



VEREINIGUNG PHARMAFIRMEN
IN DER SCHWEIZ
ASSOCIATION DES ENTREPRISES
PHARMACEUTIQUES EN SUISSE
Baarerstrasse 2, Postfach 4856, 6304 Zug

Erweitertes vips-Positionspapier zu einer Orphan- Drug-Strategie in der Schweiz

Handlungsfelder und Lösungsvorschläge

Inhaltsverzeichnis

1. Executive Summary	3
2. Vorbemerkungen	4
3. Ausgangslage, Probleme und Dringlichkeit von Lösungen	4
3.1 Medikamentöser Versorgungsnotstand für Patienten mit seltenen Krankheiten	4
3.1.1 Fehlende nationale Strategie seltene Krankheiten	4
3.1.2 Fragwürdige Kompetenzregelungen – willkürliche Vergütungsentscheide der Krankenversicherer	5
3.1.3 Einführung von Art. 71b KVV – „Vergütungsmacht“ bei den Krankenversicherern	5
3.1.4 Verzögerte und erschwerte SL-Zulassungen	6
3.1.5 Problematische Schnittstelle IV/KVG	6
3.2 Orphan Drugs in der Schweiz, in der EU und in den USA heute und in Zukunft	7
3.2.1 Swissmedic hat bisher 102 Orphan Drugs zugelassen ...	7
3.2.2 ... die Mehrheit sind jedoch nicht vom BAG auf der SL	7
3.2.3 Kosten für Orphan Drugs: Ausblick auf die weitere Entwicklung	7
3.2.4 Kosten für Orphan Drugs in der Schweiz heute und in Zukunft	8
4. Handlungsfelder	9
4.1 Aufnahmeverfahren in die SL	9
4.1.1 Problem	9
4.1.2 Lösungsvorschlag	9
4.2 Art. 71c KVV neu	10
4.2.1 Problem	10
4.2.2 Lösungsvorschlag	10
4.3 Schnittstelle IV/KVG	11
4.3.1 Problem	11
4.3.2 Lösungsvorschlag	11
4.4 Nationale Strategie seltene Krankheiten	11
4.4.1 Problem	11
4.4.2 Lösungsvorschlag	12
5. Finanzierung der Vergütung von Orphan Drugs	12

1. Executive Summary

Die Diagnose seltener Krankheiten und deren Behandlung mit Orphan Drugs¹ werden in der Schweiz durch gesetzliche Rahmenbedingungen zwar grundsätzlich geregelt. Tatsächlich herrscht aber heute für Patienten mit seltenen Krankheiten und damit auch für die behandelnden Ärzte eine verbreitete Rechtsunsicherheit und Rechtsungleichheit und mit Bezug auf die Versorgung mit Medikamenten sogar ein eigentlicher Versorgungsnotstand. Ursache dafür sind ein Bundesgerichtsentscheid (BGE)² zur Vergütung eines Orphan Drugs und dessen Interpretation durch die Krankenversicherer sowie der im März 2011 neu eingeführte Art. 71b Verordnung über die Krankenversicherung (KVV), der einen Paradigmenwechsel bewirkte: Die „Vergütungsmacht“ wurde damit neu den Krankenversicherern übertragen. Ihnen wurde die Pflicht und Kompetenz erteilt, Vergütungsleistungen autonom im Einzelfall nach freiem Ermessen festzulegen.

Bei seltenen Geburtsgebrechen ist eine ähnliche problematische Entwicklung zu beobachten. Auch hier besteht dringender Handlungsbedarf für die Regelung der Schnittstelle Invalidenversicherung (IV) / Krankenversicherungsgesetz (KVG).

Nach Aussagen des Vertreters eines marktführenden Krankenversicherers ist die Finanzierung von Orphan Drugs in der Schweiz gesichert und stellt auch in Zukunft kein finanzielles Problem dar.³ Neue Analysen der Marktforschungsinstitutes IMS Health zeigen, dass die gesamten Medikamentenkosten im Jahr 2015 auf gleichem Niveau sein werden wie 2010. Orphan Drugs machen heute rund 3% aller in der obligatorischen Grundversicherung vergüteten Medikamentenkosten aus. Dieser Anteil wird sich bis 2020 gemäss neusten Prognosen nicht wesentlich ändern.⁴

In der aktuellen Diskussion um die Vergütung von Orphan Drugs, deren Indikationen von Swissmedic zugelassen sind, wird dem grossen Nutzen dieser Medikamente für die betroffenen Patienten ein viel zu geringer Stellenwert beigemessen. Ziel dieses Positionspapieres ist es, die vordringlichen Handlungsfelder zur raschen Behebung des herrschenden medikamentösen Versorgungsnotstandes für Patienten mit seltenen Krankheiten in der Schweiz aufzuzeigen.

Gleichzeitig wird dargelegt, dass durch einfache und rasch umsetzbare Massnahmen Sofortlösungen für die betroffenen Patienten herbeigeführt werden können:

- **Aufnahme von durch Swissmedic registrierten Orphan Drugs für ihre Indikation in die Spezialitätenliste (SL) in einem vereinfachten Verfahren.**
- **Einführung eines neuen Art. 71c KVV zur Preisfestsetzung von Orphan Drugs ausserhalb der SL.**
- **Anpassung der Schnittstelle IV/KVG, um die Versorgungslücke von Erwachsenen mit Geburtsgebrechen zu schliessen.**

¹ Als Orphan Drugs sind im vorliegenden Positionspapier (bezogen auf die Schweiz) Medikamente bezeichnet, denen Swissmedic den Orphan-Drug-Status zuerkannt hat und von der Swissmedic zugelassen sind.

