

Rare Disease Action Forum
c/o SFL Regulatory Affairs
& Scientific Communication GmbH
Aeschenvorstadt 52/54 | CH-4051 Basel
Tel: +41 61 361 94 43,
info@rda-forum.org, www.rda-forum.org

Bundesamt für Gesundheit BAG
Abteilung Tarife und Grundlagen
Schwarzenburgstrasse 157
3003 Bern
Tarife-Grundlagen@bag.admin.ch

Basel, 16. November 2020

**Stellungnahme des Rare Disease Action Forum (RDAF) im Rahmen des
Vernehmlassungsverfahrens zur Änderung des Bundesgesetzes vom 18. März
1994 über die Krankenversicherung (KVG)
- Massnahmen zur Kostendämpfung – Paket 2**

Sehr geehrte Damen und Herren

Das Rare Disease Action Forum begrüsst die Möglichkeit zur Stellungnahme zum Entwurf der Revision und zum erläuternden Bericht zur Änderung des Bundesgesetzes vom 18. März 1994 über die Krankenversicherung (Massnahmen zur Kostendämpfung – Paket 2). Im Folgenden finden Sie unsere Stellungnahme zu einzelnen vom Bundesrat vorgeschlagenen Gesetzesänderungen, welche Auswirkungen auf das Leben von Patienten mit seltenen Krankheiten haben.

1. *Invalidenversicherung (IV): Analoge oder gleichgerichtete Ausgestaltung wie im KVG betreffend die Regelung für die Vereinbarung von Preismodellen und die Schaffung von Rechtsgrundlagen für eine differenzierte Prüfung gemäss den Kriterien der Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit, den sog. WZW-Kriterien (Art. 14 und Art. 14^{ter} VE-IVG¹)*

Eine Annäherung der IVG an die obligatorische Krankenpflegeversicherung (OKP) bezüglich Arzneimittelliste hat potenziell grosse Auswirkungen auf Menschen mit seltenen Krankheiten.

Im Generellen wird ein Kompetenzzentrum zur Festlegung von Medikamentenpreisen und ein strukturierter Prozess für die Preisfestlegung und Führung einer Arzneimittelliste im

¹ Bundesgesetz vom 19. Juni 1959 über die Invalidenversicherung

IVG begrüsst. Auch die Möglichkeit vertraulicher Preismodelle für Arzneimittelvergütung im IVG-Bereich ist ein positiver Schritt, der den Patientenzugang zu Therapien beschleunigen könnte.

Es ist aber festzuhalten, dass **bei der Umsetzung die speziellen Begebenheiten bei seltenen Krankheiten berücksichtigt werden müssen**, insbesondere dass

- 80% von ca. 6'000 bis 8'000 seltener Krankheiten genetischen Ursprungs sind;
- 75% der seltenen Krankheiten im Kindesalter diagnostiziert werden und
- 50% der Kinder vor Erreichen des 5. Lebensjahrs sterben.

Seltene Krankheiten sind per Definition chronisch invalidisierend oder lebensbedrohlich.

Eine Beurteilung der WZW-Kriterien bei Medikamenten für seltene Krankheiten muss sich vor diesem Hintergrund von der Beurteilung im KVG-Bereich unterscheiden. Dies belegen auch folgende Umstände:

- Kleinere Populationsgrössen, welche sowohl Einfluss auf die statistische Auswertung als auch auf Studiendesigns haben können [grosse Phase III bzw. kontrollierte Studien (insb. «head-to-head») sind schwierig oder unmöglich durchzuführen];
- Inhomogene Patientengruppen;
- Oftmals Fehlen spezieller pädiatrischer Studien sofern es sich nicht reine «Kinderkrankheiten» handelt; und
- Verbleibende Datenunsicherheiten bzw. -lücken, die oft erst durch Erfassung von «Real-World Evidence» zu schliessen sind.

Bei der IV ist der Eingliederungsgedanke, respektive die Rehabilitation, zentral, d.h. es werden auch indirekte Kosten / Folgen einer Krankheit (auf Angehörige, Ausbildung/Beruf, Gesellschaft) berücksichtigt, wohingegen das KVG den Fokus auf Behandlungs- und Therapiekosten unter Vernachlässigung sozioökonomischer Kosten ausrichtet. Aus dem Vorschlag des Bundesrates geht nicht hervor, wie dieser Punkt bei einer Annäherung ausgestaltet wird, sodass dem (Wieder-) Eingliederungsgedanken der IV weiterhin Rechnung getragen wird.

