

# Seltene Erkrankungen und Orphan Drugs in der Schweiz – Handlungsbedarf aus gesundheitsökonomischer Sicht

Über 7000 seltene Erkrankungen sind bekannt. An ihnen leiden rund 30 Millionen Menschen in Europa. Nötig wäre eine Vernetzung der Betroffenen, mehr politisches Engagement und eine bessere Übernahme der Arzneimittelkosten durch die Krankenpflege-Grundversicherung.

Willy Oggier

Dr. oec. HSG, Gesundheitsökonomische Beratungen AG

Gemäss der in Europa geltenden Definition werden Krankheiten als selten bezeichnet, an denen weniger als einer von 2000 Menschen leidet. Die Erkrankungen sind in der Regel mit schweren Beeinträchtigungen und teilweise auch einer kürzeren Lebenserwartung verbunden und erfordern eine komplexe und hochspezialisierte Behandlung. Über 7000 seltene Erkrankungen sind inzwischen bekannt, an denen rund 30 Millionen Menschen in Europa leiden. Rund 80 Prozent der Erkrankungen sind genetisch bedingt, die anderen sind auf Infektionen, Umwelteinflüsse, Autoimmunreaktionen, degenerative Prozesse und Tumore zurückzuführen [1].

## Bei seltenen Erkrankungen spricht mindestens a priori viel dafür, Arzneimittel durch die Krankenpflege-Grundversicherung zu übernehmen

Gemäss der schweizerischen Gesetzgebung können wichtige Arzneimittel für seltene Erkrankungen vereinfacht zugelassen werden. Bei den Bestimmungen wird unterschieden zwischen Anerkennung des Status «Orphan Drug» (wichtiges Arzneimittel für seltene Krankheiten) und der Zulassung eines Arzneimittels, das den Orphan-Drug-Status schon erhalten hat.

Die Gesuchstellerin kann ihr Gesuch auf eine Anerkennung als Orphan Drug in einem anderen Land mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle abstützen. Swissmedic erteilt in diesem Fall die Anerkennung als Orphan Drug, ohne vorgängig die Daten zu evaluieren, welche die Schwere und Seltenheit der Krankheit belegen. Stützt die Gesuchstellerin ihr Gesuch nicht auf die Anerkennung in einem anderen Land mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle, werden die wissenschaftlichen Unterlagen durch Swissmedic überprüft und wird aufgrund dieser Begutachtung ein Entscheid getroffen, der wiederum bestritten werden kann.

Korrespondenz:

Dr. oec. Willy Oggier  
Gesundheitsökonomische  
Beratungen AG  
Weinhaldenstrasse 22  
CH-8700 Küsnacht

gesundheitsoekonom.  
willyoggier@bluewin.ch

### Aktuelle Probleme

Im Zusammenhang mit seltenen Erkrankungen stellt sich eine Vielzahl von Problemen. Beim Patienten besteht u. a. das Risiko, dass die Krankheit falsch oder verspätet diagnostiziert wird, weil Informationsdefizite vorhanden sind. Aufseiten der Industrie können die Entwicklungskosten für entsprechende Medikamente kaum je gedeckt werden. Als Ausnahme erwähnt werden kann, wenn während der Anwendung eine vorher unbekannte Wirkung eines Arzneimittels entdeckt wird. Auch in diesem Fall ist aber kaum zu erwarten, dass der Hersteller dies der Swissmedic zur Registrierung anmelden wird. Ohne Registrierung ist aber eine Aufnahme in die Spezialitätenliste und damit auch die Kostenübernahme aus der Grundversicherung eigentlich nicht möglich. Realität in der Schweiz ist heute, dass den Vertrauensärzten bei den einzelnen Krankenversicherern eine zentrale Stellung zukommt [2]. Dies dürfte wiederum die Gefahr unterschiedlicher Interpretationen der Grundversicherungs-Leistungen, wohl nicht zuletzt auch getrieben durch die Risikoselektions-Anreize des heutigen Systems [3], erhöhen.

### Ausländische Entwicklungen

Um die Versorgung zu verbessern, haben die USA 1983 ein Gesetz erlassen, das die Entwicklung von Orphan Drugs fördern soll. Der Erfolg dieser Regelung hat andere, insbesondere europäische Staaten Jahre später motiviert, ähnliche Gesetze auszuarbeiten. Federführend sind dabei insbesondere Frankreich und Deutschland. Frankreich erklärte dabei die Behandlung von seltenen Erkrankungen zu einer der fünf grossen Prioritäten der «Loi relative à la politique de santé publique» vom 9. August 2004. Im Rahmen des «Plan National Maladies Rares 2005–2008» wurden zehn Prioritäten und ein Budget von rund 100 Millionen Euro präsentiert, um Patienten mit seltenen Erkrankungen einen gleichberechtigten Zugang zu Diagnose, Behandlung und Pflegeversorgung zu ermöglichen.

