

BIO DEUTSCHLAND

Positionspapier der BIO Deutschland

zu den

Gesundheitspolitischen Rahmenbedingungen in Deutschland

Stand: 19. Mai 2010

1. Zusammenfassung

Großer medizinischer Forschungsbedarf: Trotz großer Fortschritte in der Medizin kann bis heute nur ein Drittel der rund 30 000 bekannten Erkrankungen ursächlich behandelt werden. Bei zwei Dritteln können Arzt oder Ärztin nur die Symptome behandeln oder im schlimmsten Fall: gar nichts unternehmen. Noch immer hoffen hier Patientinnen und Patienten, dass eines Tages ein Medikament erhältlich ist, das ihre Beschwerden lindert, das Leben verlängert oder zur Heilung der Erkrankung führt. Auch ein Teil unserer Mitgliedsfirmen arbeitet daran, den Bedarf an neuen Therapien zu befriedigen. Die Biotechnologie ist nicht nur eine Chance für den Wirtschafts- und Wissenschaftsstandort Deutschland, sondern auch eine große Hoffnung für die Patientinnen und Patienten.

Betrachtung von Kosten & Nutzen: Neue Behandlungsmöglichkeiten bringen möglicherweise auch zusätzliche Kosten mit sich. Auf diese Entwicklung müssen sich die Gesellschaft und ihr Gesundheitssystem vorbereiten. Unser Eindruck ist, dass die Nutzenseite besonders von innovativen Arzneimitteln und damit der Nutzen für die Patientinnen und Patienten und die Gesellschaft in den vergangenen Legislaturperioden zunehmend in der öffentlichen Diskussion in den Hintergrund zu geraten drohte, während die Kosten überschätzt oder zu einseitig betont wurden. Dies gilt auch für die im Eckpunktepapier der Bundesregierung vorgesehenen kurzfristigen Maßnahmen. Wir rufen daher ausdrücklich eine Aussage aus dem Koalitionsvertrag in Erinnerung: *„Die Chancen innovativer Arzneimittel für Patientinnen und Patienten, Wachstum und Beschäftigung wollen wir künftig besser nutzen, [...]“*. Dem stimmt BIO Deutschland zu; dies möchten wir auch. In diesem Positionspapier zeigt BIO Deutschland auf, wie diese Chancen genutzt werden könnten.

Wer ist BIO Deutschland? Die Biotechnologie-Industrie-Organisation (BIO) Deutschland e.V. vertritt die Interessen von mehr als 250 innovativen Unternehmen, die im Bereich Biotechnologie tätig sind.

Unsere Forderungen: Vor dem Hintergrund, dass schwerer Erkrankungen wie Krebs oder seltener chronischer Erkrankungen heute mit Biopharmazeutika behandelt werden, fordert BIO Deutschland, mit den Entwicklungen im Gesundheitssystem umsichtig und im Sinne sowohl der Patientinnen und Patienten, die die Medikamente benötigen, als auch der Unternehmerinnen und Unternehmer, die die Medikamente entwickeln und herstellen, umzugehen. Im Einzelnen sollen

- Verhandlungs- oder Vereinbarungsmodelle unter fairen Rahmenbedingungen stattfinden
- die Kosten-Nutzen-Bewertungsmethoden des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) internationalen Standards folgen
- interdisziplinäre Bewertungskonferenzen durchgeführt werden, um den Nutzen neuer Behandlungen gemeinsam besser bewerten und zu den Kosten ins Verhältnis setzen zu können
- das Zweitmeinungsverfahren wieder abgeschafft werden
- die Daten, die Therapiehinweisen zugrunde liegen und dann in der Folge regelmäßig zum Ausschluss von der Erstattung führen, offen gelegt werden

BIO DEUTSCHLAND

- die Arzneimittelrichtlinie so geändert werden, dass sie dem Gesetzeswortlaut folgt und die die Zulassung überschreitende Anwendung von Arzneimitteln auch bei kommerziellen klinischen Studien zulässt
- für innovative Unternehmen die Möglichkeit besteht bleiben, für die Abgabe von nicht zugelassenen Arzneimitteln im Härtefall eine Vergütung zu erhalten
- Arzneimittel für seltene Erkrankungen (sogenannte Orphan Drugs) erst bei einem „Budget Impact“, der über 0,25 % der GKV-Gesamt-Arzneimittelausgaben liegt, erstattungsrechtlichen Maßnahmen, unterworfen werden
- Orphan Drugs aufgrund ihrer Besonderheit unabhängig vom „Budget Impact“ keiner obligaten Nutzen-Schnell-und-Früh-Bewertung unterliegen und vom erhöhten Herstellerrabatt, der Wirtschaftlichkeitsprüfung und der indirekten Verknüpfung der Arzneimittelausgaben mit dem Arzthonorar über § 84 SGB V ausgenommen werden
- im Sinne der Patientinnen und Patienten Lösungen für die Unterversorgung im Bereich des Off-Label-Einsatzes von Arzneimitteln gefunden werden.

2. Einleitung

Trotz großer Fortschritte in der Medizin besteht nach wie vor ein großer Bedarf an medizinischen Innovationen, denn bis heute können noch immer nur ein Drittel der rund 30 000 bekannten Erkrankungen ursächlich behandelt werden. Bei zwei Dritteln können Arzt oder Ärztin nur die Symptome behandeln oder im schlimmsten Fall: gar nichts unternehmen. Darüber hinaus entstehen neue Herausforderungen: Besiegt geglaubte Krankheitserreger werden gegen bewährte Behandlungen resistent. Neue Krankheiten breiten sich durch die zunehmende Mobilität rasch weltweit aus. In den industrialisierten Ländern nimmt mit der Zahl älterer Menschen auch die Zahl chronischer und altersbedingter Krankheiten rapide zu, ohne dass im Einzelfall der Zugang zu einer adäquaten Therapie gewährleistet ist.

Für die forschenden Unternehmen, die für Patientinnen und Patienten neue Wirkstoffe und Behandlungsmöglichkeiten entwickeln, muss der Anreiz für Investitionen in medizinischen Fortschritt und die Planungssicherheit für die Aufrechterhaltung des Betriebes gewährleistet werden. Während für die Großindustrie kurzfristige und nachteilige Änderungen der Rahmenbedingungen zumeist nur ärgerlich sind, stellt sich bei kleinen und mittleren Medikamentenherstellern und Therapieanbietern, rascher und häufiger als dem Standort Deutschland gut tut, die Existenzfrage. Gerade mittelständische Biotechnologieunternehmen sind nicht nur ein wichtiger Teil der Wertschöpfungskette in der Medizin. Sie sind auch Quelle von neuen Geschäftsmodellen, Produkten und Prozessen und vor allem: Sie leisten einen überproportionalen Beitrag zum Wachstum der Arbeitsplätze und zu den Aufwendungen für Forschung und Entwicklung.¹ Im Gesundheitssektor spielt die Biotechnologie bereits heute eine entscheidende Rolle, die zukünftig noch zunehmen wird. Viele weitere Produktkandidaten stecken noch in der klinischen oder vorklinischen Entwicklung. Um die biotechnologischen Innovationen den Patientinnen und Patienten zugänglich machen zu können, bedarf es fördernder Rahmenbedingungen. Dabei muss bereits zu einem frühen Zeitpunkt der Arzneimittelentwicklung die Zulassung und Erstattung zukünftiger biotechnologischer Medikamente im Blick behalten werden.

