 unterschiedliche pharmakotherapeutische Gruppen.

Datenbasis*
• IQVIA™(a): Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & IQVIA™(b): Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
• European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023

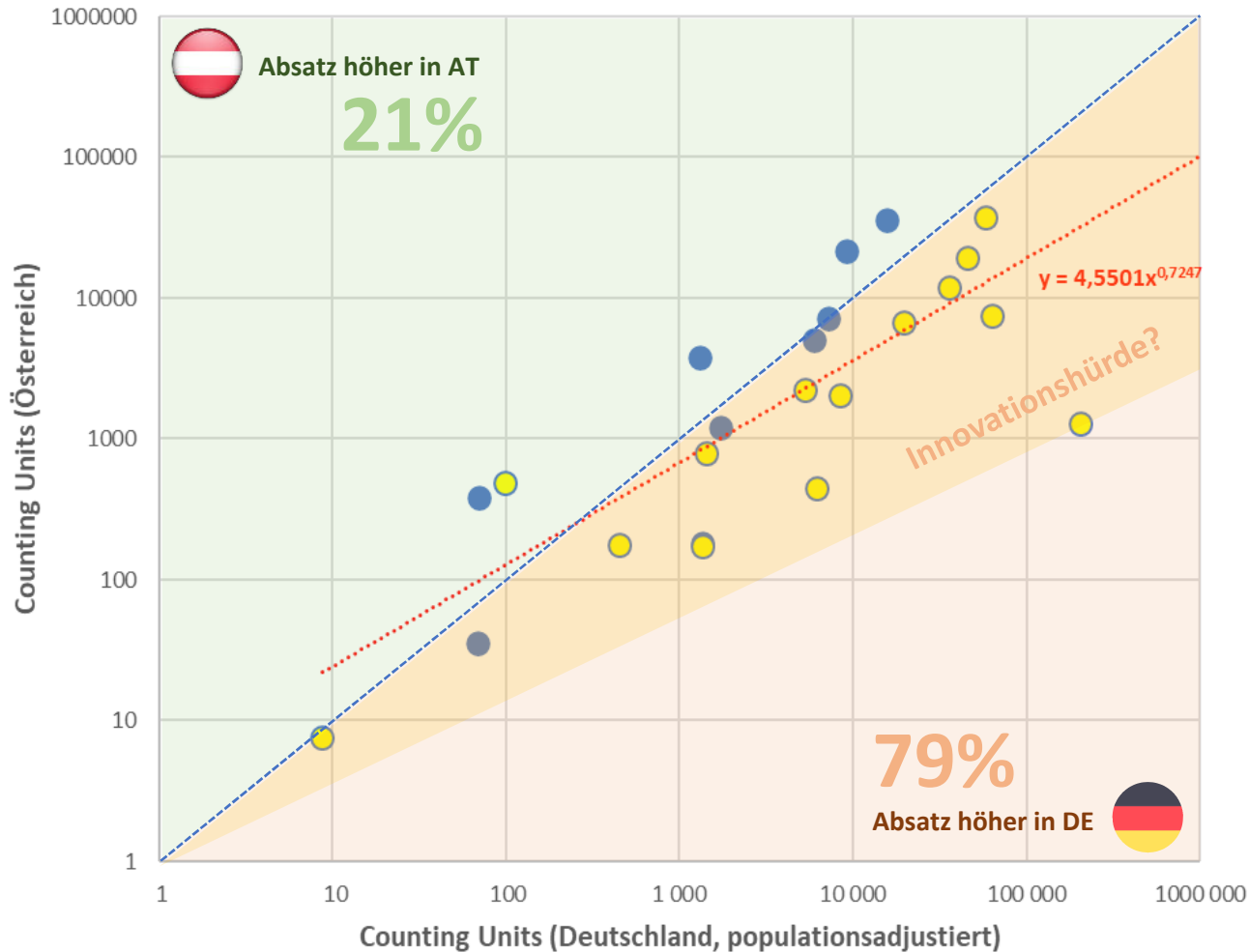
*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich. 69

Die No-Box im Kassenbereich

Zugang stark abhängig von therapeutischer Gruppe

Absatz extramuraler No-Box Innovationen

(EKO-Antrag (n=15) vs. kein Antrag (n=9))



Extramurale No-Box (gesamt)	65 (100%)
Nur Innovationen mit DE/AT Absatzdaten	58 (89%)
Ohne besondere DE-Zugangsregeln	40 (62%)
Ohne Mittel zur Krebsbehandlung	24 (37%)
 Davon mit vergeblichem EKO-Antrag	15/24 (63%)

