

Gesprächspartner Pressegespräch:

**Neue CAR-T-Zelltherapie als Modell zum Umgang
mit neuen hochpreisigen Arzneimitteln in der Medizin**

am 18. September 2019

im Tagungszentrum im Haus der Bundespressekonferenz,
Schiffbauerdamm 40/Ecke Reinhardtstraße 55,
10117 Berlin

Ulrike Elsner

Vorstandsvorsitzende
Verband der Ersatzkassen e. V.

Prof. Dr. Bernhard Wörmann

Medizinischer Leiter der DGHO
Deutsche Gesellschaft für Hämatologie
und Medizinische Onkologie e. V.

Ralf Heyder

Generalsekretär
Verband der Universitätsklinika
Deutschlands e. V. (VUD)

Dr. Johannes Bruns

Generalsekretär der Deutschen
Krebsgesellschaft e. V.

Michaela Gottfried

Pressesprecherin und
Abteilungsleiterin Kommunikation
Verband der Ersatzkassen e. V.

Gemeinsame Pressemitteilung

CAR-T-Zelltherapie und Co. Hochpreis-Arzneimittel: Bündnis fordert kontrollierte Einführung in Innovationszentren mit begleitender Qualitätssicherung (Evaluation)

Berlin, 18. September 2019

Immer mehr hochpreisige Arzneimittel bzw. Behandlungsmethoden v. a. zur Behandlung von Krebs drängen auf den Markt. Darunter auch Ende 2018 zwei Verfahren der CAR-T-Zelltherapie gegen aggressive Formen von Blutkrebs. Doch die neuen Therapien sind oft mit hohen Risiken für die Patienten verbunden, der Langzeitnutzen ist noch unbekannt und die Arzneimittelkosten sind mit mindestens 275.000 Euro pro Patient (zuzüglich Behandlungskosten) sehr hoch. Insgesamt kommt die Therapie nur für bis zu 1.400 Patient(innen)en in Frage. „Die Ersatzkassen wollen diesen schwerkranken Versicherten die erhofften Innovationen rasch zugänglich machen, sie wollen aber auch, dass dies kontrolliert passiert. Nutzen und Qualität müssen im Vordergrund stehen, keine Gewinninteressen von Pharmaherstellern“, so Ulrike Elsner, Vorstandsvorsitzende des Verbandes der Ersatzkassen e. V. (vdek).

Deshalb hat der vdek gemeinsam mit dem Verband der Universitätsklinika Deutschlands (VUD) und mit Unterstützung der Deutschen Krebsgesellschaft (DKG) sowie der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (DGHO) Forderungen aufgestellt, wie eine kontrollierte Einführung in die Regelversorgung aussehen sollte. Kernforderung ist die Erprobung dieser hochrisikoreichen und teuren Behandlungsverfahren zunächst in wenigen Innovationszentren, in der Regel Universitätsklinika, mit hohen Qualitätsstandards, festgelegt durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA). Erst wenn das Verfahren evaluiert und der Nutzen nachgewiesen ist, sollte die Behandlungsmethode in der Regelversorgung zugelassen und von den gesetzlichen Krankenkassen (GKV) regelhaft finanziert werden.

Das Wissen über Wirksamkeit der CAR-T-Zelltherapie ist noch begrenzt

Dr. Johannes Bruns, Generalsekretär der Deutschen Krebsgesellschaft, sagt hierzu: „Für austherapierte Patient(inn)en kann der rasche Zugang zu dieser vielversprechenden Innovation über Leben oder Tod entscheiden. Andererseits ist das Wissen über Wirksamkeit und Sicherheit des neuen Verfahrens zum Zeitpunkt der Zulassung begrenzt. Ob sich die CAR-T-Zelltherapie im Versorgungsalltag als effizient und sicher erweist, muss sich erst noch zeigen. Entscheidend für die Patient(inn)en: Der zeitnahe Zugang zu dieser Therapie sollte für alle möglich sein, die davon profitieren können.“

Hohe Standards bei Erstzulassung, für die Behandlung und deren Evaluierung

Zudem fordern die beteiligten Organisationen, dass die Standards bei der Erstzulassung der neuen Medikamente als Orphan Drugs im beschleunigten Verfahren durch die Europäische Arzneimittelbehörde EMA nicht abgesenkt werden dürften. „Auch an die behandelnden Einrichtungen müssen hohe Qualitäts- und Strukturanforderungen gestellt werden“, so Prof. Dr. Bernhard Wörmann, Medizinischer Leiter der DGHO. Nach seiner Auffassung muss der Gemeinsame Bundesausschuss den im neuen Gesetz zur Sicherung der Arzneimittelversorgung (GSAV) geschaffenen Rahmen nutzen, um frühzeitig mit den Experten und den Fachgesellschaften angemessene Mindestanforderungen für die Einführung innovativer Therapien festzulegen. Durch die im GSAV ebenfalls geregelte Dokumentationspflicht werden gleichzeitig Daten über die Wirksamkeit und Sicherheit neuer Therapien im deutschen Versorgungskontext generiert.

