

Bundesamt für Gesundheit  
Abteilung Leistungen Krankenversicherung  
Schwarzenburgstrasse 165  
3097 Bern-Liebefeld

Leistungen-Krankenversicherung@bag.admin.ch; gever@bag.admin.ch

Bern, 26. September 2022

#### **VERNEHMLASSUNG**

#### **Änderung der KVV und der KLV: Kostensenkende Massnahmen, Vergütung im Einzelfall und Massnahmen zur Erhöhung der Rechtssicherheit**

Sehr geehrter Herr Bundesrat  
Sehr geehrte Damen und Herren

Die IG Seltene Krankheiten (IGSK) bedankt sich für die Möglichkeit der Vernehmlassung. Die IGSK vereinigt ProRaris, Orphanet Schweiz, den Förderverein für Kinder mit seltenen Krankheiten KMSK, den Verband Universitäre Medizin Schweiz (unimedsuisse), der eine breite Vertretung der Universitätsspitäler in der IGSK gewährleistet, den Schweizerischen Apothekerverband pharmaSuisse, interpharma und die Vereinigung Pharmafirmen Schweiz vips. Die IGSK initiierte den Nationalen Massnahmenplan Seltene Krankheiten, fördert die Sensibilität für seltene Krankheiten, setzt sich für die Verbesserung der Versorgung der betroffenen Patienten ein und begleitet die Arbeiten am Nationalen Massnahmenplan des Bundesamts für Gesundheit (BAG). Gemäss Schätzungen leiden in der Schweiz rund 620'000 Menschen an einer seltenen Krankheit. Eine Krankheit gilt als selten, wenn weniger als 1 Person auf 2000 betroffen sind. Es wird geschätzt, dass es zwischen 6000-8000 seltene Krankheiten gibt.

Wir begrüssen die Revision der Einzelfallvergütung. **Der vorliegende Vorschlag geht aber aus Sicht der IGSK völlig an der Realität der Betroffenen von seltenen Krankheiten vorbei und hätte verheerende Auswirkungen auf deren Versorgung mit lebensnotwendigen Therapien und Medikamenten. Die IGSK lehnt daher die vorgesehenen Verordnungsänderungen über die Krankenversicherung (KVV) und über die Krankenpflege-Leistungsverordnung (KLV) in Bezug auf Art. 71a-d KVV und Art. 38a-e KLV ab.**

#### *Allgemeines*

Patientinnen und Patienten mit einer seltenen Krankheit haben mit vielfältigen Herausforderungen zu kämpfen. Sehr oft sind seltene Krankheiten schwerwiegend, verlaufen chronisch und können behindernd oder lebensbedrohend sein. Meistens betreffen sie nicht nur ein Organ, sondern wirken sich auf den gesamten Körper aus – dies bedingt eine koordinierte, gut abgestimmte Versorgung. Patienten, die an seltenen Krankheiten leiden, haben auch heute

noch viel zu oft einen beschwerlichen Weg zu einer korrekten Diagnose und einen erschwerten Zugang zu Therapien, sei es, weil für ihre Krankheit keine Behandlung existiert, diese nicht verfügbar ist oder nicht vergütet wird. Regulatorische Lücken führen hier zu beträchtlichen Unsicherheiten und Rechtsungleichheiten. Das Wissen über den Krankheitsverlauf ist zudem in vielen Fällen gering. Es gibt immer noch nicht ausreichend Forschung im Bereich der seltenen Krankheiten und Therapieentscheide müssen sich zwangsläufig auf die wenigen vorhandenen Erkenntnisse abstützen. Zudem müssen Arzneimitteltherapien aufgrund der sehr kleinen Patientenpopulation meist im Off-Label-Bereich durchgeführt werden.

Mit der Umsetzung des [nationalen Konzepts Seltene Krankheiten](#) (NKS) soll die Versorgungsqualität bei seltenen Krankheiten verbessert werden – konkret die rasche Diagnosestellung, die Versorgung und Unterstützung der Patientinnen und Patienten sowie die Forschung. **Das Ziel des NKS einer gleichberechtigten medizinischen Versorgung von Betroffenen mit seltenen Krankheiten darf durch das Ziel, Kosten zu sparen, nicht weniger stark gewichtet werden.** Wir fordern entsprechend dieser Zielsetzung einen **möglichst raschen und rechtsgleichen Zugang zu wirksamen Therapien und Arzneimitteln** für Betroffene von seltenen Krankheiten.

