

Stellungnahme der Interessengemeinschaft Hämophiler e. V. zum Referentenentwurf des BMG zum Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung vom 14.11.2018 („GSAV“)

Sehr geehrte Damen und Herren,

die im Jahre 1992 gegründete IGH e.V. ist ein bundesweit tätiger Patientenverband, der aktiv die Interessen der an einer angeborenen Blutungskrankheit leidenden Menschen und ihrer Angehörigen vertritt.

Das geplante Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung sieht die Abschaffung der Direktabgabe von rekombinant hergestellten Gerinnungsfaktoren an Patienten mit Hämophilie gemäß § 47 Abs. 1, Satz 1, Nr. 2a AMG vor.

Damit würde sich die Sicherheit und Qualität der Behandlung von Patienten mit einer Hämophilie erheblich verschlechtern. Die Konsequenz ist eine Zunahme der Krankheitsfolgen und eine steigende Sterblichkeit. Wichtige Aspekte einer sicheren Behandlung der Patienten dienenden Chargendokumentation und des koordinierten Meldewesens sind in dem Gesetzesentwurf nicht berücksichtigt.

Zur Begründung wird auf folgende Punkte eingegangen:

- 1.** Kurze Information zur Hämophilieerkrankung und zu den gentechnisch hergestellten Gerinnungsfaktoren
- 2.** Historie für die Schaffung des § 47 Abs. 1, Satz 1, Nr. 2a AMG
- 3.** hiermit verbunden die Anforderungen an eine indikationsbezogene Chargendokumentation (§ 14 Transfusionsgesetz [„TFG“] und das koordinierte Meldewesen [§ 21 TFG9])
- 4.** medizinische Auswirkungen, unmittelbar nach Einführung des GSAV und Langzeitfolgen des GSAV

Zu 1: Kurze Information zur Hämophilieerkrankung und gentechnisch hergestellten Gerinnungsfaktoren (s. auch Anlage 1)

Patienten mit Hämophilie leiden an einem genetisch bedingten Mangel oder Fehlen des Gerinnungsfaktors VIII (Hämophilie A) oder des Gerinnungsfaktors IX (Hämophilie B). In der Folge besteht eine verstärkte Blutungsneigung mit überwiegend Muskel- und Gelenkblutungen, aber auch lebensgefährlichen Blutungen in die inneren Organe oder das Gehirn. **Unbehandelt** versterben die Patienten spätestens in ihrem 2. Lebensjahrzent. Die Behandlung erfolgt durch eine **lebenslange, intravenöse Gabe des fehlenden Gerinnungsfaktors**. Der

Gerinnungsfaktor wird im Rahmen **akuter Blutungsereignisse** und Operationen gegeben, sowie bei den meisten Patienten zusätzlich in regelmäßigen Abständen, z. B. jeden 2. Tag, zur **prophylaktischen Prävention** von Blutungen. Die Gerinnungsfaktoren werden aus Plasma oder rekombinant (gentechnisch) hergestellt. Ab 2019 gibt es voraussichtlich zusätzlich einen monoklonalen Antikörper (Emicizumab/Roche), der subkutan gegeben wird und ausschließlich für die prophylaktische Prävention von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A eingesetzt werden kann.

Bei den **rekombinanten Gerinnungsfaktorpräparaten** handelt es sich um **komplexe biologische Proteine**, mit großen Unterschieden hinsichtlich der Herstellung und der Eigenschaften der Proteine. Jedes der Produkte ist verschieden hinsichtlich des produzierten gentechnisch veränderten Proteins, die z. B. unterschiedliche Anteile und Varianten des Gerinnungsfaktor VIII-Proteins enthalten (insbesondere unterschiedliche Anteile der Faktor VIII-B-Domäne) oder zusätzlich ein Fusionsprotein (fusioniert mit Albumin oder einem IgG Fc Fragment) darstellen oder chemisch modifiziert sind (Pegylierung, verschiedene PEG-Molekülgrößen und PEG-Techniken). In der Herstellung unterscheiden sich die verwendeten Zelllinien (tierischer oder humaner Herkunft) sowie die Aufreinigungs- und Virusinaktivierungsschritte. Bei der Wirkdauer (Halbwertszeit) gibt es große Unterschiede (12-18 Stunden bei Gerinnungsfaktor-VIII-Konzentraten und 20-100 Stunden bei Gerinnungsfaktor IX-Konzentraten (Oldenburg et al. Haemophilia 2014).

