

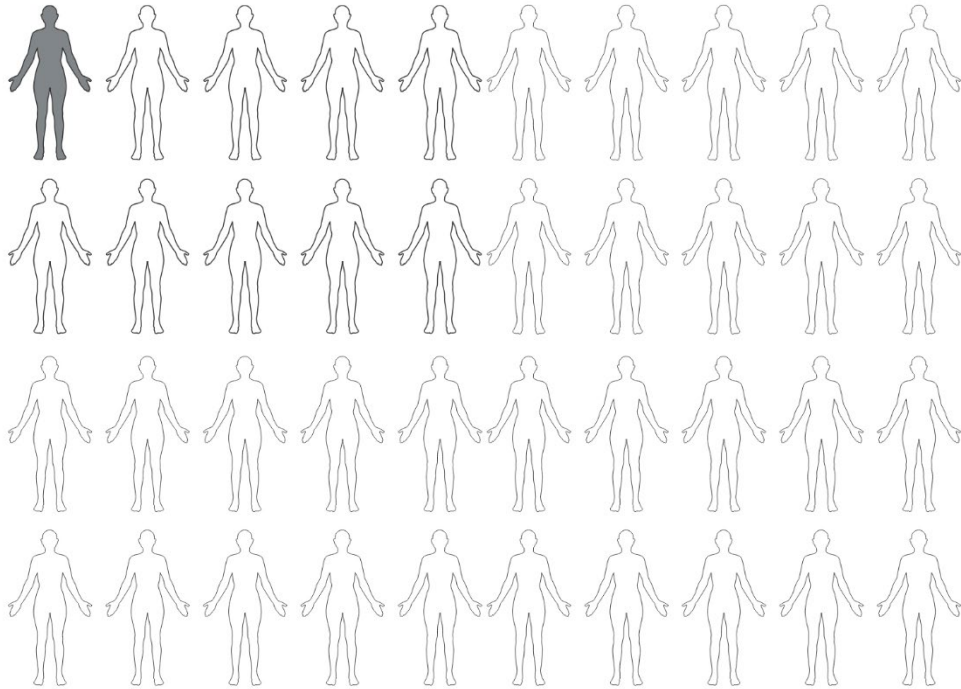
Tag der seltenen Erkrankungen

PD Dr. med. Dr. rer. nat.
Muriel Elhai

Rheumaklinik,
Universitätsspital Zürich

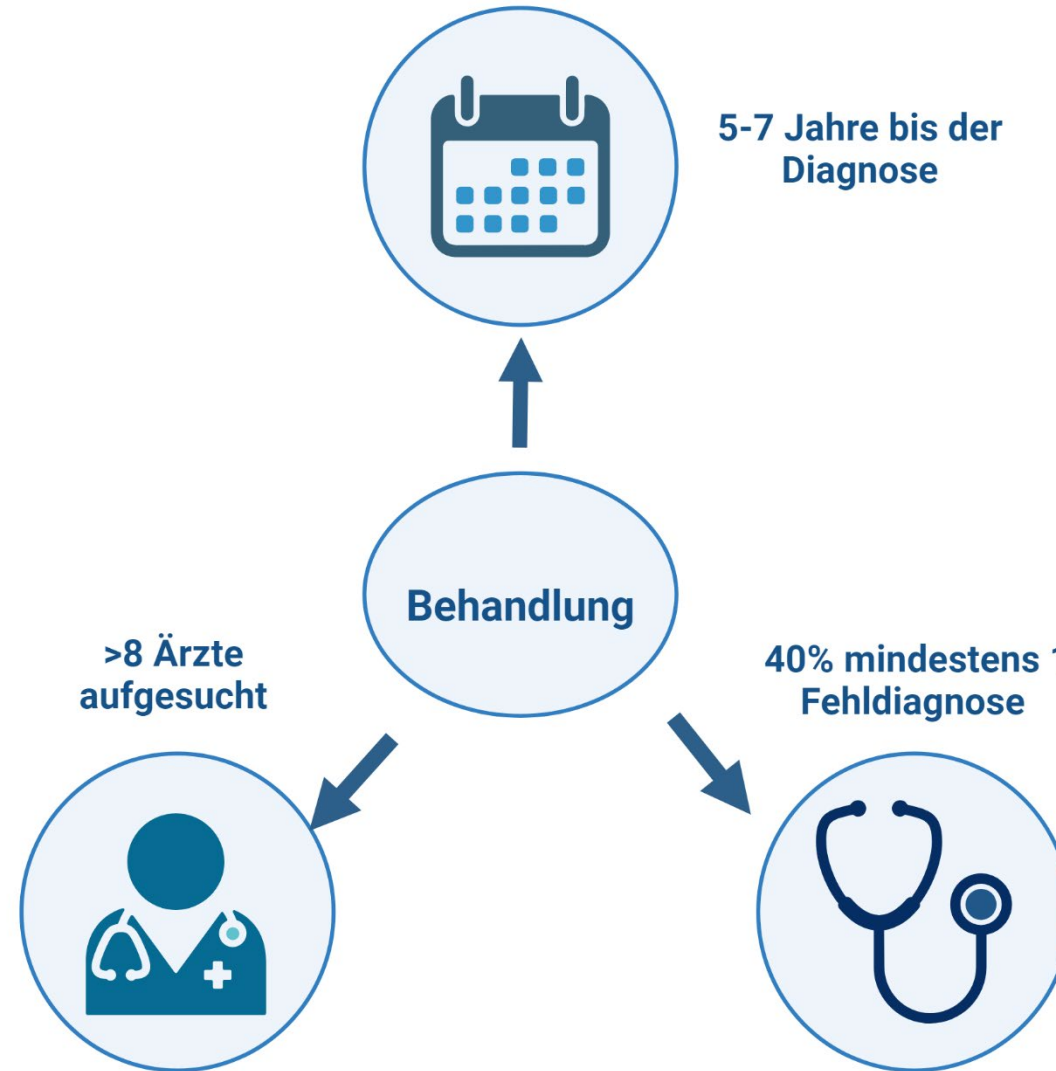


Was ist eine seltene Erkrankung ?



- < 5 Fälle/10'000 Menschen (EU)
- < 200'000 Menschen (USA)
- ~ 7000 seltene Krankheiten weltweit
- 3.5-5.9% Weltbevölkerung
- ~ 580'000 Menschen in der Schweiz betroffen

Seltene Erkrankungen sind mit einer erheblichen Belastung verbunden



Kostengesuche und Übernahme von Therapien



Wie läuft die Kostenübernahme für die Therapie seltener Erkrankungen ab?

