

## Übersichten

Ophthalmologie 2025 · 122:969–975  
<https://doi.org/10.1007/s00347-025-02308-5>  
Eingegangen: 5. Mai 2025  
Überarbeitet: 3. Juli 2025  
Angenommen: 24. Juli 2025  
Online publiziert: 27. August 2025  
© The Author(s) 2025



# Gentherapeutische Behandlungsmethoden für seltene ophthalmologische Erkrankungen im Lichte der Verteilungsgerechtigkeit – eine Übersicht

Carsten Fluck

Juristische und Wirtschaftswissenschaftliche Fakultät, Juristischer Bereich – Lehrstuhl für Öffentliches Recht, Martin-Luther-Universität Halle-Wittenberg, Halle (Saale), Deutschland

## Zusammenfassung

Hintergrund: Mit der Zulassung von Neparvovec (Luxturna®, Novartis) im Jahr 2018, einem Gentherapeutikum zur Therapie von Retinitis Pigmentosa und Leberscher kongenitaler Amaurose bei RPE65-Mutationen, haben Gentherapeutika die ophthalmologische Praxis erreicht. Trotz ihres Potenzials werfen Gentherapien erhebliche ethische und ökonomische Fragen auf. Das gilt insbesondere bezüglich Verteilungsgerechtsaspekten, weil ein eingeschränkter Zugang im öffentlichen Gesundheitssystem bereits bestehende Ungleichheiten verstärken könnte. Ziel der Arbeit: Dieser Artikel untersucht die Verteilungsgerechtigkeit aus ethischer Perspektive mit Schwerpunkt auf der gerechten Allokation von Gesundheitsressourcen und der Finanzierbarkeit von Gentherapien bei seltenen Erkrankungen in der Ophthalmologie. Ziel ist es, Spannungsfelder zwischen ethischen Ansprüchen, wirtschaftlichen Interessen und der finanziellen Tragfähigkeit des Gesundheitssystems aufzuzeigen. Methoden: Im Rahmen dieser Arbeit wurde ausgewählte Fachliteratur zur Verteilung knapper Gesundheitsressourcen, potenziellen Modellen zur Finanzierung sowie Ansätzen zur Bewertung einer gerechten Preisgestaltung analysiert. Besonderes Augenmerk wurde dabei auf die spezifischen Herausforderungen gelegt, die sich im Bereich der Ophthalmologie ergeben. Ergebnisse: Pay-for-Performance-Modelle koppeln Kosten an die Wirksamkeit, adressieren jedoch nicht alle Herausforderungen. Zentralisierte Datenerhebung und Verhandlungsstrukturen erhöhen die Effizienz und stärken die Position.

## Schlüsselwörter

Verteilungsgerechtigkeit · Gentherapie · Seltene Erkrankungen · Pay-for-Performance · Orphan Drugs

## Affiliationen

BMBF-Projekt NeurOPTICS (Förderkennzeichen 01GP2212) – Optogenetik in der Neurowissenschaft – Ethische und rechtliche Aspekte – Lichtkünstlerische Umsetzung



QR-Code scannen & Beitrag online lesen

Gentherapien eröffnen vielversprechende Perspektiven für die Behandlung von Erkrankungen, die bisher als unheilbar galten. Mit der Zulassung von Voretigen Neparvovec (Luxturna®, Novartis) im Jahr 2018, einem Gentherapeutikum zur Behandlung von Retinitis pigmentosa und Leberscher kongenitaler Amaurose aufgrund von biallelischen RPE65-Muta-

tionen, fand diese innovative Technologie auch Eingang in die ophthalmologische Praxis. Trotz ihres enormen therapeutischen Potenzials werfen Gentherapien jedoch erhebliche ethische und ökonomische Fragen auf. Besonders die Herausforderungen der Verteilungsgerechtigkeit rücken in den Vordergrund. Durch ihre hohen Preise sind sie dazu imstande, den

Zugang zu diesen Therapien einschränken und bestehende Ungleichheiten im Gesundheitssystem weiter verstärken könnten. Dieser Beitrag gibt zunächst einen Überblick über die Herausforderungen der Verteilungsgerechtigkeit im Kontext von Gentherapien, das Dilemma der Ressourcenallokation unter Bedingungen begrenzter medizinischer Ressourcen sowie spezifische Fragestellungen im Bereich der Ophthalmologie. Anschließend erfolgt ein Einblick in 3 Ansätze zum Umgang mit hochpreisigen Arzneimitteln: Pay-for-Performance-Modelle, die Zentralisierung von Erhebungs- und Verhandlungsstrukturen sowie die Anwendung von Berechnungsmodellen zur Bestimmung eines angemessenen Preises. Der Fokus dieses Textes liegt dabei auf Gentherapeutika zur Behandlung seltener Erkrankungen.