- Innovationen weichen teils klar von einem proportionalen Absatzverhältnis ab.
- Mittel zur **Krebsbehandlung**  bilden wieder die größte Gruppe der Innovationen (40%). Hier liegt der Absatz in beiden Märkten wieder **fast exakt gleichtauf**.
- 24 verbleibende Innovationen teilen sich auf 14 pharmakotherapeutische Gruppen (die größten hiervon: antivirale Mittel zur systemischen Nutzung (n=5) und Immunsuppressiva (n=4)). **Nur 5 von 24 Produkten haben einen höheren Absatz in AT (21%).**
- Für 14 von 19 der **Innovationen mit** Hinweisen auf **Zugangshürden** in AT (74%) wurde **mindestens einmal vergeblich ein EKO-Aufnahmeantrag** gestellt.
- Dies lässt sich als **Indiz für Zugangshürden** in der No-Box im Kassenbereich interpretieren, die vertriebsberechtigte Unternehmen durch (teils wiederholte) Beantragung zur Aufnahme in den grünen oder gelben Bereich des EKO **vergeblich zu überwinden** suchen.
- Lediglich Mittel zur Krebsbehandlung scheinen von diesen Zugangshürden generell nicht betroffen zu sein.

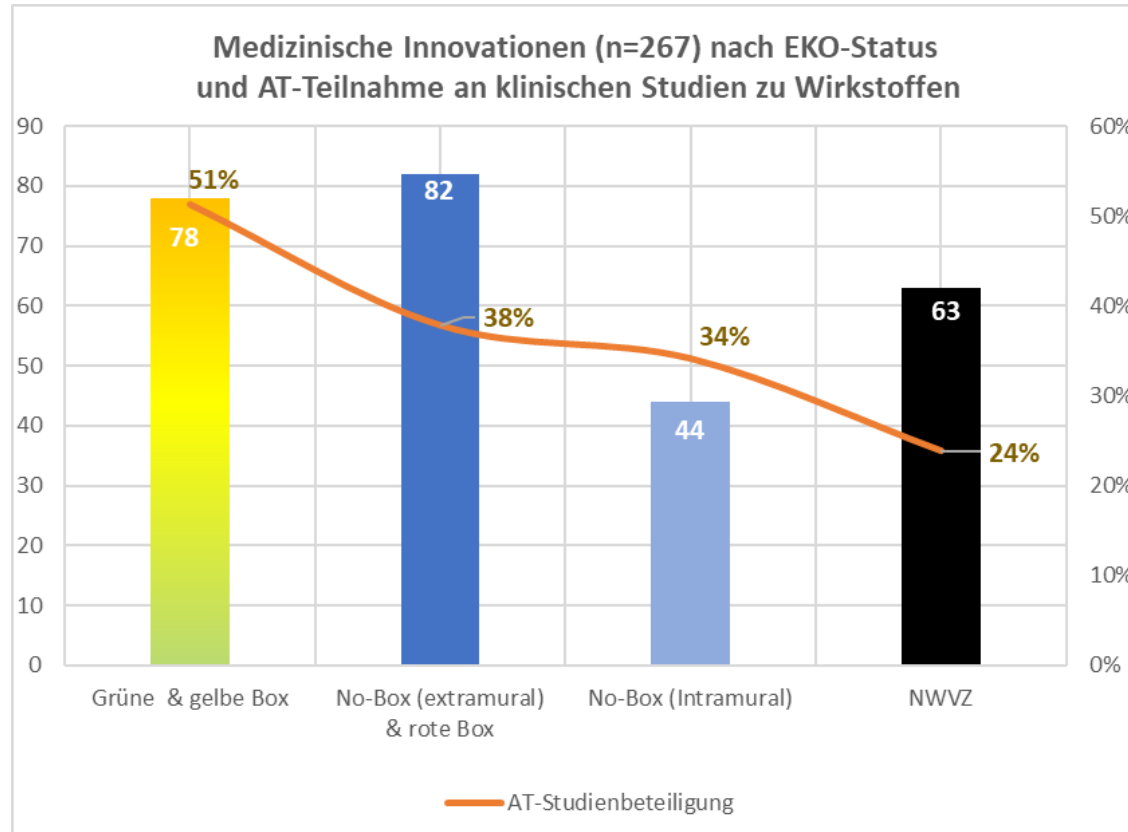
Datenbasis*

- IQVIA™(a): Boxensystem-Kategorisierung für BMS (FY2022, Stand 28.07.2023) & IQVIA™(b): Produkte aus der Analyse NWVZ Produkte für BMS (2016-2023, Stand 12.07.2023)
- European Medicines Agency (EMA): European public assessment reports (EPARs), output generated 23/05/2023
- Rechtsinformationssystem des Bundes – Amtliche Verlautbarungen der Sozialversicherung