Patientenfall

Patientenmerkmale

- Männlich
- Geboren 1971

Krankheitsbeginn

- 2021 Raynaud Phänomenon
- Verdickung der Haut

Merkmale der SSc

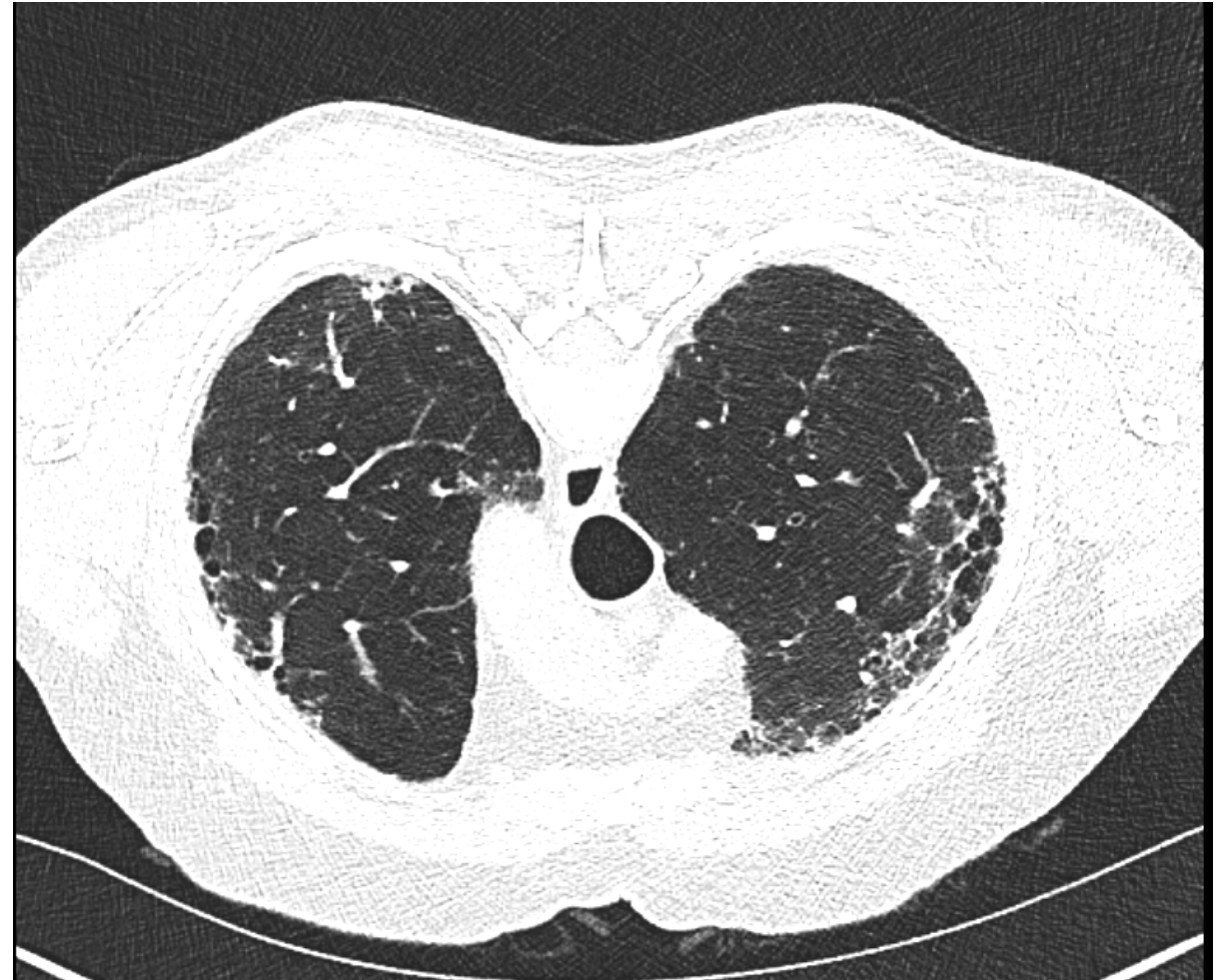
- Oktober 2023: Diagnose SSc
- Anti-RNA pol III Antikörper
- Beginn einer Therapie mit Mycophenolat-mofetil

Patientenfall-Kontrolle in 2024

Lungenmerkmale

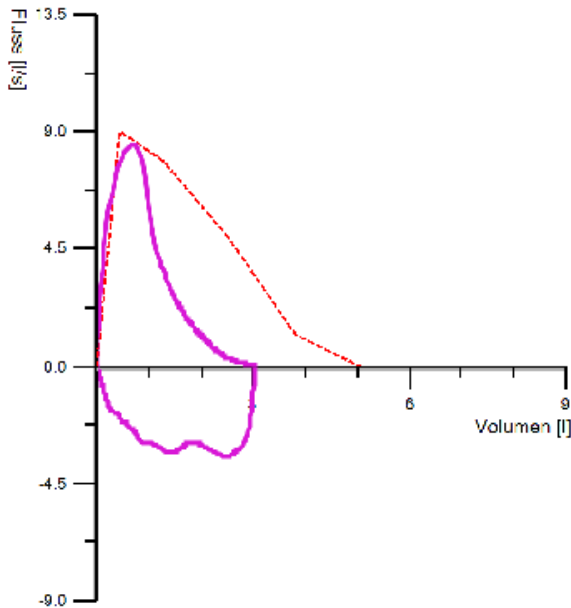
- Chronischer Husten
- Atemnot

>20% des Lungenparenchyms



Lungenbefall- Visite

Atemtest



	Einheit	Soll	LLN	Vor	%Soll	Z-Score
FVCEx	l	5.08 ⁽³⁵⁾	3.94	3.10	61%	-2.87
SVC	l	5.51 ⁽³⁵⁾	4.40	2.92	53%	-3.93
FEV1	l	3.96 ⁽³⁵⁾	3.06	2.38	60%	-2.81
FEV1/FVC	%	78 ⁽³⁵⁾	67	77	98%	-0.24
PEF	l/s	8.98 ⁽¹⁾	6.99	8.48	94%	-0.41
MEF75	l/s	7.88 ⁽¹⁾	5.07	8.38	106%	0.30
MCF50	l/s	4.87 ⁽¹⁾	2.70	2.55	52%	-1.76
MFF25	l/s	1.16 ⁽³⁵⁾	0.50	0.65	58%	-1.14
MEF25-75	l/s	3.46 ⁽³⁵⁾	1.80	2.01	58%	-1.40
MEF50/MIF50				0.78		
IVC	l	5.51 ⁽¹⁾	4.59	2.92	53%	-4.61
FEV1/VC	%	78 ⁽¹⁾	66	77	99%	-0.14
ERV	l	1.50 ⁽³⁴⁾	0.59	1.04	69%	-0.76
IC	l	3.91 ⁽³⁴⁾	2.78	2.06	52%	-2.62
PIV1	l			3.00		