² 9C_334/2010, 23.11.2010

³ Input-Papier für Runden Tisch BAG von Pius Gyger, Helsana

⁴ Estimating the budget impact of orphan medicines in Europe: 2010 – 2020; Orphanet Journal of Rare Diseases 2001, 6:62

2. Vorbemerkungen

Bereits im März 2011 legte die vips Vereinigung Pharmafirmen in der Schweiz ein Positionspapier zu einer Orphan-Drug-Strategie in der Schweiz vor. In der Zwischenzeit wurden mehrere politische Vorstösse⁵ zur medizinischen Versorgung von Patienten mit seltenen Krankheiten eingereicht und die Thematik wurde von unterschiedlichen Interessengruppierungen aufgenommen und diskutiert. So lud das Bundesamt für Gesundheit (BAG) interessierte Kreise zu einem ersten Runden Tisch ein und die Interessengemeinschaft Seltene Krankheiten unter dem Vorsitz von Nationalrätin Ruth Humbel wurde gegründet und nahm ihre Arbeiten auf. Die medikamentöse Versorgung von Patienten mit seltenen Krankheiten hat sich seit Beginn 2011 verschlechtert, weil Krankenversicherer mit Bezug auf den Myozyme-Bundesgerichtsentscheid (BGE)⁶ und unter Anwendung des neuen Art. 71b KVV sogar auch bereits bestehende Kostengutsprachen für seltene Erkrankungen zurückgezogen haben.⁷ Die praktischen Erfahrungen nach dem BGE und der Einführung von Art. 71b KVV zeigen, dass unser Gesundheitssystem verschiedene Schwachstellen aufweist.

3. Ausgangslage, Probleme und Dringlichkeit von Lösungen

3.1 Medikamentöser Versorgungsnotstand für Patienten mit seltenen Krankheiten

Patienten mit seltenen Krankheiten in der Schweiz sind hinsichtlich der Vergütung von – häufig lebensnotwendigen – Orphan Drugs in der Grundversicherung deutlich schlechter gestellt als Patienten mit häufigen Krankheiten. Seit dem BGE hat sich die bereits prekäre Situation von Patienten mit seltenen Krankheiten in unserem Gesundheitssystem dramatisch verschlechtert. Die Patienten sind einer Rechtsungleichheit und einer Rechtsunsicherheit ausgesetzt. Dies vor allem deshalb, weil den Krankenversicherern mit dem neuen Art. 71b KVV nach neuem geltendem Recht die alleinige Entscheidungsbefugnis über die Vergütung von medizinischen Therapien, die nicht in die Spezialitätenliste (SL) aufgenommen worden sind, in der Grundversicherung zusteht.

Für die heute herrschende diskriminierende Situation, die völkerrechtlich, verfassungsmässig und gesellschaftlich als kritisch beurteilt werden muss, gibt es folgende Gründe:

3.1.1 Fehlende nationale Strategie seltene Krankheiten

In den letzten Jahren gelang es der Wissenschaft grosse Fortschritte zu erzielen, um seltene Krankheiten zu diagnostizieren, zum Beispiel durch die Einführung von präziseren Tests und neuer Messmethoden. Parallel dazu erforschten und entwickelten die Pharmaunternehmen entsprechende Medikamente.⁸ Auch wenn diese neuen Medikamente nicht immer eine Heilung erlauben, ermöglichen sie doch ein Fortschreiten der Krankheit zu verhindern, die Symptome zu lindern und damit die Lebensqualität und die Überlebensdauer der Patienten markant zu verbessern. Der Zugang zu neuen Therapien wird in den USA und Europa, wo vor Jahren bereits nationale Strategien für seltene Krankheiten implementiert worden sind, mit verschiedenen Massnahmen gefördert. So wurde unter anderem dem Umstand Rechnung getragen, dass Pharmaunternehmen in die Entwicklung von Orphan Drugs nur investieren können, wenn sie eine Perspektive haben, ihre Aufwendungen in der Folge angemessen zu amortisieren. *In der Schweiz dagegen fehlt bis zum heutigen Zeitpunkt eine solche Strategie. Diese fehlende Strategie hat denn auch dazu geführt, dass Ereignisse wie der BGE und die Einführung des Art. 71b KVV möglich wurden, was zu einer weiteren Verschlechterung der Lage der Patienten führte. Auch wurden keine Bemühungen zur geordneten Vergütung von Medikamenten für seltene Krankheiten in der obligatorischen Grundversicherung unternommen, obschon der Bundesrat die Interpellation von Nationalrat Meinrado Robbiani⁹ für eine erleich-*

⁵ u.a. Postulat 10.4055 NR Ruth Humbel, Postulat 11.3218 NR Ignazio Cassis, Interpellation 11.3306 SR Felix Gutzwiller, Frage 11.5157 NR Ruth Humbel, Postulat 11.4025 NR Gerhard Pfister

⁶ 9C_334/2010, 23.11.2010

⁷ „Rationierung der Behandlungen: Was bedeutet der Bundesgerichtsentscheid ‚Myozym‘“; Schweizerische Ärztezeitung, 2011; 92:45

⁸ Das Tufts Center for the Study of Drug Development der Tufts University, Boston, beziffert die Aufwendungen für die Erforschung und Entwicklung von neuen Medikamenten auf rund 1,3 Mia. US-Dollar (News, Jan. 5, 2011)

⁹ 08.4001 „KVG. Unbestrittene Regelungen wiederaufnehmen“

terte Aufnahme von Orphan Drugs in die Spezialitätenliste (SL) unterstützte.

