

Seltene Krankheiten
Zu teuer für die Solidargemeinschaft?

SICHT HELSANA

Pius Gyger

1. Einführung: wo liegen die Probleme?
2. Forschung und Versorgung
3. Vergütung / Marktkonstellation / Leistungsrecht
4. Verantwortung
5. Thesen zur Diskussion

Wo liegen die Probleme?

Forschung



Versorgung



© www.123rf.com

Vergütung



Verantwortung



1. Einführung: wo liegen die Probleme?
2. Forschung und Versorgung
3. Vergütung / Marktkonstellation / Leistungsrecht
4. Verantwortung
5. Thesen zur Diskussion

Forschung

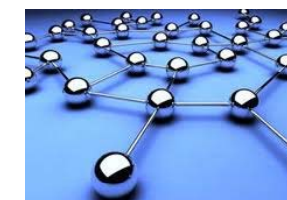
Forschungsanreize

- Risiko
- Markt- / Renditepotenzial
 - angemessener Preis vs Preismissbrauch
 - Patentrecht, Exklusivrechte etc.
- Staatliche Förderung?
- Priorisierungen (6'000-7'000 seltene Krankheiten)



Koordination / Know How

- Expertenvernetzung weltweit
- Zusammenarbeit Industrie / Universitäten
- Einbezug der Patientinnen und Patienten