### Probleme der Verteilungsgerechtigkeit bei neuartigen Gentherapeutika

Der Anteil hochpreisiger Medikamente<sup>1</sup> am Gesamtbruttoumsatz aller Arzneimittel hat sich im letzten Jahrzehnt mehr als verdoppelt. Während er 2010 noch 17 % aller Arzneimittelausgaben ausmachte, lag er 2020 bereits bei 43 %, während der Verordnungsanteil der Medikamente lediglich 1,1 % der Gesamtverordnungen ausmachte [2]. Gentherapeutika nehmen dabei eine besondere Stellung ein, da sie als teuerste Arzneimittel gelten [3]. Preise in Millionenhöhe stellen hierbei keine Ausnahme dar [4], für Aufsehen sorgte in jüngster Vergangenheit das Medikament Hemgenix® zur Therapie von Hämophilie B, welches mit Kosten von 3,5 Mio. US-Dollar pro Behandlung einhergeht [5]. Die Kosten für die Anwendung von Luxturna™ zur Behandlung von degenerativen Augenkrankheiten mit lebenslangem Behandlungseffekt für beide Augen werden zwischen 590.000 € [6], 600.000 € [7] und ca. 700.000 € [8] beziffert, eine genaue Feststellung ist aufgrund der Geheimhaltung in der Verhandlung auf dem europäischen Arzneimittelmarkt

nicht möglich. Durch den zunehmenden Anteil hochpreisiger Arzneimittel in der Neuzulassung aller Medikamente hat sich somit in den letzten Jahren der Fokus der Debatte von der Angemessenheit der Preise hin zu der grundsätzlichen Frage der Finanzierbarkeit verschoben [9].

Hinzu kommt, dass der Großteil gentherapeutischer Anwendungen auf die Behandlung seltener Erkrankungen abzielt, die in der Regel mit höheren Preisen einhergehen [2]. Da für schätzungsweise 95 % der über 7000 seltenen Erkrankungen keine zugelassene Behandlung zur Verfügung steht, kann in Zukunft mit zahlreichen innovativen Gentherapien gerechnet werden, was die Probleme der Finanzierbarkeit noch einmal verschärfen dürfte [10]. Die Gründe für die hohen Preise der Gentherapien sind multifaktoriell und nicht zu

vereinheitlichen. Oft werden in diesem Zusammenhang die hohen Forschungs- und Entwicklungskosten für neuartige Gentherapien in Verbindung mit einem durch die primäre Behandlung seltener Erkrankungen bedingten geringen Absatzmarkt genannt. Die Schätzungen der durchschnittlichen Forschungs- und Entwicklungskosten variieren in der Literatur, so werden Zahlen von 1,943 Mrd. US-Dollar [11] oder auch 2,87 Mrd. US-Dollar [12] angeführt. Hinzu kommt, dass die Entwicklung der Thermen mit hohen Risiken von Misserfolgen, also dem Nicht-Eintreten der erwarteten Wirksamkeit einhergeht [8, 13]. Dem gegenüber steht die Aussage, dass die Preise von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen, sog. *Orphan Drugs*, weniger mit den Kosten für Forschung und Entwicklung als mit der Seltenheit der Erkrankung und der

Hier steht eine Anzeige.



<sup>1</sup> Es existiert keine allgemeingültige Definition hochpreisiger Arzneimittel, die *Apotheker Zeitung* wendet den Begriff auf Medikamente an, deren Dosisbetrag bei über 1200 € liegt. Siehe hierzu: [1].

Zahlungsbereitschaft der Versicherer zusammenhängen [14]. Auch das Vorliegen exklusiver Patentlizenzen und der Markt-exklusivität von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen haben einen Einfluss auf die hohe Bepreisung der Gentherapeutika.

### Verteilung von Gesundheitsgütern

Für die Gesellschaft ergeben sich daher Fragen, wie die begrenzten finanziellen und medizinischen Ressourcen zu verteilen sind und ob es zu rechtfertigen ist, einer Person eine gentherapeutische Behandlung zu finanzieren, wenn davon beispielsweise 40 Dialysepatient:innen für ein Jahr versorgt oder 250 schwere Hüftgelenksoperationen durchgeführt werden könnten [15]. Angesichts der begrenzten finanziellen Ressourcen, der steigenden

Prävalenz seltener Erkrankungen und der prognostizierten exponentiellen Zunahme potenzieller Gentherapien für seltene Erkrankungen stehen Gesundheitssysteme vor der Herausforderung, die entstehenden Kosten zu tragen, ohne dabei die Versorgungsansprüche von Patient:innen mit häufigeren Erkrankungen zu kompromittieren [16]. Ungleichheiten beim Zugang zur Gesundheitsversorgung sind demnach in jedem Fall unvermeidlich. Dieses Dilemma der Priorisierung von Gesundheitsleistungen lässt sich der dritten Art der von Beauchamp und Childress aufgestellten Formen der Ressourcenallokation von Gesundheitsgütern einordnen [17]. In ihren Augen wäre es inkohärent, neue und teure Behandlungsmethoden nicht zu finanzieren, während ähnlich lebensrettende und kostspielige Behandlungen

