

Inhaltsübersicht

Vorwort VII

Inhaltsübersicht..... IX

Inhaltsverzeichnis.....XIII

Literaturverzeichnis..... XXI

Materialienverzeichnis.....LV

Erlassverzeichnis LXXI

Abkürzungsverzeichnis..... LXXVII

Einführung 1

A. Einleitung 3

B. Fragestellung und Ziel der Arbeit..... 5

C. Aufbau der Arbeit 5

Teil 1: Seltene Krankheiten und ihre besondere Situation..... 7

A. Begriffe und Grundlagen..... 9

B. Forschungsanreize für *Orphan Drugs* 26

C. Zusammenfassung und Zwischenfazit 37

Teil 2: Die Rolle der obligatorischen Krankenpflegeversicherung (OKP) 41

A. Hintergründe und Ziele 43

B. Allgemeine Leistungsvoraussetzungen 45

C. Finanzierung 59

D. Abgrenzung zur Invalidenversicherung (IV) 63

E. Zusammenfassung und Zwischenfazit..... 67

**Teil 3: Die unsichere Vergütung von Arzneimitteln für
seltene Krankheiten 69**

A. Vorbemerkungen..... 71

B. Ausgangslage..... 75

**C. Die Regel als Ausnahmefall: *Orphan Drugs* auf der
Spezialitätenliste (SL) 81**

D. Die Ausnahme als Regelfall: Einzelfallvergütung 135

E. Zusammenfassung und Zwischenfazit..... 180

**Teil 4: Die hohen Preise von Arzneimitteln für seltene
Krankheiten 181**

A. Ausgangslage..... 183

B. Die Regel als Ausnahmefall: Preisfestsetzung durch das BAG 196

**C. Die Ausnahme als Regelfall: Preisfestsetzung durch die
Krankenkassen 202**

D. Preismodelle..... 213

E. Zusammenfassung und Zwischenfazit..... 219

Teil 5: Grundrechtliche und ethische Überlegungen 223

**A. Rechtsgleicher Zugang zu Arzneimitteln für seltene
Krankheiten 225**

B. Fairer Zugang zu Arzneimitteln für seltene Krankheiten..... 236

C. Zusammenfassung und Zwischenfazit 243

Teil 6: Lösungsansätze <i>de lege ferenda</i>	247
A. Ergebnisse und Ziele	249
B. Vorschlag Nr. 1 – Vereinfachtes Erstattungsverfahren für <i>Orphan Drugs</i>.....	251
C. Vorschlag Nr. 2 – Behördliche Preisfestsetzung bei Einzelfallvergütung	259
D. Vorschlag Nr. 3 – Beachtung der Besonderheiten seltener Krankheiten	264
E. Auswirkungen der Vorschläge am Beispiel der Vergütung von Sceneste®	267
F. Zusammenfassung und Zwischenfazit	268
Fazit und Ausblick.....	271

Inhaltsverzeichnis

Vorwort	VII
Inhaltsübersicht.....	IX
Inhaltsverzeichnis.....	XIII
Literaturverzeichnis.....	XXI
Materialienverzeichnis.....	LV
Erlassverzeichnis	LXXI
Abkürzungsverzeichnis.....	LXXVII
 Einführung	 1
A. Einleitung	3
B. Fragestellung und Ziel der Arbeit.....	5
C. Aufbau der Arbeit	5
 Teil 1: Seltene Krankheiten und ihre besondere Situation.....	 7
A. Begriffe und Grundlagen.....	9
I. Was sind seltene Krankheiten?	9
1. Das Kriterium der Prävalenz.....	11
2. Beispielkrankheit: Erythropoetische Protoporphyrurie (EPP)	14
II. Seltene Krankheiten in Zahlen	17
1. Krankheiten	17
2. Betroffene Personen	19
3. Diagnose und Behandlung	21
III. Wandel der öffentlichen Wahrnehmung	24
 B. Forschungsanreize für <i>Orphan Drugs</i>	 26
I. Europäische Union	27

II.	Schweiz	32
III.	Herausforderungen.....	34
	1. <i>Slicing</i> und <i>Clustering</i>	34
	2. Preisentwicklung	36
	3. Schutz vor unzureichend geprüften Arzneimitteln	37
C.	Zusammenfassung und Zwischenfazit	37

Teil 2: Die Rolle der obligatorischen Krankenpflegeversicherung (OKP)..... 41

A. Hintergründe und Ziele

B. Allgemeine Leistungsvoraussetzungen

I.	Krankheit (Art. 25 Abs. 1 KVG).....	46
II.	Leistungskatalog (Art. 25 Abs. 2 KVG)	47
III.	Konkretisierung des Leistungskatalogs durch das Listenprinzip.....	48
	1. Die Spezialitätenliste (SL)	48
	2. Vor- und Nachteile einer Positivliste	50
IV.	WZW-Kriterien (Art. 32 Abs. 1 KVG).....	51
	1. Wirksamkeit	51
	2. Zweckmässigkeit.....	53
	3. Wirtschaftlichkeit.....	54
	3.1 Der Myozyme-Entscheid des Bundesgerichts	56
	3.2 Gedanken zu einer absoluten Kostenobergrenze	57