Stärkere Zielorientierung der Gesundheitspolitik notwendig: Nach Auffassung von BIO Deutschland muss vor der Beurteilung gesundheitspolitischer Steuerungsinstrumente zunächst darüber diskutiert werden, welche Ziele mit den Maßnahmen erreicht werden sollen. Daher ist es notwendig, im Vorfeld von gesundheitspolitischen Diskussionen eine Vorstellung über das Ziel zu gewinnen, bevor über den Weg gestritten wird. Sollten sich die Ziele der gesundheitspolitischen Akteure unterscheiden, macht eine Diskussion über den richtigen Weg wenig Sinn, da dann zunächst über die legitimen Ziele gesprochen werden muss.

Einseitige Kostensenkung ist kein legitimes Ziel: Aus Sicht von BIO Deutschland wäre eine Gesundheitspolitik, die vorrangig Kosteneinsparungen im Arzneimittelbereich als Ziel verfolgt, nicht legitimierbar. Denn dieses Ziel entspräche nicht den Wünschen der Patientinnen und Patienten und ihrer Angehörigen sowie der Versicherten. BIO Deutschland plädiert vielmehr für eine Gesundheitspolitik im Arzneimittelbereich, die ihre Ziele aus einer gesamtgesellschaftlichen Perspektive ableitet. Es sollte das Ziel sein, mit den eingesetzten Mitteln (Kosten) einen maximalen gesellschaftlichen Nutzen zu erreichen. Die Nutzen- und die Kostenseite sollten immer gemeinsam betrachtet werden.

¹ IAB-Kurzbericht Nr. 23/2008, IAB Discussion Paper 02/2008, Expertenkommission Forschung und Innovation (EFI)(Hrsg.)(2008)

Unser Eindruck ist, dass die Nutzenseite besonders von innovativen Arzneimitteln und damit der Nutzen für die Patientinnen und Patienten und die Gesellschaft in den letzten Legislaturperioden zunehmend in der öffentlichen Diskussion in den Hintergrund geraten ist, während die Kosten überschätzt und zu einseitig betont wurden. So war die politische Klage über steigende Arzneimittelausgaben völlig inhaltsleer, solange diesen Ausgabensteigerungen nicht auch die Nutzenaspekte gegenübergestellt wurden. Verändert sich das „Arzneimittelversorgungsziel“ durch den Arzneimittelfortschritt, die demographische Entwicklung oder die steigende Wertschätzung der Gesundheit, so können die Arzneimittelausgaben sehr wohl steigen, während das Wirtschaftlichkeitspostulat dennoch erfüllt wird. Oft lassen sich durch den Einsatz von Arzneimitteln erhebliche Kosten in anderen Bereichen einsparen (z.B. weniger Operationen, kürzere Krankenhausaufenthalte, weniger Krankheitstage, weniger Begleitbehandlungen, höhere Produktivität der Beschäftigten etc.). Die im Koalitionsvertrag gewählten Formulierungen und die mittelfristigen Umsetzungsvorschläge im Eckpunktepapier der Bundesregierung geben Anlass zur Hoffnung, dass die neue Regierung hier einen Paradigmenwechsel einleitet und Innovationen wieder mehr als Chance und weniger als Bedrohung sieht.

Das politische Ziel darf deshalb nicht Ausgabenbegrenzung, sondern nur Wirtschaftlichkeit heißen.

Die im Arzneimittelbereich eingesetzten Instrumente müssen diesem Ziel genügen. BIO Deutschland hat folgende Instrumente vor diesem Hintergrund gewürdigt:

1. Vereinbarungen zwischen Krankenkassen und pharmazeutischen Herstellern
2. Kosten-Nutzen-Bewertungen (KNB)
3. Zweitmeinungsverfahren
4. Therapiehinweise
5. Studien nach § 35 c SGB V (zulassungsüberschreitende Anwendung von Arzneimitteln in klinischen Studien)
6. Compassionate Use
7. Orphan Drugs
8. Verbesserung des Off-Label-Use

3. Positionen zu gesundheitspolitischen Themen

3.1 Vereinbarungen zwischen Krankenkassen und pharmazeutischen Herstellern

Der Koalitionsvertrag blieb bei der Formulierung der Bedingungen für die zukünftige Preisfindung von Innovationen noch vage. Das am 28. April veröffentlichte Eckpunktepapier zur Umsetzung des Koalitionsvertrages für die Arzneimittelversorgung konkretisiert die Vorstellungen der Regierung. Die pharmazeutischen Unternehmen sollen verpflichtet werden, zur Markteinführung ein Dossier zu Kosten und Nutzen einzureichen, das die Grundlage für eine Nutzenbewertung durch den G-BA bilden soll. Ziel dieser Bewertung ist die Feststellung, ob und für welche Patienten und Erkrankungen ein Zusatznutzen besteht. Wird kein Zusatznutzen festgestellt, unterfallen die Arzneimittel dem Festbetragsystem. Besteht ein Zusatznutzen, kann der Hersteller im ersten Jahr den Preis selbst festlegen. Bis zum Ablauf des Jahres sind Verhandlungen mit dem Spitzenverband Bund der Krankenkassen über einen Rabatt auf den Abgabepreis zu führen. Bei gescheiterter Einigung entscheidet eine Schiedsstelle innerhalb von drei Monaten und setzt den Rabatt auf Basis internationaler Vergleichspreise fest.

Die freie Preisbildung ist derzeit einer der letzten Vorteile, die der Pharmastandort Deutschland gegenüber den wichtigsten anderen europäischen Ländern hat. Ansonsten sieht BIO Deutschland überwiegend Nachteile, insbesondere durch erwähnte Über- und Fehlregulierung des deutschen Pharmamarktes. BIO Deutschland steht Verhandlungs- bzw. Vereinbarungsmodellen deshalb nur dann nicht grundsätzlich ablehnend gegenüber, wenn bestimmte Voraussetzungen in einem solchen Modell erfüllt sind, die die Mängel des heutigen deutschen Regulierungssystems beseitigen. Derartige Modelle müssen in ein schlüssiges Gesamtkonzept eingebettet sein:

1. **Voraussetzung: Keine Verzögerung des Markteintritts:** Die Gesetzliche Krankenversicherung (GKV) bezahlt heute für innovative Arzneimittel die Marktpreise der pharmazeutischen Unternehmen. Dies sichert den Zugang für alle Versicherten – sofort nach der Zulassung. Die im Eckpunktepapier vorgesehene Nutzenbewertung durch den G-BA darf nicht zu Verzögerungen des Markteintritts führen und damit zu Lasten der Patientinnen und Patienten gehen. Bei einer derartigen Regelung ist sicherzustellen, dass die Innovationen zeitnah zur Verfügung stehen, insbesondere Patientinnen und Patienten mit schweren Erkrankungen und fehlendem Zugang zu Therapiealternativen. Hier ist der angedachte Zeitrahmen von drei Monaten zu lang.
2. **Voraussetzung: Berücksichtigung der Funktion des Preises von Innovationen:** Verhandlungs- oder Vereinbarungslösungen dürfen nicht dazu führen, dass die Funktionen des Preises für Innovationen verloren gehen:
 - Zunächst gilt es zu berücksichtigen, dass auch bei innovativen Produkten bereits Preiswettbewerb besteht: Nationale Preise werden durch Parallel- bzw. Re-Importe umgangen, und jede neue Therapie wird preislich mit bestehenden Therapieregimen verglichen.
 - Durch die individualisierte Medizin und enger gefasste Ein- bzw. Ausschlusskriterien bei Zulassungsstudien werden Märkte und Stückzahlen kleiner – die Forschungskosten dagegen steigen auf-

grund erhöhter regulatorischer Anforderungen. Zur Deckung der Forschungs- und Entwicklungskosten sind daher im Anwendungsbereich der individualisierten Medizin (z.B. Krebs) tendenziell höhere Preise notwendig.