Eigenherstellung von neuen Medikamenten an Innovationszentren möglich machen

Um der exorbitanten Preisentwicklung bei neuen Medikamenten Einhalt zu gebieten, setzen sich die Beteiligten zudem dafür ein, dass die Erforschung und Entwicklung neuer Gen- und komplexer Zelltherapieverfahren in Zukunft auch industrieunabhängig in den Innovationszentren möglich sind und auch abgerechnet werden können. Ralf Heyder, Generalsekretär des VUD, erklärt hierzu: „Ziel ist es, dass Zentren rechtssicher und wirtschaftlich tragbar „Eigenherstellung“ betreiben können. Denn wir wollen uns bei diesen Innovationen nicht völlig abhängig von der Industrie machen.“

Nach Auffassung aller beteiligten Organisationen sollten die für die Hersteller geltenden Regeln bei der Preisbildung von Arzneimitteln für die Behandlung von Seltenen Erkrankungen rechtlich so gestaltet sein, dass die Solidargemeinschaft nicht überfordert wird. Die Förderung der Eigenherstellung dieser Arzneimittel ist auch aus ihrer Sicht eine Möglichkeit, der Preispolitik der Pharmaindustrie Grenzen aufzuzeigen.

Pressekontakte:

Verband der Ersatzkassen e. V. (vdek)
Michaela Gottfried, Pressesprecherin
Tel.: 030/26931-1200, presse@vdek.com

DGHO Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie e.V.
Michael Oldenburg, Referent des Vorstandes
Tel.: 030/27876089-27, oldenburg@dgho.de

Verband der Universitätsklinika Deutschlands e. V. (VUD),
Stephanie Strehl-Dohmen, Referentin Presse- und Öffentlichkeitsarbeit VUD
Tel.: 030/3940517-25, Strehl-dohmen@uniklinika.de

Deutsche Krebsgesellschaft e. V.
Katrin Mugele, Pressestelle
Tel.: 030/3229329-60, mugele@krebsgesellschaft.de

Statement

von

Ulrike Elsner

Vorstandsvorsitzende des Verbandes der Ersatzkassen e. V. (vdek)

anlässlich

der Pressekonferenz

**Neue CAR-T-Zelltherapie als Modell zum Umgang
mit neuen hochpreisigen Arzneimitteln in der Medizin**

am 18. September 2019

im Tagungszentrum im Haus der Bundespressekonferenz,
Schiffbauerdamm 40/Ecke Reinhardtstraße 55,
10117 Berlin

(Es gilt das gesprochene Wort.)

Meine Damen und Herren,

nach fast vierzig Jahren gibt es einen neuen Ansatz in der Immun-, Gen- und Zelltherapie. Zwei Arzneimittelhersteller haben von der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) Ende 2018 die Zulassung für die CAR-T-Zelltherapie erhalten. Es geht, vereinfacht gesagt, um die Behandlung von Patienten mit Blutkrebs. Bei der CAR-T-Zelltherapie wird den Patienten Blut entnommen, dieses gentechnologisch aufbereitet und anschließend wieder zugeführt. Die modifizierten Blutzellen können dann die Krebszellen gezielt bekämpfen.

Was hier sehr simpel klingt, ist in Wirklichkeit ein anspruchsvoller Prozess, der spezialisiertes Wissen verlangt. Denn es geht hier um Patienten, bei denen herkömmliche Behandlungsmethoden nicht mehr wirken. Diese Patienten hatten bislang keine Überlebenschance. Insofern kann das neue Therapieverfahren die letzte Rettung für diese Patienten sein. Allerdings ist die Behandlung häufig mit schweren akuten Komplikationen verbunden. Es kann beispielsweise zu einem lebensbedrohlichen Schock mit anschließendem Organversagen kommen, dem Zytokinsturm.

Meine Damen und Herren,

Sie sehen, Chancen und Risiken liegen hier dicht beieinander. Da es sich bei diesen Verfahren formal um Medikamente für seltene Erkrankungen („Orphan Drugs“) mit einer „beschleunigten“ Arzneimittelzulassung handelt, sind die Zulassungsanforderungen grundsätzlich eher als gering zu bezeichnen. Das heißt, die Therapien wurden in diesen beiden Fällen nicht nach dem Goldstandard der randomisierten kontrollierten Doppelblindstudien geprüft. Mit den Studienergebnissen der pharmazeutischen Unternehmen werden gute Heilchancen für Patienten prognostiziert, bei denen herkömmliche Therapien keine Wirkung mehr zeigen. Ob dem tatsächlich so ist, wird sich erst in Zukunft zeigen. Wir haben es mit einem neuartigen Therapieansatz zu tun.

