



DEUTSCHE HÄMOPHILIEGESELLSCHAFT ZUR BEKÄMPFUNG VON BLUTUNGSKRANKHEITEN e.V.

Bundesgeschäftsstelle:

Neumann-Reichardt-Straße 34 • 22041 Hamburg • Telefon (0 40) 6 72 29 70 • Fax (0 40) 6 72 49 44 • E-Mail: dhg@dhg.de

Stellungnahme der Deutschen Hämophiliegesellschaft zum Entwurf eines Gesetzes für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV)

Mit der vorliegenden Stellungnahme zum Entwurf des GSAV bringen wir als **bundesweite Patientenvereinigung der Blutungskranken** unsere **schwerwiegenden Bedenken** zum Ausdruck. In seiner aktuellen Fassung beurteilen wir den Entwurf in Bezug auf die Hämophilie als unausgereift und in sich nicht schlüssig. Durch die Änderung des § 47 AMG befürchten wir für die Patienten gravierende Auswirkungen auf die Qualität und die Sicherheit der Hämophiliebehandlung.

1. Gefährdung der Behandlungsqualität durch Schwächung der Hämophiliezentren

Hämophilie ist eine lebensbedrohliche seltene Erkrankung, die einer hochspezialisierten Behandlung bedarf. Diese muss in **geeigneten Behandlungszentren** (Comprehensive Care Centers) erfolgen. Auch die Begleiterkrankungen wie HIV und HCV sowie die schweren orthopädischen Folgeschäden lassen sich ausschließlich in Hämophiliezentren adäquat behandeln und künftige Folgeschäden durch eine optimierte Prophylaxe weitgehend verhindern. Eine hierfür notwendige Spezialisierung ist aber nur zu erreichen, wenn die Struktur der Zentren aufrechterhalten wird, deren Finanzierung sowie die Aus- und Weiterbildung der Spezialisten sichergestellt ist und – vor allem – die Patienten sich auch dort behandeln lassen. Es ist zu befürchten, dass die Patienten nicht mehr ihr Zentrum aufsuchen, wenn die Versorgung mit Präparaten auch über den Hausarzt möglich wird. Dies wird zu einer Aushöhlung der umfassenden Betreuung durch spezialisierte Ärzte führen und letztlich auch mit erheblichen Folgekosten einhergehen. Eine im Jahr 2000 in der Zeitschrift „Blood“ veröffentlichte, wissenschaftlich hochrangige Studie konnte bei Hämophilie-Patienten, die sich nicht in spezialisierten Zentren behandeln lassen, vermehrte Krankheitsfolgen und eine erhöhte Mortalität nachweisen.¹ Insgesamt wird die Therapie weniger leitlinien- und evidenzbasiert werden, wenn die Behandlung außerhalb von Zentren stattfindet.

Ganz besonders wichtig ist die Expertise erfahrener Spezialisten beim **Einsatz der neu auf den Markt kommenden Nicht-Gerinnungsfaktor-Therapien** wie Emicizumab (Hemlibra®, Fa. Roche/Chugai), die sich erheblich von den herkömmlichen Faktorpräparaten unterscheiden.

Hier liegen noch keine Langzeiterfahrungen vor und es ist unklar, welche Nebenwirkungen und möglicherweise erheblichen Wechselwirkungen mit anderen Medikamenten auftreten können. Auch in der Behandlung eines akuten Notfalls oder bei Operationen sind die Wirkmechanismen sehr komplex. Dies zeigt sich daran, dass im Fall von Emicizumab erstmals im Rahmen einer Zu-

¹ SOUCIE et al: "Mortality among males with hemophilia: relations with source of medical care", in *BLOOD*, 15 JULY 2000, S. 437-442.

lassungsstudie über eine größere Zahl von Todesfällen bei Hemmkörperpatienten (Stand September 2018: 7 Todesfälle) berichtet wurde. Zudem wird die Hämophilie in Krankenhäusern und Arztpraxen der Regelversorgung nicht mehr erkannt, da sich bei Emicizumab die Gerinnungswerte (insbesondere die aPTT) verändern und die hämophile Blutungsneigung nur noch mit Spezialtests zu erkennen und zu überwachen ist.