wie Nierentransplantationen vom öffentlichen Gesundheitssystem übernommen werden. Angewandt auf den Komplex der gentherapeutischen Behandlungsmethoden ergibt sich hier ein ähnliches Bild. Es wäre nicht zu rechtfertigen, den Zugang zu Gentherapeutika zu unterschlagen, während andere teure Therapieformen, die sich bereits in der Anwendung befinden, weiterhin angeboten werden. Ein weiterer Faktor, der für die Erstattung kostspieliger Gentherapien spricht, ist die Investition in eine zukünftige Preissenkung. Sobald bei den Gentherapeutika zur Behandlung seltener Erkrankungen Patentrechte sowie die gewährten Marktexklusivitätsrechte verstrichen sind, eröffnet dies die Möglichkeit für den Markteintritt von Biosimilars, die die Behandlungskosten der Gentherapeutika senken [18]. So nehmen die neuartigen Gentherapeutika zwar temporär einen großen Anteil der Gesamtgesundheitsausgaben ein, durch Verstreichen der Patent- und Marktexklusivität wird dieser jedoch verringert [19].

### Spezifische Fragen der Verteilungsgerechtigkeit in der Ophthalmologie

Über die allgemeinen, für alle Gentherapeutika gleichsam geltenden Herausforderungen hinaus gibt es auch ethische Erwägungen, die sich im Besonderen in der ophthalmologischen Anwendung stellen. So ist beispielsweise im Kontext knapper Verfügbarkeit von gesundheitlichen Ressourcen fraglich, ob bei Patient:innen, bei denen ein Auge erfolgreich behandelt wurde, auch die Behandlung des zweiten Auges geboten ist, während anderen Patienten, die überhaupt nicht behandelt wurden, das Sehen auf einem Auge ermöglicht werden könnte [20].

Darüber hinaus haben erste Ergebnisse der RPE-65-Behandlung angedeutet, dass ein frühes Eingreifen bei Kindern mit höherem Behandlungserfolg einhergeht. Über die damit verbundenen ethischen Fragen der informierten Einwilligung minderjähriger Personen hinaus stellt sich die Frage, ob es im Sinne der Verteilungsgerechtigkeit angemessen wäre, einen Altersschwellenwert festzulegen, dessen Überschreitung die Chancen auf die Behandlung um ein

Hier steht eine Anzeige.



Vielfaches schmälern würde, da die die Schwelle unterschreitenden Personen bevorzugt würden. Zudem lässt sich auch die Frage aufwerfen, bis zu welchem Sehverlust die Behandlung erfolgen kann [20]. In jedem Fall ist es wichtig, die Zuteilungsregeln für eine neuartige Gentherapie transparent zu kommunizieren.

Auch gibt es einige genetisch bedingte Augenerkrankungen, die bei bestimmten Ethnien oder Geschlechtern häufiger auftreten, als bei anderen<sup>2</sup>. Für die institutionellen Prüfungsausschüsse ist es ein Warnsignal, wenn eine Gruppe im Vergleich zu einer anderen unverhältnismäßig behandelt wird, insbesondere wenn die sozialen Umstände der Patient:innen in einem Land im Vergleich zu einem anderen Land hinzukommen. So ergibt sich für die globale Arzneimittelforschung daraus potenziell die Problematik, dass genetische Erkrankungen, die primär in ökonomisch schwächeren Ländern verbreitet sind, möglicherweise vernachlässigt und daher nicht in ausreichendem Maße erforscht werden.

### Modelle zur Finanzierung von Gentherapeutika

Neben der Frage der Verteilung von knappen finanziellen Ressourcen steht zudem die Frage, wie die Kosten für die neuartigen Gentherapien einzugrenzen und in Anbetracht des bereits angesprochenen erwartbaren Anstiegs gentherapeutischer Behandlungsmethoden kalkulierbar gemacht werden können. Dies hat in den letzten Jahren einen Impuls für die wissenschaftliche und politische Beschäftigung mit potenziellen Finanzierungsmodellen ausgelöst. Ein Fokus liegt dabei darauf, die aufkommenden Kosten besser kalkulieren zu können und einen Weg zu finden, der das zur Verfügung stehende Gesundheitsbudget nicht überreizt.

### Pay-for-Performance und Value-Based-Pricing

Ein dabei immer wiederkehrender Ansatz basiert auf der Idee von *Pay-for-Performance*-Modellen, die die Vergütung von Gentherapien an den nachweisbaren Therapieerfolg knüpfen [4]. Es existieren unterschiedliche Ausgestaltungsvarianten für Pay-for-Performance-Modelle, die von einer gestaffelten Zahlung an den Hersteller bei bestätigter und anhaltender Wirksamkeit bis hin zur initialen Erstattung des Gesamtbetrags mit anschließender Rückzahlung bei unzureichender Therapieperformance reichen. Aus der Perspektive öffentlicher Gesundheitssysteme ist gerade bei Gentherapien die Variante der Ratenzahlungen zu präferieren, da sie eine schrittweise Finanzierung des Gesamtbetrags ermöglicht und dadurch vermeidet, dass durch eine einmalige hohe Zahlung ein unverhältnismäßig großer Teil des Gesundheitsbudgets beansprucht wird (Bundesdrucksache 19/23612). Entgegen dieser Präferenz schafft der 2011 in Deutschland eingeführte Morbiditäts-Risikostrukturausgleich (Morbi-RSA) für Krankenkassen Anreize, auf ein Rückzahlungssystem zu setzen, da dies erhebliche finanzielle Vorteile gegenüber Ratenzahlungen bietet [22]. Eine einmalige Zahlung erreicht den für die Bezugsschüssung des Morbi-RSA relevanten Schwellenwert, wodurch Krankenkassen einen Großteil der Arzneimittelkosten refinanzieren können. Im Gegensatz dazu könnte eine jährliche Zahlung den Schwellenwert nicht erreichen.