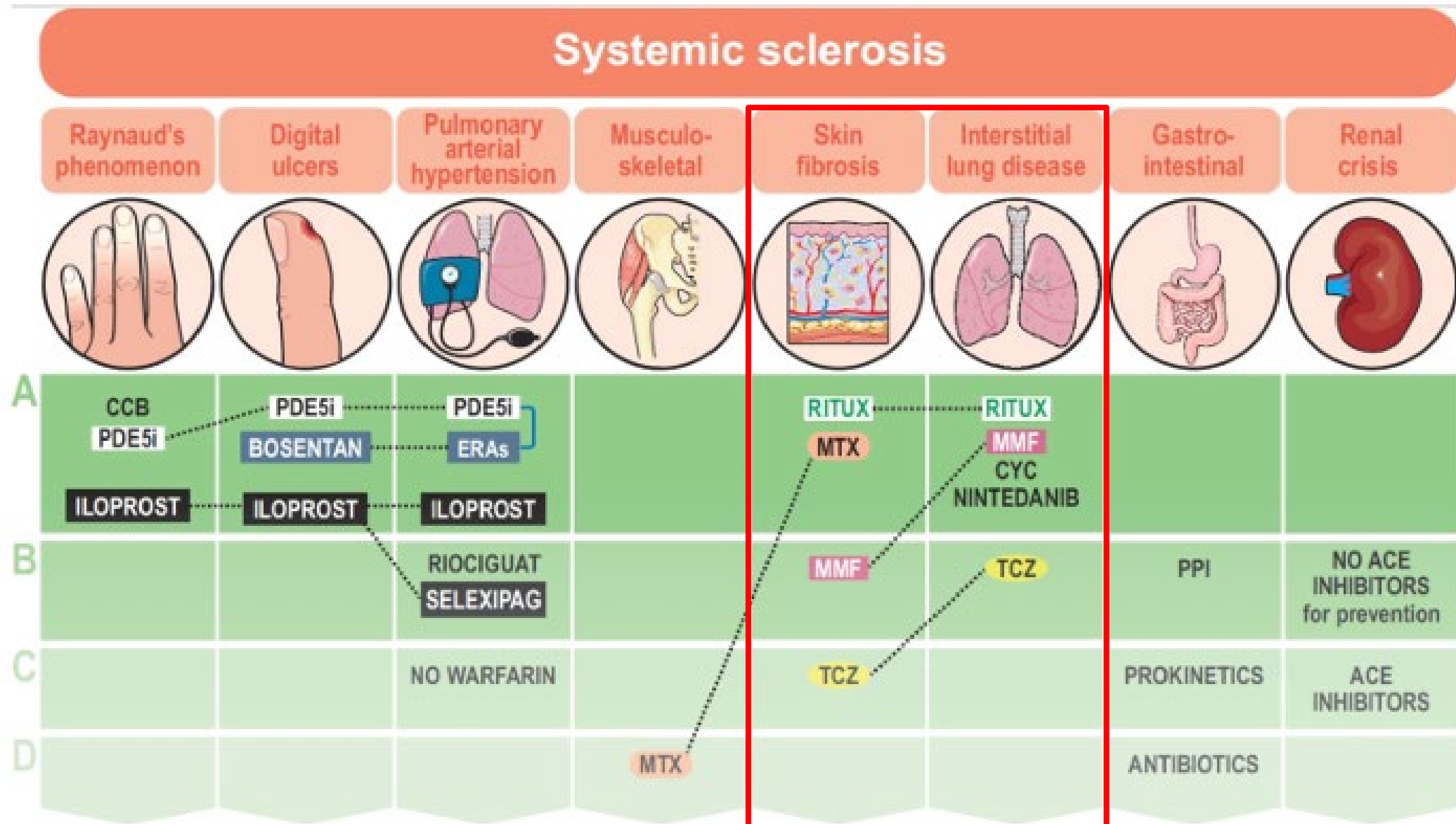
6 Mingettest

Ruhemessungen	
SpO ₂ (%)	99%
Zusätzlicher Sauerstoff	<input type="checkbox"/> Ja, ___ l/min <input checked="" type="checkbox"/> Nein
Puls (bpm)	91/Min
Borg (0-10)	Atmung: 0 Beine: 0

Test	
Runden (à 30m)	/ / /
Gehhilfsmittel	<input type="checkbox"/> Ja, Typ: _____ <input checked="" type="checkbox"/> Nein
Zusätzlicher Sauerstoff	<input type="checkbox"/> Ja, ___ l/min <input checked="" type="checkbox"/> Nein
Anzahl Stehpausen	0
Abbruch vor 6 Minuten	<input type="checkbox"/> Ja, Zeit: _____ <input checked="" type="checkbox"/> Nein
Gehdistanz (m)	570m

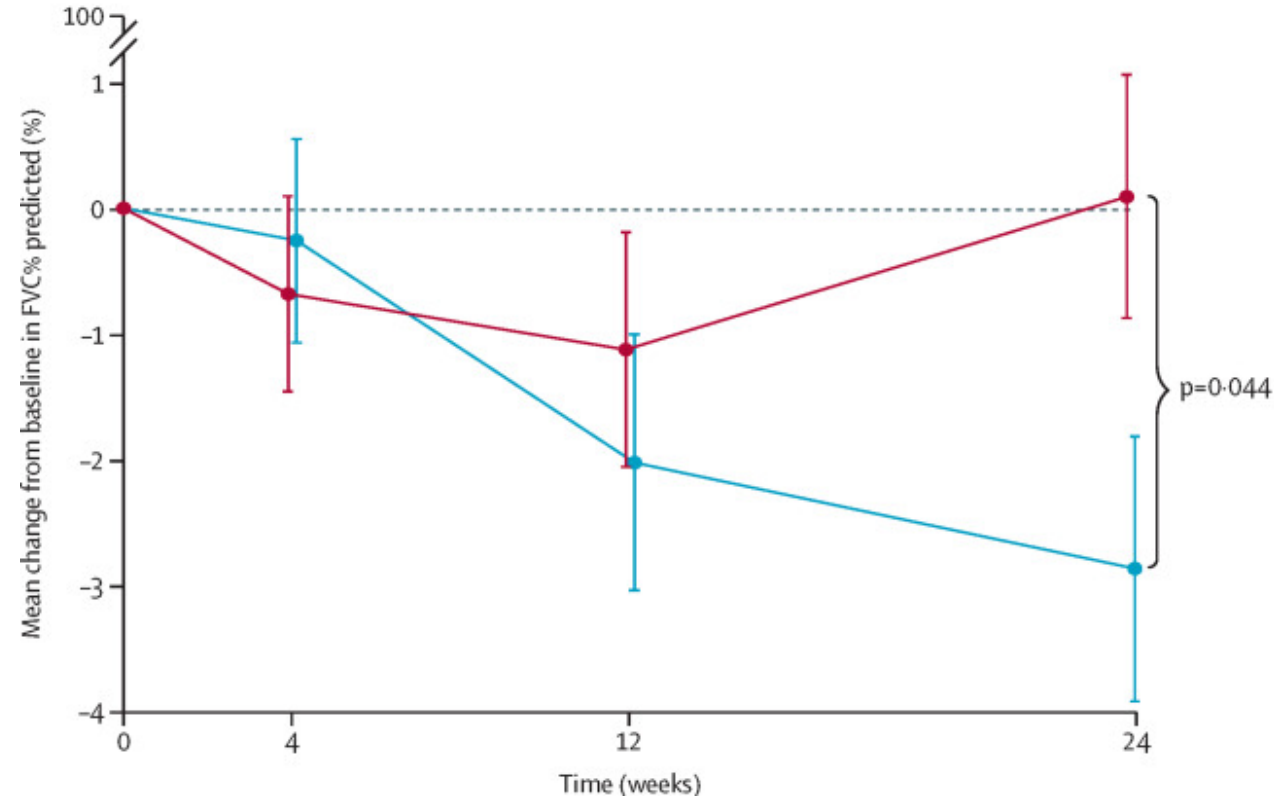
Messungen direkt nach Test	
SpO ₂ (%)	95%
Zusätzlicher Sauerstoff	<input type="checkbox"/> Ja, ___ l/min <input checked="" type="checkbox"/> Nein
Puls (bpm)	137/Min
Borg (0-10)	Atmung: 2 Beine: 2

