

Bundesamt für Gesundheit
Schwarzenburgstrasse 165
3097 Bern-Liebefeld

hmr@bag.admin.ch; gever@bag.admin.ch

Bern, 21. März 2024

VERNEHMLASSUNG

Änderung des Bundesgesetzes über Arzneimittel und Medizinprodukte (HMG)

Sehr geehrte Frau Bundesrätin
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, Procap, den Verband Universitäre Medizin Schweiz (unimedsuisse), der eine breite Vertretung der Universitätsspitäler in der IGSK gewährleistet, 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 des Heilmittelgesetzes. Insbesondere die Änderungen bei den neuartigen Therapien, den sogenannten Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP), betreffen zentrale Interessen von Betroffenen mit seltenen Krankheiten. Wir konzentrieren uns nachfolgend auf die wesentlichen Punkte, welche eine qualitativ gute Versorgung über den gesamten Krankheitsverlauf sicherstellen sollen, einem der Ziele des Nationalen Konzepts Seltene Krankheiten. **Besonders hervorheben möchten wir als erstes die genaue und ausgewogene Analyse der Regulierungsfolgenabschätzung der Basler BSS Volkswirtschaftliche Beratung AG sowie als zweites die Anerkennung und Berücksichtigung der Besonderheit von seltenen Krankheiten im Revisionsvorschlag.**

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. Wir sind dem Postulat [10.4055](#), der Basis des Nationalen Konzepts Seltene Krankheiten (NKSK), verpflichtet. Mit der Umsetzung des [NKSK](#) soll die Versorgungsqualität bei seltenen Krankheiten verbessert werden – konkret die rasche Diagnosestellung, die Versorgung und Unterstützung der Patientinnen und Patienten sowie die Forschung. Wir fordern entsprechend dieser Zielsetzung einen **möglichst raschen und rechtsgleichen Zugang zu wirksamen Therapien und Arzneimitteln** für Betroffene von seltenen Krankheiten.

Harmonisierung EU-Rechtsprechung

Die Flexibilität in Bezug auf die Harmonisierungen mit der EU-Rechtsprechung wie auch die Berücksichtigung der besonderen Anforderungen für die Zulassung von Therapien für Seltene Krankheiten unterstützen wir grundsätzlich.

Gleichzeitig ist mit präzisierenden Verordnungen möglichst bald Rechtssicherheit zu schaffen. Wenn Therapien verfügbar sind, müssen diese rasch zugänglich sein, um eine Verschlechterung des Zustands von Betroffenen mit seltenen Krankheiten zu verhindern.

Bereits im Rahmen der Regulierungsfolgenabschätzung wurde auf die Diskrepanz zur EU, was die Klassifizierung der ATMP betrifft, hingewiesen. Mit dem Änderungsvorschlag wird die Äquivalenz zur EU angestrebt, trotzdem bleibt ein «Swiss-Finish», welchen wir insbesondere im Bereich der Oligonukleotide kritisch sehen. Zu den Oligonukleotiden gehören die siRNA Arzneimittel, welche zu einem Grossteil, aber nicht nur, bei Patientinnen und Patienten mit seltenen Krankheiten angewendet werden, sowie Arzneimittel und Impfstoffe basierend auf der mRNA-Technologie. In der EU werden solche Oligonukleotid-haltigen Arzneimittel nicht als ATMP klassifiziert. Zusätzliche Anforderungen in der Schweiz können dazu führen, dass klinische Studien weniger oder gar nicht in der Schweiz durchgeführt werden und Zulassungsanträge später oder gar nicht eingereicht werden. Dies steht in diametralem Gegensatz zu anderen Fördermassnahmen für Arzneimittel für neuartige Therapien und zur Stärkung der Grundlagenforschung in der Schweiz ganz allgemein und würde den Zugang zu Therapien gerade im Bereich der seltenen Krankheiten erschweren.

Therapiezugang

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. Referenzzentren für seltene Krankheiten als auch die Patientinnen und Patienten müssen bei den Abklärungen zu

spezifischen Anforderungen an die Abgabe oder die Anwendung von ATMP einbezogen werden, weil sie über das spezifische Wissen und die Erfahrung verfügen.

