



Forderungen des VUD und der Ersatzkassen zur Einführung hochpreisiger neuer Behandlungsverfahren am Beispiel der CAR-T-Zelltherapie

Unterstützt durch die

und die

Stand: 29.08.2019

Hintergrund

Mit der CAR-T-Zelltherapie – die unter die sogenannten Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMP) fällt – haben zwei Pharmaunternehmen eine neuartige Krebsimmuntherapie entwickelt. Seit August 2018 sind die Präparate in Deutschland für die Behandlung von Patienten, bei denen herkömmliche Therapieoptionen ausgeschöpft sind, als Drittlinientherapie für aggressive Varianten von Leukämie („Blutkrebs“) und Lymphomen („Lymphdrüsenkrebs“) zugelassen. Die Kosten der reinen Zelltherapie liegen bei ca. 320.000 Euro ohne Mehrwertsteuer pro Patient. In den nächsten Jahren sind weitere Therapieverfahren zu erwarten, verbunden mit jeweils ähnlich hohen Kosten für die gesetzliche Krankenversicherung (GKV). Hinzu kommen die Behandlungskosten; diese können insbesondere bei häufig auftretenden Komplikationen sehr hoch sein. Für die bisher im Rahmen der CAR-T-Zelltherapie zugelassenen Indikationen kommen etwa 1.200 bis 1.400 an Blutkrebs erkrankte Patienten pro Jahr infrage. Für das Jahr 2019 haben 107 Krankenhäuser bereits Anträge gestellt, um das Verfahren im Rahmen einer Regelung für Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden (NUB) zu erbringen.

Die Forschung und Entwicklung dieser Zelltherapieverfahren erfolgte maßgeblich in Universitätskliniken und wurde dann von der Industrie übernommen. Aufgrund der starken Forschungsaktivitäten werden in den nächsten Jahren weitere Präparate für andere Indikationen auf den Markt kommen; u. a. auch solche zur Behandlung von soliden Tumoren. Auch außerhalb der Onkologie finden sich für die Gentherapie neue Einsatzfelder. Das IGES Institut geht davon aus, dass in den nächsten Jahren bis zu 45 weitere Therapien für ein breites Erkrankungsspektrum auf den Markt kommen werden, die zum Teil mehrere Millionen Euro pro Behandlung kosten könnten. Angesichts dessen ist mit einem hohen Kostenanstieg für die GKV insgesamt zu rechnen.

Hochpreisige Behandlungsverfahren für seltene Erkrankungen oder beschleunigt zugelassene Medikamente bieten Chancen und Risiken zugleich. Die Evidenz ist in diesen Bereichen häufig niedriger. Andererseits können medizinische Innovationen schneller in die Versorgung gelangen; dies ist im Interesse der Patienten. Allerdings müssen die Risiken der geminderten Evidenz abgefangen werden. Diese Behandlungsverfahren sollten zunächst nur in neu einzurichtenden Innovationszentren, die grundsätzlich universitären Charakter haben, angewendet und evaluiert werden. Erst nach positivem Abschluss einer bundesweiten Evaluierungsphase ist ein Verfahren für die stationäre Regelversorgung freizugeben.

Forderungen der Ersatzkassen und des VUD

(1) Standards der Zulassung beibehalten

Eine Absenkung der Anforderungen bei der Bewertung des Arzneimittels durch die Zulassungsbehörden darf nicht erfolgen. Auch Patienten mit seltenen oder schwerwiegenden Erkrankungen müssen sich auf eine positive Nutzen–Risiko–Abwägung verlassen können.

(2) Schnellen Zugang unter Evaluationsbedingungen ermöglichen

Gerade Patienten, bei denen Standardtherapien nicht zu dem erhofften Erfolg geführt haben, sollen einen schnellen Zugang zu neuen Behandlungsmethoden erhalten. Diese neuen, aber auch risikoreichen Behandlungsmethoden müssen grundsätzlich in adäquate Evaluationsverfahren eingebunden werden.