Pharmazeutische Hersteller haben in der Vergangenheit potenzielle Rückzahlungsverpflichtungen in ihre Preisstrategien eingepreist, was zu zusätzlichen Preisaufschlägen auf die bereits hohen Arzneimittelkosten führte [23]. Entgegen dieser Beobachtung steht die Einschätzung des Bundesamts für soziale Sicherung, bei der von einer in Summe größeren Forderung bei Ratenzahlungsverträgen aufgrund einer hinzukommenden Diskontierung ausgegangen wird [22].

Der Einsatz von Pay-for-Performance-Modellen erscheint insofern sinnvoll, als dass diese sicherstellen können, dass die finanziellen Mittel, die zur Deckung der hohen preislichen Anforderungen der Her-

steller aufgebracht werden, zielgerichtet eingesetzt werden und die therapeutische Wirksamkeit des Medikaments nachweislich gewährleistet ist. Darüber hinaus hat ein solches Finanzierungsmodell den Effekt, dass weiteres Wissen über die Wirksamkeit in Form einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung generiert wird [9]. Dieses Wissen ist von besonderer Relevanz, da die Wirksamkeit von Orphan Drugs vor ihrer Zulassung aufgrund der häufig begrenzten Proband:innenzahl in klinischen Studien nur eingeschränkt valide quantifiziert werden kann [16]. Dennoch bringen Pay-for-Performance Modelle auch eine Reihe von Schwierigkeiten mit sich. So bringt die zusätzliche Bereitstellung von Strukturen zur Erhebung und Auswertung von Wirksamkeitsdaten einen erheblichen Verwaltungsaufwand für die Versicherungen mit sich, der zu hohen Transaktionskosten führen könnte [16].

### Die Zentralisierung der Erhebungsstrukturen und Verhandlungsstrukturen

Eine Möglichkeit, diesen Verwaltungsaufwand einzuzgrenzen und die Transaktionskosten zu senken, besteht in der Bündelung dieser Erhebungsstrukturen. Ein Beispiel dieser Bündelung stellt das US-amerikanische Cell and Gene Therapy (CGT) Access-Programm dar.

Das US-amerikanische *Center for Medical Services* (CMS) startete 2024 das Cell and Gene Therapy (CGT) Access-Programm und rief Pharmaunternehmen sowie Bundesstaaten zur Beteiligung auf [24]. Ziel ist eine zentralisierte Preisverhandlung für alle teilnehmenden Bundesstaaten, eine standardisierte Zugangspolitik sowie die Übernahme administrativer Aufgaben zur Überwachung klinischer und finanzieller Ergebnisse. Die zentrale Struktur bietet Vorteile durch die kollektive Kaufkraft für Preisnachlässe und reduziert den Verwaltungsaufwand sowie anfallende Kosten [16, 23]. Das CMS hat sich für eine vollständige Zahlung zu Beginn der Behandlung entschieden, die mit Rückerstattungen im Falle des Nichteintretens der Wirksamkeit einhergeht [25]. Dabei ist geplant, die Sicherheits- und Wirksamkeitsdaten von Herstellern und den Medicaid-Programmen zu sammeln, empfohlen wird

<sup>2</sup> Als Beispiel lassen sich Studien zu Retinitis Pigmentosa bei aschkenasischen Juden anführen, bei denen wesentliche Unterschiede in den genetischen Ursachen der RP im Vergleich zu Kohorten anderer Populationen dargelegt wurden. Siehe hierzu: [21].

darüber hinaus, ein Patient:innenregister zu implementieren, um weitere Daten zu generieren [25]. Eine ähnliche zentrale Struktur der Datenerhebung und Verhandlung mit den Herstellern wäre auch für die EU von Vorteil. Durch die im Bereich der *Orphan Drugs* bestehende geringe Zahl an Partizipierenden könnte so eine größere Menge an Wirksamkeitsdaten erhoben werden, darüber hinaus ist die Bündelung des Bewertungsverfahrens eindeutig effizienter als die vielfache Wiederholung einer solchen Struktur auf nationaler Ebene [16, 26].