Richtlinien bei Lungenfibrose in SSc

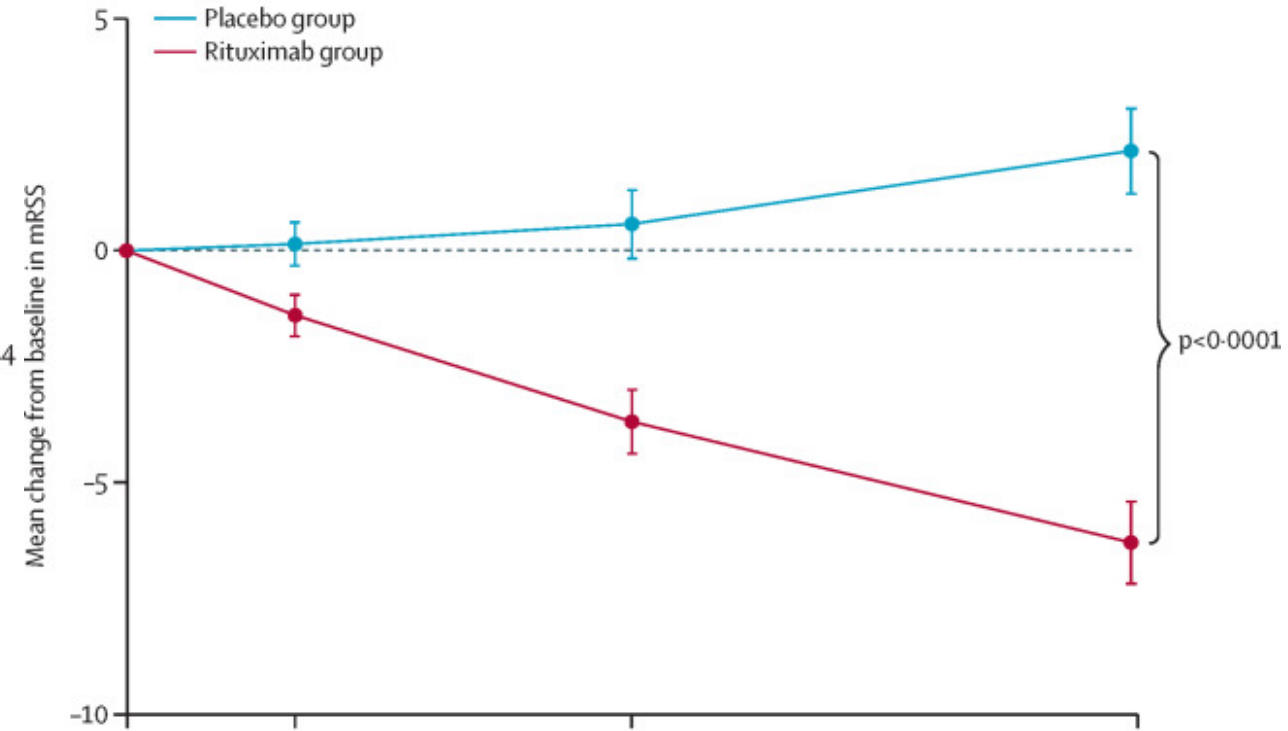


SSc-ILD: Therapie: Rituximab

Lungenfibrose

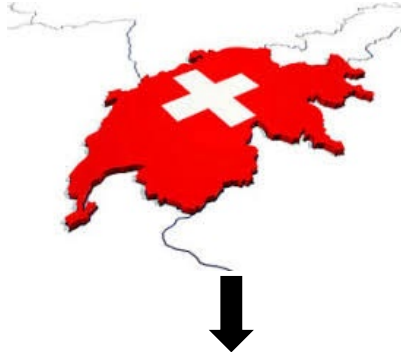


Hautfibrose



Wie läuft es bei Rituximab ?

Arzneimittel zugelassen in der Schweiz ?



Ist es Teil der Spezialitätenliste ?

Schweizerische Eidgenossenschaft
Confédération suisse
Confederazione Svizzera
Confederaziun svizra

Eidgenössisches Departement des Innern EDI
Bundesamt für Gesundheit BAG

Ja

Wird es i.R der Fachinformation und innerhalb der Limitierung der SL verwendet ?

Off-Label Behandlung: Verwendung für eine andere Indikation
Off-Limitation Behandlung: Verwendung ausserhalb der Limitierung

Ja

Nein

Standard-Anwendung

Off-Label Behandlung
Off-Limitation Behandlung

Vergütung gemäss Art. 71a-d KVV

Wie gehen wir weiter ?



- Grosser therapeutischer Nutzen
- Krankheit verläuft tödlich oder kann schweren und chronischen Verlauf mit gesundheitlichen Beeinträchtigungen nehmen
 - Keine alternative auf SL

Wie gehen wir weiter ?



Checkliste Kostengutsprache gesuch

Ausführliche klinische Angaben

– Haupt- und Nebendiagnosen, erfolgte Therapien, klinischer Zustand (bspw. Performance Status), ADL (= «activities of daily living»)

Prognose mit/ohne Therapie

Therapiealternativen und Begründung, weshalb diese nicht eingesetzt werden können (bspw. medizinische Kontraindikationen)

Begründung des erwarteten hohen therapeutischen Nutzens des angefragten Medikamentes

Angabe des Zeitintervalls bis zum erwarteten Therapieansprechen

Literatur (als Wirksamkeitsnachweis in allgemeiner Weise)

WICHTIG!

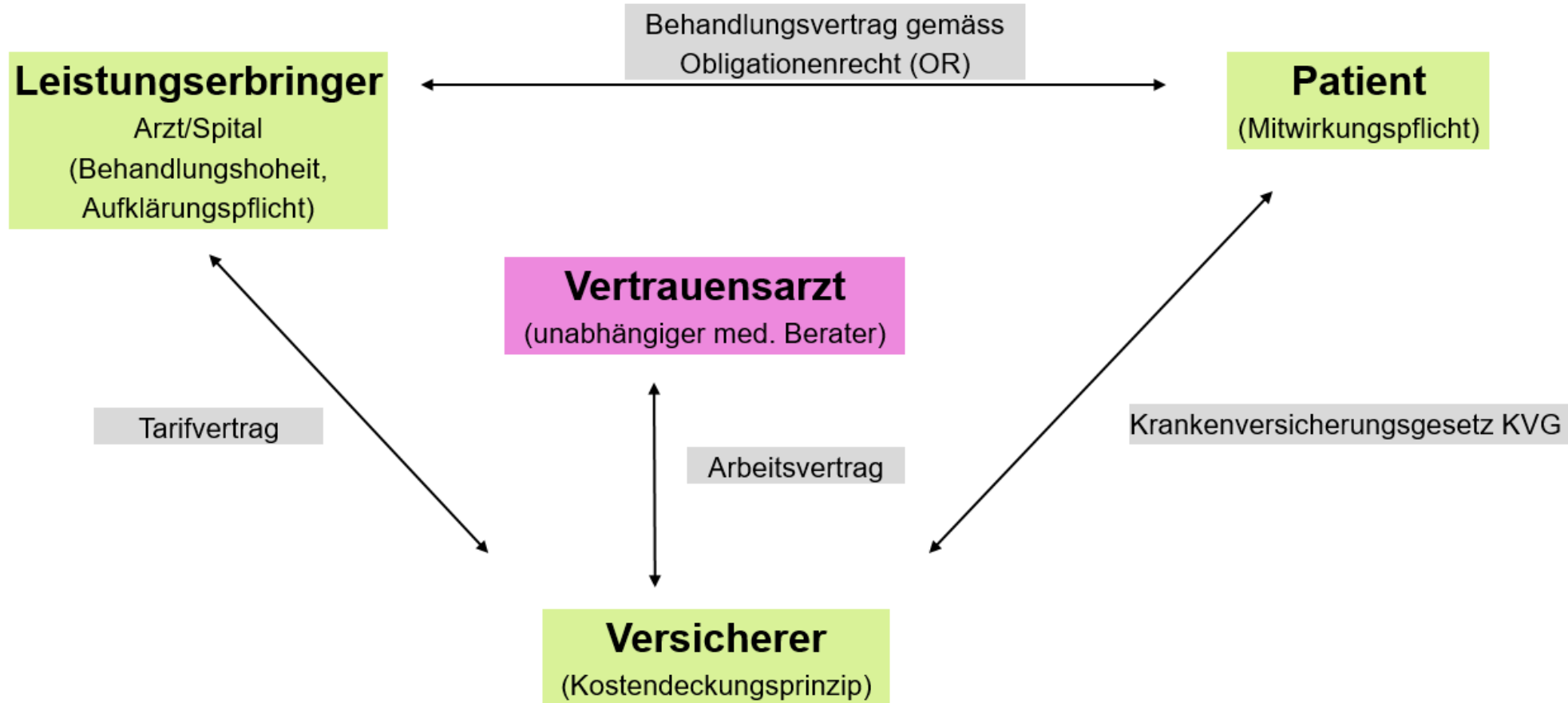
Die Frage, wie behandelt werden soll, ist eine **Frage der Medizin**



Die Frage, ob die Behandlung auch von der Krankenkasse bezahlt wird, ist eine **Frage des Rechts**



Rolle des Vertrauensarztes



Grundprinzipien KVG

Kostendeckungsprinzip (Art. 24 KVG)

WZW (Art. 32 KVG)

Listenprinzip (Art. 33 KVG)

Tarifschutz (Art. 44 KVG)

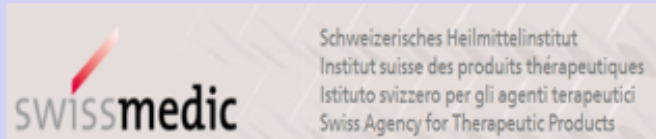
Qualitätssicherung (Art. 58 KVG)

Legalitätsprinzip

Territorialitätsprinzip

Zulassung und Vergütung von Arzneimitteln

Heilmittelrecht (HMG)



Zulassung

Wirksamkeit/Sicherheit (nihil nocere)

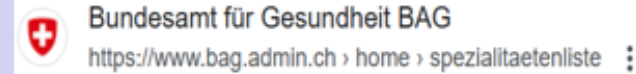
Entscheidgrundlagen:

- Laborprüfungen
- Klinische Studien

Zulassung für bestimmte
Indikationen (Label)



Krankenversicherungsgesetz



Spezialitätenliste (SL) - Bundesamt für Gesundheit BAG

Aufnahme in SL

Wirksamkeit/Zweckmässigkeit/Wirtschaftlichkeit

Entscheidgrundlagen:

- Zulassungsunterlagen Swissmedic
- Konsultation EAK

Vergütung für zugelassene Indikationen Zulassung
für bestimmte Indikationen (Label)

Indikationen/Anwendungsmöglichkeiten

Non-Hodgkin-Lymphom (NHL)

Monotherapie bei erwachsenen Patienten mit CD20-positivem follikulärem Non-Hodgkin-Lymphom (Stadien III-IV), bei Rezidiv nach oder Nichtansprechen auf Chemotherapie.