3.1.2 Fragwürdige Kompetenzregelungen – willkürliche Vergütungsentscheide der Krankenversicherer

Am 23. November 2010 entschied das Bundesgericht, dass die Kosten für die weitere medikamentöse Behandlung einer Patientin, die an einer seltenen Krankheit leidet, nach initialer Kostenübernahme durch einen Krankenversicherer nicht mehr übernommen werden muss. Da das betreffende Medikament zum damaligen Zeitpunkt noch nicht in die SL aufgenommen worden war, übernahm der Versicherer die Therapiekosten von mehreren hunderttausend Franken pro Jahr während sechs Monaten gemäss SL-Handbuch. Danach lehnte der Versicherer die weitere Vergütung ab. Das Bundesgericht beurteilte in diesem speziellen Fall den therapeutischen Nutzen des Medikamentes als ungenügend, die Kosten als nicht angemessen und stützte den Entscheid des Versicherers, die Therapie in der Grundversicherung für diese Patientin nicht mehr vergüten zu wollen. Das Bundesgericht legte überdies für diesen Fall einen Schwellenwert von CHF 100'000 pro gerettetes Lebensjahr fest. Dazu gibt es weder eine gesetzliche Grundlage noch einen gesellschaftlichen Konsens. Dieser Schwellenwert lässt sich auch gesundheitsökonomisch nicht abstützen. Bundesrichter Ulrich Meyer, Präsident II. der sozialrechtlichen Abteilung, äusserte sich an einem Kongress in Basel wie folgt: „Der Bundesgerichtsentscheid (BGE) 136 V 395 (www.bger.admin.ch) hat an dieser gerichtlichen Zurückhaltung grundsätzlich nichts geändert. Doch setzt er ein wichtiges Signal: Mit den zunehmenden kostenintensiven Möglichkeiten der heutigen und zukünftigen Medizin stellt sich die Frage der Wirtschaftlichkeit neu. Ihre Beantwortung obliegt nicht in erster Linie den Gerichten sondern allen betroffenen Kreisen im Rahmen eines demokratischen Prozesses der Rechtssetzung und darauf gestützten Rechtsanwendung.“¹⁰ Gleich beurteilte dies ein marktführender Krankenversicherer, indem er in einer Publikation festhielt „Das Myozyme-Urteil ist kein Freibrief für Leistungskürzungen.“ Im Gegensatz dazu meinte santésuisse: „santésuisse geht davon aus, dass die Feststellung des Bundesgerichts (...) von allgemeiner Aussagekraft ist. Somit ist eine Weiterführung der Kostenübernahme (...) nicht mehr möglich.“¹¹ Die Folge war, dass verschiedene Krankenversicherer die weitere Vergütung von verschiedenen Medikamenten zur Behandlung von seltenen Krankheiten verweigerten oder nur mehr zu einer teilweisen Vergütung bereit waren.¹² Diese Situation herrscht bis heute an und bewirkt einen medikamentösen Versorgungsnotstand für Patienten mit seltenen Krankheiten in der Schweiz. Erwähnt sei dabei, dass die gleichen Medikamente von den sozialen Versicherungen im Ausland vergütet werden.

3.1.3 Einführung von Art. 71b KVV – „Vergütungsalleinmacht“ bei den Krankenversicherern

Weiter erschwerend für die Patienten mit seltenen Krankheiten wirkt sich aus, dass den Krankenversicherern gemäss Art. 71b KVV für die Vergütung von Orphan Drugs, die von der Swissmedic zugelassen aber (noch) nicht in die SL aufgenommen worden sind („Hors-SL“), die freiwillige oder die unvollständige Kostengutsprache zusteht. Zudem werden den Krankenversicherern für Orphan Drugs häufig auch selbst nach der Aufnahme eines Medikamentes in die SL vom BAG durch das Verfügen einer Limitatio weiterhin die Entscheidungskompetenz über die Kostengutsprache zugestanden. Zwar besteht für den Krankenversicherer im letzteren Fall die grundsätzliche Vergütungspflicht in der Grundversicherung, dennoch kann er mit dem Vertrauensarzt bei der Interpretation der vom BAG festgelegten Auflagen und Limitationen zum Schluss gelangen, dass eine Kostengutsprache nicht oder nur teilweise angezeigt sei. Die Auswirkungen dieser weitgehenden Kompetenzzuordnung an die Krankenversicherer erfahren die Ärzte mit ihren Patienten im praktischen Alltag: Unterschiedliche Entscheide in erster Instanz durch die Vertrauensärzte und in zweiter Instanz durch die Administration der Krankenversicherer für vergleichbare Fälle, nicht nur von Krankenversicherer zu Krankenversicherer, sondern auch in den verschiedenen Regionen der gleichen Krankenversicherer. Es sind auch Fälle dokumentiert, bei denen Krankenversicherer verschiedene Gutachten bei Vertrauensärzten einholten, bis sie von einem Vertrauensarzt die gewünschte ablehnende Empfehlung erhalten haben! Andere Fälle zeigen, dass zwar ein Vertrauensarzt eine Kostengutsprache empfahl, diese Empfehlung jedoch von der Administration der Krankenkasse abgelehnt worden ist. Die Auswirkungen dieser Regelungen für die Patienten mit seltenen Krankheiten sind: Rechtsungleichheit und

¹⁰ Abstract 1007

¹¹ Infosantésuisse 1/2011

¹² „Rationierung der Behandlungen: Was bedeutet der Bundesgerichtsentscheid ‚Myozyme‘“; Schweizerische Ärztezeitung, 2011; 92:45

Rechtsunsicherheit. Diese Fehlentwicklung wird auch vom Vertrauensarzt von santésuisse, Dr. med. Reto Guetg kritisiert: „Die gleiche ‚Behandlung‘ vor dem KVG muss gewahrt bleiben.“¹³

Exkurs: Die vips ist der Auffassung, dass die Krankenversicherer mit der heutigen Handhabung von Art. 71 a und b KVV Art. 13 KVG verletzen. Dieser Artikel hält unter Abs. 2 Ziff. a fest: „Die Versicherer müssen insbesondere die soziale Krankenversicherung nach dem Grundsatz der Gegenseitigkeit durchführen und die Gleichbehandlung der Versicherten gewährleisten (...). Die heutige Anwendungspraxis von Art. 71 a und b KVV entspricht dieser gesetzlichen Bestimmung nicht. Deshalb erachtet es die vips als zwingend, dass Art. 71 so revidiert wird, dass die Krankenversicherer bei dessen Anwendung gesetzeskonform handeln.

