

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 <i>Orphan Drugs</i> | 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: <i>Orphan Drugs</i> 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 Scenesse® | 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 Protoporphyrrie (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 |

Inhaltsverzeichnis

| | | |
|--|--|-----------|
| 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 | 43 |
| B. | Allgemeine Leistungsvoraussetzungen | 45 |
| 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 | 59 |
| I. | Prämien und Kostenbeteiligung | 59 |
| II. | Risikoausgleich | 61 |
| III. | Staatliche Beiträge | 62 |
| D. | Abgrenzung zur Invalidenversicherung (IV) | 63 |
| 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. <i>Compassionate Use</i> -Programm..... | 77 |
| 2. (Fehlende) Kostengutsprachen, Rechtsstreitigkeiten und verbleibende Unsicherheit | 78 |
| C. Die Regel als Ausnahmefall: <i>Orphan Drugs</i> 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 <i>Orphan Drugs</i> | 88 |
| 2.1 <i>Orphan Drug</i> -Status..... | 88 |
| 2.2 Berücksichtigung der erschwereten 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 |

Inhaltsverzeichnis

| | |
|---|------------|
| 2.1 Wirksamkeit | 96 |
| a Kritikpunkt «Doppelspurigkeit»..... | 97 |
| b Kritikpunkt <i>Orphan Drugs</i> | 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 <i>Orphan Drugs</i> ? | 109 |
| III. Die Vergütung von <i>Orphan Drugs</i> 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 <i>Orphan Drugs</i> | 122 |
| 2.1 Die Fiktion des Zusatznutzens in der frühen Nutzenbewertung | 122 |
| 2.2 Hintergrund und Kritik..... | 124 |
| 3. Die Vergütung von Scenesse® | 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 Ausnahmeharakter 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 Pricing</i> | 187 |

Inhaltsverzeichnis

| | | |
|--|---|-----|
| 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 erschweren 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 |