

# Seltene Erkrankungen – Herausforderungen für das Gesundheitswesen

## Thematik aus ethischer Perspektive

Daniel Strech

Forum Bioethik

Deutscher Ethikrat

Berlin, 25.4.2018



Medizinische Hochschule  
Hannover

# Seltene Erkrankungen & Ethik

## Public Health Ethik

### 1. Allokation

- Gerechte Verteilung begrenzter personeller, zeitlicher, finanzieller Ressourcen
- Etablierte ethische Prinzipien

## Forschungsethik

### 2. „Faire Tests“

- Innovationen ermöglichen
- Effektive/Effiziente Regulierung
- Etablierte ethische Prinzipien

- Besonderheiten bei seltenen Erkrankungen?
  - Keine genuin neuen ethischen Fragen oder Prinzipien
- → Werden die ethischen Prinzipien in konkreten Entscheidungssituationen angemessen umgesetzt?

# 1. Allokation

- Ethische Empfehlungen?
  - Faire, rationale Prozesse

# Allokation = Priorisierungskriterien + faire Verfahren



- Zentrale Ethikkommission bei der Bundesärztekammer (2007)\*
  - Erwarteter medizinischer Nutzen
  - Kosteneffektivität
  - Medizinische Bedürftigkeit: Schweregrad der Erkrankung, Dringlichkeit des Eingreifens
  - *Transparenz*
  - *Partizipation*
  - *Evidenzbasierung*

\* ZEKO (2007) Priorisierung medizinischer Leistungen im System der Gesetzlichen Krankenversicherung (GKV). **Deutsches Ärzteblatt**

# 1. Allokation

- Ethische Empfehlungen?
  - Faire, rationale Prozesse
  
- Implementierung?
  - Partizipation angemessen?
  - Regulierung von Interessenkonflikten
  - Evaluation der Effekte (von z.B. neuen Versorgungsangeboten)?



# Nationaler Aktionsplan für Menschen mit Seltenen Erkrankungen

Handlungsfelder, Empfehlungen und Maßnahmenvorschläge

## Kapitel 1.2: Entstehung und Arbeitsweise des Aktionsbündnisses

- Keine Hinweise zur Priorisierung/Allokation
- 28 Kooperationspartner; „intensiver Abstimmungsprozess“
- „52 Maßnahmenvorschläge im Konsens entwickelt“ → Kein Dissens?
- Interessenkonflikte? Evidenz-Basierung? Evaluation?

## „IGES warnt vor Risiken bei NAMSE“ (Ärzte Zeitung, 2013)

- "Konkurrenz der Krankheiten" um öffentliche Forschungsmittel
- Alternative?

## Petition von ACHSE (2018)

- „Entgegen der allgemeinen Erwartungen haben sich wichtige Entscheidungsträger (u.a. die Krankenkassen) gegen eine Gründung von „NAMSE e.V.“ ausgesprochen“
- Gründe?



Bundesministerium  
für Bildung  
und Forschung

Seit 2003 = 134 Millionen Euro zur Aufklärung wichtiger Fragen zu Seltenen Erkrankungen

- Budget = Ergebnis expliziter Allokation?
- Binnenallokation? Priorisierung bestimmter seltener Erkrankungen?

## 2. Faire Tests → Anreize

- Ethische Empfehlungen?
  - Vereinfachte/flexible Regulierung
  - Weniger „robuste/glaubwürdige“ Studien
  
- Implementierung?



# Implementierung: „Orphan Drugs“

- Effektiv?
  - Dekade vor US Orphan Drug Act (1983) < 12 neue Arzneimittel zugelassen<sup>1</sup>
  - Letzte 25 Jahre: FDA Zulassung für > 280 Orphan Drugs<sup>1</sup>
    - Erfolg: z.B. Alglucerase bei Morbus Gaucher
    - Oft wenig effektive und/oder unsichere Arzneimittel: z.B. Gemtuzumab Ozogamicin für AML
      - Nach 10 Jahren vom Markt: Kein Zusatznutzen, erhöhte Sterblichkeit
- Safeguards: Evaluation nach Marktzulassung
  - Oft stark verzögert<sup>2</sup>
  - Meist nur Beobachtungsstudien → Verzerrungspotential
  - Schwierige Rekrutierung von Studienteilnehmern für RCTs

# Zusammenfassung

- Grundlegende ethische Aspekte
  - Allokation → Wieviel Geld, Personal, Zeit?
  - Faire Tests → Welche Anreize
  
- Basale ethische Empfehlungen
  - Allokation → Faire, rationale Prozesse
  - Faire Tests → Vereinfachte/flexible Regulierung
  
- Implementierung
  - Allokation → Partizipation? Interessenkonflikte? Evaluation?
  - Faire Tests → Zusatznutzen? Evaluationspraxis? Patientenbeteiligung?



*Vielen Dank für Ihre  
Aufmerksamkeit*

Daniel Strech

Forum Bioethik

Deutscher Ethikrat

Berlin, 25.4.2018



Medizinische Hochschule  
Hannover