Die IGSK befürchtet, dass sich mit der vorgeschlagenen Verordnungsänderung der Zugang für Patientinnen und Patienten mit seltenen Krankheiten zu Therapien direkt oder indirekt verschlechtert, d.h.

- 1) **dass die Betroffenen Therapien, die sie heute erhalten, künftig nicht mehr erhalten würden;**
- 2) **dass sich der Zugang zu existierenden Therapien jahrelang verzögern würde und**
- 3) **dass die Betroffenen keinen Zugang mehr zu neuen innovativen Therapien erhalten würden.**

Damit wird das Ziel der Revision, nämlich eine Erhöhung der Gleichbehandlung der Versicherten, nicht erreicht. **Ein zentrales Grundproblem wird nicht gelöst: die Einzelfälle sollen weiterhin nicht von unabhängigen Fachexperten beurteilt werden.** Darüber hinaus **widerspricht die Revision auch dem NKS und den Fortschritten, die für die Betroffenen von seltenen Krankheiten in den letzten Jahren erzielt wurden.**

Um dies zu verhindern, möchten wir im Folgenden auf einzelne Punkte der vorgeschlagenen Verordnungsänderungen näher eingehen.

#### Vergütung von Arzneimitteln im Einzelfall (Art. 71a-d KVV und Art. 38b-e KLV)

Ursprünglich bezweckte der Art. 71 KVV, einen Zugang zu notwendigen Therapien für Ausnahmefälle zu schaffen. Denn unabhängig von einer raschen Aufnahme in die Spezialitätenlisten (SL) ist für Menschen mit seltenen Krankheiten wichtig, dass sie Zugang zu ihren Therapien über Art. 71 KVV haben. **Für die IGSK ist daher eine patientenzentrierte Einzelfallbeurteilung gemäss Art. 71 KVV von höchster Priorität.** Trotz den aktuellen Herausforderungen ist der Art. 71 für uns ein Erfolgsmodell, da er grundsätzlich ermöglichen will, Betroffenen Zugang zu in der Schweiz nicht vergüteten oder nicht verfügbaren Therapien zu geben. Es darf daher für die Patientinnen und Patienten mit seltenen Krankheiten mit der Verordnungsänderung keine Verschlechterung ihrer Versorgungssituation geben. **Leider würden die vorgeschlagenen Änderungen jedoch durch die starren Vorgaben den Grundsatz der Einzelfallbeurteilung kompromittieren und in der Folge zu einem weniger gerechten Zugang für Betroffene führen.**



*Therapeutischer Nutzen (Art. 38b, Abs. 1 KLV; Art. 71a, Abs. 3 KVV)*

**Im Bereich der seltenen Krankheiten ist es meistens nicht möglich den therapeutischen Fortschritt mittels klassischer klinischer Studien zu belegen.** Die Anforderung, dass nur noch Therapien, die mit klinischen Studien untersucht wurde, vergütet werden sollen, verkennt die Evidenzbasis im Bereich der seltenen Krankheiten. Vor allem im Bereich der ultra-seltenen Krankheiten – eine Person von 50'000 ist betroffen – würde keine Möglichkeit auf eine Therapie bestehen, da wegen der kleinen Anzahl an Testpersonen und/oder aus ethischen Gründen keine klinischen Studien durchgeführt werden können. **Des Weiteren ist ein Vergleich mit Placebo-Therapien im Bereich der seltenen Krankheiten meistens nicht möglich.** Im Bereich der seltenen Krankheiten wird der therapeutische Fortschritt international zunehmend anhand von Natural History Daten verglichen – die internationale Sammlung der Natural History der Krankheitsfälle erlaubt Aussagen, über die Effizienz einer Therapie. Darüber hinaus wird der Einsatz von Placebo bei der Entwicklung von Therapien für seltene Krankheiten, die lebensbedrohlich sind, als unethisch gewertet (Gentherapien, intravenöse Enzymtherapien, intrathekal Therapien).