Zu 2: Historie für die Schaffung des § 47 Abs. 1, Satz 1, Nr. 2a AMG

Die Direktabgabe von Gerinnungsfaktoren über AMG § 47a wurde vom BMG aus einer besonderen staatlichen (Mit-)Verantwortung gegenüber den Patienten mit Hämophilie geschaffen, die aus der Zeit stammt, in der durch die Gerinnungsfaktorkonzentrate Infektionen, insbesondere HIV, übertragen wurden. Aus eben dieser Gesamtverantwortung wurden die rekombinanten Faktorkonzentrate in die Direktabgabe eingeschlossen. Die Direktabgabe von Gerinnungsfaktoren und damit verbunden die im TFG vorgeschriebene indikationsbezogene Chargendokumentation hat sich über Jahrzehnte hinsichtlich Sicherheit, Dokumentation und Qualität der Behandlung von Patienten mit Hämophilie bewährt (s. Anlage 2).

Ein Schreiben des BMG von 2008 beschreibt Sinn und Zweck der Direktabgabe der Gerinnungsfaktorkonzentrate an die Patienten (s. Anlage 3). Das Schreiben führt aus:

„Die Vorschrift (§ 47 Abs. 1 Satz 1 Nr. 2a AMG) hat sich in der täglichen Praxis seit vielen Jahren bewährt. Die Dokumentation von Abgabe und Anwendung der einzelnen Produkte durch die hämostaseologisch qualifizierten Ärzte und die Hämophiliepatienten zu Behandlungs- und Rückverfolgungszwecken wird wie durch das TFG gesetzlich vorgeschrieben durchgeführt. Damit wird nicht nur Qualitäts-, sondern auch

Sicherheitsaspekten Rechnung getragen.“ Weiter steht in dem Schreiben: **„Angesichts der notwendigen Dokumentation jeder einzelnen Anwendung und der ebenfalls umfassenden Meldepflichten sowie angesichts der gesetzlich geforderten Meldungen des Verbrauchs von Gerinnungsfaktoren an das Deutsche Hämophileregister beim Paul-Ehrlich-Institut ist eine zentrale Verantwortung des hämostaseologisch qualifizierten Arztes bei der Distribution von Gerinnungsfaktoren in einem Klinikum logistisch erforderlich. Das ist auch der ausdrückliche Wille des Gesetzgebers.“**

Der Arbeitskreis Blut, als Beratungsgremium des BMG, hat sich in den vergangenen 20 Jahren in verschiedenen Sitzungen mit der Sicherheit von Gerinnungsfaktorkonzentraten befasst und die bestehende Versorgungsstruktur nachdrücklich befürwortet.

Der Stand des Wissens hinsichtlich der gentechnisch hergestellten Gerinnungsfaktorkonzentrate hat sich bis heute nicht geändert. Bei den **rekombinanten Gerinnungsfaktorpräparaten** handelt es sich um **komplexe biologische Proteine**, mit großen Unterschieden hinsichtlich der Herstellung (einschließlich Virusinaktivierung) und der Eigenschaften der Proteine (s. Anlage 1). Im vorliegenden Referentenentwurf zum GSAV werden die rekombinanten Gerinnungsfaktoren aus dem Direktvertrieb über den qualifizierten Hämostaseologen herausgenommen und damit eine über Jahrzehnte qualitativ hochwertige und sichere Versorgungsstruktur aufgegeben.