Sollte die Datenerhebung national erfolgen, wäre eine zentrale Struktur bei den Krankenkassen vorteilhaft, damit diese nicht einzeln zuständig sind. Eine mögliche Lösung ist das prospektive Kohortenmodell: Es sieht vor, dass der Erstattungsbetrag zunächst für 1 bis 3 Jahre auf Basis des GBA-Beschlusses gezahlt wird und anschließend jährlich anhand der Wirksamkeitsdaten einer beobachteten Kohorte neu festgelegt wird. Grundlage dafür sind zuvor vertraglich definierte Erfolgs- und Misserfolgskriterien. Der Vorteil des Modells liegt in seiner zukunftsgerichteten Ausgestaltung ohne nachträgliche Zahlungsflüsse. Die Datenerhebung kann auf Abrechnungs- und Registerdaten basieren und vom GKV-Spitzenverband durchgeführt werden. Auch Daten, die aus der anwendungsbegleitenden Datenerhebung resultieren, können für die regelmäßige Neubewertung herangezogen werden [27].

Durch Pay-for-Performance-Modelle wird das grundsätzliche Problem der Preisfindung nicht gelöst. Vielmehr kann hierdurch lediglich das finanzielle Risiko im Falle einer geringen Wirksamkeit der Therapie reduziert werden. Zudem kann dieses Modell, insbesondere bei Ratenzahlungen, zu einer Entlastung der akuten Gesamtgesundheitsausgaben beitragen. Tritt die Wirksamkeit der Therapie ein, ist jedoch der volle, zuvor verhandelte Preis durch die Leistungserbringer zu entrichten [4].

Eine Möglichkeit, die Gesamtgesundheitsausgaben für neuartige Gentherapien kalkulierbar zu machen, besteht beispielsweise in dem von Pogge und Hollis vorgeschlagenem Health Impact Fund (HIF), einem staatlich finanzierten Pay-for-Per-

formance-Fonds, der Zahlungen an Hersteller, basierend auf dem Gesamtnutzen ihrer Produkte, leistet [27]. Der HIF würde jährlich 6 Mrd. US-Dollar an registrierte Produkte proportional zu deren gemessenen gesundheitlichen Auswirkungen verteilen. Pharmaunternehmen, die ihre Produkte beim HIF registrieren, verpflichten sich, diese für einen festgelegten Zeitraum zu minimalen Produktions- und Vertriebskosten anzubieten [27]. Dieses Konzept könnte die Verteilungsgerechtigkeit fördern und die Spannung zwischen Patient:innenzugang und Forschungsanreizen entschärfen [16]. Es würde eine genauere Kalkulation der Kosten für innovative Arzneimittel ermöglichen und so der Sorge vor einer Überlastung der Gesundheitsressourcen entgegenwirken. Es bleibt allerdings ungewiss, ob die Hersteller an einem solchen Programm teilnehmen würden, da die vorherige Verpflichtung der Bereitstellung zu minimalen Preisen erhebliche Risiken für sie birgt.

Eine andere Möglichkeit, die Gesamtausgaben für die Leistungserbringer einzudämmen, wäre die genaue Prüfung der Angemessenheit des von Herstellerseite unterbreiteten Arzneimittelpreises.

## Die Frage nach dem „fairen“ Preis

Eine Überprüfung der Angemessenheit des Preises fällt aufgrund der Undurchsichtigkeit der vom Hersteller angegebenen Forschungs- und Entwicklungskosten sowie dem Aufkommen für Produktions- und Vertriebskosten schwer [28]. Während auf der einen Seite argumentiert wird, dass es wissenschaftlich unmöglich sei, Arzneimittelpreise nach Kriterien der Fairness und Gerechtigkeit zu bewerten [8], gibt es auf der anderen Seite bereits eine Reihe an Literatur, die Algorithmen oder Methoden zur Bestimmung eines fairen oder angemessenen Preises für innovative Arzneimittel vorschlägt [16]. So ist beispielsweise das Modell zur Berechnung eines fairen Preises der *Association Internationale de la Mutualité* (AIM) zu nennen, das anderen Modellen kostenbasierter Preisgestaltung ähnelt, jedoch durch die Hinzunahme des sog. Innovationsbonus die Innovationen, die über einen hohen gesundheitlichen Wert verfügen, belohnt [29]. Auch die geschätzte Patient:innenzahl hat einen

großen Einfluss auf den von dem Modell ermittelten gerechtfertigten Preis. Das Modell setzt einen maximalen Kostenbereich von 2,5 Mrd. US-Dollar für das Inverkehrbringen innovativer Arzneimittel fest, dessen Überschreitung einbezogen werden kann, wenn das Unternehmen Nachweise für seine Notwendigkeit erbringt. So kann verhindert werden, dass die oft für die Kosten angegebenen hohen Ausgaben für die Übernahme von Pharmaunternehmen, die sich teilweise auf über 10 Mrd. US-Dollar belaufen, nicht vollständig in die Preisgestaltung einfließen [30]. Ein Modell wie das der AIM trägt dazu bei, die Gesundheitsausgaben für neuartige Gentherapien auf einem angemessenen Niveau zu belassen, das sich primär an den für die Implementierung des Medikaments bereitzustellenden Kosten orientiert, jedoch auch den Wert von Innovation anerkennt.