Behandlung von vorgängig unbehandelten erwachsenen Patienten mit CD20-positivem follikulärem Non-Hodgkin-Lymphom (Stadien III-IV) mit hohem Tumorload in Kombination mit CVP oder CHOP. Bei Ansprechen auf die Therapie kann eine Erhaltungstherapie mit Rituximab Monotherapie über 2 Jahre verabreicht werden.

Erhaltungstherapie von erwachsenen Patienten mit CD20-positivem rezidiviertem oder refraktärem follikulärem Non-Hodgkin-Lymphom (Stadien III-IV), die auf eine Induktionstherapie mit CHOP mit oder ohne Rituximab angesprochen haben.

Behandlung von erwachsenen Patienten mit einem CD20-positiven diffusen grosszelligen B-Zell-Non-Hodgkin-Lymphom (DLBCL) in Kombination mit Standard-CHOP (8 Zyklen Cyclophosphamid, Doxorubicin, Vincristin, Prednison).

Behandlung von erwachsenen Patienten mit therapiebedürftiger chronischer lymphatischer Leukämie (CLL) in Kombination mit Fludarabin und Cyclophosphamid (R-FC). Patienten mit Vortherapie von Fludarabin sollten über eine Dauer von mindestens 6 Monaten angesprochen haben.

Behandlung in Kombination mit einer Chemotherapie von nicht vorbehandelten pädiatrischen Patienten (im Alter von ≥ 6 Monaten bis < 18 Jahren) mit fortgeschrittenem, CD20-positivem, diffusem grosszelligem B-Zell-Non-Hodgkin-Lymphom (DLBCL), Burkitt-Lymphom (BL)/Burkitt-Leukämie (reife B-Zell akute lymphatische Leukämie – BAL) oder Burkitt-like-Lymphom (BLL) (siehe «Dosierung/Anwendung» und «Warnhinweise und Vorsichtsmassnahmen»).

Rheumatoide Arthritis (RA)

MabThera in Kombination mit Methotrexat (MTX) ist zur Behandlung erwachsener Patienten mit mittelschwerer bis schwerer aktiver rheumatoider Arthritis (RA) indiziert nach Versagen einer oder mehrerer Therapien mit Tumornekrosefaktor- (TNF-) Hemmern.

ANCA-assoziierte Vaskulitis (AAV): Granulomatose mit Polyangiitis/mikroskopische Polyangiitis (GPA/MPA)

MabThera in Kombination mit Glukokortikoiden ist zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit schwerer aktiver ANCA-assoziiierter Vaskulitis (Granulomatose mit Polyangiitis (auch bekannt als GPA oder Morbus Wegener oder Wegenersche Granulomatose) und mikroskopischer Polyangiitis (auch bekannt als MPA)) indiziert.

MabThera in Kombination mit Glukokortikoiden ist indiziert zur Induktion einer Remission bei pädiatrischen Patienten (im Alter von ≥ 2 bis < 18 Jahren) mit schwerer, aktiver Granulomatose mit Polyangiitis (GPA) und mit mikroskopischer Polyangiitis (MPA).

Pemphigus vulgaris (PV)

MabThera in Kombination mit Glukokortikoiden ist indiziert zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit mässigem bis schwerem Pemphigus vulgaris (PV).

Rituximab



Schweizerische Eidgenossenschaft
Confédération suisse
Confederazione Svizzera
Confederaziun svizra

Eidgenössisches Departement des Innern EDI
Bundesamt für Gesundheit BAG

¹Limitatio:

Hämatologie:

Die Behandlung von vorgängig unbehandelten symptomatischen Patienten mit CD20 positivem folliculärem Non-Hodgkin-Lymphom (Stadien III-IV) mit hohem Tumorload in Kombination mit CVP (Cyclophosphamid, Vincristin, Prednison) oder CHOP (Cyclophosphamid, Doxorubicin, Vincristin, Prednison). Bei Ansprechen auf die Therapie kann eine Erhaltungstherapie mit Rituximab Monotherapie über 2 Jahre verabreicht werden.

Behandlung von Patienten mit CD20 positivem folliculärem Non-Hodgkin-Lymphom (Stadium III-IV), bei Rezidiv nach oder Nichtansprechen auf Chemotherapie.

Erhaltungstherapie von Patienten mit CD20 positivem rezidiviertem oder refraktärem folliculärem Non-Hodgkin-Lymphom (Stadien III-IV), die auf eine Induktionstherapie mit CHOP oder R-CHOP angesprochen haben.

Behandlung von Patienten mit CD20 positivem aggressivem B-Zell Non-Hodgkin-Lymphom (Typ: DLBCL) in Kombination mit einer CHOP ähnlichen Standard-Chemotherapie.

Behandlung von Patienten mit therapiebedürftiger chronischer lymphatischer Leukämie (CLL) in Kombination mit Fludarabin und Cyclophosphamid (R-FC). Patienten mit Vortherapie von Fludarabin sollten über eine Dauer von mindestens 6 Monaten angesprochen haben.

Folgender Indikationscode ist zu übermitteln: 17079.01

Autoimmunerkrankungen:

Zur Behandlung erwachsener Patienten mit schwerer rheumatoider Arthritis, in Kombination mit Methotrexat (MTX), nach Versagen einer oder mehrerer Therapien mit Tumornekrosefaktor-(TNF-) Hemmern. Die Behandlung bedarf der Kostengutsprache durch den Krankenversicherer nach vorgängiger Konsultation des Vertrauensarztes.

Zur Behandlung von Patienten mit schwerer aktiver ANCA-assoziiierter Vaskulitis (Granulomatose mit Polyangiitis (auch bekannt als Morbus Wegener) und mikroskopische Polyangiitis) in Kombination mit Kortikosteroiden, wenn folg. Kriterien erfüllt sind:

- Nach Rezidiv unter Cyclophosphamid oder Cyclophosphamid-Versagen;
- Bei Cyclophosphamid-Unverträglichkeit oder Cyclophosphamid-Überempfindlichkeit oder falls Cyclophosphamid kontraindiziert ist;
- Bei nicht abgeschlossener Familienplanung (Infertilitätsrisiko).

Folgender Indikationscode ist zu übermitteln: 17079.02

Befristete Limitation bis 30.04.2026

Kombination MABTHERA mit POLIVY und Bendamustin bei rezidiviertem oder refraktärem diffusem grosszelligem B-Zell-Lymphom (DLBCL)

(mit Preismodell)

Nach vorgängiger Kostengutsprache durch den Krankenversicherer nach vorheriger Konsultation des Vertrauensarztes.

MABTHERA wird in Kombination mit POLIVY und Bendamustin zur Behandlung erwachsener Patienten mit rezidiviertem oder refraktärem diffusem grosszelligem B-Zell-Lymphom (Diffuse Large B-Cell Lymphoma, DLBCL), die nicht für eine hämatopoetische Stammzelltransplantation infrage kommen, vergütet.