3.1.4 Verzögerte und erschwerte SL-Zulassungen

In der Praxis erweist es sich vor allem nach dem einschneidenden Bundesgerichtsentscheid für die Patienten mit seltenen Krankheiten erschwerend, dass die Aufnahme von Orphan Drugs in die SL erheblich erschwert worden ist. Offenbar wird in der Eidgenössischen Arzneimittelkommission (EAK) wie auch partiell beim BAG fälschlicherweise angenommen, dass der im BGE für diesen Fall genannte Schwellenwert nun allgemeine Richtschnur für die Vergütung von Medikamenten sei. Dies hat die Aufnahme von Orphan Drugs in die SL im Gegensatz zum Ausland nicht erleichtert, sondern erheblich erschwert. *Zudem wird ein positiver Zulassungsentscheid des BAG häufig auch von strengen Limitatio-Auflagen, zeitlich befristeten Aufnahmen, der Implementierung von kostspieligen Registern und Preisabschlägen abhängig gemacht.* Es ist nicht nachvollziehbar, weshalb ein Orphan Drug in der Schweiz unter deutlich schlechteren Bedingungen als in den Vergleichsländern von der Grundversicherung vergütet werden soll bzw. dass die Schweiz damit indirekt den Anspruch auf Subventionierung der medizinischen Versorgung durch das Ausland stellt. Dies irritiert nicht zuletzt vor dem Hintergrund, dass die OECD kürzlich festgestellt hat, dass die Schweiz weiterhin eines der besten Gesundheitssysteme hat.¹⁴ Gerade in einem solchen System können und dürfen Patienten mit seltenen Krankheiten nicht benachteiligt werden.

3.1.5 Problematische Schnittstelle IV/KVG

Eine weitere Hürde ist die Vergütung von Medikamenten für anerkannte Geburtsgebrechen gemäss Geburtsgebrechenliste (GgV). Medikamente zur Behandlung von Geburtsgebrechen sollen grundsätzlich vom BAG auf die GGML (Geburtsgebrechenmedikamentenliste) aufgenommen werden. Für Medikamente auf der GGML aufgenommen werden keine Preise angegeben, im Gegensatz zur SL.

Bis heute hat das BAG Orphan Drugs für Geburtsgebrechen nicht konsequent auf die SL und auf die GGML aufgenommen, obwohl kein anderes Medikament zur Verfügung stand und immer noch steht. So wird den *Patienten die Vergütung der möglichen Therapie mit einem Orphan Drug vorenthalten oder der Zugang dazu erschwert.*

Zudem ist die Vergütung von Orphan Drugs für anerkannte Geburtsgebrechen durch die obligatorische Krankenversicherung nicht immer klar geregelt. Die Vergütung von Orphan Drugs für Geburtsgebrechen gemäss GgV, die nicht auf der GGML gelistet sind und für die es kein anderes Medikament zur Behandlung gibt, unterliegen den Einzelentscheiden der regionalen IV-Stellen. Hier ist eine Ungleichbehandlung von Patienten festzustellen.

Für Orphan Drugs, die auf der GGML figurieren, jedoch vom BAG nicht auf die SL aufgenommen wurden, besteht für die IV eine Verpflichtung zur Übernahme der Therapiekosten bis zum 20. Geburtstag des Patienten. Überschreitet ein Patient das 20. Lebensjahr, hat für die Vergütung der Medikamente nicht mehr die IV aufzukommen, sondern sein Krankenversicherer.¹⁵ Damit liegt der Entscheid über die Vergütung gemäss Art. 71b KVV beim Krankenversicherer. Die Folge dieser heute bestehenden Regelung: *Ab dem 20. Lebensjahr entsteht für den Patienten mit einem Geburtsgebrechen, das ein Orphan Drug zur Behandlung notwendig macht und das auf der GGML gelistet ist, durch die individuellen Entscheide der*

¹³ „Zulassung und Rückerstattung von Orphan Drugs in der Schweiz; Sicht des Vertrauensarztes“; Reto Guetg, Vertrauensarzt santésuisse

¹⁴ OECD Reviews of Health Systems: Switzerland 2011

¹⁵ Art. 35 KVG

3.2 Orphan Drugs in der Schweiz, in der EU und in den USA heute und in Zukunft

3.2.1 Swissmedic hat bisher 102 Orphan Drugs zugelassen ...

Die Zulassung von Orphan Drugs durch Swissmedic wird in der Verordnung des Schweizerischen Heilmittelinstituts Swissmedic über die vereinfachte Zulassung von Arzneimitteln und die Zulassung von Arzneimitteln im Meldeverfahren (VAZV) geregelt. Voraussetzungen für die Anerkennung des Status als wichtiges Arzneimittel für seltene Krankheiten sind gemäss Art. 4 VAZV: „Den Status als wichtiges Arzneimittel für seltene Krankheiten (Orphan Drug) erhält ein Humanarzneimittel auf Gesuch hin, wenn die Gesuchstellerin nachweist, dass es der Erkennung, Verhütung oder Behandlung einer lebensbedrohenden oder chronisch invalidisierenden Erkrankung dient, von der zum Zeitpunkt der Gesuchseinreichung *höchstens fünf von zehntausend Personen in der Schweiz* betroffen sind oder ihm von einem anderen Land mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle im Sinne von Artikel 13 HMG der Status als wichtiges Arzneimittel für seltene Krankheiten zuerkannt wurde.“