Die grösste Anzahl seltener Krankheiten ist "ultra" selten

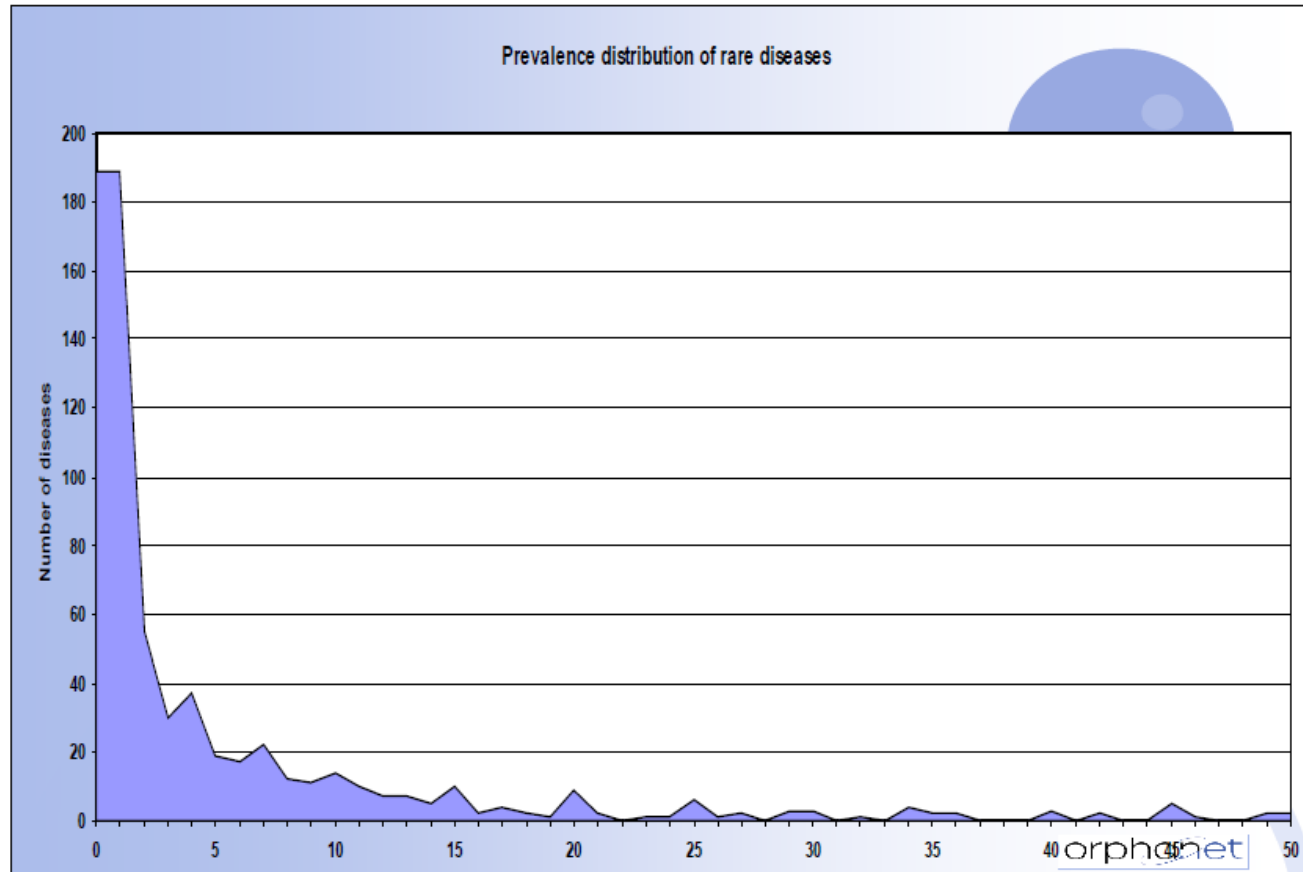


Figure 1: Distribution of prevalence rates of individual RDs (data extracted from Orphanet)
Expressed for 100 000 people, equal to or lower than the threshold for rarity as defined in the EU
(5 per 10 000 in principle, which is 50 per 100 000 here)