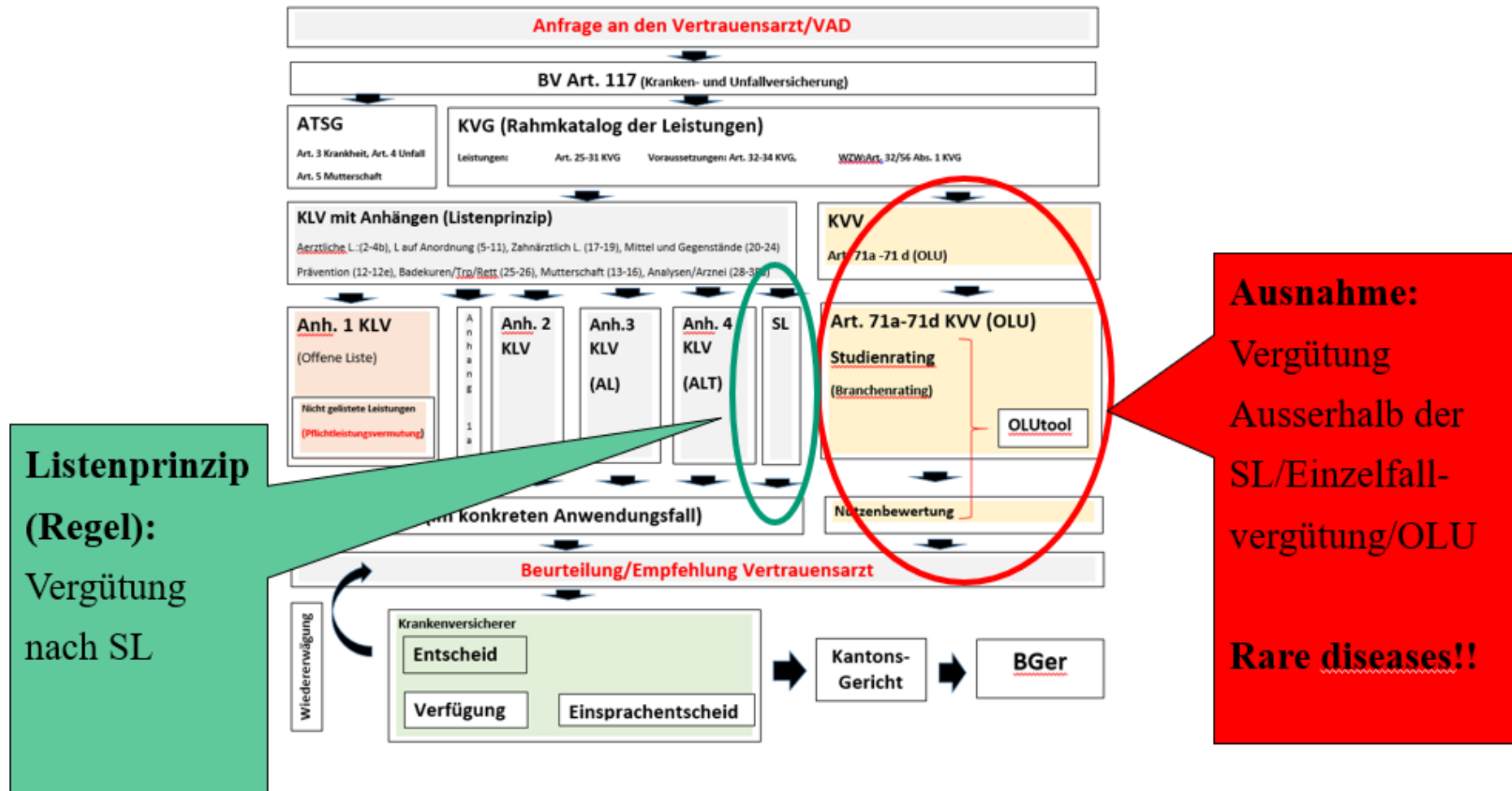
Die Behandlung wird vergütet bis eine Krankheitsprogression oder inakzeptable Toxizität auftritt.

Morbus Pompe: Myozyme®



- **BG: Ausnahme möglich!**
- **Seit 2011: Art. 71a-71d KVV**

Medikamente: Regel und Ausnahme



Listenprinzip (Regel):
Vergütung nach SL

Ausnahme:
Vergütung Ausserhalb der SL/Einzelfallvergütung/OLU
Rare diseases!!

Wirksamkeit

- Erreichbarkeit des Behandlungsziels
- Nachweis mit wissenschaftlichen Methoden

Zweckmässigkeit

- Massnahme ist relevant und geeignet

Wirtschaftlichkeit

- Kostengünstigste Massnahme bei mehreren zweckmässigen Massnahmen

Medizinische
Indikation

- **Vertrauensarzt**

Kosteneffektivität

- **Versicherer!**

WZW: beide Ebenen

Generelle WZW

Konkrete WZW

WZW muss sowohl auf genereller als auch auf konkreter Ebene **kumulativ** erfüllt sein

Bewertung des therapeutischen Nutzens gemäss Art. 38b KLV

**1. Studienrating =
WZW generell**

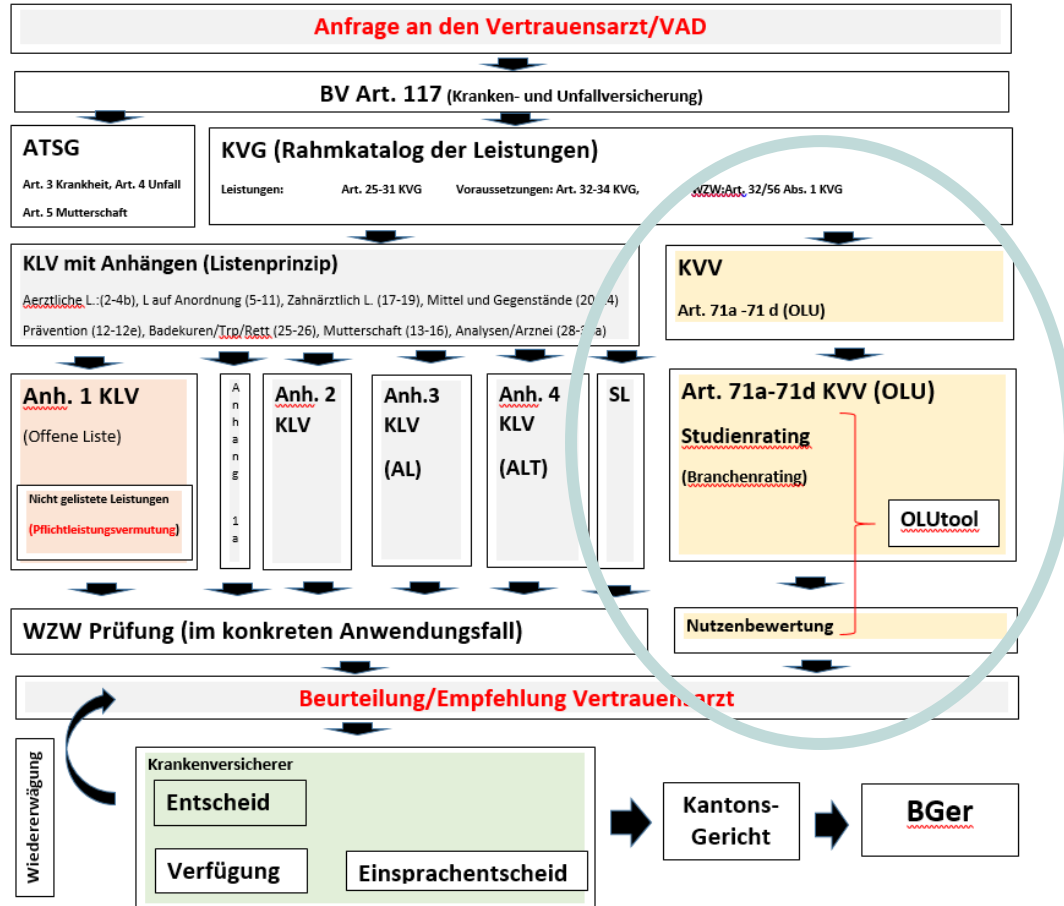
- Art. 38b Bewertung des therapeutischen Nutzens

