

Herausgegeben im Auftrag der Rechtswissenschaftlichen Fakultät
der Universität Zürich von G. Biaggini, O. Diggelmann, T. Gächter, A. Glaser,
A. Griffel, C. Kaufmann, H. Keller, R. Kiener, A. Kley, R. Matteotti,
D. Moeckli, M. Oesch, J. Reich, M. Simonek und F. Uhlmann

Luisa Vatter

Seltene Krankheiten in der Krankenversicherung

Eine rechtliche Betrachtung der Vergütung
von Arzneimitteln für seltene Krankheiten
durch die OKP

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 Protoporphyrinurie (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)

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. *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 <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 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 Pricing</i>	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 Scenese®	267
F. Zusammenfassung und Zwischenfazit.....	268
Fazit und Ausblick.....	271