- Der attraktive Preis einer Innovation eröffnet Möglichkeiten zur weiteren Forschung. Gerade in der Onkologie und in vielen kleinen Indikationsgebieten besteht nach wie vor ein hoher medizinischer Bedarf. Der zu erzielende Preis lenkt die Forschungsmittel in Bereiche mit hohem medizinischen Bedarf. Übertriebene Preissenkungen erodieren diesen Anreiz, die Forschungsanstrengungen werden dann reduziert.
- Der Preis auf dem deutschen Markt gilt für viele ausländische Märkte als Referenzpreis. Daher sollten Verhandlungs- oder Vereinbarungsmodelle - wie im Eckpunktepapier angedacht - immer nur Rabattvereinbarungen vorsehen. Die offiziellen Listenpreise sollten weiterhin frei festgelegt werden können. Verhandlungen über Listenpreise hätten Implikationen, die über das deutsche Gesundheitssystem weit hinausgehen und die damit die Entscheidungsspielräume der Unternehmen in den Verhandlungen zwangsläufig einschränken würden.

3. **Voraussetzung: Deregulierung, Planungssicherheit und Patientenversorgung:** Die geltenden Erstattungsregeln machen einerseits die schnelle Einführung von Innovationen in Deutschland attraktiv, andererseits verhindern sie eine tiefe Marktdurchdringung mit Innovationen. In Deutschland könnten die Patientinnen und Patienten ohne Verzögerung Zugang zu innovativen Arzneimitteln bekommen. Im internationalen Vergleich stellt sich allerdings heraus, dass vergleichsweise wenige in diesen Genuss kommen. Hieraus ergeben sich konkret folgende Forderungen:

- **Abschaffung der Unterversorgung mit Innovationen:** Es müssen Verhandlungs- und Vereinbarungsmodelle mit Maßnahmen kombiniert werden können, die die teilweise erschreckende Unterversorgung deutscher Patienten mit innovativen Arzneimitteln beenden können und im europäischen Vergleich zu einer Gleichstellung deutscher Patienten führen.
- **Trennung von wirtschaftlicher und therapeutischer Verantwortung:** Wie in anderen Ländern müssen die wirtschaftliche und therapeutische Verantwortung getrennt werden. Insofern begrüßt BIO Deutschland ausdrücklich, dass das Eckpunktepapier eine Verschlankung der Wirtschaftlichkeitsprüfungen vorsieht. Das jetzige System der Wirtschaftlichkeitsprüfung führt zu einer impliziten Rationierung, weil es für den Arzt in der Praxis unmöglich ist, beide Ziele gleichzeitig zu verfolgen. Diese fehlende Trennung ist eine zentrale Ursache für die unzureichende Behandlung von deutschen Patienten mit Innovationen. Vor diesem Hintergrund begrüßt BIO Deutschland die Ankündigung im Koalitionsvertrag, die Notwendigkeit für Richtgrößen für ärztliche Verordnungen zu überprüfen.
- Weiterhin begrüßt BIO Deutschland die vorgesehene **Deregulierung des Arzneimittelmarktes**. Präparate, die in Verhandlungs- oder Vereinbarungsmodelle einbezogen werden, müssen weitgehend von allen anderen Regulierungen befreit werden (z.B.: Therapiehinweise, Zweitmeinung, KNB, Höchstbetrag, Verordnungsausschlüsse, Wirtschaftlichkeitsprüfung etc.). Auch muss die völlige Un-

gewissheit über Bewertungen und Entscheidungen von G-BA und IQWiG in den Folgejahren von den Unternehmen genommen werden. Ein Verhandlungs- oder Vereinbarungsmodell müsste die Möglichkeit beinhalten, bestimmte Regulierungen rechtssicher für die Vertragslaufzeit ausschließen zu können.

- **Keine Hürden bei der Behandlung krebskranker Patienten:** Die ambulante Behandlung krebskranker Patienten ist aufwendig und intensiv, so ergeben sich z.B. für den onkologisch qualifizierten Arzt erhöhte zeitliche, finanzielle und insbesondere personelle Belastungen. Therapien, die intravenös in der Praxis verabreicht werden, werden deshalb richtigerweise zusätzlich entgolten. Innovative oral einzunehmende Arzneimitteltherapien, für die ein aufwendiges Therapiemanagement erforderlich ist (Verlaufskontrolle, Nebenwirkungsmanagement etc.), bedürfen ebenfalls einer besonderen ambulanten Vergütung. Nur durch eine adäquate Kompensation des spezifischen Aufwands unabhängig von der Art der Einnahme kann sichergestellt werden, dass alle Innovationen zum Wohle der Patientinnen und Patienten einen raschen Marktzugang erhalten und Marktverzögerungen vermieden werden.

4. **Voraussetzung: Ein faires Verfahren:**

- Die Entscheidung über den „Innovationsstatus“ eines neuartigen Arzneimittels kann nur auf der Basis einer seriösen Nutzen- bzw. Kosten-Nutzen-Bewertung erfolgen. Hierbei müssen sowohl absolute Neuheiten ohne therapeutische Alternative (Solitäre) wie auch Verbesserungen bestehender Therapien (Schrittinnovationen) berücksichtigt werden. Insoweit setzt BIO Deutschland große Hoffnungen in die Einführung einer Kosten-Nutzen-Bewertung nach internationalem Standard. Das IQWiG hat bisher keine brauchbare Kosten/Nutzen-Analyse entwickelt. Zudem hat es eine grundsätzlich innovationsfeindliche Ausrichtung mit dem primären Ziel Kostenersparnis.
- Wir benötigen ein Verfahren mit definierten und fairen Beteiligungsrechten der Industrie. Je nach Ausgestaltung des Modells sollten neben den Kassen und den pharmazeutischen Unternehmern möglicherweise auch die KVen, die Fachgesellschaften sowie die Politik einbezogen werden. Und zwar immer dann, wenn das Modell letztlich so ausgestaltet wird, dass Rationierungs- und Wertentscheidungen getroffen werden müssen, die nur von demokratisch legitimierten Institutionen getroffen werden sollten. Der G-BA, das IQWiG und der GKV-Spitzenverband sind nicht derartig legitimiert. Bei echten Verhandlungslösungen mit „gleichlangen Spießen“ wären neben Kassen und pharmazeutischen Unternehmern keine weiteren Beteiligten notwendig.
- § 69 SGB V ordnet für das Verhältnis der Krankenkassen zu den Leistungserbringern im Sinne des Vierten Kapitels des SGB V die ausschließliche Geltung des SGB V an und schafft damit faktisch einen Ausnahmebereich, in dem die Regeln des Wettbewerbsrechts nicht gelten. Gerade bei der Einführung von Verhandlungs- bzw. Vereinbarungsmodellen sichert die Anwendung der Regeln des Wettbewerbs die bestmögliche Versorgung der Patientinnen und Patienten. Die Zielerklärung im Eckpunktepapier, dass das Wettbewerbsrecht als Ordnungsrahmen Anwendung findet, begrüßt BIO Deutschland ausdrücklich.