Wir möchten betonen, dass es speziell bei seltenen Krankheiten wichtig ist, dass für die Betroffenen und deren Angehörigen auch die indirekten Kosten der Erkrankung berücksichtigt sind und der Zugang zu Therapien möglichst rasch erreicht werden kann. Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit sind im Hinblick auf die Eingliederung und den Beitrag zu einer eigenverantwortlichen und selbstbestimmten Lebensführung der betroffenen Versicherten zu beurteilen. Der Grundsatz der Kostengünstigkeit ist hier, wie auch im KVG (vgl. Ablehnung von Art. 32 Abs. 3 VE-KVG), nicht zielführend. Ausgaben für Therapien sind nicht nur Kosten, sondern auch Investitionen in die Gesundheit und können die Lebensbedingungen der Betroffenen und deren Angehörigen substanziell verbessern. Sie können zu Einsparungen anderer Leistungen im Sozialversicherungswesen führen, wie zum Beispiel einem tieferen Bedarf an Unterstützungsgeldern. Des Weiteren können sie es z.B. ermöglichen, dass die Betroffenen oder deren Angehörige wieder vermehrt im Sozial- und Berufsleben aktiv werden und somit keine resp. geringere (Lohn-) Einbussen haben.

Schliesslich muss der reibungslose Übergang von allen Leistungen, inkl. der Geburtsgebrechen-Medikamentenliste, zu einer neuen Liste und in den KVG-Bereich (also beim Übergang von IV- zu von der OKP finanzierten Leistungen nach vollendetem 20. Altersjahr) ohne Unterbruch gewährleistet werden.

2. *Einführung einer Zielvorgabe, welche Kostenziele für das OKP-Kostenwachstum definieren sowie Massnahmen zur Korrektur bei allfälligen Zielüberschreitungen festlegen soll (Art. 54, Art. 54a-e VE-KVG)*

Der Einführung von Zielvorgaben für das maximale OKP-Wachstum ohne spezifische Regelungen für Arzneimittel zur Behandlung seltener Krankheiten steht das RDAF äusserst kritisch gegenüber.

Obwohl Behandlungskosten für einzelne Patienten auf den ersten Blick hoch ausfallen können, beträgt der Anteil der Kosten von Medikamenten für seltene Krankheiten an den gesamten Arzneimittelausgaben lediglich 3% (insgesamt tragen Arzneimittel «nur» 13% zu den gesamten Gesundheitskosten bei).² Aus heutiger Sicht ist auch in Zukunft nicht von einer «Kostenexplosion» im Bereich seltener Krankheiten auszugehen. Die Kostenstruktur und –verteilung von Medikamenten im Bereich seltener Krankheiten schwankt überdies stark, was jährliche Zielvorgaben auf nationaler Ebene [und erst recht auf kantonaler Ebene] nicht erfassen können.

Zielvorgaben widersprechen dem Anspruch auf Förderung von Innovation und auf einen fairen und gleichen Zugang zu einer Behandlung, der unter anderem ein zentraler Punkt des Nationalen Konzepts Seltene Krankheiten³ ist.

Wir befürchten, dass Zielvorgaben für die Kostenentwicklung im OKP-Bereich die Entwicklung von neuen Therapieoptionen bremsen könnten, was den ohnehin schwierigen Zugang zu einer Behandlung für Patienten mit seltenen Krankheiten noch weiter erschwert. Dabei hält die Forschungstätigkeit in diesem Bereich grosses Potential für Innovationen bereit. Zielvorgaben könnten zu Rationierungserscheinungen und Qualitätsverlusten führen.

Aus diesen Gründen lehnen wir die Einführung einer Zielvorgabe für das OKP-Kostenwachstum für Medikamente mit einem «orphan drug status» (per Definition «wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten»⁴ ab.