(3) Vorgeschaltetes NUB–Verfahren an Innovationszentren

Bevor neue Behandlungsverfahren für seltene Erkrankungen oder Medikamente mit beschleunigten Zulassungsverfahren in die Regelversorgung bzw. –finanzierung gelangen, sollten sie in einem mit der Zulassung beginnenden vorgeschalteten NUB–Verfahren ausschließlich in Innovationszentren angewendet und evaluiert werden. Die Innovationszentren müssen in der Lage sein, Patienten über einen längeren Zeitraum zu begleiten, auch wenn diese nicht im unmittelbaren Behandlungsumfeld des Innovationszentrums leben (z. B. über die Hochschulambulanzen oder über kooperierende Zentren). Zudem müssen sie Erkenntnisse über den Behandlungserfolg feststellen und dokumentieren, um ggf. an gesetzlich zu verankernden zentralen Studien des Gemeinsamen Bundesausschusses (G–BA) oder Registern mitzuwirken. Darüber hinaus müssen diese Innovationszentren aktiv an der Erforschung der Verfahren mitwirken, über umfangreiche medizinische Erfahrung in der Anwendung einschlägiger Verfahren in der Patientenversorgung verfügen und qualitätsgesichert risikoreiche innovative Behandlungsmethoden in die Patientenversorgung einführen können. Erst wenn der nachhaltige Nutzen dieser Behandlungsverfahren oder Medikamente nachgewiesen worden ist, dürfen sie, wenn dies sinnvoll ist, in die Regelversorgung bzw. –finanzierung auch außerhalb der Innovationszentren überführt werden.

(4) Kontrollierte Einführung in qualitätsorientierten Angebotsstrukturen schaffen

Diese innovativen Verfahren sollten gerade in der Einführungsphase nur von wenigen Zentren erbracht werden, die in der Forschung und Patientenversorgung über eine ausgewiesene Expertise für die entsprechenden Methoden und Verfahren verfügen. Diese Zentren müssen sich an spezifischen Qualitätssicherungsverfahren sowie ggf. an einem entsprechenden industrieunabhängigen Register beteiligen.

Die begleitende Betreuung und Nachsorge kann in Kooperation mit geeigneten Leistungserbringern erbracht werden. Der G-BA sollte Prozess- und Strukturkriterien für die Zentren festlegen. Nur so können aufgrund der insgesamt kleinen betroffenen Patientenzahl ausreichend und schnell qualitätsgesicherte Erfahrungen, insbesondere über den Erfolg und Misserfolg sowie die Präzisierung der Indikationsstellung, gesammelt werden. Gerade bei lebensbedrohlichen Erkrankungen ist schneller Erkenntnisgewinn für die Betroffenen existenziell wichtig.

(5) Forschung und Eigenherstellung fördern

Die Erforschung und Entwicklung neuer Gen- und komplexer Zelltherapieverfahren muss industrieunabhängig möglich werden. Dies setzt eine entsprechende Finanzierung für Forschung und Entwicklung in den Innovationszentren voraus. Zudem benötigen die Innovationszentren eine adäquate Infrastruktur für die Eigenherstellung entsprechender Arzneimittel. Um diese Infrastruktur aufbauen zu können, müssen die für die Eigenherstellung einschlägigen Regularien so ausgestaltet werden, dass Innovationszentren rechtssicher und planbar Eigenherstellung wirtschaftlich betreiben können.

(6) Preisbildung überdenken und langfristigen Finanzierungsrahmen schaffen

Die für die Hersteller geltenden Regeln bei der Preisbildung von Arzneimitteln für die Behandlung von seltenen Erkrankungen müssen rechtlich so gestaltet sein, dass die Solidargemeinschaft nicht überfordert wird. Es muss ein Rahmen geschaffen werden, der konjunkturunabhängig die Finanzierbarkeit der Behandlungen aller versicherten Patienten garantiert.