Als Fazit lässt sich festhalten: BIO Deutschland ist bereit, über Vertrags- bzw. Vereinbarungsmodelle für Innovationen konstruktiv zu diskutieren. Allerdings wird BIO Deutschland nur einem Modell zustimmen, das den obigen Voraussetzungen genügt und in ein schlüssiges Gesamtkonzept (z.B. mehr Zielorientierung, Abbau der Überregulierung) eingebettet ist. Nur ein weiteres Instrument, das zu dem bereits bestehenden Regulierungsdschungel einfach noch hinzugefügt wird, lehnt BIO Deutschland ab. Auch darf es nicht nur um Kostensenkung gehen, sondern um Effizienz, Nutzen und Versorgung.

3.2 Kosten-Nutzen-Bewertung (KNB)

BIO Deutschland begrüßt grundsätzlich die Einführung von Kosten-Nutzen-Bewertungen. Dieses Instrument kann aber nur dann gemäß der oben formulierten Zieldefinition zu mehr Wirtschaftlichkeit führen, wenn eine geeignete Methodik gewählt wird. Ansonsten besteht die Gefahr, dass die KNB zu einem reinen Kostensenkungsinstrument verkommt.

Weiter muss bedacht werden, dass KNB im Zusammenspiel mit Erstattungseinschränkungen Rationierung bedeutet. Ethisch vorzuziehende Maßnahmen sind die Rationalisierung und die Prüfung der Mittelerhöhung im Gesundheitswesen. BIO Deutschland verschließt sich aber nicht der Einsicht, dass in einer Welt der Knappheit Rationierung dennoch auch ethisch notwendig sein kann, wenn die anderen Möglichkeiten ausgeschöpft sind. Allerdings gilt dies nur dann, wenn die Methodik einer KNB selbst hohen ethischen Ansprüchen genügt. Hierzu gehört, dass den ethischen Grenzen des Erkenntnisgewinns in der Methodik Rechnung getragen werden muss: So ist es nur dann richtig – wie das IQWiG – eine „hohe wissenschaftliche Zuverlässigkeit“ für Entscheidungen des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) zu fordern, wenn gleichzeitig die ethischen Grenzen des Erkenntnisgewinns akzeptiert werden. Nicht jede Studie, die wichtige Fragen beantwortet, kann den Patientinnen und Patienten zugemutet werden. Dies gilt gerade bei besonderen Krankheiten (z.B. seltene Krankheiten, Krebserkrankungen, Autoimmunerkrankungen etc.), für die überdurchschnittlich oft biotechnologisch hergestellte Spezialpräparate zum Einsatz kommen, wie die nachstehenden Beispiele² verdeutlichen:

- Für eine Nutzenbewertung ist es ausreichend, eine Überlegenheit einer Intervention festzustellen. Bei einer KNB ist dagegen die Größe des Unterschieds von erheblicher Bedeutung. Der zuverlässige Nachweis der Größe eines Effekts kann durch ethisch begründete Anforderungen an das Studiendesign begrenzt sein, da verhindert werden soll, dass zu viele Patienten zu lange mit einem unterlegenen Präparat behandelt werden.
- Aus ethischen Gründen ist es bei Krebserkrankungen oft nicht verantwortbar, Patientinnen und Patienten bereits zugelassene wirksame Präparate vorzuenthalten. Neue Therapien werden deshalb oft in späten Behandlungslinien getestet. Wirksamkeit und Kosten-Nutzen-Relation werden so unterschätzt.

² Viele – aber nicht alle – dieser Beispiele beruhen auf dem für die Krebsgesellschaft erstellten Gutachten von Aidelburger P., Wasem J. (2008), Kosten-Nutzen-Bewertung von onkologischen Therapien, Juli 2008.

- Auch das von vielen Ethikkommissionen geforderte „cross-over design“ erschwert den Nutznachweis, da dabei beide Behandlungsgruppen – wenn auch zu unterschiedlichen Zeitpunkten – mit dem zu untersuchenden Präparat behandelt werden. Dadurch verringert sich der messbare Nutzen und verschlechtert scheinbar die Kosten-Nutzen-Relation.
- Gerade bei schweren lebensbedrohlichen Erkrankungen ist eine zu lange Studiendauer ethisch nicht vertretbar. In vielen Fällen müssen deshalb stellvertretend Messwerte („Surrogatparameter“) gewählt werden, die Rückschlüsse auf die Wirkung zulassen, jedoch dazu führen, dass die eigentliche Wirkung und die Kosten-Nutzen-Relation unterschätzt werden. So ist z. B. die Multiple Sklerose eine chronische Erkrankung, bei der aus ethischen Gründen spätestens nach zwei Jahren ein „cross over“ erfolgt.

Die ethischen Grenzen des Erkenntnisgewinns muss das IQWiG in einen Ansatz der optimalen anstatt einer maximalen Ergebnissicherheit übersetzen.

Vor dem Hintergrund unserer Forderungen nach

- einer für Wirtschaftlichkeitsvergleiche wirklich geeigneten Methodik von Kosten-Nutzen-Bewertungen
- der Berücksichtigung der ethischen Grenzen des Erkenntnisgewinns sowie
- einem Ansatz optimaler anstatt maximaler Ergebnissicherheit

ergeben sich folgende konkreten Kritikpunkte an den derzeitigen IQWiG-Methoden:

1. **IQWiG-Methoden müssen internationalen Standards entsprechen / Kein deutscher Sonderweg:** BIO Deutschland fordert eine Anpassung an internationale Standards vorzunehmen, wie es im § 139 a Absatz 4 SGB V festgelegt ist. Das wurde z.B. auch im Ergebnispapier der Fachtagungsreihe des Bundesministeriums für Gesundheit konkretisiert. Das IQWiG hat demnach zu gewährleisten, dass die Bewertung des medizinischen Nutzens nach den international anerkannten Standards der evidenzbasierten Medizin erfolgt. Die ökonomische Bewertung hat sich ebenfalls nach den maßgeblichen international anerkannten Standards zu richten. Aufgrund der bisherigen Publikationen ist zu befürchten, dass das IQWiG eine KNB etablieren will, die einen deutschen Alleingang darstellt. Die Aussage des IQWiG, es gäbe in der Gesundheitsökonomie keinen „Gold-Standard“ für eine KNB, ist viel zu undifferenziert und deshalb kritisch zu hinterfragen.
2. **Bewertungskonferenz („Scoping-Workshop“):** Vertreter der in § 139a Absatz 5 SGB V erwähnten Gruppen sollten gemeinsam mit Hilfe eines externen Moderators erarbeiten, wie der Nutzen einer Behandlung am besten bewertet werden kann. So wird der Nutzenbegriff greifbar - entsprechend der breiten, umfassend angelegten Nutzendefinition des Gesetzes - und die zu verwendenden Nutzenmaße können auftragsbezogen definiert werden. Auch sollte in dieser Konferenz festgelegt werden, welches Maß an Ergebnissicherheit für die konkrete KNB adäquat ist. Hieraus kann dann abgeleitet werden, wie die Studien gestaltet sein müssen, um in die Bewertung einbezogen zu werden. Dies entspricht BIO Deutschlands Verständnis von frühzeitiger Beteiligung.