Forschung in der Schweiz im europäischen Vergleich

REPORT ON RARE DISEASE RESEARCH, ITS DETERMINANTS IN EUROPE AND THE WAY FORWARD

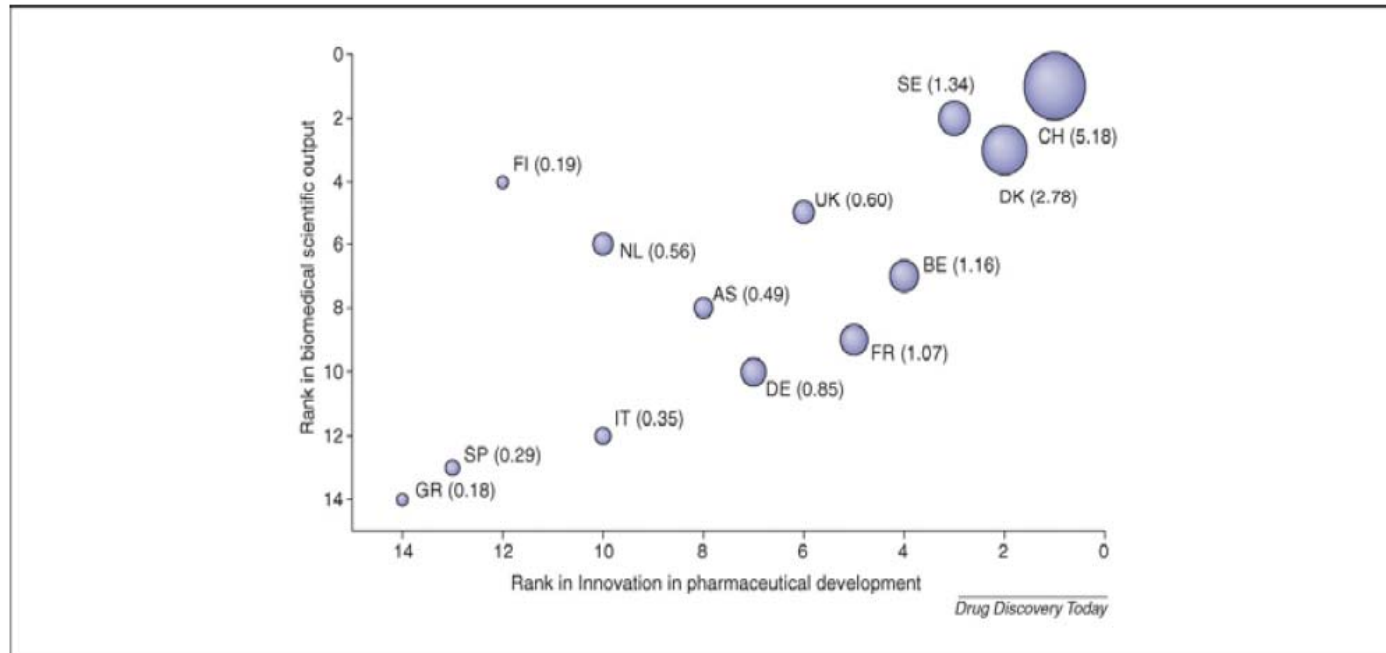


Figure 19: Biomedical scientific output, innovation in pharmaceutical development and orphan designations in Europe⁶⁷. (AS, Austria; BE, Belgium; DK, Denmark; FI, Finland; FR, France; DE, Germany; GR, Greece; IT, Italy; NL, the Netherlands; SP, Spain; SE, Sweden; UK, United Kingdom; NO, Norway; CH, Switzerland.)

Versorgung / Qualität

**43% der Patienten stationäre Behandlung in den letzten zwei Jahren
16% hatten mehr als fünf Ärzte konsultiert**

25%: vom Symptom zur Diagnose 5 – 30 Jahre

43%: hatten anfänglich eine falsche Diagnose

- **79% davon anfänglich eine unangemessene Behandlung**
- **69% darauf eine negative Auswirkung**

24% Zugang zu Leistungen schwierig bis unmöglich

Eurodis. The voice of 12'000 Patienten

zitiert aus: SÄZ, 92/2011, Romain Lazor, Loredana D'Amato Sizonenko

Versorgung offensichtlich suboptimal

Was ist zu tun?

**REPORT
ON RARE DISEASE RESEARCH,
ITS DETERMINANTS IN EUROPE
AND THE WAY FORWARD**



orphanet

RDPlatform

May 2011

Subventionierung klinische Forschung

4.	WHAT COULD BE PROPOSED – ISSUES TO HIGHLIGHT FOR THE FUTURE AND SUGGESTIONS	64
4.1.	Funding of European collaboration and continuity in action	64
4.2.	Incentives for clinical trials in the US which do not exist in Europe	64
4.3.	Expanding knowledge and databases	65
4.4.	International initiative to be launched	66
4.5.	Points for action	66
4.5.1.	On funding processes	66
4.5.2.	To address the specificities of research in the field of rare diseases	67
4.5.3.	To make the most of data repositories and information technologies	67
4.5.4.	To ensure that patients and families will benefit from research outcomes	67



Referenzzentren

Projektfinanzierung

Internationale Register

Datenbanken

Wissen!!!

Netzwerke

Zugang zu Info

Koordination

Stopp nat. Abschottung

INTERNATIONALISIERUNG!

Einzelne Länder und insbesondere die Schweiz sind zu klein für eine isolierte Politik von seltenen Krankheiten

1. Einführung: wo liegen die Probleme?
2. Forschung und Versorgung
3. Vergütung / Marktkonstellation / Leistungsrecht
4. Verantwortung
5. Thesen zur Diskussion

Reminder

1996 - 2011

Vergütungskriterien Einzelfall
• **GROSSER Nutzen(nachweis)**
• **und zwar GENERELL**
• **lebensgefährlich**
• **keine Alternative**

=
Dezentrale / individuelle Lösungen
Funktioniert so schlecht?

Myozyme Urteil

Individualfallbeurteilung (Analoge Fälle ?)
Bundesgerichtskriterien bestätigt.
Keine fixen Schwellenwerte, aber Grenzen
Grundsatz der allokativen Effizienz!

KVV 71a / 71b

Kodifizierung der Bundesgerichtskriterien
Vertrauensarzt beurteilt den Nutzen
Krankenversicherer legen Vergütung fest
= Machtverlust der Industrie

Suggestivkampagne

interpharmaph
Das Wichtigste in Kürze zum Gesundheitsmonitor 2011
Seltene Krankheiten gehören vergütet

Die Lücke im Leistungsrecht muss geschlossen werden



bis 2010

WZW an VA und KV delegiert
ohne weitere Konkretisierungen
dezentrale ad hoc Lösungen
Preissetzungsmacht bei Industrie
Hohe Preise erzielbar
Anreize, auf SL Aufnahme zu verzichten

ab 2011

Bestimmung Nutzen beim VA
ohne weitere Konkretisierungen
dezentrale ad hoc Lösungen
Vergütungsmacht bei KV
Preise unter Druck
Anreize auf SL-Aufnahme?

