



Forum Bioethik

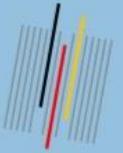
Gar nicht so selten

Herausforderungen im Umgang mit
seltenen Erkrankungen

- Einführung -



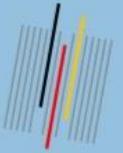
#SelteneErkrankungen



Was sind Seltene Erkrankungen? *

- Lebensbedrohliche oder zu chronischer Invalidität führende, meist erbliche Krankheiten, die so wenige Menschen betreffen, dass gemeinsame Anstrengungen erforderlich sind, um
 - dafür zu sorgen, dass weniger Menschen diese Krankheiten bekommen,
 - zu verhindern, dass Neugeborene und Kinder an diesen Krankheiten sterben,
 - die Lebensqualität und das sozioökonomische Potenzial der Erkrankten zu erhalten.
- Selten: Weniger als 5 von 10.000 Menschen sind erkrankt
- Es gibt 5.000 bis 8.000 verschiedene seltene Krankheiten
- Betrifft mehr als 4 Mio. Menschen in Deutschland

(* Europäische Kommission https://ec.europa.eu/health/rare_diseases/policy_de)



Schwierigkeiten bei seltenen Erkrankungen

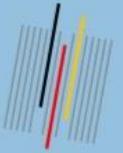
- Falsche oder verspätete Diagnosestellung
- Fehlende Aussicht / Hoffnung auf Heilung
- Wenig Informationen, Erfahrung, Medikamente und Studien
- Psychische Belastung durch die Isolation
- Schwieriger Zugang zu qualifizierten medizinischen Einrichtungen
- Fehlende praktische Unterstützung im Alltag
- „eine unermessliche Ansammlung von medizinischen, sozialen und finanziellen Verwundbarkeiten“ (Eurordis, 2017)
- Versorgung durch strukturelle, medizinische und ökonomische Gründe erschwert



Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (NAMSE)

- 2010: Gründung auf Empfehlung der EU
 - Initiative von BMG, BMBF und ACHSE e.V.
- 2013: Nationaler Aktionsplan mit 52 Maßnahmen:
 - Fachzentren für seltene Erkrankungen
 - Schnellere Diagnose
 - Leicht zugängliche Informationen
 - Intensivere Forschung
- 2017: Bericht zum Umsetzungsstand: Von 52 Vorschlägen sind
 - 8 abgeschlossen,
 - 21 in der Umsetzung,
 - 10 in Vorbereitung...



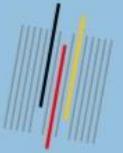


Wann ist die Versorgung „ausreichend, zweckmäßig und wirtschaftlich“? (GBA-Richtlinie §92)

Ethische Herausforderung: Ausgleich zwischen

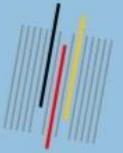
- berechtigten Ansprüchen der Menschen mit seltenen Erkrankungen und
- strukturellen und ökonomischen Begrenzungen des Gesundheitswesens

Ressourcenallokation: zwischen Ambulanzfinanzierung und OrphanDrug-Regelung



Orphan Arzneimittel: Hoffnung auf Therapie

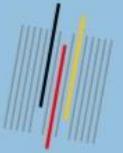
- „Menschen mit seltenen Erkrankungen haben Anspruch auf die gleiche Qualität der Therapie wie andere Patienten“ (EU im Jahr 2000)
- Orphan-Drug Status: Falls es bisher keine adäquate Therapie gibt:
 - Zusatznutzen muss nicht mehr nachgewiesen werden, solange Umsatz <50 Mio.
- Zahlreiche neue Arzneimittel mit sechsstelligen Jahrestherapiekosten
- Frage der Gerechtigkeit ggü. gesunden Beitragszahlern, in anderen EU-Ländern nicht finanzierbar
- Verhandelte GKV-Preise bleiben geheim
- Notwendig: verpflichtende Patientenregister für nachgelagerte Generierung von Evidenz (GBA-Vorsitzender Prof. Josef Hecken 10/2017)
- **Wie kann der Preis begrenzt werden, ohne den Zugang zu verhindern?**



■ European Organisation for Rare Diseases zu „Orphans“:

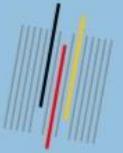


- Erfolg: Bisher 143 Arzneimittel mit Orphan Drug Status, aktuell noch 97 (Stand 11/2017)
 - Manche Hersteller verlangen einfach, „was das System hergibt“
 - Patienten müssen aber Zugang zu verfügbaren Medikamenten haben
 - Eurordis fordert
 - Die Anzahl der neuen Therapien für seltene Erkrankungen soll sich verfünffachen
 - Der Preise sollen bis 2025 auf ein Fünftel ggü. heute fallen
 - Therapeutische Wirkung muss auf Grundlage klinischer Daten beurteilt werden
 - Nationale Gesundheitssysteme sollten bei Preisverhandlung kooperieren
 - **Medikamentenpreise müssen an den Patienten-Nutzen gekoppelt werden**
- (Eurordis 1/2018: „Breaking the Access Deadlock to Leave No One Behind“)