3. **Keine indikationsspezifische KNB:** Eine indikationsspezifische Vorgehensweise bei der KNB ist abzulehnen, da indikationsspezifische Bewertungen auch indikationsübergreifende Implikationen haben.³ Es ist demnach eine indikationsübergreifende Bewertung zu fordern in Verbindung mit der Aufstellung eines Kriterienkatalogs für die Gewichtung, die durch die Festlegung von Schwellenwerten erfolgen soll. Für die Bürgerinnen und Bürger sind nachvollziehbare Maßstäbe für die Gewichtung zu entwickeln.
4. **Keine faktische Begrenzung auf RCTs / Akzeptanz von Modellen:** Im Zusammenhang mit der Verletzung internationaler Standards ist die alleinige Verwendung von randomisierten, kontrollierten Studien („Randomised Controlled Trials“ - RCTs) als zu eindimensional zu bewerten, da weder der Versorgungsalltag noch Langzeiteffekte mit dieser Art von Studien abgebildet werden können. Dementsprechend sind abhängig von den Untersuchungsfragen und der optimalen Ergebnissicherheit für die konkrete KNB ggf. auch Studien mit niedriger Evidenz in die KNB einzubeziehen und Modellierungen zu akzeptieren, um die zeitliche Limitierung für die Ermittlung von Langzeiteffekten durch klinische Studien zu kompensieren. Eine „a priori-Ablehnung“ zusätzlicher Nutzenparameter ist weder wissenschaftlich noch methodisch haltbar.
5. **Kosten-Nutzen- und Nutzen-Bewertung nicht trennen:** Die KNB darf nicht auf einer vorgeschalteten Nutzenbewertung aufbauen, da bei der aktuell gültigen Methodik der Nutzenbewertung eben nur Nutzendaten aus RCTs verwendet werden. In der KNB sind aber weitere Daten, die einen Zusatznutzen im Alltag dokumentieren, ebenfalls von hoher Relevanz. Würde zudem der Anforderung des IQWiG nach einem kardinalskalierten Nutzen für jede Indikation entsprochen, müssten für jeden Wert sowohl die Abstände zu den anderen Werten aus der Untersuchung als auch der absolute Nullpunkt klar interpretiert werden können⁴. Das bedeutet, dass in vielen Fällen die Nutzenmaße neu entwickelt werden müssen. Die Erstellung solcher indikationsspezifischen deutschen Nutzenmaße, die die qualitätskorrigierten Lebensjahre („Quality-Adjusted Life Year“ - QALYs), die derzeit in der Gesundheitsökonomie in die Berechnungen einfließen, ersetzen sollen, dauert jedoch Jahre. Deshalb ist die Forderung des IQWiG aus Gründen der Praktikabilität abzulehnen.
6. **Verringerung der Spielräume:** Es ist ferner zu kritisieren, dass die Methodenentwürfe des IQWiG große Spielräume bei der Durchführung von KNB zulassen, so dass bei gleicher Datenlage je nach gewähltem Nutzenparameter sehr unterschiedliche Endergebnisse möglich sind. Es ist zu begrüßen, dass im am 19.10.2009 veröffentlichten Methodenpapier („Allgemeine Methoden zur Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten - Version 1.0“) immerhin Sensitivitätsanalysen vorgesehen sind, um für eine Entscheidung Anhaltspunkte zur Unsicherheit der Ergebnisse zu geben. Jedoch findet sich im Abschnitt zur Erläuterung der Sensitivitätsanalysen keine systematische Rege-

³ Siehe dazu Krauth, C. et al. Stellungnahme der AG Methoden der gesundheitsökonomischen Evaluation (AG MEG) zu dem Methodenpapier „Methodik für die Bewertung von Verhältnissen zwischen Nutzen und Kosten im System der deutschen gesetzlichen Krankenversicherung“ des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) Das Gesundheitswesen 2008; 70: e1-e16 sowie Hessel, F.P., Implikationen indikationsübergreifender Vergleiche im Rahmen der gesundheitsökonomischen Bewertung von Gesundheitsleistungen; Das Gesundheitswesen 2009; 71: S20-S25

⁴ <http://www.mathematik.uni-ulm.de/stochastik/lehre/ss03/wirtschaftsstatistik/skript9/node5.html> 10. August 2009

lung, unter welchen Bedingungen welche Art von Sensitivitätsanalysen durchgeführt werden sollen, so dass auch hier wieder Ermessensspielräume bei der Durchführung der KNB bestehen.

7. **Effizienzgrenze für Kosten-Nutzen-Bewertungen nicht geeignet:** Grundsätzlich zu hinterfragen ist auch das Konzept der Effizienzgrenze, das bereits 1957 zur Analyse von Aktienportfolios entwickelt wurde. Alle neuen Therapien werden hier mit den effizientesten Behandlungsansätzen, die bereits im Markt sind, ins Verhältnis gesetzt. So soll bestimmt werden, ob eine neue Behandlung einen „zusätzlichen Ertrag“ bringt und somit einen erhöhten Aufwand rechtfertigt⁵. So kann es passieren, dass ein innovatives, rascher wirkendes Schmerzmittel für Krebskranke keine positive Bewertung bekommt, weil die herkömmliche Schmerztherapie inzwischen so kostengünstig ist, dass keine Innovation damit konkurrieren kann. Es ist zu bezweifeln, dass die Effizienzgrenze eine Umsetzung der Ergebnisse aus Kosten-Nutzen-Bewertungen in vertretbare Entscheidungen ermöglicht. Zudem erleichtert auch die Effizienzgrenze Entscheidungen ohne Bestimmung der Zahlungsbereitschaft der Gesellschaft nicht. Des Weiteren fehlen Daten zu Kosten und Nutzen der Nichtbehandlung von schwerwiegenden Erkrankungen, die zur Konstruktion der Effizienzgrenze vorausgesetzt werden. Nicht zuletzt sei hier betont, dass das Konzept der Effizienzgrenze nicht für den Einsatz im Gesundheitswesen entwickelt wurde und einen deutschen Alleingang darstellt.

BIO Deutschland begrüßt, dass die neue Bundesregierung die Arbeit des IQWiG offenbar einer kritischen Prüfung unterziehen möchte.

