

## Kostengutsprache bei einer seltenen Porphyrrie und der KVV-Artikel 71a und b

# Fragwürdige Vergütungspolitik

Elisabeth Minder

Prof. Dr. med., Fachärztin für Allgemeine Innere Medizin sowie Klinische Pharmakologie und Toxikologie, Stadtspital Triemli, Zürich

### Einleitung

Der KVV-Artikel 71a und b ermöglicht die Anwendung von nicht zugelassenen Medikamenten, falls keine Alternative existiert und ein grosser therapeutischer Nutzen erwartet werden kann. Vorausgesetzt wird eine Kostengutsprache des Versicherers, wobei der Versicherer einen Entscheidungsspielraum hat. Meist bei onkologischen Patienten angewendet und durch das BAG evaluiert, ist nichts über die Anwendung bei seltenen Krankheiten bekannt. Aber nur eine einheitliche Anwendungspraxis garantiert Rechtsgleichheit für die Patienten. Unsere zweijährige Erfahrung mit einem neuen Medikament für mehr als 35 Porphyrriepatienten zeigt, dass die unterschiedlichen Entscheide der Versicherer mehr von ihrer Politik als vom Schweregrad der Krankheit abhängt.

### Schwere Schmerzattacken

Ich betreue Porphyrrie-Patienten. Porphyrrien sind eine Gruppe seltener Krankheiten, d.h., 1 von 50 000 bis <1 pro Mio. Einwohner ist betroffen. In der Schweiz kennen wir ungefähr 450 Porphyrriepatienten, davon die meisten glücklicherweise beschwerdefrei. Andere sind schwer betroffen, und ihre Beschwerden sind häufig sehr belastend und extrem schmerzhaft. Eine Behandlung für solche seltenen Krankheiten zu entwickeln, war für die Pharmaindustrie bisher uninteressant. Aus diesem Grund konnten wir je nach Typus der Porphyrrie kaum Behandlungsmöglichkeiten anbieten. Wir stellten häufig nur die Diagnose und

versuchten, durch symptomatische Behandlung Leiden zu lindern.

Glücklicherweise hat eine kleine australische Pharmafirma ein Produkt entwickelt, das bei einer der Porphyrriefformen, der erythropoietischen Protoporphyrrie, kurz EPP genannt, wirkt. EPP führt zu einer Anhäufung von Protoporphyrin in der Haut, was diese sehr lichtempfindlich macht: Sonnenlicht löst phototoxische Reaktionen aus, die sich primär als Schmerz ohne sichtbare Hautveränderungen äussert. Nur bei extremen Schäden treten Ödeme ähnlich einem Angioödem auf, begleitet von Erythem, Petechien oder Hauterosionen. Die EPP-bedingten Schmerzen fühlen sich ungefähr so an, wie wenn man den Handrücken über eine offene Flamme hält und nicht wegziehen kann. Schwere Schmerzattacken dauern oft länger als eine Woche, Schlafen ist unmöglich. Allenfalls lässt sich mit Opioiden eine gewisse Linderung erreichen, schwächere Analgetika sind unwirksam. Oder die Patienten stellen links und rechts vom Bett einen Kübel mit kaltem Wasser auf, in das sie ihre schmerzhaften Hände tauchen, was ihnen einen gewissen Schlaf ermöglicht. Kleinkinder zeigen erstmals Symptome. Etwa 60 EPP-Patienten leben in der Schweiz. Da EPP vielen Ärzten nicht bekannt ist, verstreichen durchschnittlich 18 Jahre zwischen Erstmanifestation und Diagnose und häufig gelten die EPP-Patienten bis zur Diagnose als Simulanten. Oder als psychisch abnorm, wenn sie im Hochsommer in langen Ärmeln und Hosen, mit Handschuhen und einem aufgespannten Regenschirm ausgestattet der Sonnenbestrahlung ausweichen. Deutlich hörbare abwertende Kommentare begleiten sie das Leben lang; sie versuchen es wegzustecken, aber es verletzt trotzdem.