In den meisten **anderen europäischen Ländern** stellen aus den o.g. Gründen die Hämophiliezentren die Kontrolle über den Einsatz und die Abgabe der Präparate sicher. Die *World Federation of Hemophilia* (WFH) fordert, dass die Betreuung und Versorgung der Hämophilen weltweit ausschließlich in qualifizierten Behandlungszentren stattfinden soll. Die *European Association for Haemophilia and Allied Disorders* (EAHAD) und das *European Haemophilia Consortium* (EHC) haben erst kürzlich in einer gemeinsamen Erklärung auf die zentrale Rolle der Comprehensive Care Centers bei der Therapie mit den neuentwickelten Hämophilie-Präparaten aufmerksam gemacht.² Das EHC unterstützt unsere Forderung, den Referentenentwurf zu überarbeiten, mit einem dieser Stellungnahme beigefügten *Letter of Support*.

Es ist davon auszugehen, dass es der Wunsch vieler Patienten ist, ihre Präparate weiterhin direkt über ihren behandelnden Hämophilie-Arzt zu beziehen. Wenn in den Hämophiliezentren nur noch plasmatische Produkte abgegeben werden dürfen, ist eine **vermehrte Rückkehr zu plasmatischen Produkten** zu erwarten. Im Bereich der plasmatischen Produkte finden allerdings keine Weiterentwicklungen statt, so dass unter diesen Umständen die Patienten nicht von medizinischen Fortschritten profitieren würden.

2. Gefährdung der Akut- und Notfallversorgung

Die Akutversorgung im Falle von Spontanblutungen sowie die Notfallversorgung bei schweren, mitunter lebensbedrohlichen Blutungen muss sichergestellt sein. Hämophiliezentren haben diesbezüglich gut funktionierende Konzepte entwickelt, die mit der Gesetzesänderung zer schlagen würden. Es ist äußerst fraglich, ob und wie Apotheken einen ausreichenden Vorrat der teuren Hämophilie-Präparate und eine 24-Stunden-Erreichbarkeit an 365 Tagen im Jahr gewährleisten können. Denn bei den hohen Preisen der Präparate, die nur eine begrenzte Haltbarkeit aufweisen, werden **Apotheken kein Notfalldepot** vorhalten können, schon gar nicht für die gesamte Palette aller Präparate.

Eine Ad-hoc-Versorgung kann so nicht funktionieren. Die Patienten werden daher deutlich länger auf eine adäquate Notfallversorgung warten müssen, was fatale Folgen haben kann. Außerdem werden die Patienten in den meisten Fällen nicht mehr das für sie am besten geeignete Präparat erhalten, sondern ein beliebiges anderes, das gerade verfügbar ist. Ein Präparatewechsel kann jedoch vor allem bei Kindern möglicherweise das Risiko einer Hemmkörperentwicklung erhöhen, mit dramatischen Auswirkungen auf Lebensqualität, Morbidität und Mortalität.

Es ist zu befürchten, dass bei der **Notfallversorgung in den Hämophiliezentren** künftig mehrheitlich plasmatische Produkte zum Einsatz kommen werden, da diese durch die Zentren im Direktvertrieb abgegeben werden können. Bei Patienten, die zuvor ausschließlich mit rekombinanten Präparaten behandelt wurden, ist dies nicht zu verantworten (Generierung einer

² <http://eahad.org/eahad-ehc-joint-statement-on-promoting-central-role-of-haemophilia-comprehensive-care-centres-in-the-treatment-of-haemophilia-and-rare-bleeding-disorders-using-novel-non-replacement-therapies>

„Plasmanarbe“).

3. Gefährdung der wissenschaftlichen Forschung sowie der Aus- und Weiterbildung

Es ist eine **Schwächung der wissenschaftlichen Möglichkeiten** der Zentren zu befürchten, wenn nicht mehr das gesamte Patientenspektrum an ein Zentrum gebunden ist. Insbesondere bei „Rare-Diseases“ ist eine Bündelung der Patienten jedoch die Grundvoraussetzung für wissenschaftliches Arbeiten. Es ist daher nicht abzusehen, wie künftig noch Anwendungsbeobachtungen / Postzulassungsstudien durchgeführt werden können.

Um die Qualität eines Hämophiliezentrum nachhaltig zu sichern, sind **Aus- und Weiterbildungsmöglichkeiten essentiell**. Auch hierfür ist es wichtig, dass weiterhin eine starke Bindung der Patienten an die Zentren erhalten bleibt.