Insgesamt empfiehlt es sich für die Seite der Leistungserbringer, die Berechnungen eines angemessenen Preises, wie es durch das Modell bereitgestellt wird, zu berücksichtigen.

## Fazit

Die Behandlung mit neuartigen Gentherapeutika für seltene Erkrankungen zeigt großes Potenzial, stellt jedoch eine erhebliche Herausforderung für die Allokation von Gesundheitsressourcen dar. Pay-for-Performance-Modelle ermöglichen eine Staffelung der Kosten und eine Kopplung der Preise an die Wirksamkeit, lösen jedoch nicht alle bestehenden Probleme. Zentralisierte Daten- und Verhandlungsstrukturen können die Effizienz steigern und die Verhandlungsposition gegenüber Herstellern stärken, während Fondsmodelle wie der HIF eine bessere Planbarkeit der Gesundheitsausgaben gewährleisten.

In der Ophthalmologie ergeben sich spezifische Fragen zur Priorisierung von Patient:innengruppen, zur Definition von Eingriffsschwellenwerten und zur Verteilung knapper Ressourcen, beispielsweise bei der Behandlung des zweiten Auges nach erfolgreicher Therapie des ersten.

Der Artikel wurde im Rahmen des vom Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) geförderten Forschungs-

## Abstract

projekts NeurOPTICS verfasst (Förderkennzeichen 01GP2212).

### Korrespondenzadresse

#### Carsten Fluck

Juristische und Wirtschaftswissenschaftliche Fakultät, Juristischer Bereich – Lehrstuhl für Öffentliches Recht, Martin-Luther-Universität Halle-Wittenberg  
Universitätsplatz 3–5, 06099 Halle (Saale), Deutschland  
carsten-trevor.fluck@jura.uni-halle.de

**Förderung.** Der Autor erklärt, dass er finanzielle Unterstützung für die Forschung und Veröffentlichung dieses Artikels erhalten hat. Diese Arbeit wurde im Rahmen des Forschungsprojekts NeurOPTICS vom Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) gefördert (Förderkennzeichen 01GP2212).

**Funding.** Open Access funding enabled and organized by Projekt DEAL.

### Einhaltung ethischer Richtlinien

**Interessenkonflikt.** C. Fluck gibt an, dass kein Interessenkonflikt besteht.

Für diesen Beitrag wurden vom Autor keine Studien an Menschen oder Tieren durchgeführt. Für die aufgeführten Studien gelten die jeweils dort angegebenen ethischen Richtlinien.

**Open Access.** Dieser Artikel wird unter der Creative Commons Namensnennung 4.0 International Lizenz veröffentlicht, welche die Nutzung, Vervielfältigung, Bearbeitung, Verbreitung und Wiedergabe in gleichem Medium und Format erlaubt, sofern Sie den/die ursprünglichen Autor(en) und die Quelle ordnungsgemäß nennen, einen Link zur Creative Commons Lizenz beifügen und angeben, ob Änderungen vorgenommen wurden. Die in diesem Artikel enthaltenen Bilder und sonstiges Drittmaterial unterliegen ebenfalls der genannten Creative Commons Lizenz, sofern sich aus der Abbildungslegende nichts anderes ergibt. Sofern das betreffende Material nicht unter der genannten Creative Commons Lizenz steht und die betreffende Handlung nicht nach gesetzlichen Vorschriften erlaubt ist, ist für die oben aufgeführten Weiterverwendungen des Materials die Einwilligung des jeweiligen Rechteinhabers einzuholen. Weitere Details zur Lizenz entnehmen Sie bitte der Lizenzinformation auf <http://creativecommons.org/licenses/by/4.0/deed.de>.