### Endlich ein Medikament

Doch zurück zu unserer Pharmafirma, deren neu entwickeltes Präparat wir als Erste in einer Phase-II-Studie 2006 austesteten, und 2007 waren wir an der ersten Multizenter-Phase-III-Studie beteiligt. Danach erhielten unsere tapferen Studienteilnehmer das Präparat gratis, wenn sie wollten – und sie wollten es alle. Ihre SMS und E-Mails unter Behandlung waren wohl das Beglückendste, was einem Arzt passieren kann: Mütter, die erzählten, dass sie nun erstmals ihre Kinder auf

### Garantie de prise en charge lors de porphyrie rare et article 71a et b OAMal

L'article 71a et b de l'OAMal autorise l'utilisation de médicaments ne figurant pas dans la liste des spécialités lorsqu'aucune alternative n'existe et que l'usage du médicament permet d'escompter un bénéfice thérapeutique élevé. Pour cela, l'assureur doit donner une garantie spéciale de prise en charge des coûts pour laquelle il dispose d'une certaine marge de manœuvre. Alors que cette pratique concerne principalement des patients atteints de maladies oncologiques et des cas évalués par l'OFSP, elle est peu connue en ce qui concerne les maladies rares. Or, seule une pratique uniforme permet de garantir l'égalité de traitement pour les patients. Notre expérience de deux ans dans le traitement de 35 patients atteints de porphyrie avec un nouveau médicament montre que les différentes décisions des assureurs dépendent davantage de leur politique que du degré de sévérité de la maladie.

den sonnigen Spielplatz begleiten konnten, Jugendliche, die ihre abgebrochene Ausbildung wieder aufnahmen, Väter, die dem sportlichen Wettkampf ihrer Kinder erstmals beiwohnen konnten usw. Die EPP-Patienten fanden, sie hätten durch das Medikament ein neues Leben geschenkt bekommen.

Vier Jahre lang schenkte uns die kleine Pharmafirma das Medikament, dessen Gestehungskosten ihr jedoch allmählich zu gross wurden, und 2012 war Schluss. Ungefähr 2,8 Mio. Franken hat das Geschenk gekostet, ein erheblicher Betrag für eine kleine Firma, die das Geld eigentlich braucht, um das Medikament weiterzuentwickeln. Glücklicherweise gibt es jedoch Italien, und unsere italienischen Freunde und Kollegen haben ein spezielles Gesetz, das die Zulassung des Medikaments für ihre EPP-Patienten erlaubte.

Danach kam in der Schweiz der KVV-Artikel 71a und b zur Anwendung: Dieser Artikel besagt, wenn ein Medikament in einem anderen Land mit vergleichbaren Zulassungskriterien zugelassen ist und wenn vom Medikament «ein grosser therapeutischer Nutzen gegen eine Krankheit erwartet wird, die für die versicherte Person tödlich verlaufen oder schwere und chronische gesundheitliche Beeinträchtigungen nach sich ziehen kann, und wenn eine wirksame und zugelassene Alternative fehlt», dann könne es auch in der Schweiz verabreicht werden, sofern die Krankenkasse das Medikament vergütet. Das BAG evaluierte 2013 die Anwendung dieses Artikels durch die Versicherer und schloss daraus: «[...] haben sich die 2011 in Kraft gesetzten Bestimmungen im Krankenversicherungsrecht grundsätzlich bewährt. Sie haben zu einer gewissen Vereinheitlichung der Prozesse geführt, was Kostengutsprachen betrifft; dies bringt Patientinnen und Patienten mehr Rechtssicherheit.» Nur – die Anwendung auf seltene Krankheiten wurde in dieser Evaluation nicht geprüft.