² Gesundheitswesen Schweiz 2019, Interpharma, https://www.interpharma.ch/wp-content/uploads/2020/02/gesundheitswesen_schweiz_2019_d-komprimiert.pdf

³ Schweizer Nationales Konzept Seltene Krankheiten, siehe auch <https://www.bag.admin.ch/dam/bag/de/dokumente/kuv-leistungen/seltene-krankheiten/nationales-konzept-seltene-krankheiten.pdf.download.pdf/Konzept%20Seltene%20Krankheiten.pdf>

⁴ Art. 4-7 Verordnung des Schweizerischen Heilmittelinstituts über die vereinfachte Zulassung von Arzneimitteln und die Zulassung von Arzneimitteln im Meldeverfahren (VAZV)

3. *Einführung einer Erstberatungsstelle, an die sich die Versicherten bei gesundheitlichen Problemen zuerst wenden (Art. 40a, Art. 40b, Art. 40c, Art. 40d, Art. 41, Art. 41a VE-KVG)*

Die Einführung einer Erstberatungsstelle kann die ohnedies schon lange Zeit bis zur Diagnose bei seltenen Krankheiten verlängern und zu Krankheitsprogression sowie irreversiblen Schäden führen.

Generell unterstützt das RDAF die Stärkung einer koordinierten Versorgung von Patientinnen und Patienten. Dies ist auch speziell für Betroffene einer seltenen Krankheit wichtig, da insbesondere eine zeitnahe Diagnosestellung und die Einleitung der richtigen Massnahmen für den weiteren Verlauf der Erkrankung von grösster Bedeutung sind. Verzögerungen bei Diagnose und/oder Behandlung können zu Krankheitsprogression und damit einhergehend zu irreversiblen Schäden führen. Die gezielte koordinierte Versorgung durch Referenzzentren und Netzwerke ist ein wesentlicher Bestandteil des Nationalen Konzepts für Seltene Krankheiten.

Das Obligatorium der Erstberatungsstelle und die mit ihr einhergehende Einschränkung der Wahlfreiheit bei medizinischen Leistungen erscheint, ist jedoch zu hinterfragen. Eine Mehrheit der OKP-Versicherten ist bereits in einem alternativen Versicherungsmodell mit entsprechenden Prämienaufschlägen versichert. Seltene Krankheiten sind meist genetischen Ursprungs, und betroffene Familien werden oft schon über einen Spezialisten betreut – eine zusätzliche vorgelagerte Konsultation einer Erstberatungsstelle ergibt in solchen Fällen keinen Sinn und kann wertvolle Zeit kosten. Wichtig ist, dass Diagnose und nachfolgende Behandlungsschritte für die Patientinnen und Patienten optimiert sind.

Bei einer Anpassung im Rahmen des Kostendämpfungspakets 2 ist darauf zu achten, dass Patientinnen und Patienten mit einer seltenen Krankheit nicht noch später als ohnedies schon zu einem Referenzzentrum für seltene Krankheiten weitergeleitet werden und es bei einer allfälligen Einführung einer Erstberatungsstelle (und damit ggf. die Verhinderung einer Zweitmeinung) zu keinen weiteren Verzögerungen in der Diagnosestellung oder Genanalyse kommen wird.

4. *Schaffung von Rechtsgrundlagen für eine differenzierte Prüfung der WZW-Kriterien (Art. 32 Abs. 3 VE-KVG)*

Einer generell verschärften Prüfung auf die Kriterien der Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit sowie dem Fokus auf eine möglichst

kostengünstige Vergütung ohne Berücksichtigung der speziellen Umstände seltener Krankheiten und deren Therapien steht das RDAF kritisch gegenüber.

Wie in Abschnitt 1 bereits erwähnt, kann sich die Beurteilung von Medikamenten für Seltene Krankheiten auf WZW-Kriterien auf Grund der folgenden Punkte schwierig gestalten:

- Kleinere Populationsgrössen, welche sowohl Einfluss auf die statistische Auswertung als auch auf Studiendesigns haben können;
- Inhomogene Patientengruppen;
- Oftmals Fehlen spezieller pädiatrischer Studien; und
- Verbleibende Datenunsicherheiten bzw. -lücken.

Eine ausschliessliche Berücksichtigung des Kostengünstigkeitsprinzips führt zu einer Nichtberücksichtigung der Einsparung sozioökonomischer Kosten, wobei gerade durch den Einsatz von Orphan Drugs hier ein enormer Einsparungsgewinn möglich ist.