Zu 3: Chargendokumentation und koordiniertes Meldewesen

Gleichzeitig mit der Aufnahme der rekombinanten Gerinnungsfaktorkonzentrate in den § 47 Abs. 1, Satz 1, Nr. 2a AMG wurde für diese Produkte in § 14 und im § 21 des Transfusionsgesetzes (TFG) die Dokumentation der chargen- und indikationsbezogenen Anwendung sowie eine Meldung der Daten an das Paul-Ehrlich-Institut gesetzlich verankert.

Der **Arbeitskreis Blut** hat im Votum 4 von 5/1994 „Chargendokumentation bei der Anwendung von rekombinanten Faktor VIII“ die vollständige Chargendokumentation auch des rekombinant hergestellten Faktor VIII ausdrücklich empfohlen (Anlage 4).

§ 14 Abs. 1 TFG trifft folgende Regelung: „Die behandelnde ärztliche Person hat jede Anwendung von Blutprodukten und von gentechnisch hergestellten Plasmaproteinen zur Behandlung von Hämostasestörungen für die in diesem Gesetz geregelten Zwecke, für Zwecke der ärztlichen Behandlung der von der Anwendung betroffenen Personen und für Zwecke der Risikoerfassung nach dem Arzneimittelgesetz zu dokumentieren oder dokumentieren zu lassen.“

Laut § 14 Abs. TFG umfasst die **Dokumentationspflicht** die folgenden Informationen:

- Patientenidentifikationsnummer oder entsprechende eindeutige Angaben zu der zu

- behandelnde Person, wie Name, Vorname, Geburtsdatum und Adresse,
- Chargenbezeichnung,
- Pharmazentralnummer oder Bezeichnung des Präparates, Name oder Firma des
- pharmazeutischen Unternehmers, Menge und Stärke,
- Datum und Uhrzeit der Anwendung.

Zudem ist **in § 21 Abs. 1(a) TFG** festgelegt: „Die hämophiliebehandelnde ärztliche Person hat die **Anzahl der Patienten** mit angeborenen Hämostasestörungen, **differenziert nach dem Schweregrad** der Erkrankung und nach **Altersgruppen**, sowie die **Gesamtmenge** der bei diesen Patientengruppen angewendeten Gerinnungsfaktorenzubereitungen nach Satz 3 an das Deutsche Hämophileregister nach § 21a zu melden.“

Die Meldepflicht nach § 21 Abs. 1(a) TFG ist damit gesetzlich verankert und wird bei Nicht-Erfüllung sanktioniert.

Die im TFG verankerte Dokumentationspflicht soll höchstmögliche Qualität und Sicherheit bei der Anwendung von Blutprodukten und Plasmaproteinen gewährleisten.

Im aktuellen Referentenentwurf zum Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung vom 14.11.2018 bleibt diese Meldepflicht bestehen und wird auf alle „Arzneimittel, die zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie zugelassen oder genehmigt sind“ erweitert.

Bisher war die im TFG geforderte Dokumentation für den Hämophiliebehandler möglich, da er die Gerinnungsfaktoren gemäß § 47 Abs. 1, Satz 1, Nr. 2a AMG, direkt an den Patienten ausgegeben hat und ihm hierdurch die meldepflichtsrelevanten Informationen vorlagen.

In Deutschland wurden zuletzt etwa 95% der Gerinnungsfaktoren im Wege der Direktabgabe an die Patienten abgegeben. Ausgaben über öffentliche Apotheken waren Ausnahmen.

Die Direktabgabe, d. h. Rezeptierung, Abgabe an den Patienten, zweiseitige produkt- und chargenbezogene Dokumentation (durch den ausgebenden Arzt und den Patienten bei Anwendung), damit verbunden die Überprüfung der indikationsangepassten Anwendung, Abgleich der durch den Arzt ausgegebenen und durch den Patienten dokumentierten Mengen, ermöglicht eine detaillierte Kontrolle der Anwendung der sehr teuren Gerinnungsfaktoren. Eine Meldung an das Deutsche Hämophileregister (DHR) ist auch bei fehlender Dokumentation der Anwendung durch den Patienten (etwa ein Drittel der Patienten) möglich, da der Arzt über alle produkt- und chargenbezogenen Informationen verfügt. Die Erfüllung der §§ 14/21 TFG implizieren eine Kontrolle von der Ausgabe der Gerinnungsfaktorenkonzentrate bis hin zu deren indikationsbezogenen Anwendung durch den behandelnden Arzt.