3.3 „Zweitmeinungsverfahren“ bzw. das Genehmigungsverfahren für besondere Arzneimittel

Das Eckpunktepapier sieht die Überprüfung des Zweitmeinungsverfahrens im Hinblick auf dessen Notwendigkeit vor. BIO Deutschland lehnt das „Zweitmeinungsverfahren“ und dessen bisherige Umsetzung grundsätzlich ab, da es weder zielführend für die im Gesetzestext formulierten Ziele noch für das von BIO Deutschland formulierte Ziel der wirtschaftlichen Arzneimittelversorgung ist. Eine Verbesserung in der Qualität der Patientenversorgung sowie eine höhere Patientensicherheit in der Anwendung von Arzneimitteln sind nicht zu erwarten. Vielmehr trägt es nur noch mehr Bürokratie und Rechtsunsicherheit in das deutsche Gesundheitswesen hinein. Das Zweitmeinungsverfahren ist aus unserer Sicht eine Regelung, die der programmatischen Forderung der Koalitionsvereinbarung 2009 nach einer Kultur des Vertrauens diametral zuwiderläuft. Es ist vielmehr ein Beispiel für „überzogene bürokratische Vorschriften“.

Gerade bei seltenen Erkrankungen, bei denen Biopharmazeutika häufig zum Einsatz kommen, stellt das „Zweitmeinungsverfahren“ (das in Wirklichkeit ein Genehmigungsverfahren ist, weshalb es im weiteren Verlauf immer in Anführungszeichen gesetzt wird, auch um zu verdeutlichen, dass BIO Deutschland nicht die Einholung einer zweiten Meinung ablehnt, sondern ein obligatorisches bürokratisches Genehmigungsverfah-

⁵ IQWiG Methodenvorschlag vom 16. 03. 2009: „In der Darstellung der theoretischen Effizienzgrenze werden von links nach rechts die Optionen mit jeweils höherer Effizienz aufgetragen. Die Steigung der Verbindungslinie zwischen zwei Optionen (das Liniensegment) gibt den zusätzlichen Ertrag pro zusätzlichem Aufwand an.“

ren) eine ernstzunehmende Hürde dar. Fehlt es doch gerade dort häufig an Spezialisten. BIO Deutschland fordert deshalb die Abschaffung des gesetzlichen „Zweitmeinungsverfahrens“, da es eine überzogene praxisferne bürokratische Vorschrift darstellt, die auf tiefem Misstrauen gegen die verordnenden Ärzte gründet und die Qualität der Patientenversorgung eher verschlechtert.

Wird das Instrument dennoch weiter angewendet, so sind folgende Änderungen zu fordern:

1. **Klare Zielsetzung „Qualität“:** Die Kriterien für die Auswahl der besonderen Arzneimittel müssen sich aus dem primären Gesetzesziel („Verbesserung der Qualität ihrer Anwendung“, § 73d Absatz 1 Satz 1) ergeben und nicht aus Kostendämpfungserwägungen, die das Gesetz gar nicht vorsieht. Mit einem Instrument zwei oder mehr sich zumindest teilweise widersprechende Ziele zu verfolgen ist nicht rational und muss zwangsläufig zu suboptimalen Ergebnissen führen. Ganz konkret bedeutet diese Forderung, dass Kosteninformationen in den Anwendungshinweisen zu ‚besonderen Arzneimitteln‘ irreführend sind und zu entfernen sind.
2. **Festlegung klarer Kriterien:** Der Gesetzgeber fokussiert mit dem „Zweitmeinungsverfahren“ auf Arzneimittel, bei denen eine erhöhte Gefahr seltener, schwerwiegender Nebenwirkungen besteht (Gesetzesbegründung zu § 73 d Absatz 1 SGB V), was jedoch dadurch konterkariert wird, dass nicht Arzneimittel mit seltenen Nebenwirkungen, sondern biotechnologisch hergestellte Arzneimittel dem Verfahren unterworfen werden sollen. Der Verband fordert dagegen konkrete Kriterien, die bei der Auswahl ‚besonderer Arzneimittel‘ nicht einzeln sondern in ihrer Summe zu beachten sind:
 - Besteht in den zugelassenen Indikationen überhaupt „Über-, Unter- oder Fehlversorgung“? Besteht überhaupt Bedarf für das „Zweitmeinungsverfahren“?
 - Handelt es sich um ein Spezialpräparat?
 - Besteht ein hohes Risikopotential?
 - Sind Spezialkenntnisse bei den Ärzten erforderlich?
 - Erhöht die Aufnahme des Präparates in das „Zweitmeinungsverfahren“ die Patientensicherheit?
 - Erhöht die Aufnahme des Präparates in das „Zweitmeinungsverfahren“ den Therapieerfolg?
 - Können bei der gewählten Indikation, die vom Gesetzgeber formulierten Nebenbedingungen erfüllt werden (genügend große Anzahl von fachlich kompetenten Ärzten für besondere Arzneimitteltherapien, zumutbare Entfernung, zumutbare Wartezeit)?

Als nicht ausreichendes Kriterium ist ein Hinweis in der Fachinformation des jeweiligen Arzneimittels zu bewerten, dass vom Arzt besondere Kenntnisse zur Verordnung gefordert werden.

3. **Angemessene Abstimmungsfristen:** Formal ist zu beanstanden, dass beim „Zweitmeinungsverfahren“ zwar eindeutige Fristen für die Abstimmung der Ärzte festgelegt werden müssen, diese jedoch in der konkreten Ausgestaltung zu lang sind, als dass damit dem Willen des Gesetzgebers nach einer „angemessenen“ Abstimmungsfrist (§ 73 d Absatz 1 Satz 5 SGB V) gefolgt wird.

4. **Genehmigungsfiktion:** Es ist ferner eine Genehmigungsfiktion vorzusehen, wenn der Arzt für besondere Arzneimitteltherapien, obwohl ihm alle notwendigen Unterlagen vorliegen, nicht fristgerecht antwortet.
5. **Stationärer Sektor:** Eine Ausweitung des „Zweitmeinungsverfahrens“ auf den stationären Sektor ist als rechtswidrig anzusehen, da die Einordnung des § 73 d SGB V im Gesetz (unter der Überschrift „Sicherstellung der vertragsärztlichen Versorgung“) die Beschränkung des Paragraphen auf die ambulante Versorgung verdeutlicht. Sollten die Ausführungen auch auf die ambulante Behandlung im Krankenhaus bezogen werden, muss eine Klarstellung hinsichtlich der Wortwahl erfolgen.
6. **Nur Erstverordnung:** BIO Deutschland vertritt die Auffassung, dass das „Zweitmeinungsverfahren“ - wenn überhaupt - nur bei der Erstverordnung eines Arzneimittels anzuwenden ist. Die erneute Einholung einer Zweitmeinung bei der Folgeverordnung ist mit erheblichen praktischen Problemen bei der Umsetzung verbunden. Patientinnen und Patienten werden im Unklaren gelassen, ob sie eine einmal begonnene Therapie auch weiterhin erhalten.

Gerade für Unternehmen von BIO Deutschland, die einen Schwerpunkt ihrer Forschungsaktivitäten auf die Entwicklung von Medikamenten für die Behandlung seltener Erkrankungen, so genannter „Orphan Drugs“, legen, ist es von entscheidender Bedeutung, dass Patientinnen und Patienten nach Zulassung des Arzneimittels schnell und unbürokratisch Zugang zum Arzneimittel erhält. Von daher fordert BIO Deutschland, dass das „Zweitmeinungsverfahren“ auf Arzneimittel, die einen „Orphan Drug“-Status besitzen, nicht angewendet wird.