Durch die Einführung einer «differenzierten» WZW-Prüfung im Zusammenhang mit dem Kostengünstigkeitsprinzip in der Arzneimittelpreis-Bestimmung erhöht sich die Unsicherheit für Patienten, sowie der administrative Aufwand aller Beteiligten. Dies schwächt den Zugang der Patienten zu Innovationen, da Anreize, neue Medikamente möglichst rasch auf den Schweizer Markt zu bringen, durch den Verlust an Planbarkeit reduziert werden. Dies wäre besonders für Patienten mit einer seltenen Krankheit nachteilig, da diese dringend auf Innovationen angewiesen sind. Derzeit steht lediglich für 5% aller seltenen Krankheiten eine Therapieoption zur Verfügung.

Die Delegationsnorm Art. 32 Abs. 3 VE-KVG reicht jedoch über Medikamente hinaus und will für alle OKP-Leistungen dem Ziel einer möglichst kostengünstigen Vergütung bei der Prüfung der WZW-Kriterien Vorrang einräumen. Damit würde der Nutzen für Patienten, für das Gesundheitswesen, für andere Sozialversicherungen und für die Gesellschaft in den Hintergrund treten. Das schädigt die Qualität des Gesundheitswesens und hemmt die Innovation für die Verbesserung von Behandlungen, welche unheilbare Krankheiten lindern oder gar heilen könnten.

Eine Preisfestsetzung, die den Nutzen neuer Medikamente für seltene Krankheiten und das Nutzen-Kosten-Verhältnis nicht berücksichtigt, lehnt das Rare Disease Action Forum grundsätzlich ab. Bei einer Nutzenbewertung sind Expertenmeinungen und auch die Sicht der Patienten, speziell im Bereich der seltenen Krankheiten, ein wichtiger Punkt, welcher in eine Bewertung miteinfließen sollte. Das Kostengünstigkeitsprinzip untergräbt die Planbarkeit und verzögert den Zugang zu Innovationen. Die ohnehin bereits zugespitzte Zugangsproblematik würde weiter verschärft und die Versorgungssicherheit in der Schweiz speziell auch im Bereich seltener Krankheiten noch stärker unter Druck gesetzt, da Firmen den Zugang von Innovationen in der Schweiz depriorisieren könnten. Dies könnte zu einer ungewünschten Verschiebung zum administrativ aufwändigen, ungleichen resp. unsicheren Zugang im Einzelfall über den Artikel 71a-d KVV⁵ führen. Die Patienten und ihre Angehörigen

⁵ Verordnung über die Krankenversicherung (KVV) vom 27. Juni 1995

müssten sich ständig Sorgen machen, ob ihre Behandlung genehmigt bzw. verlängert wird oder nicht, was eine grosse psychische Zusatzbelastung darstellt und zu Therapieunterbrüchen oder -abbrüchen führen kann.

Das Kostengünstigkeitsprinzip missachtet den Bedarf nach neuen Therapieoptionen und den Nutzen von Innovation systematisch und ist deshalb mit einem nachhaltigen Zugang der Patienten mit seltenen Krankheiten zu innovativen Behandlungen nicht vereinbar. Dies entspricht nicht einem Innovationsstandort wie der Schweiz. Bereits heute erhalten Patienten mit seltenen Krankheiten im europäischen Ausland oft besseren Zugang zu neuen Therapien als in der Schweiz⁶.

5. *Vertrauliche Preismodelle für hoch innovative Medikamente (Art. 18 Abs. 2^{septies}, Art. 52b, Art. 52c VE-KVG)*

Das RDAF begrüsst die Einführung der Option neuer Preismodelle, da diese für Medikamente im Bereich seltener Krankheiten wichtig sein werden – im speziellen auch für Regelung von sog. Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs)⁷

Generell unterstützt das RDAF die Schaffung von Rahmenbedingungen für neue Preismodelle, sofern diese an einen schnelleren Zugang zu Therapien gekoppelt sind.