Die Möglichkeit der Teilnahme an klinischen Studien sollte gegenüber Ausnahmegenehmigungen bevorzugt werden, um einen kontrollierten und dokumentierten Zugang sicherzustellen.

Zusätzlich fordern wir, dass die Unterscheidung von wichtigen und unwichtigen Arzneimitteln aufgehoben wird. Diese Klassifizierung greift für die Betroffenen von seltenen Krankheiten zu kurz. Für 90 Prozent der Erkrankungen gibt es keine zugelassene Behandlung. Häufig erreichen nur Kombinationen von Therapien eine Verbesserung oder Stabilisierung der Erkrankung, die als alleinige Therapie unter Umständen als nicht wichtig taxiert werden könnte. Gleichzeitig wäre die Einteilung in wichtig und weniger wichtig ein Paradigmenwechsel, der für andere Arzneimittel nicht gilt.

Um einen gleichberechtigten Zugang aller Patienten und Patientinnen zu innovativen Therapien sicherzustellen, sollte ausserdem der Vergütungsprozess von ATMP demjenigen der übrigen Arzneimittel angepasst werden. Die von Swissmedic zugelassenen Arzneimittel sollten daher über die Spezialitätenliste (SL) vergütet werden. Mit der Vergütung über die SL wird auch ein Unterbruch beim Zugang verhindert, sollte eine Therapie das Abgabe-Setting wechseln (beispielsweise ambulant statt stationär).

Patientensicherheit

Aus Sicht der Patientinnen und Patienten ist die Nachbeobachtung insbesondere für genetische ATMP wichtig, ebenso eine Risikoaufklärung, Shared Decision Making und die Berücksichtigung der Patientenperspektive. **Der aktuelle Vorschlag ist jedoch nicht praxistauglich.** Die Zulassungsinhaberin hat keinen direkten Patientenkontakt, weshalb die vorgesehene Rückverfolgbarkeit und Meldepflicht durch die Zulassungsinhaberin nicht umgesetzt werden kann. Aus diesem Grund braucht es eine sinnvolle und verbindliche Aufteilung der Zuständigkeiten bei der Meldepflicht und Rückverfolgbarkeit, welche die bestehenden Gesetze nicht kompromittiert.

Aufgrund der Neuartigkeit der ATMP und um Fehlentwicklungen frühzeitig zu erkennen, ist eine Überwachung des Gesetzes (Evaluation) analog dem Bundesgesetz über genetische Untersuchungen beim Menschen [GUMG](#) (Art. 55) vorzusehen, die auch Vorschläge für allenfalls notwendige Anpassungen vorsieht.

Die IGSK würdigt die genaue und ausgewogene Analyse der Regulierungsfolgenabschätzung. Gleichzeitig fordern wir, dass bei künftigen Prozessen auch die direkt betroffenen Patientinnen und Patienten einbezogen werden. Ohne diesen Einbezug fehlen gerade bei seltenen Krankheiten, wo aufgrund der ungenügenden Datengrundlage und nur bedingt vorhandenem referenzierten Wissen vorhanden ist, wichtige Aspekte und Informationen.

Digitalisierung

Insbesondere für Patientinnen und Patienten, Spitäler und die Pharmaindustrie ist die Mitberücksichtigung der Digitalisierung, um eine Interoperabilität bei Studiendaten sicherzustellen, unumgänglich.

Ressourcen

Eine zeitnahe Umsetzung durch Swissmedic ist für die Betroffenen von seltenen Krankheiten zentral, nicht zuletzt, weil es für 90 Prozent der Erkrankungen noch keine Therapie gibt. Wenn Therapien verfügbar sind, müssen diese rasch zugänglich sein, um eine Verschlechterung des Zustands zu verhindern. Daher ist aus Sicht der IGSK eine Unterstützung der Aufgaben von Swissmedic durch ausreichende und qualifizierte personelle Ressourcen sicherzustellen.

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, +41 79 694 89 34).

Freundliche Grüsse



Nationalrätin Yvonne Feri
Co-Präsidentin IGSK



Ständerat Matthias Michel
Co-Präsident IGSK



Petra Wessalowski
Geschäftsführerin IGSK