4. Gefährdung der Sicherstellung der Dokumentation

Die im **Transfusionsgesetz (§ 14 und § 21) vorgeschriebene umfassende Dokumentationspflicht** kann in Zukunft nicht mehr erfüllt werden, weil möglicherweise verschiedene Ärzte an der Behandlung und Verordnung beteiligt sein werden. Somit steht das **GSAV im Widerspruch zum gerade erst überarbeiteten Transfusionsgesetz**. Zusätzlich ist die **Rückverfolgbarkeit** – eigentlich Sinn und Zweck der Dokumentationspflicht durch das Transfusionsgesetz, auch bei rekombinanten Produkten – gefährdet.

Die **Meldungen an das Deutsche Hämophilieregister (DHR)** werden erschwert, wenn weniger Patienten in einem Hämophiliezentrum behandelt werden und den Ärzten somit die notwendigen Informationen fehlen. Das DHR, dessen Rolle erst im letzten Jahr durch das „Gesetz zur Fortschreibung von Vorschriften für Blut- und Gewebezubereitungen und zur Änderung anderer Vorschriften“ bewusst gestärkt wurde, wird bedeutungslos werden. Die **Transparenz und die Qualitätskontrolle** der Hämophiliebehandlung gehen entsprechend verloren.

5. Gefährdung der Wirtschaftlichkeit der Therapie

Bei Apothekenbezug werden die **Kosten deutlich höher** liegen als bei der Direkt-Abgabe durch das Hämophiliezentrum. Hierbei verweisen wir auch auf die Stellungnahmen der Kostenträger.

Die Regelung, Gerinnungsfaktoren direkt über die Hämophiliezentren abzugeben, wurde nicht zuletzt aus Gründen der Kostenreduktion eingeführt, da der **Abgabeweg über die Zentren wirtschaftlicher** ist als über die Apotheken.

Dies wurde so auch im **Urteil des Bundessozialgerichts (BSG)** aus dem Jahr 2015 bestätigt. Hier wurde höchstrichterlich entschieden, dass Ärzte bei der Verordnung von Gerinnungsfaktoren aus Wirtschaftlichkeitsgründen (§ 12 SGB V) die Apotheken umgehen müssen. Die geplante Neuregelung des § 47 AMG wäre somit eine unwirtschaftliche Maßnahme und könnte langfristig die Finanzierbarkeit der ohnehin kostenintensiven Therapie erheblich belasten.

Alle von uns aufgezeigten Punkte müssen gründlich durchdacht werden, bevor ein neues Gesetz – mit ggf. fatalen Auswirkungen für die Betroffenen – Fakten schafft.

Die Intention des BMG, die **Transparenz bei der Verordnung und Abgabe der Hämophilie-Präparate zu verbessern**, kann durch den vorliegenden Gesetzesentwurf nur sehr bedingt erreicht werden, da plasmatische Produkte weiterhin im Direktvertrieb verbleiben sollen. Dies betrifft fast die Hälfte aller genutzten Präparate in Deutschland. Um einer vermuteten finanziellen Verflechtung die Grundlage zu entziehen, wäre es weit effektiver, flächendeckend **Versorgungsverträge** auszubauen – unter Beibehaltung des Direktvertriebs für alle gegenwärtigen und zukünftigen Präparate.

Die Kette „Patient kontaktiert Arzt im Hämophiliezentrum – Arzt stellt Indikation zur Behandlung – Arzt legt Präparatetyp (ggf. auch Charge) und -dosis fest – Arzt rezeptiert und gibt Präparat aus – Arzt überprüft Behandlungserfolg und Nebenwirkungen – Arzt stellt Dokumentation durch Patienten sicher“ ist bei Abgabe der Gerinnungspräparate durch das Hämophiliezentrum jederzeit gewährleistet. Diese Kette bietet eine hohe Sicherheit sowie Qualität der Behandlung für die Patienten und ist zudem hocheffizient und wirtschaftlich. Sie zu durchbrechen und damit ein wirkungsvolles und bewährtes Konstrukt leichtfertig aufzugeben, halten wir für unverantwortlich.

Wir sehen es daher im Sinne der Patienten mit Gerinnungsstörungen als zwingend erforderlich an, den Entwurf in seiner gegenwärtigen Form unter Einbeziehung einer Arbeitsgruppe aus Vertretern der Patienten, der Ärzteschaft und der Kostenträger umfassend zu überarbeiten, um eine gesteigerte Transparenz unter gleichzeitiger Beibehaltung der Behandlungsqualität und deren künftiger Fortentwicklung zu erreichen.

Hamburg, 13. Dezember 2018



Dr. Stefanie Oestreicher
Vorsitzende des Vorstands

Anlage: Schreiben des Europäischen Hämophiliekonsortiums (EHC)