Pricing im "freien Markt":

Je schwerer die Krankheit desto höher der Preis

Seltene Krankheiten sind selten, aber die Anzahl der betroffenen Patienten zahlreich.

Bleibt Pricing bei Orphan drugs eine Ausnahme?

Lücke im Leistungsrecht

Willkürliche Nutzenbeurteilung?

Seltenheit ist kein Vergütungskriterium

"Klare Kriterien"

- **"Grosser therapeutischer Nutzen"**
- **Bei tödlicher oder schwer chronischer Krankheit**
- **Keine andere zugelassene, wirksame Alternative**

Willkür hängt nur von der Klarheit der Kriterien ab;

- **nicht von der Finanzierung**
- **nicht von Organisation des VAD**
- **nicht von der Organisation des KV**

Es führt kein Weg an der Kriteriendiskussion vorbei.

Lücke im Leistungsrecht

Anforderungen an Kriterien

Welche Behandlungen soll die obligatorische Krankenpflegeversicherung zu welchen Kosten in welchen Fällen übernehmen?

Anforderungen an
Kriterien aus Sicht
Helsana

Einheitlichkeit
Akzeptanz
Innovationsfreundlich

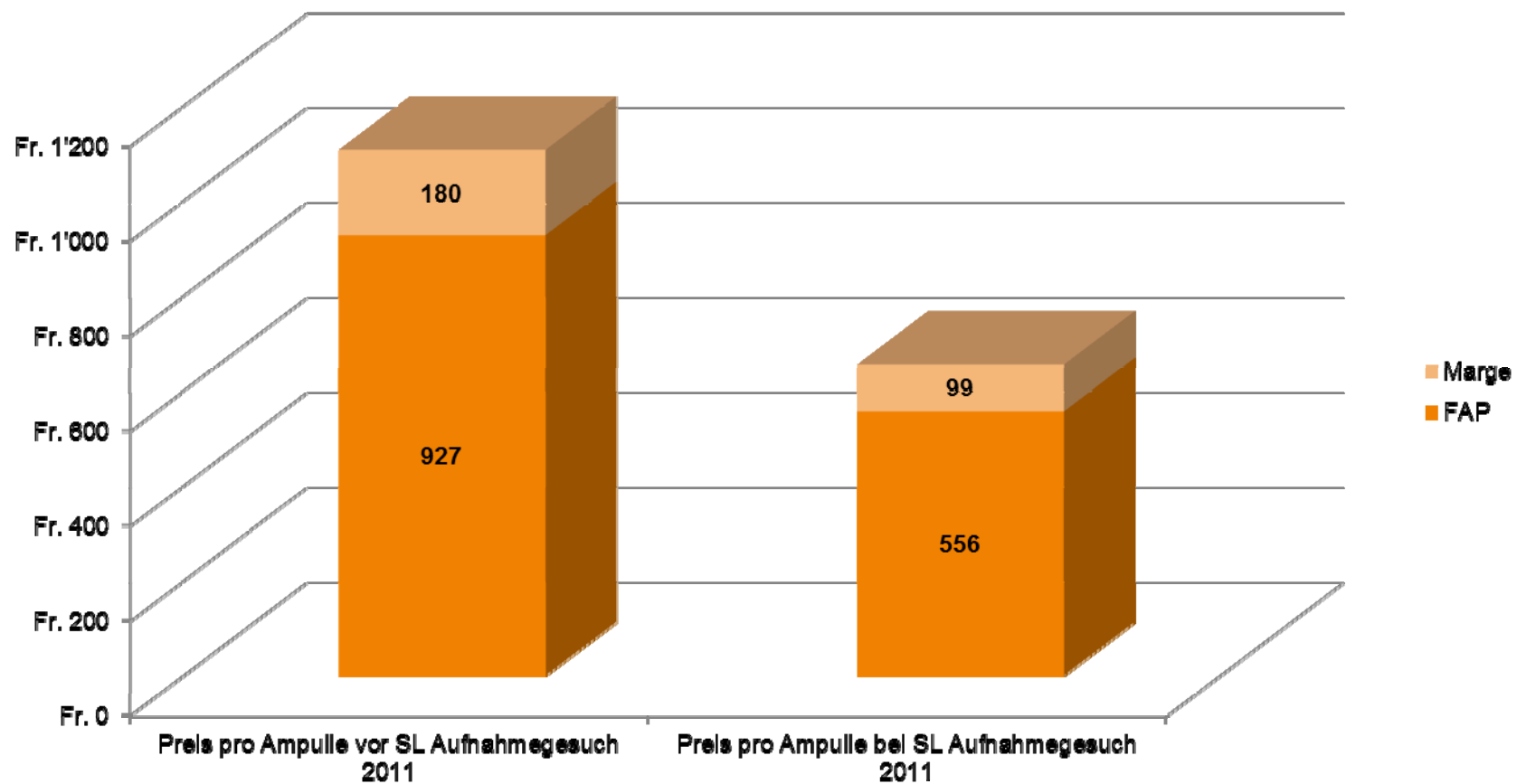
Nachvollziehbarkeit
Transparenz
schnell umsetzbar