### Kostengutsprache ad libitum

Für mehr als 35 Patienten habe ich Anträge für Kostengutsprache an 17 verschiedene Krankenkassen gestellt. EPP ist glücklicherweise nur selten tödlich; aber von einer schweren und chronischen gesundheitlichen Beeinträchtigung kann ausgegangen werden und wirksam war das Medikament auch. Viele Krankenkassen-Vertrauensärzte sahen das ebenso, obwohl die Behandlung nicht billig ist, kostet die Einzeldosis 7000 Franken, und 4–6 Dosen pro Jahr braucht es, je nach Schweregrad der EPP.

Da unsere EPP-Patienten verstreut in der ganzen Schweiz und bei verschiedensten Krankenkassen versichert sind, gewann ich durch die Kostengutsprachen einen

erleuchtenden Einblick in die Vergütungspolitik für die Therapie seltener Krankheiten. Unterschiedliche Entscheide konnte ich keinesfalls auf den Schweregrad der Krankheit zurückführen. Da gibt es die grosse Versicherungskasse, die grundsätzlich nichts zahlt, bei der ablehnende Entscheide durch die Sachbearbeiter gefällt werden und der Vertrauensarzt offensichtlich nichts zu sagen hat, obwohl das Gesetz bestimmt, dass nur medizinische Kriterien für die Genehmigung oder Ablehnung eines Gesuchs ausschlaggebend sein dürfen. Da gibt es die Kasse, die auch nach mehr als einem halben Jahr noch keine Antwort auf den Antrag gibt und auch auf mehrere Anfragen noch schweigt. Daneben gibt es kleine Kassen, die sich bereit erklärten zu zahlen, obwohl eine teure Behandlung mit wenig Versicherten eine hohe Belastung darstellt. Da gibt es eine grosse Versicherungskasse, die für Fälle von seltenen Krankheiten eine eigene Richtlinie erstellt hat und deren Kostengutsprachen für verschiedene Patienten rasch und unbürokratisch erhältlich waren, selbst dann noch, als ein junger Patient von der nichtzahlenden in die zahlende Kasse wechselte und beim Wechsel offen ankündigte, dass er das teure Medikament brauche.

Dummerweise kannte sich unsere kleine Pharmafirma nicht mit der hier üblichen Preispolitik aus, sie ist ja auch in Australien zu Hause. Sie überliess uns das Produkt zum Gestehungspreis und zum selben Preis wie in Italien. Damit hatte sie keinen Verhandlungsspielraum mehr und brachte deshalb die Service Centers (was für ein schöner Name) um den Erfolg, einen Rabatt herauszuschlagen zu können. Die meisten Service Centers kamen damit zurecht. Nur eine der Krankenkassen liess ihren Unmut an mir aus. Sie bestätigte zwar, dass die Behandlung medizinisch indiziert und damit die Vergütung gerechtfertigt sei, sie sei aber nur bereit, 80% der Kosten zu übernehmen und ich solle mich an den Wohnkanton für die restlichen 20% wenden. Auch eine Art, die Versicherungsprämie tiefzuhalten. Der Kantonsarzt hat im obigen Fall natürlich die Übernahme der 20% abgelehnt, da es dafür keine rechtliche Grundlage gebe.

Übrigens, falls Sie an einer seltenen Krankheit leiden, kann ich Ihnen empfehlen, in die Romandie oder das Tessin zu ziehen; eine unproblematische Kostengutsprache ist hier sehr viel wahrscheinlicher als in der Deutschschweiz. Oder ich kann Ihnen höchst vertraulich verraten, bei welcher Krankenkasse Sie gut aufgehoben sind und welche Sie unbedingt meiden sollten; dies aber wirklich nur vertraulich und mit einem ärztlichen Nachweis einer seltenen Krankheit.

*Schlussfolgerung:* Die Anwendung von KVV Art. 71a und b durch die Versicherer auf seltene Krankheiten hat ein erhebliches Verbesserungspotential.