C. Finanzierung

I.	Prämien und Kostenbeteiligung	59
II.	Risikoausgleich	61
III.	Staatliche Beiträge	62

D. Abgrenzung zur Invalidenversicherung (IV)

I.	Die Bedeutung der IV bei seltenen Krankheiten	63
II.	Liste der Geburtsgebrechen (GG-Liste).....	63
III.	IV und OKP – Unterschiede, Übergang und Zusammenspiel	65

E. Zusammenfassung und Zwischenfazit..... 67

Teil 3: Die unsichere Vergütung von Arzneimitteln für seltene Krankheiten..... 69

A. Vorbemerkungen..... 71

- I. Begriff des Arzneimittels 71
- II. Vergütung im ambulanten und stationären Bereich..... 73
- III. Vergütung von Gentherapien 74

B. Ausgangslage..... 75

- I. Seltene Krankheiten im Pflichtleistungssystem der OKP 75
- II. Die Vergütung von Scenesse® 77
 - 1. *Compassionate Use*-Programm..... 77
 - 2. (Fehlende) Kostengutsprachen, Rechtsstreitigkeiten und verbleibende Unsicherheit 78

C. Die Regel als Ausnahmefall: *Orphan Drugs* auf der Spezialitätenliste (SL) 81

- I. Heilmittelrechtliche Zulassung 82
 - 1. Überblick über das ordentliche Zulassungsverfahren 82
 - 1.1 Zulassungsvoraussetzungen 83
 - a Qualität 83
 - b Sicherheit 84
 - c Wirksamkeit..... 84
 - 1.2 Exkurs: Phasen klinischer Studien 85
 - a Phase I..... 85
 - b Phasen II und III 85
 - c Phase IV..... 87
 - 2. Überblick über das vereinfachte Zulassungsverfahren für *Orphan Drugs* 88
 - 2.1 *Orphan Drug*-Status..... 88
 - 2.2 Berücksichtigung der erschwerten Durchführung von klinischen Studien..... 89
- II. Aufnahme in die SL 90
 - 1. Das Antragsprinzip 91
 - 1.1 Das Instrument der Zwangsaufnahme..... 92
 - 1.2 Die Forderung nach einem erweiterten Antragsrecht 94
 - 2. WZW-Kriterien 96

- 2.1 Wirksamkeit 96
 - a Kritikpunkt «Doppelspurigkeit» 97
 - b Kritikpunkt *Orphan Drugs* 98
- 2.2 Zweckmässigkeit 99
- 2.3 Wirtschaftlichkeit 99
 - a Gebotene Limitierung? 101
 - b Verbotene Rationierung 103
- 2.4 Health Technology Assessment (HTA) 104
- 3. Kritikpunkte am SL-Aufnahmeverfahren 105
 - 3.1 Starke Verzögerungen 106
 - 3.2 Keine unabhängige Evaluationsstelle 108
 - 3.3 Fehlender Rechtsschutz und Intransparenz 109
- 4. Vereinfachtes SL-Aufnahmeverfahren für *Orphan Drugs*? 109
- III. Die Vergütung von *Orphan Drugs* in Deutschland – eine Anregung für die Schweiz? 112
 - 1. Grundlegende Bemerkungen zur Arzneimittelvergütung durch die gesetzliche Krankenversicherung (GKV) 113
 - 1.1 Die WZW-Kriterien und der «Nikolaus-Beschluss» des Bundesverfassungsgerichts 113
 - 1.2 Keine Positivliste bzw. keine «vierte Hürde» 114
 - a Einschränkungen und Ausschlüsse 115
 - b Diskussion um die Einführung einer Positivliste 116
 - 1.3 Die frühe Nutzenbewertung 119
 - a Grundlage der Preisfestsetzung 120
 - b Freie Preisfestsetzung in den ersten sechs Monaten 121
 - 2. Die Sonderregelung für *Orphan Drugs* 122
 - 2.1 Die Fiktion des Zusatznutzens in der frühen Nutzenbewertung 122
 - 2.2 Hintergrund und Kritik 124
 - 3. Die Vergütung von Scenese® 127
 - 3.1 Zusatznutzen «nicht quantifizierbar» 128
 - a Begründung des G-BA 129
 - b Herausforderung: Standardisierte Verfahren 131
 - 3.2 Preisfestsetzung durch Schiedsspruch 132
- IV. Zusammenfassung und Zwischenfazit 132
- D. Die Ausnahme als Regelfall: Einzelfallvergütung 135**
 - I. Hintergründe 137