Ungelöste Fragen

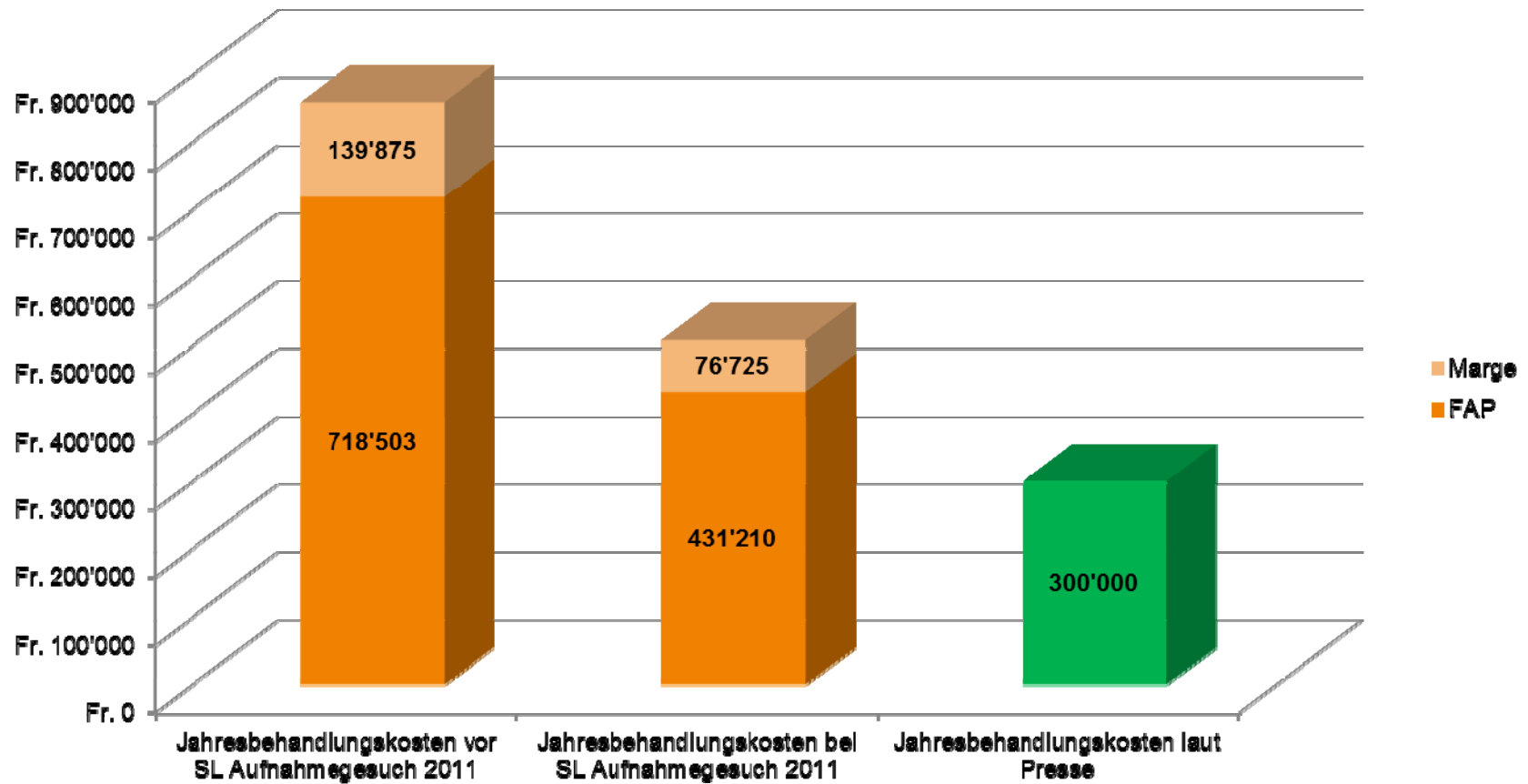
Wer ist verantwortlich für Entwicklung?
Kodifizierung?
Evidenznachweis?
Wo sind die Grenzen?
Vergütungsbedingungen (p4p, L, etc.)