¹ Der Vertrauensarzt oder die Vertrauensärztin bewertet den therapeutischen Nutzen eines Arzneimittels:

- a. in einem ersten Schritt **anhand der vorliegenden Evidenz** in der entsprechenden Indikation; und
- b. in einem zweiten Schritt im Einzelfall **auf der Grundlage der klinischen Gegebenheiten.**

**2. Nutzenbewertung =
WZW konkret**

Aufgaben des Vertrauensarztes bei Gesuchen für rare diseases



1. Studienrating (OLUtool)

2. Finale Nutzenbewertung

1. Studienrating im Nononco-Bereich (=WZW generell)

Studienrating

Typ	1° Endpunkt Studie	Mess-Parameter von 1° Endpunkt	Bestimmung von Clinical Benefit als Δ%
1	Funktionsänderung	%-Veränderung ausgehend von Baseline	Δ% Verum und Kontrolle → berechnen
2	Anzahl Ereignisse	%-Veränderung ausgehend von Baseline	Δ% Verum und Kontrolle → berechnen
3	Scorepunktmessung	%-Veränderung ausgehend von Baseline 1. Verbesserung: Gesamt Score = 100% 2. Verzögerung: Baseline Population = 100%	Δ% Verum und Kontrolle von + % Scorepunkte von Gesamt Score → berechnen + % Scorepunkte von Baseline Studienpopulation → berechnen
4	Surrogatwerte mit Studienrange (x - y)	%-Veränderung ausgehend von Baseline Masszahl Studienrange (x - y) = 100%	Δ% Verum und Kontrolle von Studienrange (x-y) → berechnen
5	Ansprechrate eines Ziels im 1° Endpunkt	%-Ansprechrate von 1° Endpunkt	Δ% = Prozent Punkte = ARR → direkt aus Studie zu entnehmen
6	Mortalität	Mortalitätsenkung in Jahren oder HR	Δ direkt aus Studie zu entnehmen oder berechnen

1 (2) Verzögerung gilt als Erfolg → Leiden, welche zu einer kontinuierlichen Verschlechterung führen, ohne Möglichkeit zur Verbesserung

Typ 1) - 4)	Typ 5)	Typ 6)	Scorepunkte
Δ ≥ 50%	Δ ≥ 40%	ΔOS ≥ 2% pro Jahr	4
Δ ≥ 30% oder HR ≤ 0,65	Δ ≥ 20%	ΔOS ≥ 1% pro Jahr oder HR ≤ 0,80	3
Δ ≥ 10% oder HR ≤ 0,70	Δ ≥ 10%	ΔOS ≥ 0,5% pro Jahr oder HR ≤ 0,85	2
Δ ≥ 5% oder HR ≤ 0,75	Δ ≥ 5%	-	1
Einarmige Studien mit klinisch relevantem Benefit		Ansprechen > 60% und DoR > 6 Mt.	3
		Ansprechen ≥ 30%	2
		Angaben zum Ansprechen fehlen	1

Klinisch relevanter Benefit → Der Benefit selbst ist nicht quantifiziert
 Typ 6 → Zeitpunkt ΔOS am validierten Studienende, vorgegeben durch Studie oder es gilt das Studienende bei noch 15 lebenden Probanden der Verumgruppe
 HR → Absolute Werte mit Δ haben Vorrang gegenüber HR

Bonus Malus	QoL	Deklariert als 2°, p ≤ 0,05 und mit validierten Fragebogen erhoben. Kein Bonus bei «non inferior» oder falls Bonus Teil von 1° Endpunkt.	+ 1
	Serious AE (sAE)	Δ sAE ≥ 35% (Δ = Verum ↔ Kontrollgruppe) oder ≥ 50% bei single-arm	- 1
	Ansprechen (RR)	RR 15-30%. Nicht bei Typ 5 und single-arm. (RR < 15 % = Max. Studienrating C)	+ 1
	Studiendefizite	<ul style="list-style-type: none"> Kontrollgruppe nicht adäquat dargestellt oder historische Kontrollgruppe mit unpräzise definierten Kriterien Studienvollzeit liegt nicht vor → Die Studie ist damit nicht voll beurteilbar Langzeitwirkung ist aus Studie nicht plausibel ableitbar Andere klinisch relevante Defizite, welche der VA begründen kann 	- 1
Expertenbezug durch VA	Zur Klärung einer für den VA unklaren klinischen Relevanz oder Zur Klärung von Besonderheiten der Studie	+ 1 / - 1	

QoL = Teil von 1° Endpunkt
 Beispiel: Reduktion von Nasenpolypen = 1° Endpunkt → Die verbesserte Nasenatmung führt zu signifikantem QoL-Benefit → kein Bonus für QoL möglich

Studienrating	5 → A	4 → A	3 → B	2 → C	1 → C	0 → D
Punktezahl für das Rating						
Scorepunkte und maximal (+1) oder (-1) aus der Summe aller Bonus/Malus Punkte						

Bemessungspunkte (1° Endpunkt Studie):

- Funktionsänderung
- Anzahl Ereignisse
- Scorepunktmessung
- Surrogate mit Studienrange
- Ansprechrate eines Ziels im 1° Endpunkt
- Mortalität

2. Finale Nutzenbewertung im Einzelfall

Finale Nutzenbewertung im Einzelfall

Studienrating	A	B	C	C*	D
---------------	---	---	---	----	---

VA Prüfung

→ Passt der Einzelfall zur Studienpopulation? Nur wenn der Einzelfall passt, kann der Nutzen im Studienrating auch im Einzelfall erwartet werden

1	Standardfall	Der Einzelfall passt zur Studienpopulation	Studienrating = Einzelfallrating
2	Ungenügende Datenlage	Der Einzelfall passt in keiner Art und Weise zur Studienpopulation	Kategorie D, im Zweifelsfall Rücksprache mit dem Antragsteller
3	Downgrading Maximal um eine Nutzenkategorie	Der Einzelfall passt nicht optimal zur Studienpopulation	Beispiele <ul style="list-style-type: none"> • Einzelfall gehört zu einer Subgruppe der Studienpopulation mit ungenügender Relevanz • Einzelfall in relevant anderer Lebenssituation oder massive Zusatzaufwendungen
4	Upgrading Maximal um eine Nutzenkategorie bis maximal B möglich	Zusätzliche Daten oder fachspezifische Besonderheiten zur Patientensituation begründen das Upgrading	Beispiele <ul style="list-style-type: none"> • Experten eines interdisziplinären Tumorboards oder eines universitären Zentrums für rare disease (Referenzzentrum) befürworten den Nutzen, obwohl die Medikation nur auf molekular-genetischer Analyse oder auf case reports basiert: D → C. • Besonderheiten im Einzelfall: D → C oder C → B

Berücksichtigung Rare diseases



Hinweis
Die Antragsteller müssen dem VA die Studiendaten liefern, welche den Nutzen aufzeigen sollen, weil die beantragte Medikation ausserhalb der regulären Leistungspflicht steht

Einteilung des therapeutischen Nutzens (Art. 38b Abs. 6 KLV)

Nutzenkategorie A :	sehr grosser therapeutischer Nutzen;
Nutzenkategorie B :	grosser therapeutischer Nutzen;
Nutzenkategorie C :	erwarteter grosser therapeutischer Nutzen
Nutzenkategorie D :	moderater, geringer oder kein therapeutischer Nutzen.