*Standardisiertes Nutzenbewertungsmodell (Art. 38b, Abs. 2 KLV, Art. 38c KLV)*

Das vorgeschlagene standardisierte Nutzenbewertungsmodell geht völlig an der Realität der seltenen Krankheiten vorbei: **eine standardisierte Nutzenbewertung gibt es bei seltenen Krankheiten NICHT.** Das OLU-Tool wurde nicht für seltene Krankheiten entwickelt und ist daher NICHT geeignet den Nutzen von Therapien für seltene Krankheiten zu bewerten. Eine solche Systematisierung würde die Beurteilung des Einzelfalls verhindern. Die vom BAG in Auftrag gegebene [Studie zur Vergütung von Arzneimitteln im Einzelfall](#) aus dem Jahr 2020 beweist, dass das **OLU-Tool zu uneinheitlichen Beurteilungen führt. Das OLU-Tool darf daher nicht als Standard für die seltenen Krankheiten gesetzt werden.** Eine standardisierte Nutzenbewertung, welche die Seltenheit einer Krankheit nicht berücksichtigt, widerspricht zudem explizit dem Willen des Parlaments im Rahmen der letzten IV-Revision. Seit 1.1.2022 gilt: Die medizinischen Massnahmen müssen wirksam, zweckmässig und wirtschaftlich sein. Die Wirksamkeit muss nach wissenschaftlichen Methoden nachgewiesen sein; **im Fall von seltenen Krankheiten wird die Häufigkeit des Auftretens einer Krankheit berücksichtigt.** Das BAG, das neu die Geburtsgebrechen-SL führt, hat sich daher an diese Kriterien zu halten.

*35 Prozent Mehrnutzen (Art. 38b, Abs. 5 KLV)*

**Der vorgeschlagene Schwellenwert von 35 Prozent Mehrnutzen zum Nachweis des therapeutischen Fortschritts beurteilt die IGSK als höchst problematisch. Diese Prozentzahl kann im Bereich der seltenen Krankheiten NICHT erreicht werden** – wie bereits ausgeführt ist ein inhärentes Problem im Bereich seltene Krankheiten, dass es wenig Daten und damit wenig dokumentierte Evidenz gibt. Seltene Krankheiten sind Krankheiten mit progredienten Krankheitsverläufen. Wenn mit einer Therapie eine Stagnation einer sich progressiv verschlechternden Krankheit erreicht werden kann, ist der therapeutische Nutzen positiv. Eine Anforderung von 35% Mehrnutzen wird diesem Fortschritt aber nicht gerecht. Bei der Beurteilung des therapeutischen Fortschritts wird der Fokus viel zu stark auf klinische Veränderungen gelegt. **Das sehr wichtige Kriterium der Lebensqualität wird dabei ausser Acht gelassen.** Bei Therapien für seltene Krankheiten ist zu berücksichtigen, dass bei deren Behandlung meist nicht kurative Ziele im Fokus stehen. Oftmals geht es stattdessen darum, das Leiden zu lindern und die Lebensqualität der Betroffenen zu verbessern.

Darüber hinaus wird vernachlässigt, dass der Mehrnutzen vor allem da ist, wenn eine Therapie neu auf den Markt kommt. Je mehr Innovationen es gibt, also je mehr Nachfolgeprodukte auf den Markt kommen, desto tiefer wird der



in Prozent gemessene Mehrnutzen sein. Für Patientinnen und Patienten sind die Weiterentwicklungen von Therapien jedoch sehr wichtig, können sie doch mehr Lebensqualität bringen (z.B. orale Behandlungsalternative anstelle Infusion). Es dürfen daher keine negativen Innovationsanreize gesetzt werden. Die IGSK befürchtet zudem, dass wenn die vorgeschlagenen Verordnungsänderungen schon heute angewendet würden, viele Medikamente (auch für häufige Krankheiten), die heute auf der SL zugelassen sind und via OPK vergütet werden, künftig nicht mehr zugelassen wären. Dabei ist auch nicht zu vergessen, dass Patientinnen und Patienten mit seltenen Krankheiten häufig noch Begleitmedikationen brauchen, die über die Grundversorgung gedeckt sind.

#### Unabhängige Expertenentscheide (Art. 38b-c KLV)

Die IGSK befürwortet Vereinheitlichungen bei der WZW-Beurteilung von Therapien, aber das vorgeschlagene Modell birgt die Gefahr, dass der Einzelfall nicht ausreichend gewürdigt wird. **Einheitliche Therapie-Beurteilungen können unserer Ansicht nach nur durch unabhängige Experten gefällt werden** – und nicht durch die Vertrauensärzte, da ihnen die nötige Expertise fehlt, um komplexe Fälle zu beurteilen. Es gilt daher ein unabhängiges Expertengremium mit klinischen Fachärzten aufzubauen und bei Therapieentscheiden zwingend zu konsultieren. Wie das Beispiel des Swiss Patient Access Pilot zeigt, ist eine transparente und auf fachlich anerkannten Entscheidungsrundlagen basierende Einzelfallbeurteilung möglich und führt zu einem gerechteren Zugang.