Zurzeit sind 106 Orphan Drugs zugelassen. Unter Abzug verschiedener Doppelnennungen aufgrund unterschiedlicher galenischer Formen sind es tatsächlich jedoch 102 Orphan Drugs.¹⁶

3.2.2 ... die Mehrheit sind jedoch nicht auf der SL

Von den 102 von Swissmedic zugelassenen Orphan Drugs wurden bisher 38 auf die SL aufgenommen. Diese werden grundsätzlich von der Grundversicherung vergütet. Fünf andere Orphan Drugs werden vom Schweizerischen Verband für Gemeinschaftsaufgaben der Krankenversicherer (SVK) im Rahmen von Tarifverträgen für besondere Leistungen vergütet. Für die verbleibenden 59 Orphan Drugs muss gegenwärtig eine individuelle Regelung mit den Krankenkassen gemäss Art. 71b KVV gefunden werden. Dabei kommt es zu völlig unterschiedlichen Vergütungsentscheidungen. So lehnen einige Krankenkassen eine Vergütung ab, andere schlagen trotz positiver Empfehlung der Vertrauensärzte zum Beispiel nur eine Vergütung von 50% des Listenpreises vor. Das führt zu Ungleichbehandlungen und Diskriminierungen von Patienten, denen damit eine Therapiemöglichkeit, oft die einzig mögliche, versagt wird.

3.2.3 Kosten für Orphan Drugs: Ausblick auf die weitere Entwicklung

Die Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs durch Pharmafirmen wurde durch nationale Richtlinien in den USA (1983) und der EU (1999) massgeblich gefördert. Zuvor wurden praktisch keine Medikamente zur Behandlung von seltenen Krankheiten entwickelt. Um in den Genuss der Vorteile des EU-Förderungsprogramms zu kommen, müssen Pharmaunternehmen – vor der eigentlichen Registrierung – für ein neues Medikament ein Gesuch um Anerkennung als Medikament für eine seltene Krankheit einreichen.¹⁷ Somit können Marktzulassungen von Medikamenten für seltene Krankheiten frühzeitig geplant werden, im Gegensatz zu den anderen Medikamenten.

EURORDIS¹⁸, eine nicht-staatliche Patienten-Allianz, die mehr als 479 Patientenorganisationen in mehr als 45 Ländern vertritt, berechnete auf Grund der verfügbaren Daten aus den USA und der EU die entstehenden Kosten künftiger Marktzulassungen von Medikamenten für seltene Krankheiten. Als Grundlage dafür dienten die USA-Zahlen für die bereits sehr lange Periode 1983 bis Dezember 2008 und die EU-Zahlen für die Zeitdauer 1999 bis Dezember 2008.

In den USA wurde zwischen 1983 und 2008 bereinigt 1'940 Medikamenten eine Anerkennung als Medikament für seltene Krankheiten zugesprochen. Davon erhielten in der Folge 330 Medikamente die Markt-

¹⁶ Verzeichnis der Humanarzneimittel mit dem Status Orphan Drug (Stand:1.9.2011)

(www.swissmedic.ch/daten/00081/index.html?lang=de)

¹⁷ Voraussetzung für die Anerkennung sind, dass sich das Medikament für die Diagnose, Prävention und Behandlung von seltenen Krankheiten eignet, dass ohne Förderung durch die EU die Investitionen für Forschung und Entwicklung nicht ausreichend amortisiert werden könnten und dass es keine befriedigende Alternative auf dem EU-Markt gibt, und das Produkt einen signifikanten Nutzen erbringt.

¹⁸ www.eurordis.org

zulassung, durchschnittlich also pro Jahr rund 13 Medikamente.

In der EU wurde zwischen 1999 und Dezember 2008 577 Medikamenten die Anerkennung erteilt, 57 Medikamente erhielten die Marktzulassung, durchschnittlich pro Jahr also nur rund 7 Medikamente.

Auf diesen Grundlagen rechnete EURORDIS die Zahl für künftige Marktzulassungen von Medikamenten für seltene Krankheiten in Europa für die Jahre 2009 bis 2019 hoch. Sie kommt dabei auf rund 10 Medikamente pro Jahr.

In einer neueren Übersicht erhielten von 2000 bis 2010 in der EU auf 1'235 Gesuche 850 Medikamente zur Behandlung von seltenen Krankheiten die Anerkennung und 63 die Marktzulassung. Das ergibt eine durchschnittliche Zulassung von jährlich nicht einmal 6 Medikamenten.¹⁹

3.2.4 Kosten für Orphan Drugs in der Schweiz heute und in Zukunft

Die Helsana, grösster Krankenversicherer in der Schweiz, berechnete die Kosten für Orphan Drugs auf 2,5% bis maximal 3% der Medikamentenkosten in der Grundversicherung.²⁰ Gemäss santésuisse beliefen sich die Medikamentenkosten in der Grundversicherung für das Jahr 2009 auf CHF 5,4 Mia. (Publikumspreis, d.h. Herstellerpreis plus Vertriebsmargen). Rechnet man die Berechnungen von Helsana auf den ganzen Schweizer Markt hoch, ergeben sich damit in der obligatorischen Grundversicherung jährlich Kosten für Orphan Drugs von CHF 135 Mio. bis maximal CHF 165 Mio.²¹ *Sollte die heute geltenden Regulierungen und Praxen der Krankenkassen im Interesse und zum Schutz der Patienten mit seltenen Krankheiten gemäss den Vorschlägen der vips verbessert werden, dürften die Aufwendungen moderat ansteigen.* Einen Hinweis auf die mögliche Entwicklung gibt eine soeben publizierte Studie für Europa.²² Sie kommt mit Blick auf die weitere Entwicklung im Bereich von Orphan Drugs bis 2020 zum Schluss, dass der Anteil der Kosten für Orphan Drugs 4% bis max. 5% der gesamten Medikamentenkosten nicht überschreiten werden. Die Autoren schreiben dazu: „Fears of unsustainable cost escalation should not be used as rationale to review the orphan Drug regulation.“ *Trotzdem werden die Medikamentenkosten in den nächsten Jahren gemäss einer Prognose von IMS in der Schweiz nicht zunehmen. Danach werden die Medikamentenkosten im Jahr 2015 sich auf gleichem Niveau wie 2010 bewegen. Die durchschnittlichen Medikamentenausgaben pro Einwohner werden sogar von durchschnittlich 613.75 im Jahr 2010 auf 598.89 im Jahr 2015 sinken (Basis: Herstellerpreis).*