Preismodelle müssen den Nutzen einer Behandlung berücksichtigen. Sie dürfen nicht als einfache Möglichkeit der Preisreduzierung herangezogen werden, sondern sollen dazu dienen, den Zugang bei allfälligen erhöhten Unsicherheiten bezüglich der Wirksamkeit (z.B. aufgrund der Datenlage von klinischen Studien mit wenigen bzw. inhomogenen Patienten) möglichst rasch zu ermöglichen. Um Preismodelle erfolgreich etablieren zu können, ist die Vertraulichkeit ein unabdingbarer Faktor, welcher unbedingt eingehalten werden muss.

Für innovative Therapien, die oft auch im Bereich der Seltene Krankheiten entwickelt werden, sind flexible und praktikable Lösungen gefragt. Diese sollen in einer ersten Phase nach der Zulassung z.B. über risk-sharing-Modelle einen schnellen Zugang für Patientinnen und Patienten zu neuen Behandlungsoptionen ermöglichen.

Auch sollten weitere Modelle diskutiert werden, welche einen schnellen Zugang zu ATMPs ermöglichen. Speziell bei transformativen Therapien, welche potenziell nur einmal angewendet werden (Bsp. Gentherapien), müssen gemeinsam mit allen Stakeholdern gangbare Lösungen erarbeitet werden.

⁶ Patients W.A.I.T. indicator 2019 – IQVIA

⁷ Als Arzneimittel für neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMPs) werden in der Europäischen Union iSd der Verordnung (EG) Nr. 1394/2007 drei Klassen von Arzneimitteln verstanden: somatische Zelltherapeutika, Gentherapeutika oder biotechnologisch bearbeitete Gewebeprodukte. Obwohl diese Therapien unterschiedliche Ansätze wie personalisierte (Zelltherapeutika: ein für einen bestimmten Patienten entwickeltes Medikament) oder nicht personalisierte (Gentherapeutika: das gleiche Medikament für alle Patienten) Medikamente haben und in unterschiedlichen Settings (stationär und ambulant) eingesetzt werden, sind sie alle hoch innovativ und werden den Patienten neue, wichtige Behandlungsoptionen eröffnen.

Bei einer befristeten Zulassung oder Erstattung soll bei einer späteren Überprüfung die Möglichkeit bestehen, die neue Datenlage zu honorieren. Ein schneller Zugang mittels vorläufiger Daten sollte nicht von Anfang an zu einem «irreversiblen» Preis führen. Diesem Punkt muss in der Ausgestaltung der Verordnungen Rechnung getragen werden.

6. *Elektronische Rechnungsstellung (Art. 47b VE-KVG)*

Das RDAF begrüsst die Einführung einer elektronischen Rechnungsübermittlung, weist aber darauf hin, dass diese den Standards des Datenschutzes entsprechen müssen.

7. *Daten der Versicherer (Art. 21 VE-KVG)*

Digitalisierung und koordinierte Datenerhebung (in Form von nationalen Registern) ist gerade bei seltenen Krankheiten ein wichtiger Punkt.

Das RDAF fordert einen breit abgestützten, strukturierten Dialog unter Leistungserbringern, Technologieanbietern und Versicherern, mit dem Ziel der Einrichtung eines gemeinsamen Plans zur Förderung einer verantwortungsvollen Erhebung und Nutzung von Gesundheitsdaten. Im Speziellen fordern wir die (auch finanzielle) Unterstützung von nationalen Registern im Bereich seltene Krankheiten.

Wir bedanken uns für die Berücksichtigung unserer Kommentare zur Vernehmlassung und stehen gerne für Rückfragen und weitere Gespräche zur Verfügung.

Mit freundlichen Grüssen



Shayesteh Fürst-Ladani

Präsidentin

Über das Rare Disease Action Forum:

Das Rare Disease Action Forum ist eine gemeinnützige Multi-Stakeholder-Organisation in der Schweiz, dessen Ziel es ist, das Leben von Patienten mit seltenen Krankheiten zu verbessern. Unser einzigartiger kooperativer Ansatz bietet Experten auf dem Gebiet seltener Krankheiten eine Plattform für einen ganzheitlichen Austausch von Ideen und der Erarbeitung gemeinsamer Ansätze um Patienten den Zugang zu Diagnose, Behandlung und Pflege zu erleichtern. Das RDAF setzt sich zusammen aus Mitgliedern von Patientenorganisationen, Spitälern, Forschungsorganisationen, Industrie und Gesundheitsexperten.