### Literatur

- Shukla V, Seoane-Vazquez E, Fawaz S, Brown L, Rodriguez-Monguio R (2019) The Landscape of Cellular and Gene Therapy Products: Authorization, Discontinuations, and Cost. *Hum Gene Ther Clin Dev* 30:102–113. <https://doi.org/10.1089/humc.2018.201>
- Schröder M, Telschow C (2021) Entwicklung der Arzneimittelkosten und -preise in der Versorgung. In: Schröder H, Thürmann P, Telschow C, Schröder M, Busse R (Hrsg) Arzneimittel-Kompass 2021: Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderung und Perspektiven. Springer Berlin Heidelberg, Berlin, Heidelberg, S 65–78
- Risse J, Krzemien M, Schnalke J, Heinemann T (2024) Towards ethical drug pricing: the European Orphan Genomic Therapies Fund. *Gene Ther* 31:353–357. <https://doi.org/10.1038/s41434-024-00452-2>
- Alex K, König J (2023) Dürfen Gentherapien so viel kosten? Ethische Bewertung der hohen Preise und des performanceorientierten Erstattungsmodells. In: Fehse B, Schickl H, Bartfeld S, Zenke M (Hrsg) Gen- und Zelltherapie 2023 – Forschung, klinische Anwendung und Gesellschaft: AG Gentechnologiebericht mit freundlicher Unterstützung der DG-GT und des GSCN. Springer, Berlin, Heidelberg, S 317–337
- Naddaf M (2022) Researchers welcome \$ 3.5-million haemophilia gene therapy—but questions remain. *Nature* 612:388–389. <https://doi.org/10.1038/d41586-022-04327-7>
- Kuchenbecker U, Konstanski M, Thamm K (2021) Outlook for advanced therapy medicinal product price negotiations in Germany. In: xcenda.com. <https://www.xcenda.com/insights/htaq-spring-2021-outlook-atmp-germany>. Zugegriffen: 24. Juni 2025
- Negt A (2021) Endlich heilbar: Zwei Jahre Luxturna. In: Apoth. Adhoc. <https://www.apotheke-adhoc.de/nachrichten/detail/pharmazie/endlich-heilbar-zwei-jahre-luxturna-behandlungserfolgmittels-gentherapie/>. Zugegriffen: 24. Juni 2025
- Steutel H (2021) Hochpreisige Arzneimittel: Mehr Perspektive als Herausforderung – Anmerkungen zu Preisen, Gewinnen und Fortschritten in der Arzneimitteltherapie. In: Schröder H, Thürmann P, Telschow C, Schröder M, Busse R (Hrsg) Arzneimittel-Kompass 2021: Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderung und Perspektiven. Springer Berlin Heidelberg, Berlin, Heidelberg, S 51–61
- Pogge T (2012) The Health Impact Fund: Enhancing Justice and Efficiency in Global Health. *J Hum Dev Capab* 13:537–559. <https://doi.org/10.1080/19452829.2012.703172>
- Beauchamp TL, Childress JF (2024) Prinzipien der Bioethik, 1. Aufl. Verlag Karl Alber, Baden-Baden

## Gene therapy methods for rare ophthalmological diseases in the light of distributional justice—An overview

**Background:** Gene therapies offer promising approaches for the treatment of genetic diseases. With the approval of Neparvovec (Luxturna®; Novartis) in 2018, a gene therapy for the treatment of retinitis pigmentosa and Leber's congenital amaurosis in RPE65 mutations, this innovation has also reached ophthalmology practice. Despite their potential, gene therapies raise significant ethical and economic issues, particularly with regard to distributive justice, which could limit access and increase inequalities. **Aim of the paper:** This article examines distributive justice from an ethical perspective, focusing on the just rationing of health resources and the affordability of gene therapies for rare diseases. The aim is to highlight areas of tension between ethical demands, economic interests and the financial sustainability of the healthcare system. **Methods:** Selected literature will be reviewed to shed light on the distribution of scarce healthcare resources, potential financing models and the evaluation of appropriate pricing. In addition, challenges specific to ophthalmology are addressed. **Results:** Pay-for-performance models link costs to effectiveness, but do not address all challenges. Centralized data collection and negotiation structures increase efficiency and strengthen the position vis-à-vis manufacturers, while fund models such as the HIF promote the predictability of healthcare expenditure. In ophthalmology, questions arise regarding the prioritization of patient groups, intervention thresholds and the distribution of scarce resources, for example when treating the second eye after successful treatment of the first.

### Keywords

Distributive justice · Gene therapy · Rare diseases · Pay-for-performance · Orphan drugs