Zukünftig verfügt der Hämophiliebehandler nicht mehr über die für die Dokumentation notwendigen Informationen. Er kann allenfalls die von ihm

rezeptierten Gerinnungsfaktormengen benennen. **Bei den Patienten mit fehlender Dokumentation liegen keine Daten mehr zur chargen- und indikationsbezogenen Anwendung vor.** Es ist davon auszugehen, dass die Dokumentationstreue der Patienten eher abnehmen wird, wenn die Gerinnungsfaktoren nicht mehr durch den behandelnden Arzt ausgegeben werden und damit eine wichtige Kontrollfunktion des Arztes entfällt. **Zudem kann sich der Patient zukünftig die Gerinnungsfaktoren durch jeden Arzt rezeptieren lassen und auch in jeder öffentlichen Apotheke beziehen.**

Damit ist es dem Hämophiliebehandler gar nicht mehr möglich den im TFG geforderten (und sanktionierten) Dokumentationspflichten nachzukommen. Dies ist ein offensichtlicher Widerspruch und nicht berücksichtigt im Referentenentwurf zum Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung vom 14.11.2018, der von idealen (aber nicht realen) Voraussetzungen wie 100%ige Dokumentation der Anwendung durch den Patienten und ausschließliche Rezeptierung durch den Arzt im Hämophiliezentrum, ausgeht.

Zu 4: Medizinische Auswirkungen, unmittelbar nach Einführung des GSAV und Langzeitfolgen des GSAV

Das GSAV hat sowohl unmittelbare als auch längerfristige Folgen für die Versorgung der Patienten mit Hämophilie. **Dadurch wird die Sicherheit und Qualität der Behandlung von Patienten mit einer Hämophilie verschlechtert. Als Konsequenz dieser Verschlechterung werden die Krankheitsfolgen bei den Patienten und auch deren Sterblichkeit zunehmen.**

Akut-/Notfallversorgung von Patienten

Eine Besonderheit der Hämophilie ist, dass neben langfristigen Behandlungskonzepten ständig das Risiko von akuten, mitunter auch **lebensgefährlichen Blutungen** besteht, die eine **sofortige notfallmäßige Behandlung** erfordern. **Die Abgabe der Gerinnungsfaktorenkonzentrate durch den behandelnden Hämophiliearzt ist hinsichtlich medizinischer Effizienz, Zeitersparnis, Dokumentationssicherheit und geringer Kosten unerreichbar, verglichen mit allen anderen Alternativen.**

Die Kette „Patient kontaktiert Arzt (persönlich in der Ambulanz, durch Telefon von zu Hause) - Arzt stellt Indikation zur Behandlung - Arzt legt Präparattyp (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 Gerinnungsfaktorkonzentrate **jederzeit gewährleistet.** Hierdurch findet eine sehr zeitnahe Behandlung statt, da der Hämophiliearzt mit den Patienten jederzeit in Verbindung steht und das Gerinnungsfaktorenkonzentrat zum frühestmöglichen Zeitpunkt appliziert werden kann. **Da es bei akuten Blutungen um Stunden und nicht selten um Minuten geht,** um die Progression der Blutung

und der Blutungsfolgen zu minimieren, **ist diese Option überlebenswichtig.** Solche akuten Behandlungsfälle von Blutungen kommen regelmäßig vor, darunter auch Hirnblutungen (immer noch häufigste Todesursache bei Hämophilen) und können oft nur mit maximal schneller Reaktion einen fatalen Ausgang verhindern.