Neu vorgeschriebene Rabattabschläge (Art. 38d Abs. 6 KLV)

Nutzenkategorie A:	30%
Nutzenkategorie B:	35%
Nutzenkategorie C:	40% (+ Kostenübernahme 2 Monate)
Nutzenkategorie D:	Keine Vergütung

CAVE!

Nutzenkat. A-C:	Grundsätzlich Pflichtleistungen (sofern Pharma zu diesen Bedingungen liefert!)
Nutzenkat. D:	Keine Pflichtleistung

Swissrating (Branchenrating)

Wichtigste Herausforderungen

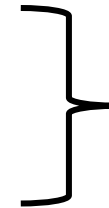
- Monitoringbericht BAG / Resultate aus der Datenlieferung
- Vorwurf der Ungleichbehandlung
- Einzelfallanfragen nehmen kontinuierlich zu
- Überbrückung / Kostendeckung bis zur SL-Aufnahme
- Reputationsrisiko für Krankenversicherung bei ungleicher Handhabung oder Ablehnung
- Revision Art. 71a-71d KVV



- **Freitagskonferenz der leitenden CH-Vertrauenärzte**
- **>95% Abdeckung der CH-Krankenversicherer**
- **Studienrating von neuen, meist sehr teuren Medikamenten**
- **Sehr oft Medikamente für rare diseases**
- **Beizug von **Fachexperten** bei Bedarf**
- **Gute Akzeptanz**

Beizug von Fachexperten bei rare diseases (Art. 71c Abs. 5 KVV)

Ist absehbar, dass ein Gesuch um Vergütung eines wichtigen Arzneimittels für seltene Krankheiten nach Artikel 4 Absatz 1 Buchstabe a^{decies} Ziffer 1 HMG **aufgrund Bewertung des therapeutischen Nutzens abgelehnt** werden wird, und liegen **keine klinischen Studien** vor, so hört der Vertrauensarzt oder die Vertrauensärztin mindestens einen **klinischen Fachexperten** oder eine klinische Fachexpertin an. Dieser oder diese gibt eine Empfehlung ab.



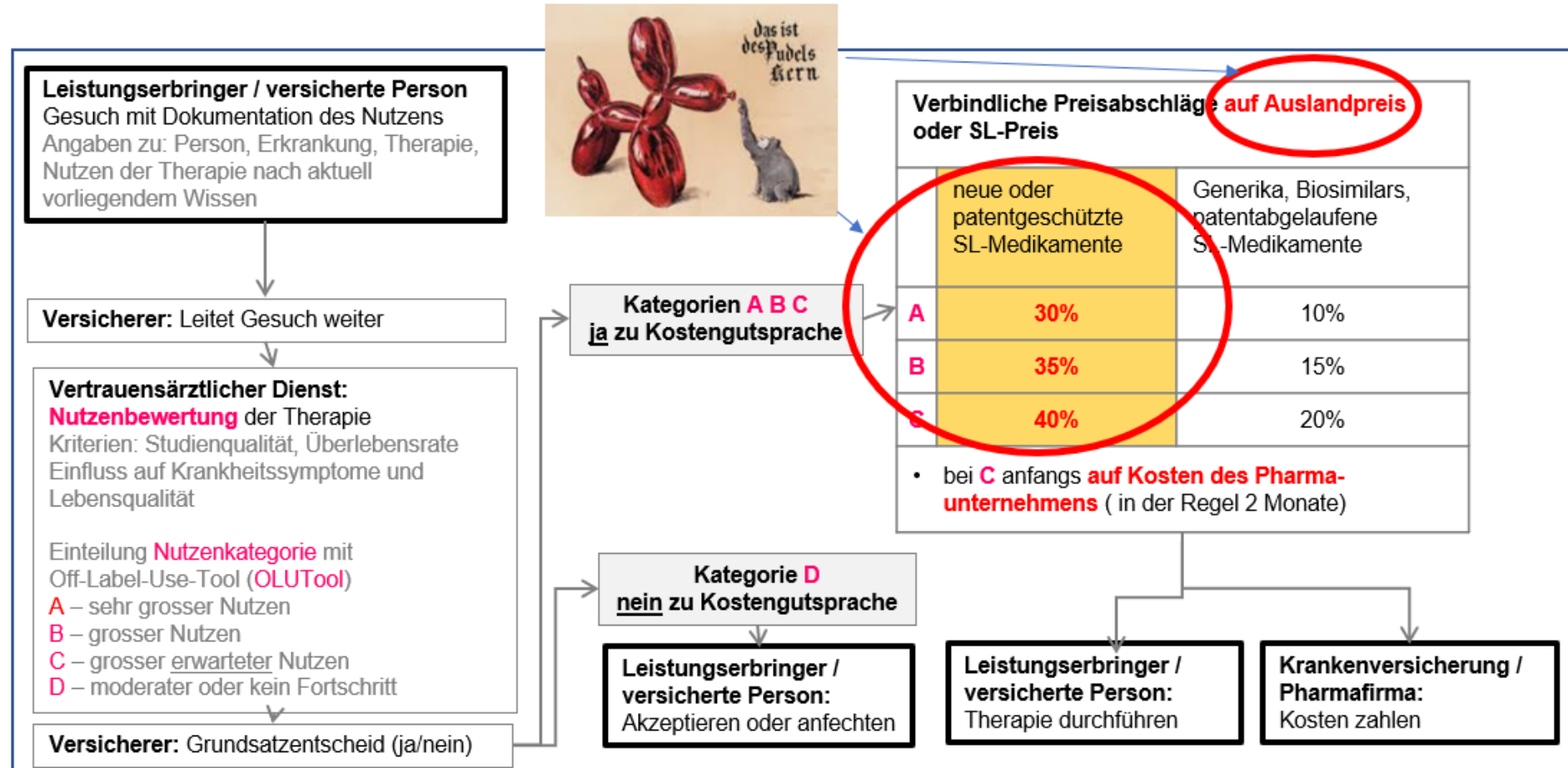
= Rating D

CAVE:

- **Verordnung schreibt keinen generellen Beizug von Fachexperten vor**
- **Fachexpertise hat Empfehlungscharakter, keine Entscheidkompetenz!**

Des Pudels Kern...

Prozessschema Anwendung von Artikel 71 KVV: Des Pudels Kern: fixe Rabatte und Auslandpreis (= Schaufensterpreis ohne Rabatte!)



Des Pudels Kern...

- Wir landen vertrauensärztlich oft im Rating C (keine harten klinische Studienendpunkte wie in der Onkologie)
- Fixe Rabatte – kein Verhandlungsspielraum für Pharma!
- Rating C oft von Pharma nicht akzeptiert! (man will Rating B oder A)
- Entscheid der Pharma oft im Head Quarter gefällt (CH = zu kleiner Markt)
- Vertrauensarzt kann/darf wegen wirtschaftlicher Problematik nicht hochraten; allenfalls Upgrading in der finalen Nutzenbewertung möglich!

TAKE HOME MESSAGES

- **Verschiedene Akteure** sind in die Off-Label-Verschreibung von Medikamenten involviert
- Es ist schwierig eine **evidenzbasierte Medizin** bei seltenen Krankheiten durchzuführen
- **Ethische Fragen** sind im Vordergrund
- Bedeutung einer **klaren Information des Patienten** über wissenschaftliche Daten, Off-Label-Verwendung, Nutzen und Risiken, um eine **gemeinsame Entscheidung** zu treffen

TAKE HOME MESSAGES

- Bedeutung von Initiativen, die die **Forschung bei seltenen Krankheiten fördern**
- Bedeutung von Registern für seltene Erkrankungen, Patienten-Vereinigungen und politischen Initiativen
- Bedeutung der Sensibilisierung der Bevölkerung für seltene Krankheiten



Umfrage zur heutigen Veranstaltung

In den nächsten 1-2 Wochen erhalten Sie per E-Mail eine Umfrage zu dieser Veranstaltung.

Wir freuen uns über jedes ehrliche Feedback, damit wir uns weiter verbessern können.

Herzlichen Dank dafür.



**Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit und Ihr
Interesse**