Bei Kostenrechnungen für Orphan Drugs ist zudem Folgendes zu beachten. Wir sprechen von einer seltenen Krankheit, wenn 5 oder weniger Patienten auf 10'000 Einwohner betroffen sind. Die Zahl mit diesen Medikamenten allenfalls behandelbarer Patienten ist jedoch weitaus geringer. Denn diese Medikamente sind nicht für alle Patienten gleichermaßen anwendbar. Gemäss EURORDIS liegt für die 57 bisher in der EU zugelassenen Medikamente die Zahl der behandelten Patienten nur bei einem Drittel bei mehr als 1/10'000, für ein anderes Drittel beträgt die Häufigkeit nur 1/100'000. Weitere 15% der verfügbaren Therapien werden sogar in weniger als 1/100'000 Einwohner eingesetzt. EURORDIS prüfte für das Jahr 2007 auch das Verhältnis zwischen den jährlichen Kosten einer Behandlung und der Prävalenz der betreffenden Krankheit für 19 Medikamente für seltene Krankheiten. Dabei kamen die Studienleiter zum Schluss: Je seltener eine Krankheit ist, desto weniger belasten die Medikamente die Gesundheitskosten.

Übertragen auf die Schweiz mit einer Einwohnerzahl von rund 8 Millionen heisst das, dass ein Drittel der verfügbaren Orphan Drugs für rund 800 Patienten eingesetzt werden kann, ein anderes Drittel für rund 80 Patienten. Für 15% der verfügbaren Therapien kommen weniger als 80 Patienten in Frage. Diese Zahlen zeigen den tatsächlich beschränkten Einsatz solcher Therapien.

Bei der Kostenbetrachtung muss zudem berücksichtigt werden, dass bei diesen Patienten trotzdem Gesundheitskosten anfallen, auch wenn keine spezifischen Medikamente zur Verfügung stehen. Die Ge-

¹⁹ Nature Reviews Drug Discovery, Volume 10, May 2011, 341-349

²⁰ Input-Papier für Runden Tisch BAG von Pius Gyger, Helsana

²¹ Pius Gyger von den Helsana hielt denn auch in einem Schreiben an den Präsidenten der Schweizerischen Niemann-Pick Vereinigung, Christoph Poincili, fest: „Eine wesentliche Feststellung ist auch, dass KEIN eigentliches Problem der Finanzierung der Behandlung von seltenen Krankheiten besteht.“

²² Estimating the budget impact of orphan medicines in Europe: 2010 – 2020; Orphanet Journal of Rare Diseases 2011, 6:62

samtkosten für die Behandlung der zunehmenden Verschlechterung des Gesundheitszustandes von Patienten mit seltenen Krankheiten ohne spezifische Medikamente sind bereits hoch. Hinzu kommen weitere ins Gewicht fallende Gesundheits- und indirekte soziale und volkswirtschaftliche Kosten, welche bei Verfügbarkeit von spezifischen Medikamenten ganz oder teilweise vermieden werden können. In diesem Zusammenhang hielt Prof. Dr. Gabriela Riemer-Kafka fest: „Die Wirtschaftlichkeitsüberlegungen sollen nicht auf die Grenzen des einzelnen Sozialversicherungszweigs begrenzt sein, sondern zweigübergreifend auch andere mögliche sowie zukünftige Kostenfaktoren berücksichtigen.“²³

4. Handlungsfelder

4.1 Aufnahmeverfahren in die SL

4.1.1 Problem

In der Praxis ist nach dem Bundesgerichtsentscheid die Aufnahme in die SL durch EAK/BAG erschwert. Hinzu kommt, dass die EAK/das BAG für die Zulassung von Orphan Drugs die Wirtschaftlichkeitsbeurteilung schweremotig auf die rein ökonomische Betrachtungsweise abstützt, obschon völkerrechtliche und verfassungsrechtliche Minimalansprüche dadurch nicht beschränkt werden dürfen. Hinzu kommt, dass das BAG für einen positiven Vergütungsentscheid strenge Auflagen fordert, welche die Rechtsunsicherheit und Rechtsungleichheit für Patienten mit seltenen Krankheiten zusätzlich fördert.

4.1.2 Lösungsvorschlag

Eine weitgehende Rechtssicherheit und Rechtsgleichheit für Patienten mit seltenen Krankheiten kann hergestellt werden, wenn Orphan Drugs, welche von Swissmedic zugelassen worden sind, für ihre Indikation in einem vereinfachten Verfahren in die SL aufgenommen werden. Grundsätzlich soll bei der Beurteilung eines Aufnahmegesuchs die herrschende Gesetzgebung gelten, mit folgenden Einschränkungen: Auf einen Vergleich der Wirksamkeit im Verhältnis zu anderen Arzneimitteln gleicher Indikation oder ähnlicher Wirkungsweise gemäss Art. 34 KLV wird verzichtet, wenn es für das betreffende Molekül kein *identisches* Molekül gibt. Der zwangsläufig beschränkten Datenlage für ein Orphan Drug muss Rechnung getragen werden; so darf die aufgrund der kleinen Patientenzahl beschränkte Datenlage – die für eine Swissmedic-Zulassung ausreichte – nicht zu einer Ablehnung einer Aufnahme in die SL oder zu einer eingeschränkten Zulassung (Limitatio) führen. Weiter dürfen keine Limitationen verfügt werden, welche mit den Swissmedic zugelassenen Indikationen nicht in Einklang stehen. Schliesslich soll auf eine zusätzliche Kostengutsprache durch die Krankenversicherer verzichtet werden. Nur so kann verhindert werden, dass „die eigentlichen Kostenübernahmeentscheide (...) auf den Einzelfall verschoben – und mangels sauberer Regulierung – dezentral entschieden und ‚verhandelt werden‘.“²⁴