Hinzu kommt, dass **bei einer Abgabe über Apotheken keine Notfaldepots aller Präparate mehr (wie bisher) in den Hämophiliezentren vorgehalten werden können**, da diese das Kostenrisiko bei Nichtverwendung nicht tragen können. Aufgrund der in der Anlage 1 beschriebenen Unterschiede in Herstellung, Eigenschaften, Wirkdauer sowie der individuellen auf die Patienten abgestimmten Therapieprotokolle, gibt es keine Austauschbarkeit der Produkte, bzw. wäre ein solcher Austausch mit zusätzlichen Behandlungsrisiken verbunden.

Extrem schnelle Reaktion bei gefährlichen Nebenwirkungen

Die Direktabgabe der Gerinnungsfaktorenkonzentrate hat sich in der Vergangenheit vielfach in schweren Krisensituationen bewährt. Dies war z. B. 1990 der Fall, als Patienten durch PPSB mit HIV infiziert wurden und es innerhalb von wenigen Tagen gelang, die hierfür verantwortliche Charge zu identifizieren und Bestände dieser Charge von Patienten zurückzurufen. Es ist Ausdruck eines hervorragenden Qualitätsmanagements, zu dem auch die Direktabgabe der Gerinnungsfaktoren zählt, die dazu geführt hat, dass dieser schwere Zwischenfall sofort aufgeklärt und damit schlimmeres Unheil verhindert wurde. Weitere Beispiele in den 90er Jahren waren das Auftreten von Hepatitis-A-Infektionen, sowie das Auftreten von Hemmkörpern durch Präparate der Fa. Octapharma. **Bei den rekombinant hergestellten Gerinnungsfaktoren** konnte durch chargenbezogene Auswertungen ein Wirksamkeitsverlust des Präparates ReFacto (damals Fa. Wyeth) und bei einigen Patienten eine verminderte Wirksamkeit von Advate (damals Fa. Baxter) gezeigt werden. Die Informationen gingen an das Paul-Ehrlich-Institut, das in 2003 einen zusätzlichen Faktorengehalt von 20% bei ReFacto und in 2005 eine Zusatzstudie bei Advate veranlasste.

Das Versorgungskonzept der Direktabgabe ermöglicht im Falle von unerwarteten, ggf. präparat- oder chargenspezifischen Nebenwirkungen und Vorfällen den schnellsten Rückschluss von Ursache und Wirkung sowie die sofortige Einleitung von Maßnahmen und damit den Schutz der Patienten.

Versorgungssicherheit

Bei der Direktabgabe garantiert der behandelnde Arzt die Versorgungssicherheit der Patienten mit Gerinnungsfaktorenkonzentrat.

Immer wieder kommt es zu Versorgungsengpässen, weil z. B. produzierte Chargen nicht freigegeben werden. Ein besonders schwerwiegender Engpass fand in 2000 bei dem rekombinanten Faktor-VIII-Konzentrat Kogenate/Fa. Bayer statt, wegen Sterilitätsmängeln in der Herstellungsanlage. Einen weiteren Engpass über mehrere

Monate gab es Mitte 2005 bei dem aus Plasma hergestellten Faktorenkonzentrat Haemate/Fa. CSL Behring).

Die Direktabgabe ermöglicht dem behandelnden Arzt augenblicklich, bei eigener ständig aktueller Übersicht der Lagerbestände, die erforderlichen Schritte wie Reduzierung der Ausgabemengen, ggf. Umstellung von Patienten auf ein anderes Präparat einzuleiten sowie einen maximal hohen Lieferungsdruck auf die Firmen aufrecht zu erhalten.

Dies ist ohne Informationsverlust und in der jetzigen Effektivität nur mit dem jetzigen Versorgungskonzept zu erreichen.

Hämophiliebehandlung in einem Comprehensive Care Zentrum (Comprehensive Care Center - „CCC“)

Die Hämophilie ist eine seltene Erkrankung mit nur etwa 2.500 ständig behandlungsbedürftigen Patienten in Deutschland. Für seltene Erkrankungen ist es typisch - und dies trifft auch für die Hämophilie zu - dass die Versorgung überregional in großen Zentren erfolgt.