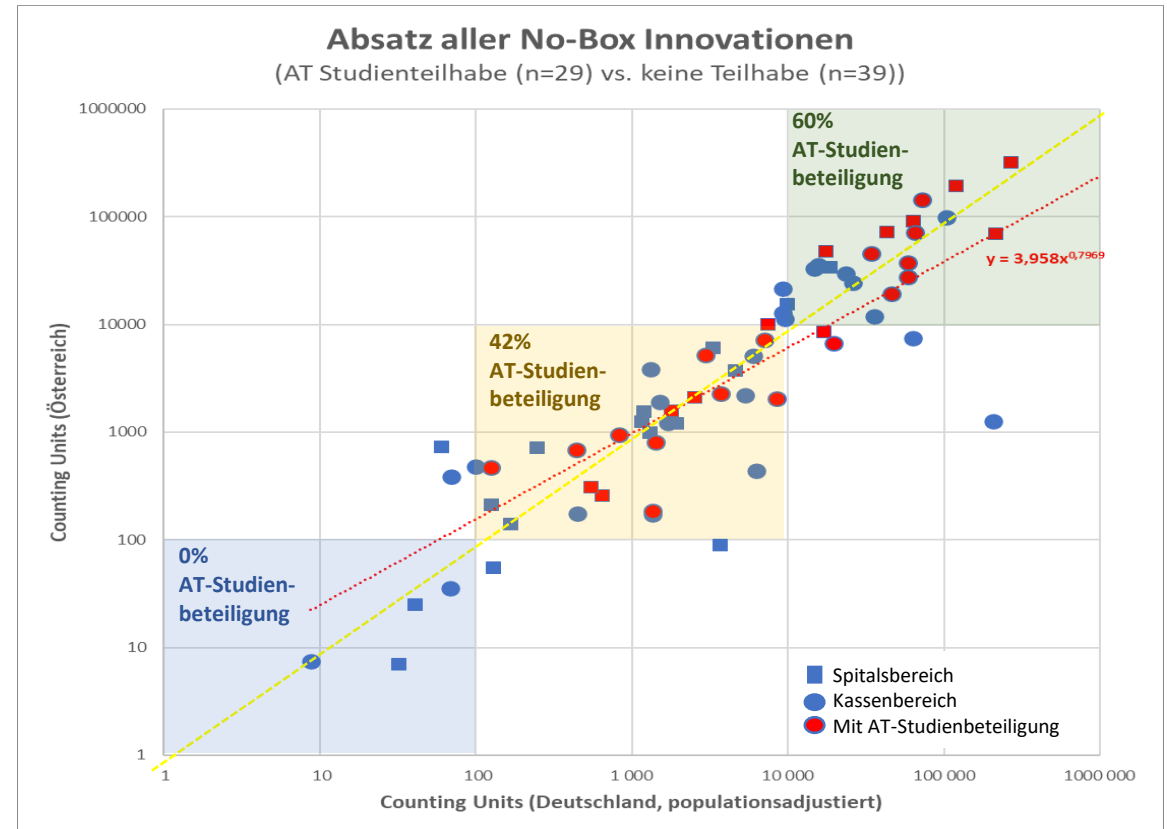
*Für die Analyse und Interpretation der Datenbasis sind ausschließlich die AutorInnen verantwortlich.

„From trial to patient“

Wie verhalten sich AT-Studienbeteiligung und Zugang zu Innovationen zueinander?



- Eine AT-Studienbeteiligung zum jeweiligen Wirkstoff korreliert positiv mit der Aufnahme in den EKO.
- Während 51% aller Innovationen in der grünen/gelben Box eine AT-Studienbeteiligung aufweisen, sind dies bei den NWVZ-Innovationen gerade noch 24%.



- Betrachtet man die Gesamtheit der No-Box-Innovationen, so korreliert eine AT-Studienbeteiligung ebenso positiv mit der Absatzmenge.
- In anderen Worten: je höher der Absatzbereich, desto höher der Anteil von Innovationen mit AT-Studienbeteiligung.

Fazit



- **Bei nur 4% der Innovationen** haben die PatientInnen **im Kassenbereich freien Zugang** (Grüne Box).
- Produkte im Spitalsbereich zeigen im Mittel **keine Absatzunterschiede** zwischen Deutschland und Österreich.
- Für **KrebspatientInnen** und deren Verordner außerhalb des Spitalsbereichs stellt die No-Box eine **administrative Hürde** dar – und ist dennoch oft der einzige Weg zur benötigten Therapie.
- Für **alle anderen PatientInnen** stellt die No-Box im Kassenbereich eine **administrative und eine Zugangshürde** dar – und ist dennoch oft der einzige Weg zur benötigten Therapie.
- Für **fast alle No-Box-Innovationen im Kassenbereich**, bei denen es Hinweise auf **Zugangshürden** in AT gibt, wurde seitens der vertriebsberechtigten Unternehmen bereits **vergeblich ein EKO-Aufnahmeantrag** gestellt.
- Eine AT-Studienbeteiligung ist sowohl für den **Zugang zu Innovationen** als auch den **Standort Österreich** bedeutend.



Diese Studie wurde unterstützt von