Die Vorteile dieser Lösung sind:

- für Patienten mit seltenen Krankheiten wird Rechtssicherheit und Rechtsgleichheit geschaffen,
- der nutzenorientierte Einsatz von Orphan Drugs kann vom BAG einheitlich sichergestellt werden,
- die Krankenversicherer werden von aufwändigen Einzelfall-Prüfungen und –Entscheidungen entlastet,
- es ist keine gesetzliche Anpassung erforderlich,
- sie kann sofort umgesetzt werden.

Mit diesem Lösungsvorschlag wird auch die Forderung von NR Gerhard Pfister nach Bildung einer Kommission für „Härtefälle Gesundheit“ obsolet, die entscheiden soll, ob eine Krankenkasse eine Leistung ablehnen kann oder nicht.²⁵

²³ 12. Zentrumstag Luzern; Wirtschaftlichkeitsüberlegungen in der Sozialversicherung

²⁴ Pius Gyger, Helsana, in einem Schreiben an den Präsidenten der Schweizerischen Niemann-Pick Vereinigung, Christoph Poincili.

²⁵ Postulat 11.4025 Härtefallkommission Gesundheit

4.2 Art. 71c KVV neu

4.2.1 Problem

In Art. 71 KVV „Übernahme der Kosten eines nicht in die Spezialitätenliste aufgenommenen Arzneimittels“ wird unter Abs. 4 geregelt: „Die zu übernehmenden Kosten müssen in einem angemessenen Verhältnis zum therapeutischen Nutzen stehen. Der Versicherer bestimmt die Höhe der Vergütung.“

Damit wird den Krankenversicherern unter dem stark interpretationsfähigen Begriff „angemessenen Verhältnis zum therapeutischen Nutzen“ die Verantwortung auch für die Vergütung einer Orphan-Drug-Therapie zugeordnet. Die Folgen dieser Regelung mussten die Patienten mit seltenen Krankheiten in den letzten Monaten erfahren: Der eine Versicherer beurteilt das Verhältnis als angemessen, der andere nicht. In verschiedenen geografischen Regionen kommt ein Krankenversicherer zu unterschiedlichen Entscheidungen. Der eine Krankenversicherer verweigert die Vergütung, der andere fordert vom Patienten eine Kostenbeteiligung von 50%. Völkerrechtlich und verfassungsrechtlich ist eine solche Willkür zu hinterfragen, ethisch ist sie abzulehnen.

4.2.2 Lösungsvorschlag

Die vips schlägt vor, dass für Orphan Drug ausserhalb der heute geltenden Art. 71a und b KVV eine separate Regelung in der KVV festgelegt wird, mit welcher sichergestellt werden kann, dass die Vergütung von Orphan Drugs ausserhalb der SL nach einheitlichen Kriterien für alle Patienten erfolgt.

Sinngemäss soll in diesem neuen Art. 71c KVV geregelt werden:

Übernahme der Kosten eines nicht in die Spezialitätenliste aufgenommen Orphan Drugs.

- 1 Die obligatorische Krankenpflegeversicherung übernimmt die Kosten eines Medikamentes, dem von Swissmedic der Orphan-Drug-Status verliehen und das vom Institut zugelassen ist, für eine Anwendung innerhalb der Fachinformation.
- 2 Sie übernimmt die Kosten des Orphan Drug nur auf besondere Gutsprache des Versicherers nach vorgängiger Konsultation des Vertrauensarztes oder der Vertrauensärztin.
- 3 Die zu übernehmenden Kosten werden wie folgt geregelt:
 - a) Durch den Auslandpreisvergleich (gemäss Art. 34 und 35 KLV)
 - b) Kann für ein Orphan Drug kein Auslandpreisvergleich (gemäss Art 34 und 35 KLV) durchgeführt werden, wird die Höhe der Vergütung durch den Hersteller festgelegt. Der Hersteller liefert dem Versicherer danach alle 12 Monate einen aktualisierten Auslandpreisvergleich (gemäss Art. 34 und 35 KLV). Die allenfalls daraus entstandenen Mehreinnahmen des Herstellers werden dem Versicherer zurückvergütet.

Die Vorteile dieser Lösung sind:

- für alle Patienten mit seltenen Krankheiten wird Rechtssicherheit und Rechtsgleichheit geschaffen,
- die Preisfestsetzung für die indikationsgerechte Anwendung eines Orphan Drugs erfolgt auf Prinzipien, welche der herrschenden Gesetzgebung entsprechen,
- die Krankenversicherer werden von aufwändigen Einzelfall-Prüfungen und –Entscheidungen entlastet,
- die Vertrauensärzte werden bei der Beratung einer Krankenversicherung entlastet, auch Aspekte der Wirtschaftlichkeit des betreffenden Medikaments mit zu berücksichtigen,
- die Krankversicherer werden wieder in die Lage versetzt, ihre Kostengutsprachen in Übereinstimmung mit Art. 13 KVG („Gleichbehandlung der Versicherten“) zu erteilen.