BIO Deutschland begründet die Position wie folgt:

- Bei der Behandlung seltener schwerwiegender Erkrankungen fehlt in der Regel eine Therapiealternative, so dass bei einem Verzicht auf die Anwendung des innovativen Arzneimittels keine andere zweckmäßige Therapie verfügbar ist. Bei gleichzeitig vorliegender lebensbedrohlicher Erkrankung verschärft sich die Notwendigkeit der möglichst schnellen Einleitung der Therapie.
- Die Zweckmäßigkeit des Einsatzes für ein „Orphan Drug“ ist durch die Verordnung durch hochspezialisierte Ärzte bereits gewährleistet.
- Bei „Orphan Drugs“ ist die Anzahl der Spezialisten normalerweise ohnehin gering, daher können die vom Gesetzgeber formulierten Nebenbedingungen (genügend große Anzahl von Ärzten für besondere Arzneimitteltherapien, zumutbare Entfernung, zumutbare Wartezeit) nicht erfüllt werden.

3.4 Therapiehinweise

BIO Deutschland begrüßt, dass die Regierung „das bestehende und unübersichtliche System von Therapiehinweisen und Verordnungsausschlüssen klarer“ regeln wird. Insbesondere plädiert BIO Deutschland für mehr Transparenz bei der Erstellung von Therapiehinweisen. Weil in der Verfahrensordnung des G-BA keine transparenten Kriterien existieren, ist nicht ersichtlich, auf welcher Datenbasis und nach welchen konkre-

ten Kriterien der jeweilige Therapiehinweis formuliert wurde. BIO Deutschland fordert die Offenlegung der zu Rate gezogenen Daten.

3.5 Studien nach § 35 c SGB V (Zulassungsüberschreitende Anwendung von Arzneimitteln in klinischen Studien)

Die Regelungen des G-BA zur Ausgestaltung des § 35 c SGB V sind rechtswidrig. Entgegen dem Gesetzeswortlaut beschränkt der § 29 der Arzneimittelrichtlinie (AMR) die Zulassungsüberschreitende Anwendung von Arzneimitteln auf „nicht-kommerzielle klinische Studien“. Diese Beschränkung ergibt sich nicht aus den Gesetzesmaterialien zum § 35 c SGB V. Dort heißt es lediglich: „[...] Hierzu zählen insbesondere nicht-kommerzielle Studien, [...]“. Dementsprechend hat der Gesetzgeber eine Beschränkung auf nicht-kommerzielle Studien gerade nicht gewollt.

Vielmehr ist der Sinn des § 35 c SGB V darin zu sehen, dass der Gesetzgeber ein Antragsverfahren für die zulassungsüberschreitende Anwendung von Arzneimitteln in klinischen Studien etabliert hat, welches dem G-BA unter bestimmten Voraussetzungen ein Widerspruchsrecht einräumt. Dies erfordert jedoch eine abschließende Regelung der Versagungsgründe der Erstattung bei zulassungsüberschreitender Anwendung von Arzneimitteln in klinischen Studien und nicht etwa eine „Ermessensvorschrift“ für den G-BA, mit deren Hilfe er Beurteilungsspielräume für sich in Anspruch nehmen könnte. Diese Beurteilungsspielräume stehen dem G-BA nicht zu.

Des Weiteren existieren keine belastbaren Grundlagen zur Durchführung des Antragsverfahrens. Das führt bislang dazu, dass erst ein positiver Bescheid zur zulassungsüberschreitenden Anwendung von Arzneimitteln in klinischen Studien ergangen ist. Dies entspricht nicht der Intention des Gesetzgebers.

Zusammenfassend lässt sich feststellen, dass mit der gegenwärtigen Ausgestaltung des Antragsverfahrens die Perspektiven zur Weiterentwicklung der Versorgung der Patientinnen und Patienten erheblich eingeengt sind. Das wird sich auch nachteilig auf den Forschungsstandort Deutschland auswirken.

3.6. Compassionate Use

Hinsichtlich der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit nicht zugelassenen Arzneimitteln hat die 15. AMG-Novelle in der Neufassung des § 21 AMG eine kostenlose Bereitstellung durch den Hersteller eingeführt. Es ist richtig, dass erst die Zulassung eines Arzneimittels die Vermarktung ermöglicht. Jedoch sollte für innovative Unternehmen die Möglichkeit erhalten bleiben, für die Abgabe von nicht zugelassenen Arzneimitteln im Härtefall eine Vergütung zu erhalten. Modelle der Vergütung, die nicht notwendigerweise die Gesetzliche Krankenversicherung (GKV) belasten müssen, sind nur denkbar, wenn die kostenlose Bereitstellung nicht unerlässlich ist, sondern flexibel gehandhabt wird. Damit könnten Stiftungen, Spenden, Fonds der pharmazeutischen Industrie und Eigenbeteiligungen der Patientinnen und Patienten die Behandlung mit dringend benötigten – noch nicht zugelassenen - Medikamenten auch dann ermöglichen, wenn ein kleiner mittelständischer Hersteller die Kosten dafür nicht allein tragen könnte.

3.7 Orphan Drugs

Eine besondere Herausforderung für Ärzte und pharmazeutische Hersteller besteht im Bereich der sogenannten Arzneimittel für seltene Erkrankungen. Mit Erlass der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 über Arzneimittel für seltene Leiden wollte die Europäische Union die Forschung und Entwicklung dieser Medikamente gezielt fördern. Mehr als vier Millionen Menschen leiden in Deutschland an einer seltenen Krankheit. Selten ist eine Erkrankung, wenn nicht mehr als fünf von zehntausend Personen davon betroffen sind. Gerade kleine und mittlere Unternehmen in der Biotechnologie engagieren sich stark in diesem Bereich und entwickeln oft Nischenprodukte für die Gesundheitsversorgung. Die erreichten Fortschritte bei diesen Arzneimitteln dürfen durch erstattungsrechtliche Maßnahmen nicht wieder aufgehoben werden.

Vertragsverhandlungen mit 160 Kassen oder mit einem Nachfragemonopolisten GKV-Spitzenverband und sofortige obligate Nutzen-Schnell-und-Früh-Bewertungen drohen mittelständische Biotechnologieunternehmen zu überfordern. Zumindest bedeuten sie eine erhebliche Markteintrittshürde für kleine und mittelständische Biotechnologieunternehmen. Derartige Maßnahmen erhöhen das Risiko der Forschung und verringern den Forschungsanreiz.