Es führt kein Weg an der Kriteriendiskussion vorbei.

Beispiel Myozyme Preise



Myozyme Jahresbehandlungskosten eines Patienten



Beispiele grosser Preisdifferenzen

Hydroxyharnstoff:

Sichelzellanämie: 160 GBP / Jahr

myeloische Leukämie (orphan): 14'900 GBP / Jahr

Ibuprofen:

Schmerzmittel: 0,8 GBP / Gramm

persistierende Ductus arteriosus: 6'575 GBP / Gramm

3,4-Diamonopyridin

1'000 GBP Jahreskosten

Lambert-Eaton-Syndrom (orphan): 44'200 GBP Jahreskosten

Carbamyglutamat

4'000 GBP

orphan: 95'000 GBP

SÄZ, 92/2011, Romain Lazor, Loredana D'Amato Sizonenko

Preismissbrauch?

Anreize bei Marktbeherrschung

Bundesgerichtsurteil, 9C_56/2008 vom 6. Oktober 2008 (HERCEPTIN)

"Um dem Wirtschaftlichkeitsgebot Nachachtung zu verschaffen und **keine Anreize zu schaffen, die Listenaufnahme mit der damit verbundenen Preiskontrolle durch verzögerte Zulassungsverfahren zu umgehen**, wäre zu verlangen, dass sie im Rahmen des off-label-use Kosten nur in dem Umfange übernommen werden, wie sie auch gemäss einer Preisfestsetzung in der Spezialitätenliste zu übernehmen wären."

Wettbewerbsrecht

Kein staatlicher Preis

Monopolstellung des Anbieters = marktbeherrschende Stellung

Missbrauchsverbot bei marktbeherrschender Stellung (Art. 7 KG)

Kostennachweis

**Der beste Anreize für die Aufnahme in die SL:
Keine hors liste Vergütung**

Preissmissbrauch? Ein Blick über die Grenze

BMJ

www.bmj.com

BMJ 2010;341:c6471 doi:10.1136/bmj.c6471 (Published 16 November 2010)

Cite this as: BMJ 2010;341:c6471

Analysis

Orphan drug pricing may warrant a competition law investigation

Jonathan C P Roos, medical doctor, Hanna I Hyry, lawyer, Timothy M Cox, professor of medicine

Author Affiliations

Correspondence to: T M Cox ec432@medschl.cam.ac.uk

Accepted 11 November 2010

EU legislation offers an exclusive marketing period as an incentive for companies to develop drugs for rare diseases. But pricing for orphan drugs hinders access and may warrant a competition law investigation, say Jonathan C P Roos, Hanna I Hyry, and Timothy M Cox