18. Steiner S, Bickel B, Schulz M (2021) Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderungen und Perspektiven aus Sicht der Vertragsärzteschaft. In: Schröder H, Thürmann P, Telschow C, Schröder M, Busse R (Hrsg) Arzneimittel-Kompass 2021: Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderung und Perspektiven. Springer, Berlin, Heidelberg, S 191–208
19. Haustein R (2012) Saving money in the European healthcare systems with biosimilars. Generics Biosimilars Initiat J 1:120–126. <https://doi.org/10.5639/gabij.2012.0103-4.036>
20. Levin AV (2016) Ethical considerations in gene therapy. Ophthalmic Genet 37:249–251. <https://doi.org/10.3109/13816810.2015.1121501>
21. Kimchi A, Khateb S, Wen R, Guan Z, Obolensky A, Beryozkin A, Kurtzman S, Blumenfeld A, Pras E, Jacobson SG, Ben-Yosef T, Newman H, Sharon D, & Banin E (2018) Nonsyndromic Retinitis Pigmentosa in the Ashkenazi Jewish Population: Genetic and Clinical Aspects. Ophthalmology 125(5):725–734 <https://doi.org/10.1016/j.ophtha.2017.11.014>
22. Bundesamt für Soziale Sicherung (2022) Sondergutachten zu den Wirkungen von Pay-for-Performance-Verträgen vor dem Hintergrund des Risikopools. Bonn
23. Hollis A (2016) Sustainable Financing of Innovative Therapies: A Review of Approaches. PharmacoEconomics 34:971–980. <https://doi.org/10.1007/s40273-016-0416-x>
24. Cell and Gene Therapy (CGT) Access Model | CMS. <https://www.cms.gov/priorities/innovation/innovation-models/cgt>. Zugriffen: 18. Dez. 2024
25. Ballreich J, Odouard IC, Socal MP (2024) The CMS Sickle Cell Gene Therapy Access Model. JAMA Pediatr. <https://doi.org/10.1001/jamapediatrics.2024.5536>
26. Abdallah K, Claes K, Huys I, Follen L, Calis C, Simoens S (2022) Exploring alternative financing models and early access schemes for orphan drugs: a Belgian case study. Orphanet J Rare Dis 17:429. <https://doi.org/10.1186/s13023-022-02571-8>
27. Nickel A, Tebinka-Olbrich A, Haas A (2024) Effiziente Preisgestaltung bei Gentherapien. In: AerzteZeitung.de. <https://www.aerztezeitung.de/Kooperationen/Effiziente-Preisgestaltung-bei-Gentherapien-447970.html>. Zugriffen: 3. Juni 2025
28. Juth N, Henriksson M, Gustavsson E, Sandman L (2021) Should we accept a higher cost per health improvement for orphan drugs? A review and analysis of egalitarian arguments. bioethics 35:307–314. <https://doi.org/10.1111/bioe.12786>
29. van den Berg S, van der Wel V, de Visser SJ, Stunnenberg BC, Timmers L, van der Ree MH, Postema PG, Hollak CEM (2021) Cost-Based Price Calculation of Mexiletine for Nondystrophic Myotonia. Value Health 24:925–929. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2021.02.004>
30. Hendrickx A, Kanga-Tona T (2021) Ein transparentes Modell für einen fairen Preis für innovative Arzneimittel in Europa. In: Schröder H, Thürmann P, Telschow C, Schröder M, Busse R (Hrsg) Arzneimittel-Kompass 2021: Hochpreisige Arzneimittel – Herausforderung und Perspektiven. Springer, Berlin, Heidelberg, S 155–173
31. Sabatini MT, Chalmers M (2023) The Cost of Biotech Innovation: Exploring Research and Development Costs of Cell and Gene Therapies. Pharm Med 37:365–375. <https://doi.org/10.1007/s40290-023-00480-0>
32. sladmin (2016) Herausforderung Hochpreiser. In: Dtsch. Apoth. Ztg. <https://www.deutsche-apotheker-zeitung.de/daz-az/2016/az-6-2016/>
- herausforderung-hochpreiser. Zugriffen: 18. Jan. 2025
33. (2022) Gentherapie mit Nebenwirkung: Atrophie nach Behandlung mit Voretigen Neparvovec. In: EYEOFX. <https://www.eyefox.com/news/1209/gentherapie-mit-nebenwirkung-atrophie-nach-behandlung-mit-voretigen-neparvovec.html>. Zugriffen: 24. Juni 2025

**Hinweis des Verlags.** Der Verlag bleibt in Hinblick auf geografische Zuordnungen und Gebietsbezeichnungen in veröffentlichten Karten und Institutsadressen neutral.

## Wissenschaftsbetrug und zweifelhafte Publikationspraktiken

NydaI P, Chahdi M, Goetze P et al (2025) Wissenschaftsbetrug und zweifelhafte Publikationspraktiken. Med Klin Intensivmed Notfmed <https://doi.org/10.1007/s00063-025-01307-3>

Zweifelhafte Publikationspraktiken und Journale stellen eine zunehmende Herausforderung für die wissenschaftliche Integrität dar. Diese Publikationsmodelle werben mit schnellen Publikationszeiten und zeichnen sich durch fehlende Qualitätskontrollen wie Peer-Review-Verfahren, mangelnde Transparenz und hohe Gebühren aus, was die Verbreitung unzuverlässiger Forschungsergebnisse begünstigt. Insbesondere für weniger erfahrene Forschende besteht ein Risiko, unwissentlich in solchen Journalen zu publizieren oder deren Inhalte unkritisch zu nutzen. Dies kann nicht nur individuelle Karrierewege beeinträchtigen, sondern auch die Wissenschaftsgemeinschaft und die gesellschaftliche Wahrnehmung wissenschaftlicher Erkenntnisse negativ beeinflussen. Der Beitrag beschreibt die zentralen Merkmale von sog. **Predatory Journals** und analysiert deren potenzielle Konsequenzen für die Wissenschaft sowie für die Qualität und Verbreitung von Forschungsergebnissen. Gleichzeitig werden praxisnahe Orientierungshilfen wie **Checklisten und etablierte Ressourcen** vorgestellt, die Forschenden dabei helfen, unseriöse Publikationsangebote zu erkennen und zu vermeiden. Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler sollten in einer zunehmend digitalisierten, schnelllebigen und durch soziale Medien geprägten Welt der Nachrichten sich die Zeit nehmen zu schauen, wem sie ihre seriöse Arbeit und ihren guten Namen anvertrauen wollen. Vor dem Hintergrund des Diktums „publish or perish“ gilt es zu beherzigen: „take care in whom you trust“.

Der Artikel ist online verfügbar.  
Scannen Sie den QR-Code.