II.	Anwendungsarten.....	138
1.	<i>Off Label</i> und <i>Off Limitation Use</i> (Art. 71a KVV)	139
2.	<i>Hors Liste</i> und <i>Off Label Use</i> (Art. 71b KVV).....	140
3.	<i>Unlicensed Use</i> (Art. 71c KVV).....	140
III.	Leistungsvoraussetzungen	142
1.	Behandlungskomplex (Art. 71a Abs. 1 lit. a KVV).....	142
2.	Grosser therapeutischer Nutzen, tödliche oder schwere und chronische Krankheit, keine Behandlungsalternative (Art. 71a Abs. 1 lit. b KVV)... 143	
2.1	Konkretisierung des Begriffs «grosser therapeutischer Nutzen» durch die Rechtsprechung	144
a	Anforderungen an die Evidenz.....	146
b	Anforderungen bei seltenen Krankheiten.....	148
2.2	Konkretisierung des Begriffs «grosser therapeutischer Nutzen» auf Verordnungsebene	150
2.3	Evaluationsinstrumente	152
a	OLU-Tool	152
b	QALYs.....	155
IV.	Die vertrauensärztliche Beurteilung (Art. 71d Abs. 1 KVV)	158
V.	Kritikpunkte und Entwicklungsperspektiven.....	161
1.	Überblick über problematische Aspekte	162
1.1	Aufwändige Verfahren – Ausgang ungewiss.....	162
1.2	Uneinheitliche Entscheidungen und Willkür	164
1.3	Schwindender Ausnahmecharakter und bestehende Fehlanreize	166
2.	Überblick über diskutierte Lösungsansätze	168
2.1	Ansätze zur Verbesserung der Einzelfallvergütung	169
2.2	Ansätze zur Beseitigung der Fehlanreize.....	172
3.	Stellungnahme.....	174
VI.	Zusammenfassung und Zwischenfazit.....	177
E.	Zusammenfassung und Zwischenfazit.....	180

Teil 4: Die hohen Preise von Arzneimitteln für seltene Krankheiten 181

A.	Ausgangslage.....	183
I.	Gründe für die hohen Preise.....	184
II.	<i>Value-based</i> und <i>cost-based</i> Pricing	187

III. Der Preis von Scenesse®	191
IV. Die «teuersten Medikamente der Welt».....	193
B. Die Regel als Ausnahmefall: Preisfestsetzung durch das BAG.....	196
I. Einleitende Bemerkungen	196
II. Auslandpreisvergleich (APV).....	197
III. Therapeutischer Quervergleich (TQV)	199
IV. Zentrale Kritikpunkte	201
1. Keine eigenständigen Prüfkriterien.....	201
2. Intransparenz	202
C. Die Ausnahme als Regelfall: Preisfestsetzung durch die Krankenkassen	202
I. Einleitende Bemerkungen	202
II. Anforderungen der Art. 71a–71c KVV.....	203
1. In der Schweiz zugelassene und auf der SL aufgeführte Arzneimittel (Art. 71a KVV).....	203
2. In der Schweiz zugelassene, aber nicht auf der SL aufgeführte Arzneimittel (Art. 71b KVV).....	206
3. In der Schweiz nicht zugelassene Arzneimittel (Art. 71c KVV).....	207
III. Problematische Aspekte	209
1. Kompetenzübertragung auf die Krankenkassen.....	210
2. Folgen einer fehlenden Preiseinigung.....	211
D. Preismodelle	213
I. Einleitende Bemerkungen	213
II. <i>Pay for Performance</i> als Zukunftsmodell?	215
III. Internationale Verflechtungen.....	216
E. Zusammenfassung und Zwischenfazit.....	219
 Teil 5: Grundrechtliche und ethische Überlegungen	 223
A. Rechtsgleicher Zugang zu Arzneimitteln für seltene Krankheiten	225
I. Gleichbehandlung bei der Rechtsetzung	226
1. Mittelbare Ungleichbehandlung.....	227

2. Diskriminierung?	230
II. Ungleichbehandlung bei der Rechtsanwendung	233
B. Fairer Zugang zu Arzneimitteln für seltene Krankheiten.....	236
I. Vulnerabilität	237
II. Versorgungsgerechtigkeit	238
III. Sonderstatus für Arzneimittel für seltene Krankheiten?	241
C. Zusammenfassung und Zwischenfazit	243
 Teil 6: Lösungsansätze <i>de lege ferenda</i>	 247
A. Ergebnisse und Ziele	249
B. Vorschlag Nr. 1	
– Vereinfachtes Erstattungsverfahren für <i>Orphan Drugs</i>	251
I. «Automatische» SL-Aufnahme nach Zulassung.....	253
1. Ausnahme vom Antragsprinzip	253
2. Gebührenerlass	254
3. Vergütung eines provisorischen Preises	255
4. Berücksichtigung der erschwerten Durchführung klinischer Studien	257
II. Konkrete Regelungsvorschläge.....	257
C. Vorschlag Nr. 2	
– Behördliche Preisfestsetzung bei Einzelfallvergütung.....	259
I. Preisfestsetzung durch das BAG	260
II. Konkrete Regelungsvorschläge.....	263
D. Vorschlag Nr. 3	
– Beachtung der Besonderheiten seltener Krankheiten	264
I. Wirksamkeitsbeurteilung unter Rücksichtnahme auf die Seltenheit	265
II. Konkreter Regelungsvorschlag	266
E. Auswirkungen der Vorschläge am Beispiel der Vergütung von	
Scenesse®	267
F. Zusammenfassung und Zwischenfazit.....	268
 Fazit und Ausblick.....	 271