EU legislation offers an exclusive marketing period as an incentive for companies to develop drugs for rare diseases. **But pricing for orphan drugs hinders access and may warrant a competition law investigation**, say Jonathan C P Roos, Hanna I Hyry, and Timothy M Cox

Preissmissbrauch? Ein Blick über die Grenze

"The EU has delegated responsibility for **pricing and reimbursement to member states**, whose **individual health authorities have usually only limited power to negotiate orphan prices**. Typically, **companies avoid downward price referencing between countries by first marketing in member states where launch prices are unrestricted**, such as the **UK, Germany, or France**. In France the price is fully reimbursed during the trial phase. Companies thus have an incentive to set a high initial price—which in practice remains unchanged after formal authorisation. This practice can confound the efforts of other countries, such as Belgium, Spain, Greece, and Italy, which attempt to control prices. **Companies prefer to donate drugs rather than perhaps sell at discounted rates to individual countries**. Giving product away free can help to avoid the downward price-referencing associated with differential pricing. Once a drug is available elsewhere, even at a high price, **national health authorities find themselves under intense public pressure to provide these long awaited treatments.**"

Although it is not an offence to be dominant, such a position places a **special responsibility on a company not to allow its conduct to impair competition.**

Finanzierungsprobleme?

BASENAME	2008		2009		2010	
	BETRAG_2008_HR	Anzahl Patienten	BETRAG_2009_HR	Anzahl Patienten	BETRAG_2010_HR	Anzahl Patienten
			16069.18	1	298768.19	18
			10100.56	1	12229.67	1
	18035.68	2				
	19446.19	2				
	136785.96	3				
	419418.23	25	127819.40	3	161438.03	3
			551705.31	35	529210.49	36
			337755.73	2	180670.17	2
					8508.16	2
	5173305.64	137	6044893.78	157	5914412.74	163
			14830.62	11	40501.87	16
					4422.20	1
	199244.37	35	158529.60	34	131335.76	27
	4230.21	3	1622.98	1	1394.56	1
					10909.78	1
	204616.74	16	221742.44	14	197662.65	12
	788927.59	43	968894.02	50	836184.25	44
					88118.10	7
	14744.16	4	48652.88	4	16590.23	3
	72425.52	2				
	254228.06	1	317885.54	1	874642.49	9
	215754.89	36	376367.43	53	531613.97	75
	1396545.16	60	3045584.06	94	3766308.37	108
					15930.91	2
	40049.93	1	36424.98	1		
	629971.72	17	617757.87	18	1066774.20	22
	1629219.70	57	1390834.97	47	1724883.00	67
	965490.09	97	1022712.67	94	1114901.61	100
	421036.53	14	838512.37	21	997824.68	28
	365817.34	31	302641.52	27	194861.99	20
			54508.55	3	51827.55	8
					1037222.66	82
	3694222.34	98	3891740.28	93	2423810.70	77
	452332.50	49	320986.17	34	247593.12	21
	32125.50	83	31346.71	53	41788.73	57
	2363300.36	101	3058683.74	137	2088275.30	130
	503605.46	30	667270.52	41	685337.68	48
			83252.86	4	236059.90	13
					44510.05	7
	343650.34	46	406361.33	47	314046.72	47
					58659.13	5
	147515.90	1				
					262.64	1
Total Orphan Drugs	20'505'046	995	24'965'488	1'082	25'949'193	1'267

- nur ambulant, stationär nicht erfasst
- "Falschrechnungen" nicht erfasst

Die Kosten für orphan drugs liegen unter 4% der OKP-Medikamentenkosten.

Spezialfinanzierung für orphan drugs? Rückversicherungsmodell / separater Fonds?

Reservevorschriften

Rückversicherungen

Leistungspflichten

"Seltene Krankheiten sind keine besseren Krankheiten"

**Es gibt kein Finanzierungsproblem!
Neue Finanzierungsformen lösen das Kriteriumproblem nicht.**

Seltene Krankheiten. Zu teuer für die Solidargemeinschaft?