Daher schlagen wir folgenden Ordnungsrahmen für Arzneimittel für seltene Erkrankungen in Deutschland vor:

- Diese Arzneimittel sollten bis zu einem bestimmten „Budget Impact“, gemessen als Anteil an den GKV-Gesamt-Arzneimittelausgaben, von allen erstattungsrechtlichen Marktregulierungen frei gehalten werden. Dies gilt insbesondere für den Herstellerrabatt, die geplante Schnellbewertung und die Verhandlungslösung. Aufgrund der Größe des deutschen GKV-Marktes halten wir einen Wert von 0,25 % für praktikabel und angemessen.
- Wird der Wert von 0,25 % überschritten, so unterliegen auch Arzneimittel für seltene Erkrankungen den üblichen – bis dahin hoffentlich überarbeiteten – Regulierungen des Pharma-Marktes. Insbesondere gelten dann auch die bis dahin gefundenen Regeln für Verhandlungslösungen zwischen Kassen und pharmazeutischen Unternehmen.
- Auf jeden Fall und unabhängig vom „Budget Impact“ sind Orphan Drugs jedoch von folgenden Regelungen auszunehmen:
 - Eine „Nutzen-Schnell-und-Früh-Bewertung“ ist in keinem Falle notwendig, da zur Erlangung des Orphan-Drug-Status bereits ein Zusatznutzen nachgewiesen werden muss
 - Der Erhöhung des Zwangsrabattes
 - Der Wirtschaftlichkeitsprüfung (es sei denn diese wird entsprechend dereguliert)
 - Der indirekten Verknüpfung der Arzneimittelausgaben mit dem Arztehonorar über den § 84 SGB V
- Sollte kein Abstand genommen werden von der „Nutzen-Schnell-Früh-Bewertung“, so sollte zumindest die Besonderheiten von Orphan Drugs in der Methodik der Kosten-Nutzen-Bewertung Berücksichtigung finden. Alles andere wäre eine ungerechtfertigte Benachteiligung dieser Arzneimittel.

3.8 Vorschlag zur Verbesserung des Off-Label-Use

Derzeit bestehen - trotz stetiger Innovationen bei der Entwicklung von Orphan Drugs – für viele schwerwiegende Erkrankungen keine spezialisierten pharmazeutischen Präparate. Eine Anwendung von Arzneimitteln bei schwerwiegenden Erkrankungen für andere als die zugelassenen Indikationen (sog. Off-Label-Use) stellt für die Betroffenen vielfach die einzige Behandlungsmöglichkeit dar. Die ACHSE e. V. geht davon aus, dass je nach Krankheitsbild 40 bis 100 Prozent der therapeutisch genutzten Arzneimittel off-label verwendet werden.⁶ Eine Kostenerstattung dieser Behandlungen durch die GKV kann allenfalls über eine Einzelfallgenehmigung erfolgen. In der Regel werden Patientinnen und Patienten die Kosten selbst tragen.

Eine im Auftrag des Bundesministeriums für Gesundheit erstellte Studie der Forschungsstelle für Gesundheitsökonomie der Leibniz Universität Hannover schlägt daher zur Verbesserung vor, dass ein Off-Label-Use durch einen in der Behandlung der jeweiligen Seltenen Erkrankung *einschlägig erfahrenen Facharzt* zugelassen werden könnte, wenn die Erkrankung schwerwiegend (lebensbedrohlich oder zu einer dauerhaften erheblichen Einschränkung der Lebensqualität führend) ist, keine zugelassenen Alternativen für den konkreten Patienten verfügbar sind (z.B. auch auf Grund von absoluten Kontraindikationen) und Evidenz besteht, die eine solche Anwendung rechtfertigt.⁷ Der verordnende Arzt hätte die Pflicht zu einer erweiterten Dokumentation, die auch zu einer späteren, retrospektiven, aggregierten Datenanalyse herangezogen werden könnte. Durch Verordnung auf gesondertem Rezept bzw. durch Ankreuzen eines bestimmten Merkmals könnte die off-label Verordnung gekennzeichnet werden und würde die Kostenträger in die Lage versetzen, auffällig häufige Verordnungen für bestimmte Arzneimittel zu identifizieren, um dann über den G-BA eine zielgerichtete wissenschaftliche Bewertung einzuleiten, die bei negativem Ausgang, die weitere off-label Verordnung dieses Arzneimittels ausschließen könnte.⁸

Natürlich bedarf ein solcher Ansatz noch weiterer Konkretisierungen. So sollten aus unserer Sicht die einschlägig erfahrenen Ärzte, die zum Off-Label-Use befugt sind, nicht mit Regressen für Off-Label-Use bedroht werden, sofern der konkrete Off-Label-Use vom G-BA nicht ausgeschlossen wurde, da es sich hier oft um sehr schwierige Entscheidungen handelt und nicht um einfache und immer klare ja/nein-Entscheidungen. Auch gilt es natürlich die Vorgaben des „Nikolaus“-Beschlusses des BVerfG in solch ein Modell zu integrieren. Trotzdem weist das Modell aus unserer Sicht in die richtige Richtung, um insbesondere im Interesse der Patientinnen und Patienten die Versorgung zu verbessern.

Berlin, 19. Mai 2010

⁶ Lelgemann, M. / Francke, R. Seltene Erkrankungen in professionellen Versorgungssystemen, in: Bundesgesundheitsblatt– Gesundheitsforschung – Gesundheitsschutz, 2008Vol. 51, Nr. 5, S. 510

⁷ Siehe Eidt, D et al. Studie im Auftrag des Bundesministeriums für Gesundheit: „Maßnahmen zur Verbesserung der gesundheitliche Situation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen in Deutschland“ Leibniz Universität Hannover, Forschungsstelle für Gesundheitsökonomie, Juni 2009

⁸ Eidt, D et al. a.a.O.

BIO DEUTSCHLAND

Das Positionspapier wurde von der Arbeitsgruppe „Gesundheitspolitik“ der BIO Deutschland erarbeitet.

Die Arbeitsgruppe „Gesundheitspolitik“, BIO Deutschland e.V.:

Dr. Robert Schupp, Geschäftsführer der Celgene GmbH, leitet die Arbeitsgruppe „Gesundheitspolitik“ mit Vertreterinnen und Vertretern der Unternehmen Celgene GmbH, Eurofins Medigenomix GmbH, FGK Clinical Research GmbH, Fresenius Biotech GmbH, hameln rds GmbH, immatics biotechnologies GmbH, Intendis GmbH, Jones Day, MagForce Nanotechnologies AG, MAPO Beteiligungsgesellschaft mbH, MediGene AG, Nycomed GmbH, PricewaterhouseCoopers AG, Revotar Biopharmaceuticals AG, Sandoz International GmbH, ViroLogik GmbH u.a.

Die Biotechnologie-Industrie-Organisation Deutschland e.V. (BIO Deutschland) hat sich mit ihren mehr als 250 Mitgliedsfirmen zum Ziel gesetzt, in Deutschland die Entwicklung eines innovativen Wirtschaftszweiges auf Basis der modernen Biowissenschaften zu unterstützen und zu fördern. **Dr. Peter Heinrich** ist Vorstandsvorsitzender der BIO Deutschland.

Fördermitglieder der BIO Deutschland sind **berlinbiotechpark GmbH, BusinessWire, Celgene GmbH, CMS Hasche Sigle, Commerzbank AG, Deutsche Bank AG, EBD Group, Ernst & Young AG, KPMG AG, Miltenyi Biotec GmbH, MLaw Group, PricewaterhouseCoopers AG, TVM Capital GmbH und VIS-CARDI AG.**

Weitere Informationen zur Tätigkeit der BIO Deutschland und der Arbeitsgruppen erhalten Sie gerne auf Anfrage bei der Geschäftsstelle des Verbandes oder unter www.biodeutschland.org.

BIO Deutschland e.V.

Tegeler Weg 33 / berlinbiotechpark

10589 Berlin

Tel.: 0 30-345 05 93 30

Fax: 0 30-345 05 93 59

E-Mail: info@biodeutschland.org