Der GBA hat in seinem Beschluss zur ambulanten Behandlung gem. § 116b SGB V das notwendige Leistungsspektrum eines Hämophilie-Zentrums der Maximalversorgung (Comprehensive Care Center) beschrieben (Anlage 5). Es umfasst eine integrierte ambulante (Maximal-)Versorgung der Hämophiliepatienten. Dies schließt die Versorgung mit Gerinnungsfaktorkonzentraten ausdrücklich mit ein. Dies wird deutlich in den Ausführungen des GBA zu den Punkten Gerinnungstherapie, Therapiewahl sowie Präparatewahl. Bei der Präparatewahl wird ausdrücklich die Heimselbstbehandlung erwähnt. Weitere Punkte sind die „ständige Verfügbarkeit von Gerinnungsfaktorpräparaten“ sowie „Vorhandensein eines adäquaten EDV-Systems zur Dokumentation, Präparateverwaltung und Rückverfolgung. Letztere impliziert eine Kontrolle von der Ausgabe der Gerinnungsfaktorkonzentrate bis hin zu deren indikationsbezogenen Anwendung durch den behandelnden Arzt.

Aus den genannten Gründen sollte die Behandlung der Hämophilie immer in einem CCC durch spezialisierte Ärzte erfolgen. Dies reduziert nachweislich Morbidität und Mortalität der Patienten (Soucie et al. Blood 2000). Durch das bisherige Versorgungskonzept sind die Patienten an das Hämophiliezentrum gebunden, da sie nur dort die Gerinnungsfaktorkonzentrate erhalten. Bei einer Abgabe durch öffentliche Apotheken ist dies nicht mehr der Fall. Die Patienten können sich, gerade bei großer Entfernung zum Hämophiliezentrum, das Faktorenkonzentrat durch einen Arzt in der Nähe rezeptieren lassen und dies dann über die örtliche öffentliche Apotheke beziehen. Damit ist ein Patientenkontakt mit dem Hämophiliezentrum nicht mehr erforderlich. **Perspektivisch wird damit die Intensität der Patientenbetreuung sowie Einfluss und Kontrolle der spezialisierten Ärzte eines Hämophiliezentrums auf die Behandlung eines Patienten mit Hämophilie geringer.**

Verstärkt wird diese Entwicklung durch die jetzt neu auf den Markt kommenden „Nicht-Gerinnungsfaktor-Therapien“ wie Emicizumab, die nur noch subkutan in größeren Zeitintervallen von 1-4 Wochen gegeben werden müssen. Hier kann es sein, dass bei Patienten über 1-2 Jahre keine Blutung auftritt. Gleichwohl ist die Behandlung im akuten Notfall oder bei Operationen ungleich schwieriger zu behandeln. Dies zeigt sich daran, dass im Fall von Emicizumab (Hemlibra)/Fa. Roche erstmals während einer Zulassungsstudie über eine größere Zahl von Todesfällen (Stand Sept. 2018 7 Todesfälle) berichtet wurde, die zwar nach Aussage von Roche in keinem unmittelbaren kausalen Zusammenhang mit Emicizumab standen, aber die Komplexität des Managements von Notfällen und Operationen unterstreichen. Zudem wird die Hämophilie in Krankenhäusern der Regelversorgung nicht mehr erkannt, da sich bei Emicizumab das Routinegerinnungslabor (insbesondere die APTT) verändert und die hämophile Blutungsneigung nur noch mit Spezialtests (chromogener FVIII-Test) zu erkennen und zu überwachen ist. Die Kombination aus scheinbar einfacher subkutaner Blutungsprophylaxe, aber sehr komplexer Behandlung im Notfall verbunden mit dem Bezugsweg der Notfallgerinnungsfaktorenkonzentrate über die Apotheke wird zwangsläufig dazu führen, dass die **Notfallversorgung der Patienten nicht mehr adäquat sein wird. Der Patient ist nicht mehr auf diese Notfallsituationen vorbereitet, die Behandlung erfolgt zu spät und dann möglicherweise mit falschen Maßnahmen, da die diagnostischen Möglichkeiten vor Ort nicht vorhanden sind. Dies wird zu einer höheren Sterblichkeit bei Hämophiliepatienten führen.**