Im Rahmen einer Studie im Auftrag des deutschen Bundesministeriums für Gesundheit wurden folgende

wesentliche Massnahmen vorgeschlagen: Erhöhung der Aufmerksamkeit für seltene Erkrankungen; Verbesserung des Zugangs, des Umgangs, der Qualität und der Versorgung; Entwicklung und Implementierung neuer Vergütungsinstrumente; verstärkte Implementierung von Spezialambulanzen und Referenzzentren; gemeinsame Versorgungsmodelle verschiedener Leistungserbringer; Beschleunigung der Diagnosestellung sowie Entwicklung von Therapieleitlinien und Patientenpfaden; Förderung der Netzbildung; Auf- und Ausbau krankheitsübergreifender, qualitätsgesicherter und internetbasierter Informationsdatenbanken und umfassender Erfahrungsaustausch; europaweit koordinierte Forschungsförderung in den Bereichen Register, klinische Forschung, Orphan Drugs und Off-Label Use; Implementierung eines Nationalen Aktionsforums für seltene Erkrankungen und Entwicklung eines nationalen Aktionsplans in Deutschland [4].

## Kassen sollten vermehrte Anreize für eine gute Versorgung statt für die Jagd nach guten Risiken erhalten

### Handlungsbedarf in der Schweiz

Die gescheiterte Teilrevision des Krankenversicherungsgesetzes zur umfassenderen Regelung der Arzneimittelpreise enthielt zwei weitgehend unbestrittene Bestimmungen zur Aufnahme von Arzneimitteln für seltene Krankheiten in die Spezialitätenliste sowie die Anwendung von Arzneimitteln ausserhalb des in der Spezialitätenliste zugelassenen Indikationsbereichs. In der Antwort auf die Interpellation von Nationalrat Meinrado Robbiani vom 19. Dezember 2008 hat

### Seltene Krankheiten in der Schweiz – bessere Vernetzung gefordert

Ende Februar trafen sich Akteure aus Verwaltung, Verbänden, Politik und Wirtschaft erstmals zu einem offenen Gedankenaustausch zum Thema seltene Erkrankungen und Orphan Drugs in Bern. Die bessere Vernetzung der von seltenen Krankheiten Betroffenen und der aktive Austausch unter ihnen sollen das Leben mit seltenen Erkrankungen erträglicher machen und die Behandlungsmöglichkeiten verbessern. Aber auch Politik und Behörden sind gefordert, mehr zu tun. Dies ist das Fazit dieses ersten runden Tisches. Ein zweites Treffen soll im Mai folgen.

(ah)

sich der Bundesrat bereit erklärt, seinen bereits heute bestehenden Spielraum auf Verordnungsstufe auszu-schöpfen und insbesondere eine Regelung vorzubereiten, die den Rhythmus der Überprüfung der Arzneimittel, bezogen auf deren Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit, zum Gegenstand hat. In der Amtszeit von Bundesrat Couchepin sind nach dieser Antwort keine sichtbaren Taten gefolgt.

Aus gesundheitsökonomischer Sicht besteht in diesem Bereich Handlungsbedarf. Denn es dürfte gerade bei seltenen Erkrankungen mindestens a priori vieles dafür sprechen, Arzneimittel gegen seltene Erkrankungen durch die Krankenpflege-Grundversicherung zu übernehmen. Es handelt sich bei solchen Krankheiten in der Regel um klassische Grossrisiken. Die Übernahme von Grossrisiken ist gesundheitsökonomisch betrachtet gerade einer der Ur-Gedanken einer sozialen Krankenversicherung. Die Versicherten können die Erkrankungen mindestens auf dem heutigen Wissensstand nicht vermeiden, oft sind diese vererbt. Zu einer solchen Behandlung gibt es oft keine Alternative. Die entsprechenden Krankheiten verursachen in der Regel auch sehr hohe indirekte Kosten pro Fall, weil viele Kinder betroffen sind und mit einer verkürzten Lebensdauer (und damit auch Wertschöpfungs-Verlusten für die Volkswirtschaft) gerechnet werden muss. Abdeckungen über Zusatzversicherungen finden sich für seltene Erkrankungen kaum oder gar nicht. Um Zugang zum System und zu Innovationen zu schaffen, dürfte daher einzig die soziale Krankenversicherung in Frage kommen. Dafür braucht es vermehrten öffentlichen Druck (z. B. durch ein schweizerisches Aktionsforum), aber auch den weiteren Einsatz gerade auch der Ärzteschaft für eine morbiditätsorientierte Verbesserung des Risikoausgleichs unter den Krankenversicherern. Denn auch Kassen sollten vermehrte Anreize für eine gute Versorgung statt für die Jagd nach guten Risiken erhalten.

### Literatur

- 1 Lazor R, D'Amato Sizonenko L. Seltene Erkrankungen: 30 Millionen Menschen in Europa sind betroffen. Schweiz Ärztezeitung. 2008;89(15):636–8.
- 2 Guetg R. Behandlung von seltenen Krankheiten: Flexibilität gewährleistet. Infosantesuisse. 2005;11:18–9.
- 3 Oggier W. Risikoausgleich oder Risikoselektion? Schweiz Ärztezeitung. 2004;85(31):1626–9.
- 4 Eidt D, Frank M, Reimann A et al. Massnahmen zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit Seltene Erkrankungen in Deutschland. Studie im Auftrag des Bundesministeriums für Gesundheit. Hannover: 9. Juni 2009.