#### Einbezug von Patienten (Art. 38b KLV)

Neben dem Einbezug von Experten fordert die IGSK auch, dass Patientinnen und Patienten bei der WZW-Beurteilung von neuen Therapien direkt einbezogen werden, um eine dem Einzelfall gerechte Einschätzung sicherzustellen. Bei der Wirksamkeitsbeurteilung wissen sie am besten, was eine Behandlung bewirken soll, um ihre Lebensqualität zu verbessern. Der Miteinbezug der Patientenstimme macht auch deshalb Sinn, weil die Überprüfung von Leistungen anhand der WZW-Kriterien im Fall von seltenen Krankheiten aufgrund der ungenügenden Datengrundlage und den oftmals fehlenden Vergleichstherapien gar nicht oder nur bedingt funktioniert.

#### Günstigstes Medikament bei gleicher Wirkstoffzusammensetzung / Selbstbehalt 50 Prozent (Art 38a KLV)

**Wir wehren uns entschieden dagegen, dass der differenzierte Selbstbehalt auf die für unter Art. 71 KVV vergüteten Medikamente ausgeweitet wird.** Voraussetzung für die Vergütung unter Art. 71 ist ja genau, dass keine alternative Behandlungsmethode besteht. Es erscheint daher unlogisch bei Art. 38a einen neuen Abschnitt 9 hinzuzufügen. Darüber hinaus sehen wir ein Problem bei der Definition von «gleicher Wirkstoffzusammensetzung». Bei Medikamenten für seltene Krankheiten gibt es unterschiedliche Substanzen für die orale oder intravenöse Einnahme. Es handelt sich dabei beispielsweise um das gleiche Enzym, das aufgrund geringfügiger Unterschiede verschieden eingesetzt wird und nicht als gleiche Substanz gilt. Es ist nicht absehbar, wie dies eine Vertrauensärztin oder Vertrauensarzt oder das BAG einordnet.

#### Preisgestaltung (Art. 65b-c KVV insb. Art. 65b bis Abs. 5 KVV; Art. 71a-b KVV; Art. 38d-e KLV)

Die Versorgung der Betroffenen kann nur sichergestellt werden, wenn adäquate Preise für die Therapien vergütet werden. Die Preise müssen einerseits die Forschungskosten und Innovationen widerspiegeln, um sicherzustellen, dass im Bereich der seltenen Krankheiten weiterhin geforscht wird. **Wir befürchten, dass die geplanten Preisabschläge und neuen Auflagen zu (jahre)langen Verzögerungen im Zugang für Therapien für seltene Krankheiten führen werden, wie auch zu Rückzügen von Therapien aus dem Schweizer Markt.** Dies würde die Versorgungssituation der

Betroffenen massiv verschlechtern. Die Leidtragenden der Revision wären die Patientinnen und Patienten. In diesem Sinne lehnt die IG auch das Kostengünstigkeitsprinzip ab. An erster Stelle steht eine qualitativ hochstehende und zweckmässige gesundheitliche Versorgung, die zu möglichst günstigen Kosten erreicht wird. Das Kostenziel darf aber nicht gegenüber den Zielen der Qualität und Versorgungssicherheit priorisiert werden.

#### Spezialitätenliste:

Wir begrüssen es, wenn Medikamente möglichst rasch auf die SL kommen. Aktuell erleben wir aber, dass der geltende Prozess der Aufnahme neuer Medikamente auf die SL zu lange dauert – für Medikamente zur Behandlung von seltenen Krankheiten dauert dies im Durchschnitt zwei Jahre<sup>1</sup>. Während dieser langen Wartezeit besteht für Betroffene mit seltenen Krankheiten der einzige Zugang zu Therapien über die Einzelfallgesuche von Art. 71 KW – weshalb dieser Mechanismus so unglaublich wichtig ist für die Betroffenen. Die Problematik wird mit den vorgeschlagenen Verordnungsänderungen nicht gelöst. Es braucht einfachere und transparentere Prozesse und weniger Bürokratie.

