

Verbot oder Einschränkung von Off-Label-Use gefährdet besonders Patienten mit seltenen Erkrankungen

Hieß es in den Zeitschriften der Selbsthilfeverbände seltener Erkrankungen in den letzten Jahren oft "die Prognose und Lebensqualität hat sich dank neuer Medikamente deutlich verbessert", so grassiert jetzt überall die Angst, dass notwendige Medikamente künftig nicht mehr erstattet werden könnten. „Weiter durch den Fortschritt neue Überlebenschancen bekommen oder zurück in die Zeit, als man uns nur bei Sterben zusehen konnte“, so fasste ein Patient mit Pulmonaler Hypertonie deshalb die Nachricht auf, dass es in Zukunft noch größere Probleme bei der Erstattung von sog. Off-Label-Präparaten - die für die entsprechende Indikation nicht zugelassen sind - geben könnte. Und damit bringt er etwas zum Ausdruck, was alle Vertreter seltener Erkrankungen verstehen, denn bei kaum einer dieser Erkrankungen sind Therapien vorhanden, die nicht zu 40-100% off-label sind. Die ACHSE e.V. (Allianz seltener chronischer Erkrankungen) als Dachverband seltener Erkrankungen in Deutschland geht davon aus, dass es bei rund 5.000 bekannten seltenen Erkrankungen sehr viel mehr Betroffene gibt als selbst Experten sich vorstellen können.

Bei der Zulassung von Medikamenten kommt es entscheidend auf Studienergebnisse an. Für Seltene Erkrankungen gibt es in der Regel keine Leitlinien, sehr oft nicht einmal gute Studien. Pharmaunternehmen können an den wenigen Betroffenen kaum etwas verdienen, weswegen sie in diesem Bereich zu wenig forschen und selbst dann keine Zulassung beantragen, wenn sich diese erwirken ließe. Bei vielen Krankheitsbildern sind die Häufigkeiten so gering, dass sich Studien rein zahlenmäßig kaum durchführen lassen, in anderen Fällen sind sie ethisch nicht mehr vertretbar, und fast überall fehlt das Geld, um mögliche Studien durchzuführen.

Auch Patienten mit seltenen Erkrankungen wissen, dass Zulassungen und Wirkamkeitsstudien der Patientensicherheit nützen. Nur nehmen offenbar weder Regierung noch der Gemeinsame Bundesausschuss bisher in ausreichendem Maße wahr, wie viele seltene Erkrankungen es gibt und wie groß das Problem des Off-Label-Gebrauchs für diese Krankheitsbilder ist. Wegen zunehmender Einsparungen haben schon viele Patienten erleben müssen, dass plötzlich Leistungen verweigert wurden und sie, um ihre Versorgung sicherzustellen, klagen mussten.

Das Bundessozialgericht hat im Jahre 2002 entschieden, dass einem Patienten kein notwendiges Medikament verweigert werden darf, wenn seitens der zuständigen Organe versäumt wurde, entsprechende Regelungen zu treffen. Ist die Krankheit schwerwiegend, sind keine anderen Therapien vorhanden und gibt es

Belege für die Erfolgsaussicht der Behandlung, dann müssen die Kassen die Therapie auch bezahlen. Eine ganze Reihe von Patienten bekommt heute aufgrund dieses Urteils die notwendigen Medikamente, aber andere, insbesondere solche mit seltenen Erkrankungen, haben trotzdem große Probleme.

Bundesregierung und Gemeinsamer Bundesausschuss haben beschlossen, der Anforderung des Gerichts nun zu folgen und eine Regelung in dieser Sache herbeizuführen. Dies soll in einer Neufassung der Arzneimittelrichtlinie und durch Einsetzung von 3 Off-Label-Kommissionen geschehen. Dies wäre ein Schritt in die richtige Richtung, wenn er für alle betroffenen Patienten hinreichend wäre. Das BSG-Urteil beschreibt nur eine Mindestanforderung, diese muss für alle Medikamente erhalten bleiben, bis eine Bewertung einer Off-Label-Kommission vorliegt. Die Kommissionen müssen in ausreichender Zahl eingerichtet werden, um einerseits vollständig und andererseits zeitnah über neue, oft überlebensnotwendige Medikamente zu entscheiden. Und schließlich müssen sie der besonderen Situation seltener Erkrankungen auch in der Bewertung von vorhandenen und erbringbaren Wirksamkeitsnachweisen Rechnung tragen.

Patienten brauchen eine Regelung des Off-Label-Use, die nicht den Zugang zu erforderlichen Medikamenten abschneidet. Eine neue Regelung muss differenzieren zwischen notwendigen Off-Label-Medikamenten und zu verurteilendem, bewusst und dauerhaft zulassungsüberschreitendem Einsatz, der keine Vorteile bringt, sondern die Patienten gefährdet.

Ziel aller Maßnahmen muss es daher sein, den Off-Label-Gebrauch von Arzneimitteln als „erweiterte Zulassung“ zu unterbinden und gleichzeitig dort, wo er *medizinisch* - z.B. bei fast allen seltenen Erkrankungen - geboten ist, zu ermöglichen. Dies kann und sollte mit bestimmten Auflagen verbunden sein, z.B. dass die Anwendung jenseits der Zulassung durch wissenschaftlich fundierte Studien begleitet wird, die eine Nachzulassung in diesem Anwendungsgebiet vorbereiten können. Da aber mit zentralen Bewertungen nie jedem Einzelfall Rechnung getragen werden kann, muss das Urteil des Bundessozialgerichtes in allen Fällen, in denen keine Bewertung eines zulassungsüberschreitenden Arzneimitteleinsatzes durch die Expertenkommission vorliegt, weiter uneingeschränkte Gültigkeit besitzen.

Borgi Winkler-Rohlfing

Vorstand der ACHSE e.V.

1. Vorsitzende Lupus Erythematodes Selbsthilfemeinschaft e.V.

Vorstand der Deutschen Rheuma-Liga Bundesverband e.V.