

IQWiG fordert Nutzenbewertungsverfahren für Orphan Drugs


Das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) fordert, den fiktiven Zusatznutzen für Orphan Drugs aus dem Gesetz zu streichen.

Bislang gilt der Zusatznutzen eines Arzneimittels für seltene Erkrankungen (Orphan Drugs) mit der Zulassung auf europäischer Ebene automatisch als belegt, ohne dass dieser zunächst nachgewiesen werden muss. Eine reguläre Nutzenbewertung wird erst dann nötig, wenn das Medikament einen Umsatz in der gesetzlichen Krankenversicherung von mehr als 50 Millionen Euro pro Jahr überschreitet.

In einer aktuellen Studie kommt das IQWiG zu dem Ergebnis, dass mehr als die Hälfte aller Orphan Drugs keinen Zusatznutzen aufweist. Das Institut hatte die Medikamente im Nachgang zu einer regulären Nutzenbewertung einer Analyse unterzogen. Weiterführende Auswertungen des IQWiG zeigen zudem, dass die Anerkennung eines fiktiven Zusatznutzens in der Regel erst nach Jahren korrigiert wird, teilweise gar nicht.

Die Ergebnisse sind auch deshalb von Bedeutung, da sich die Kosten für neu zugelassene Orphan Drugs laut eines DAK-Reports seit 2011 verfünffacht haben und im Jahr 2020 im Durchschnitt bereits bei 540.000 Euro pro Jahr und Patient lagen (97.000 Euro im Jahr 2011).

IQWiG-Leiter Jürgen Windeler forderte bei der Vorstellung der Studie die Abschaffung des automatisch anerkannten Zusatznutzens bei Orphan Drugs. „Wenn in gut der Hälfte der Fälle, in denen eine reguläre Nutzenbewertung zu Orphan Drugs durchgeführt wurde, der ursprünglich konstatierte Zusatznutzen nicht bestätigt wird und Orphan Drugs, die einen echten Mehrwert darstellen, nicht mehr von Beginn an als solche erkannt werden können, dann besteht Handlungsbedarf“, so Windeler. „Auch Arzneimittel gegen seltene Leiden sollten bei Markteintritt eine reguläre Nutzenbewertung gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie durch IQWiG und Gemeinsamen Bundesausschuss durchlaufen“, so Windeler weiter.

 **Die Untersuchung des IQWiG zeigt, dass die vor über zehn Jahren eingeführte Sonderregelung für Orphan Drugs überholt ist. Die Umsatzgrenze von 50 Millionen Euro, bis zu der keine frühe Nutzenbewertung erforderlich wird, ist willkürlich und nicht sachgerecht. Auch Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen haben ein Recht auf eine evidenzbasierte Behandlung. Der Nutzen und die Sicherheit von Arzneimitteln sollte über dem unternehmerischen Interesse des pharmazeutischen Herstellers stehen.**

ePA trotz weiterer Funktionen noch nicht breit etabliert

Die elektronische Patientenakte (ePA) ist seit dem 01.01.2022 mit neuen Anwendungen für die Nutzerinnen und Nutzer ausgestattet: Nun lassen sich unter anderem der Impfpass, der Mutterpass, das U-Heft für Kinder sowie das Zahnbonusheft in der ePA speichern, sofern Leistungserbringer hierfür technisch ausgestattet sind. Außerdem können Versicherte pro Dokument entscheiden, welche Leistungserbringer in ihrer ePA Zugriff auf die Daten haben. Bislang nicht an die ePA angebundene Krankenhäuser müssen ab sofort mit Sanktionen rechnen.

Seit dem 01.01.2021 sind die gesetzlichen Krankenkassen verpflichtet, ihren Versicherten eine ePA anzubieten. Im Unterschied zu vielen anderen europäischen Ländern hat sich Deutschland bei der Anlage der Akte für ein striktes Opt-In-Verfahren entschieden: Dabei

müssen sich interessierte Versicherte an ihre Krankenkasse wenden, um eine ePA zu beantragen und nutzen zu können. Bisher haben von diesem Angebot nur wenige gesetzlich Versicherte Gebrauch gemacht. So sind bei 73,35 Millionen GKV-Versicherten bislang nur ca. 240.000 ePA-Konten freiwillig angelegt worden; dies entspricht rund 0,4 Prozent der GKV-Versicherten. Deshalb plant die Koalition, allen Versicherten eine ePA im Opt-Out-Verfahren zur Verfügung zu stellen, bei dem jeder Versicherte automatisch eine ePA bereitgestellt bekommt, sofern er nicht widerspricht.

Basis für die ePA ist die Telematikinfrastruktur, welche Leistungserbringer, gesetzliche Krankenkassen und Versicherte so vernetzt, dass sie sicher, schnell und sektorenübergreifend miteinander kommunizieren können. Sukzessive sollen alle Akteure an die Telematikinfrastruktur angebunden werden.

➔ **Um die Vorteile der neuen ePA-Funktionen nutzen zu können, muss der Gesetzgeber dafür sorgen, dass schnellstmöglich alle Leistungserbringer verpflichtend an die Telematikinfrastruktur angeschlossen werden.**

Durch das bestehende Opt-In-Verfahren kommen die vielfältigen Vorteile der ePA bislang nicht zum Tragen. Die Koalition sollte deshalb zügig ihr Vorhaben aus dem Koalitionsvertrag umsetzen und einen Gesetzentwurf für ein Opt-Out-Verfahren bei der ePA vorlegen. So kann die Zahl der Versicherten mit einer ePA erheblich vergrößert und ein Durchbruch bei der Nutzung der ePA erreicht werden.