#### *Fallbeispiel erythropoietische Protoporphyrinurie*

Die erythropoietische Protoporphyrinurie (EPP) ist ein ultra-seltener angeborener Stoffwechseldefekt der Blutbildung. Hauptsymptome sind extrem schmerzhaftes sogenannte «phototoxische» Verbrennungen der Aderwände nach wenigen Minuten am Sonnenlicht und bestimmten künstlichen Lichtquellen wie Energiesparlampen und starken LEDs. Als Konsequenz versuchen sich die Betroffenen ein Leben lang, vor jeglicher Lichtexposition zu schützen. Dies schränkt ihre Lebensqualität massiv ein und hat negative Folgen für die soziale, schulische und berufliche Integration. Eine medikamentöse Behandlung (eingenommen im Spital) lindert die Symptome wirkungsvoll und erlaubt den etwa 40 Betroffenen in der Schweiz, sich ohne grössere Einschränkungen dem Licht auszusetzen und am gesellschaftlichen Leben teilzuhaben. Zulassungsinhaber der Therapie ist eine kleine Biotech-Firma, die für alle europäischen Länder einen einheitlichen fixen Preis hat. Die Vorgabe einer substanziellen und öffentlich einsehbaren verordneten Preisreduktion in der Schweiz birgt daher die grosse Gefahr, dass sich Unternehmen wie das erwähnte Biotech ganz vom Schweizer Markt zurückziehen. Dies würde die etablierte Versorgung gefährden und damit die Lebensqualität sowie die gesellschaftliche und berufliche Integration dieser Menschen massiv verschlechtern.

Wir sind dem Postulat [10.4055](#), der Basis des Nationalen Konzepts Seltene Krankheiten, verpflichtet. Dieses fordert eine bessere Versorgung der Betroffenen von seltenen Krankheiten. Die sehr vielversprechenden Massnahmen im Konzept können jedoch nur mit einer langfristigen Finanzierung umgesetzt werden. Die vom Parlament angenommene Motion [21.3978](#) «Für eine nachhaltige Finanzierung von Public Health-Projekten des nationalen Konzepts seltene Krankheiten» soll nun die nötigen gesetzlichen Grundlagen für diese Finanzierung schaffen. Darüber hinaus unterstützt die IGSK die Finanzierung von Patientenorganisationen, wie sie in der Motion [22.3379](#) «Stärkung und Finanzierung der Patientenorganisationen im Bereich seltener Krankheiten» gefordert wird, die der Nationalrat bereits mit grosser Mehrheit angenommen hat.

---

<sup>1</sup> Uttenweiler & Helmle (2022): Zugang zu Orphan Drugs in der Schweiz Eine Systemkritik. LSR - Life Science Recht - Heft Nr. 3/2022, 17. August 2022, S. 143

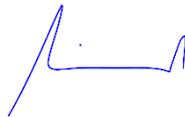
Um einen rechtsgleichen Zugang zu Diagnose und Behandlung für die Betroffenen von seltenen Krankheiten gewährleisten zu können, ist es unabdingbar, die besonderen Umstände dieser Menschen mitzuberücksichtigen. Durch einen frühzeitigen Einbezug ihrer Bedürfnisse kann ausserdem verhindert werden, dass die Verordnung im Nachhinein korrigiert werden muss. Dies ist in der vorliegenden Verordnungsrevision nicht gelungen und die **Betroffenen mit seltenen Krankheiten würden einmal mehr durch die Maschen fallen. Die Revision hat sogar das Potential die aktuelle Situation der Betroffenen massiv zu verschlechtern und würde somit dem NKSK widersprechen bzw. die bereits mit dem NKSK erzielten Erfolge gefährden.** Die Ziele der Revision in Bezug auf Behandlungsgerechtigkeit wird nicht erreicht. **Hochproblematisch sind für die IGSK die vorgeschlagenen standardisierten Massnahmen, mit denen der Nutzen von Therapien im Bereich seltener Krankheiten eruiert werden soll.** Die einzig wirksame Massnahme, welche eine faire und rechtsgleiche Behandlung der Betroffenen sicherstellen würde, ist in der Verordnungsänderung nicht aufgenommen: ein verbindliches **unabhängiges Expertengremium**, dass über den Zugang zu Therapien entscheidet.

Im Namen der Betroffenen von seltenen Krankheiten danken wir Ihnen für die Berücksichtigung unserer Anliegen. Für Fragen und Auskünfte stehen wir Ihnen gerne zur Verfügung. Zuständig für Rückfragen ist die IGSK-Geschäftsstelle (Petra Wessalowski, [petra.wessalowski@furrerhugi.ch](mailto:petra.wessalowski@furrerhugi.ch), +41 79 694 89 34).

Freundliche Grüsse



Nationalrätin Yvonne Feri  
Co-Präsidentin IGSK



Ständerat Matthias Michel  
Co-Präsident IGSK



Petra Wessalowski  
Geschäftsführerin IGSK