JA

- wenn Behandlung unnütz
- wenn Behandlung inakzeptabel wenig nützt
- wenn reine Forschungsfinanzierung
- wenn Preise missbräuchlich sind

NEIN

- da problemlos finanzierbar
- wenn das Kosten - Nutzen – Verhältnis akzeptabel ist
- wenn Preise nachvollziehbar sind

1. Einführung: wo liegen die Probleme?
2. Forschung und Versorgung
3. Vergütung / Marktkonstellation / Leistungsrecht
4. Verantwortung
5. Thesen zur Diskussion

Verantwortung



interpharma^{ph} Das Wichtigste in Kürze zum Gesundheitsmonitor 2011

Seltene Krankheiten gehören behandelt

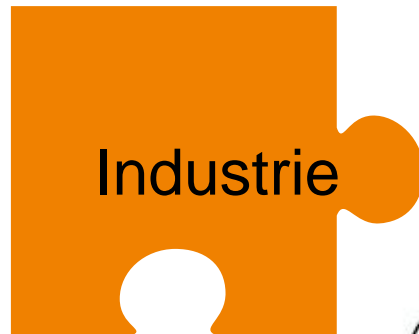


**Alles ist da.
Auch Verantwortung?**

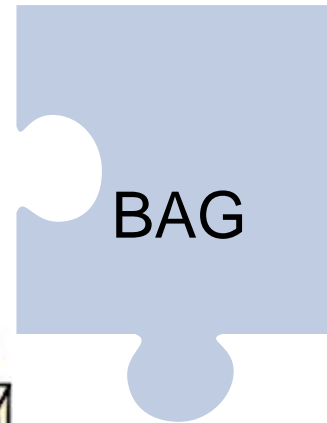
Verantwortung



- Pricing
- Kein Machtmissbrauch
- Zusammenarbeit KV
- Wissen
- Evidenz



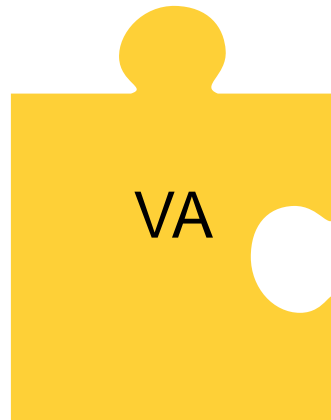
Industrie



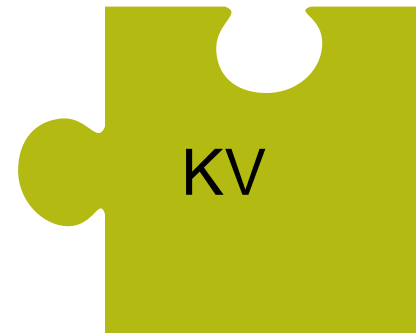
BAG

- Entscheiden
- Werturteile
- Kriterien
- Regulierung

- Kriterien
- Wissen
- Transparenz



VA



KV

- Nachvollziehbare Vergütung
- Kriterien
- Bekämpfung Missbrauch
- Zusammenarbeit VA
- Zusammenarbeit Industrie und Lerb

1. Einführung: wo liegen die Probleme?
2. Forschung und Versorgung
3. Vergütung / Marktkonstellation / Leistungsrecht
4. Verantwortung
5. Thesen zur Diskussion

Diskussion

1

Die Versorgungsqualität muss in erster Linie mit internationalem Wissensmanagement verbessert werden.

2

Auch Vergütungsregeln können zur Versorgungsqualität beitragen.

3

Es gibt kein Finanzierungsproblem – an erster Stelle steht das Kriterienproblem.

4

Ohne Werturteile geht es nicht.

5

Bei Preismissbrauch der Industrie gelten die üblichen Wettbewerbsregeln.

Helsana

© Original Artist
Reproduction rights obtainable from
www.CartoonStock.com



"The bad news is you had two diseases no one in history ever had together. The good news is they canceled each other out!"