Forderung nach Nutzung von Gesundheitsdaten für die Forschung

In der letzten Legislaturperiode sind bereits wichtige Grundlagen für die Digitalisierung des Gesundheitswesens gelegt worden. Wie im Koalitionsvertrag festgelegt, will die neue Bundesregierung die begonnene Digitalisierungsstrategie weiterführen und zügig alle Akteure im Gesundheitswesen an die Telematikinfrastruktur anbinden sowie ein Opt-Out-Modell für die ePA einführen. Ein zentrales Projekt ist in diesem Zusammenhang das ebenfalls im Koalitionsvertrag geplante Gesundheitsdatennutzungsgesetz.

Hier knüpft der Offene Brief des Wissenschaftlichen Beirats des BARMER Instituts für Gesundheitssystemforschung (bifg) an: Die Unterzeichnerinnen und Unterzeichner fordern darin einen breiten Ausbau der Digitalisierung im Gesundheitswesen und einen rechtssicheren Rahmen für die Versorgungsforschung bei gleichzeitigem Schutz des Persönlichkeitsrechts.


Fortschritte für die medizinische Versorgung erreichen

Für den Wissenschaftlichen Beirat des bifg besteht ein wesentlicher Nutzen der Digitalisierung in der Analyse der Gesundheits- und Sozialdaten der Versicherten durch die Versorgungsforschung. Auf diese Weise könnten entscheidende Fortschritte für die medizinische Versorgung von Patientinnen und Patienten erreicht werden. In seinem Sondergutachten „Digitalisierung für Gesundheit“ (2021) hatte auch der Sachverständigenrat zur Begutachtung der Entwicklung im Gesundheitswesen zu bedenken gegeben, dass es „fahrlässig und ethisch bedenklich“ sei, digitale Gesundheitsdaten für den Schutz von Leben und Gesundheit der Menschen nicht zu nutzen.

Die Nutzung der Daten für die Forschung dürfe jedoch nicht zulasten der Patientensicherheit gehen, so der Offene Brief. Dazu gehöre aber auch das Vertrauen der Bevölkerung in den sorgfältigen Umgang mit den Daten. Das von der Bundesregierung geplante Gesundheitsdatennutzungsgesetz solle daher in enger Abstimmung mit dem Bundesdatenschutzbeauftragten entwickelt werden.

Der Beirat schlägt einige Maßnahmen vor, die in dem von der Koalition geplanten Gesundheitsdatennutzungsgesetz berücksichtigt werden sollten:

- So müssten zum Beispiel grundsätzlich mehr Rechtsklarheit und -sicherheit für den Datenschutz in Deutschland geschaffen werden, denn bislang gebe es eine Vielzahl von Regelungen, die nicht ausreichend aufeinander abgestimmt seien.
- Zudem müsse die Beobachtung von Impfeffekten (Impfsurveillance) und die Überwachung der Sicherheit von Impfstoffen (Pharmakovigilanz) verbessert werden. Mit Verweis auf die Corona-Pandemie betont der Beirat den Bedarf an aussagekräftigen Analysen über das Impfgeschehen: In Zukunft solle für alle Impfungen eine pseudonymisierte Zusammenführung mit bereits vorliegenden Routinedaten ermöglicht werden.
- Um die Einführung und die Nutzung der ePA zu beschleunigen, ist nach Ansicht der Beiratsmitglieder eine Opt-out-Regelung notwendig, wonach jeder Versicherte automatisch eine ePA bereitgestellt bekommt, sofern er nicht widerspricht. Bei der Nutzung der Akte sollten Versicherte immer die Möglichkeit haben, einzelne Daten zu „verschatten“, statt Daten vollständig zu löschen.
- Um eine umfassende Datengrundlage für die Versorgungsforschung zu schaffen, sollten die ePA-Daten zudem im Forschungsdatenzentrum beim Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) mit den Routinedaten der Krankenkassen zusammengeführt werden.
- Zu Beginn der Corona-Pandemie wurde ein Register zur Erfassung der Behandlungskapazitäten in der Intensivmedizin eingerichtet (DIVI-Register). Der Beirat fordert, Register dieser Art auch für weitere Krankheitsbilder zu entwickeln und mit klinischen Daten und Routinedaten zu verknüpfen, weil auch damit ein großer Nutzen für die Versorgungsforschung geschaffen würde. Die Register könnten auch für die Krankenhausplanung von Nutzen sein, wenn sie Informationen über die Behandlungskapazitäten und die Belegungssituation von Kliniken enthalten.

 **Im Vergleich zu anderen Ländern ist Deutschland sehr zögerlich bei der Digitalisierung des Gesundheitswesens. Aus Sicht der BARMER sollten die technischen Möglichkeiten der Digitalisierung noch schneller zur Verbesserung der Versorgung genutzt werden. Damit die vorhandenen Gesundheitsdaten sinnvoll eingesetzt werden können, wird ein angemessener Regulierungsrahmen benötigt. Der Datenschutz muss es zulassen, eine optimale medizinische Versorgung für Patientinnen und Patienten zu gestalten. Dazu befürwortet die BARMER ausdrücklich das geplante Datennutzungsgesetz für die Krankenkassen auf Basis der Europäischen Datenschutz-Grundverordnung. Darin sollte auch geregelt werden, dass die Krankenkassen die ePA-Daten ihrer Versicherten erhalten können, um ihnen eine bessere Versorgung anbieten zu können.**

[Zum Download](#)

Offener Brief des bifg

[Zum Download](#)

Tabelle Gesetzgebung

Termine laufender Gesetzgebungsverfahren