Die wissenschaftliche europäische Fachgesellschaft „European Association of Haemophilia and Allied Disorders“ und die europäische Patientenvertretung „European Haemophilia Consortium“ haben in einer gemeinsamen Stellungnahme nachdrücklich empfohlen, dass neue Therapien wie Emicizumab aufgrund ihrer Komplexität ausschließlich über Hämophiliezentren der Maximalversorgung (CCCs) verschrieben, gesteuert und überwacht werden sollen (Anlage 6). Diese Zentren müssen über Ärzte mit Spezialwissen und Erfahrungen zu diesen neuen Therapien verfügen und 24 Stunden/7 Tage verfügbar sein, sowie Zugang zu einem Spezialgerinnungslabor haben. Es sei die Verantwortung aller involvierter „Stakeholder“ (also auch der Politik) dies sicherzustellen.

Das BMG entscheidet sich dagegen, das Emicizumab in den § 47 Abs. 1, Satz 1, Nr. 2a AMG mit aufzunehmen. Stattdessen werden im vorliegenden Referentenentwurf zum GSAV die **rekombinanten Gerinnungsfaktoren aus dem Direktvertrieb über den qualifizierten Hämostaseologen herausgenommen und damit eine über Jahrzehnte qualitativ hochwertige und sichere Versorgungsstruktur aufgegeben.**

Finanzielle Verflechtungen

Das BMG benennt als ein Argument für die Änderung des Vertriebswegs „Finanzielle Verflechtungen“ zwischen Industrie, Krankenhäusern und Hämophiliebehandlern. Derzeit werden in Deutschland 40% aus Plasma hergestellte

Gerinnungsfaktorkonzentrate hergestellt. Die rekombinanten Gerinnungsfaktorkonzentrate haben einen Anteil von 60% und nur diese werden von dem neuen Vertriebsweg erfasst. Dies bedeutet, dass finanzielle Verflechtungen – sollten diese bestehen – durch die Änderung des Vertriebswegs nicht verhindert werden.

Zusammenfassung

Die Direktabgabe von Gerinnungsfaktoren über § 47a AMG wurde seinerzeit vom BMG geschaffen, um für Patienten mit Hämophilie die höchstmögliche Sicherheit und Qualität der Behandlung mit aus Plasma gewonnenen und rekombinant hergestellten Gerinnungsfaktoren zu gewährleisten. Dies ist bis heute Stand von Wissenschaft und Technik.

Das GSAV führt zu einer deutlichen Verschlechterung der Notfallversorgung von Patienten mit Hämophilie sowie Einschränkungen bei der Erkennung von gefährlichen Nebenwirkungen der Gerinnungsfaktorkonzentrate sowie der Versorgungssicherheit. Mittel- und langfristig wird das GSAV dazu führen, dass zunehmend weniger Patienten an ein Hämophiliezentrum mit spezialärztlicher Versorgung angebunden sind. Dies widerspricht der Versorgungsstrategie von Patienten mit seltenen Erkrankungen in Deutschland und Europa und wird zu einer Zunahme der Morbidität und der Mortalität von Patienten mit Hämophilie führen. Das GSAV sorgt somit geradezu zu einer Abkehr von dem ursprünglichen Ziel einer höchstmöglichen Sicherheit und Qualität bei der Behandlung von Hämophiliepatienten.

Nach wie vor besteht zudem die gesetzlich festgelegte (und sanktionierte) Verantwortung zur indikationsbezogenen Chargendokumentation (§ 14 TFG) und Datenerhebung im Rahmen des koordinierten Meldewesens (§ 21 TFG) für den Arzt im Hämophiliezentrum. Er verfügt jedoch dann gar nicht mehr über die zur Erfüllung seiner Meldepflichten erforderlichen Daten.

Damit steht das GSAV im Widerspruch zu dem TFG.

13.12.2018

Interessengemeinschaft Hämophiler e.V.



Christian Schepperle

- Geschäftsführer - / Schriftführer

Anlagen