Zentren für seltene Erkrankungen: alternativlos

- Kompetenz, Qualität, Erfahrung, Glaubwürdigkeit, Ehrlichkeit, Empathie ermöglicht **angemessene Versorgung**
- Aufwand, um das zu erreichen, ist bei seltenen Erkrankungen viel höher als bei normalen Erkrankungen
- Komplexe multiprofessionelle Diagnostik und Behandlung erzeugt Zeitaufwand für
 - Lotsenfunktion, Fortbildung, Zusammenarbeit und Austausch von Fachleuten national und international, Instrumente (Patientenregister), Forschung (Studien)
- Qualität entsteht durch Mindestmengen: Bei seltenen Erkrankungen nur in Spezialambulanzen / Zentren erreichbar



Zentren für seltene Erkrankungen: Vergütung

- BMG-Studie fordert 2009 neue Vergütungsinstrumente für zusätzliche Leistungen in Spezialambulanzen: erhöhter Zeitaufwand und nichtärztliche Leistungen wie psychosoziale Versorgung, Ernährungsberatung etc.
 - „Maßnahmen zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit Seltene n Erkrankungen in Deutschland“ Studie 2009 der Universität Hannover im Auftrag des BMG
- Kostenträger sollen die notwendigen Mittel vor Ort vereinbaren können.
 - NAMSE-Aktionsplan 2013: Vorschlag zur Finanzierung der Zentrumsstruktur
- „Zuschläge für Zentren für seltene Erkrankungen KÖNNEN vereinbart werden.“
 - Bundesgesundheitsminister Hermann Gröhe zum 10. Europäischen Tag der Seltene n Erkrankungen 28.02.2017



Regulatorische Maßnahmen im deutschen GKV-System: Verteilte Verantwortung und viele „Player“:

- Bundes-/Landesgesundheitsministerien
- Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA)
- Bundes-/Landesärztekammern
- Kassenärztliche Vereinigungen (KBV, KVen)
- Krankenhäuser (Deutsche Krankenhausgesellschaft)
- >100 Krankenkassen mit Spitzen- und Landesverbänden
- Kollektivverträge, Selektiv/Einzelverträge
- AMNOG, BfArm, IQWiG, MDK, EBM, DRGs, Morbi-RSA.....





Vergütungsinstrumente für Spezialambulanzen

- Zentren für seltene Erkrankungen
 - Zuschüsse abhängig von Eintrag im Länder-Krankenhausplan
- **Ambulante Spezialfachärztliche Versorgung (ASV)**
 - Vom GBA bisher nur für wenige Erkrankungen konkretisiert
 - Aufwendiges Antragsverfahren
 - Abrechnung wie niedergelassener Arzt, nicht kostendeckend für Spezialambulanz
- Pauschalen für Hochschulambulanzen
 - typisch: 90€/Quartal, nötig wären ca. 500€/Quartal
 - Max. 50 Pauschalen pro Hochschule, daher für Seltene Erkrankungen nicht genutzt