Mit diesem Lösungsvorschlag wird auch die Forderung von NR Gerhard Pfister nach Bildung einer Kommission für „Härtefälle Gesundheit“ obsolet, die entscheiden soll, ob eine Krankenkasse eine Leistung

ablehnen kann oder nicht.²⁶

4.3 Schnittstelle IV/KVG

4.3.1 Problem

Geburtsgebrechenmedikamente, welche den betroffenen Patienten wegen ihres Geburtsgebrechens bis zu ihrem 20. Altersjahr durch die IV vergütet worden sind und welche diese ab diesem Zeitpunkt weiter benötigen, sind aus der obligatorischen Krankenpflegeversicherung zu bezahlen (Art. 27 und Art. 35 KVG, Art. 3 Abs. 2 Bundesgesetz über den Allgemeinen Teil des Sozialversicherungsrechts ATSG). Diese Medikamente werden nach heute geltender Praxis vom BAG auf die Geburtsgebrechenmedikamentenliste (GGML) aufgenommen, jedoch ohne Preisfestsetzung. Das BAG nimmt Medikamente, die auf der GGML figurieren, nicht auf die SL auf. Damit entsteht das Problem, dass beim Übergang IV/KVG die Preisfestsetzung dem Krankenversicherer nach dem heutigen Art. 71b KVV obliegt. Dadurch entsteht das Risiko, dass ein Krankenversicherer das Medikament nicht mehr zum gleichen Preis wie die IV oder überhaupt nicht mehr vergüten will. Solche Fälle sind häufig und treten nach dem BGE vermehrt auf. Die Konsequenzen für diese Patienten ist ein unsicherer Übergang in der Medikamentenversorgung, Rechtsunsicherheit und Rechtsungleichheit.

4.3.2 Lösungsvorschlag

Ein Orphan Drug für Geburtsgebrechen gemäss GgV wird vom BAG auf die GGML und – sofern oder sobald es gemäss Swissmedic für Erwachsene mit gleicher Indikation zugelassen ist – sofort im Anschluss an die Aufnahme auf die GGML auch auf die SL mit Preisfestsetzung gemäss geltendem Recht aufgenommen.

Die Vorteile dieser Lösung sind:

- Der Übergang der Kostenvergütung von Orphan Drugs nach dem 20. Altersjahr ist nahtlos gesichert,
- die Preisfestsetzung für die indikationsgerechte Anwendung eines Orphan Drugs, erfolgt auf Prinzipien, welche der herrschenden Gesetzgebung entsprechen,
- die Krankenversicherer werden von aufwändigen Einzelfall-Prüfungen und –Entscheidungen entlastet,
- die Vertrauensärzte werden bei der Beratung einer Krankenversicherung entlastet, auch Aspekte der Wirtschaftlichkeit des betreffenden Medikaments mit zu berücksichtigen,
- es ist keine gesetzliche Anpassung erforderlich,
- sie kann sofort umgesetzt werden.

4.4 Nationale Strategie seltene Krankheiten

4.4.1 Problem

Die Probleme für Patienten mit seltenen Krankheiten und für ihre behandelnden Ärzte beschränken sich nicht auf Orphan Drugs. Die weiteren Problemfelder wurden am ersten Runden Tisch des BAG offengelegt und ausgiebig diskutiert. Diese Diskussionen zeigten, dass auf verschiedenen Ebenen – zum Teil auch dringender – Handlungsbedarf herrscht, auch im Bereich der Diagnostik.

²⁶ Postulat 11.4025 Härtefallkommission Gesundheit

4.4.2 Lösungsvorschlag

Implementierung einer nationalen Strategie zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit seltenen Krankheiten gemäss Postulat NR Ruth Humbel. Damit soll sichergestellt werden, dass auch in der Schweiz eine angemessene, tragfähige, nachhaltige Politik im Umgang mit Patienten mit seltenen Krankheiten praktiziert wird, die Rechtsunsicherheit und Rechtsungleichheit ausschliessen.

5. Finanzierung der Vergütung von Orphan Drugs

Von verschiedenen Seiten wurde die Frage gestellt, ob für die Finanzierung allenfalls neue Formen ausserhalb der geltenden gesetzlichen Regelungen gesucht werden sollten. In die Diskussion wurden Vorstösse wie die Bildung eines Pools, Rückversicherungen oder die Bildung eines Fonds, wie auch immer dieser finanziert wird, eingebracht. Die vips lehnt diese Vorstösse ab. Begründungen:

- Es gibt keinen Grund, Patienten mit seltenen Krankheiten im Rahmen des KVG anders zu behandeln als Patienten mit häufigen Krankheiten. Prof. Dr. Gabriela Riemer-Kafka äusserte sich grundsätzlich dazu: „... dass der Zweck unserer sozialen Sicherheit, nämlich unter anderem Förderung der Chancengleichheit, und das Credo des Versicherungsgedankens, nämlich ‚Einer für alle, alle für einen‘, nicht vergessen gehen soll.“²⁷ Das Gleiche gilt auch für die Vergütungsregulierung von Orphan Drugs. Es gibt keinen Grund dafür, für die Vergütung von Orphan Drugs andere Gremien einzusetzen als für die anderen Medikamente, wie dies NR Gerhard Pfister in seinem Postulat fordert.
- Wie unter Ziff. 3.2.4 ausgeführt stellt die Finanzierung von Orphan Drugs nach KVG heute und auch in Zukunft kein grundsätzliches Problem dar. Die Kosten werden sich künftig auf 4% bis maximal 5% der gesamten Medikamentenkosten belaufen.
- Den Krankenversicherern steht schon heute die Möglichkeit offen, Rückversicherungen abzuschliessen. Dazu braucht es keine weiteren Regulierungen.
- Krankenversicherer poolen sich schon heute für Grossrisiken. Dazu braucht es keine weiteren Regulierungen.

Dezember 2011

²⁷ 12. Zentrumstag Luzern; Wirtschaftlichkeitsüberlegungen in der Sozialversicherung