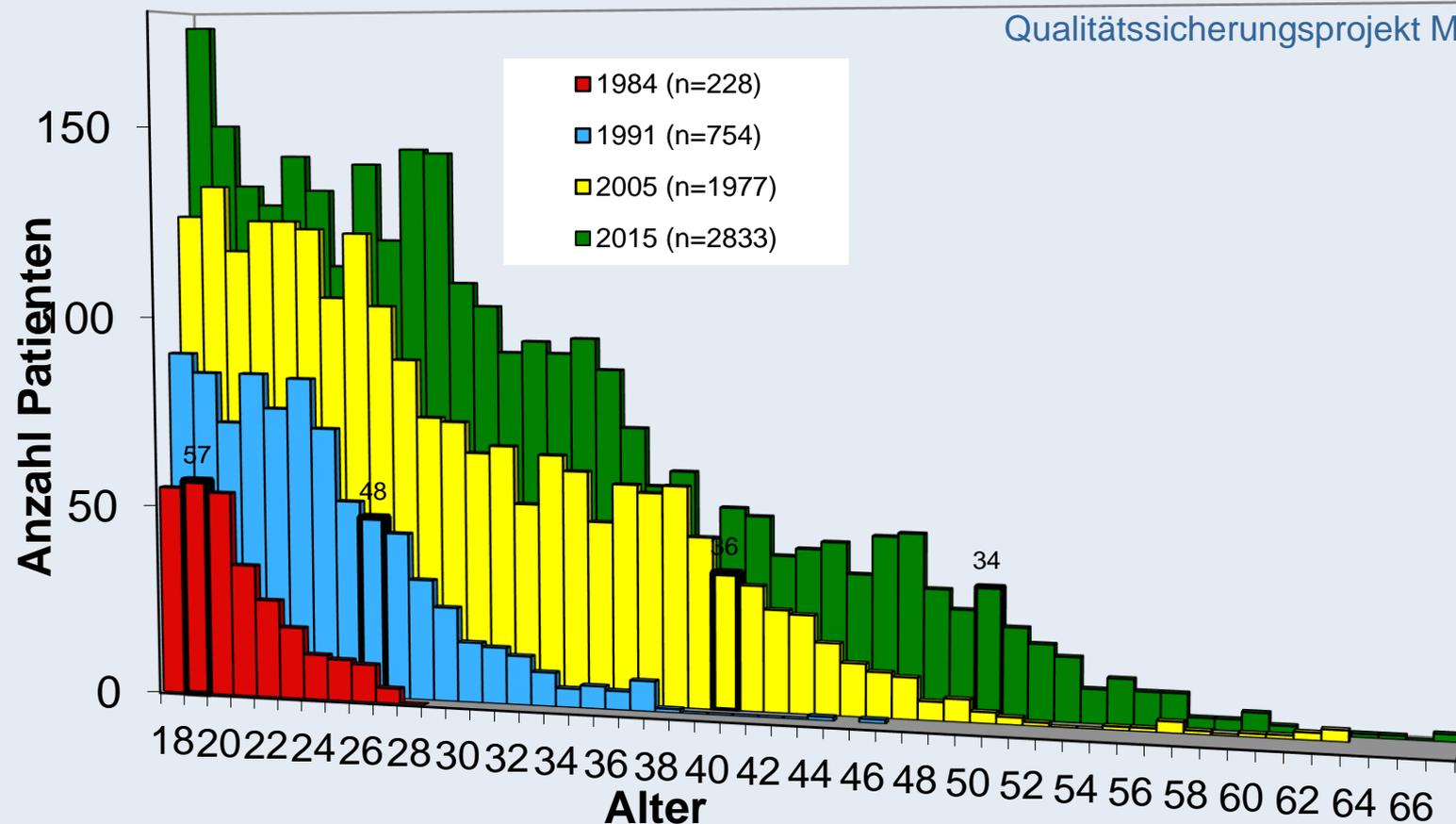
Finanzierung funktioniert in der Praxis oft (noch) nicht

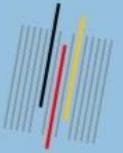
- Beispiel München: $\frac{3}{4}$ Arztstelle statt Behandlungsteam für 250 Mukoviszidose-Patienten



Beispiel Mukoviszidose: Erfolgreiche Medizin führt zu neuer Patientengruppe durch steigende Lebenserwartung

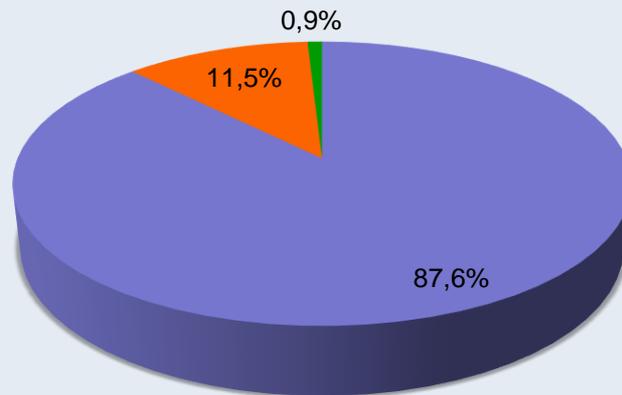
Qualitätssicherungsprojekt Mukoviszidose e.V.





Orphan Drug (violett) - Ambulante Versorgung (grün)

**Versorgungskosten bei Mukoviszidose (Beispiel) ca.
220.000 Euro pro Patient und Jahr**



- Mutationsspezifisches Medikament
- sonstige Medikamente
- ambulante Versorgung (Pauschale)

Quellen: Nutzenbewertung des GBA Lumacaftor/Ivacaftor

Baltin, CT, Smaczny, C, Wagner, TO. Medikamentöse Behandlung von Mukoviszidose – Kostenstruktur und Einsparpotenzial der ambulanten Behandlung. Med Klin. 2010;105(12):887-900



Jetzt geht es gleich weiter:



- Regulatorische Aspekte im Umgang mit seltenen Erkrankungen
 - Antje Behring · Gemeinsamer Bundesausschuss
- Ethische Aspekte im Umgang mit seltenen Erkrankungen
 - Daniel Strech · Medizinische Hochschule Hannover