Daher haben der Verband der Universitätsklinika Deutschlands (VUD) und die Ersatzkassen gemeinsame Forderungen zur Einführung solcher neuen und auch hochpreisigen Behandlungsverfahren am Beispiel der CAR-T-Zelltherapie verabschiedet. Besonders froh sind wir darüber, dass diese Forderungen von der Deutschen Krebsgesellschaft (DKG) und der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (DGHO) unterstützt werden. Für uns alle ist es einerseits äußerst wichtig, dass die neuen Behandlungsmethoden erkrankten Patienten schnellstmöglich zugänglich gemacht werden. Andererseits müssen wir

die Erfahrungen mit diesen neuen Behandlungsmethoden transparent machen und dauerhaft in die Versorgung einfließen lassen.

Die „beschleunigte“ Arzneimittelzulassung für derartige Medikamente sollte nach unserer Auffassung mit einem gesetzlich geregelten Evaluierungsverfahren flankiert werden. Zudem ist es wichtig, dass diese komplexe und anspruchsvolle Behandlung nur in ausgewiesenen Zentren erbracht wird, die über eine entsprechende Expertise verfügen. Nur Spezialzentren, die in der Lage sind, diese Patienten über einen längeren Zeitraum zu begleiten, und dazu beitragen, die Behandlung wissenschaftlich zu evaluieren, kommen aus Qualitätsgründen infrage. Wir sprechen hier von Innovationszentren. Die Anforderungen an diese Zentren sind neu und haben wenig mit unserem heutigen Zentrumsverständnis im Bereich der Krankenhausversorgung zu tun.

Die Tatsache, dass bereits 107 Krankenhäuser aus unterschiedlichen Versorgungsstufen einen Antrag auf Anwendung der sehr komplexen CAR-T-Zelltherapie gestellt haben, zeigt, dass hier dringender Handlungsbedarf gegeben ist. Wir sehen hier ausschließlich die Krankenhäuser der Maximalversorgung, insbesondere die Universitätskliniken, als geeignet an, als Innovationszentren zu fungieren. Erst wenn die wissenschaftliche Begleitung für eine neue Methode erfolgreich abgeschlossen worden ist, sollte ein im beschleunigten Verfahren zugelassenes Arzneimittel in weiteren geeigneten Kliniken zur Behandlung freigegeben werden. Das bedeutet, dass der nachhaltige patientenrelevante Nutzen bestätigt werden konnte und potentielle Schäden bekannt sind.

Wir werden später auf die bereits vorliegenden Vorgaben der Qualitäts- und Strukturanforderungen des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) eingehen. Diese zielen auf die Sicherheit der Behandlung ab. Was fehlt, sind Anforderungen für die Einführung, Begleitung und Evaluation neuer Verfahren in Innovationszentren. Der G-BA muss den gesetzlichen Auftrag nun auch schnellstmöglich umsetzen. Unser Ziel ist es, die Risiken neuer Therapien, die mit einer beschleunigten Zulassung einhergehen, abzufedern. Damit wird die Patientensicherheit gestärkt.

Die Erforschung und Entwicklung dieser Zelltherapieverfahren erfolgte in Universitätskliniken zumeist mit finanzieller Unterstützung der Industrie, die sich die Rechte und Patente sichern konnte. Nach heutigem Kenntnisstand stehen etwa 45 weitere Verfahren im Bereich der Gen- und Zelltherapie in den nächsten Jahren vor der Zulassung. Diese werden voraussichtlich einen Schwerpunkt im Bereich der Krebsbehandlung haben. Wir erwarten, dass diese Therapiemöglichkeiten in der Regel etablierte Therapien nicht ersetzen, sondern als weitere Option „on top“ hinzukommen.

Das wirft die Frage nach der Preisgestaltung auf. Bisher werden für diese neuen Verfahren Preise in sechsstelliger Höhe aufgerufen. Deshalb kann eine industrieunabhängige Eigenherstellung dieser Medikamente eine wirtschaftliche Option sein. Die spezialisierten Innovationszentren bieten sich hierfür an, da sie in der Vergangenheit teilweise schon an der Entwicklung von Zell- und Gentherapien beteiligt waren. Ich möchte daher den Appell an die Länder richten, die notwendigen Mittel für Forschung und Lehre bereitzustellen und ihren Investitionsförderverpflichtungen endlich angemessen nachzukommen.

Meine Damen und Herren,

Zell- und Gentherapien werden in Zukunft die Behandlungsoptionen von schwer erkrankten Menschen erweitern. Es besteht die Hoffnung, dass künftig Menschen geholfen werden kann, denen man in der Vergangenheit nicht (mehr) helfen konnte. Dies muss auf höchstem Qualitätsniveau, in der Regel im universitären Bereich erfolgen. Die Regularien der Preisbildung müssen vom Gesetzgeber mit Blick auf die Finanzierbarkeit der sozialen Sicherungssysteme angepasst werden. Die Ersatzkassen sehen in der möglichen Eigenherstellung solcher Präparate durch Universitätskliniken ein Regulativ.

Die Ersatzkassen haben bereits mit dem Verband der Universitätsklinika Deutschlands (VUD) gemeinsame Empfehlungen für den Übergang in die Regelversorgung getroffen. Bisher wird die CAR-T-Zelltherapie in 25 Universitätskliniken durchgeführt. Im Sinne der betroffenen Patienten brauchen wir bei neuartigen Therapieverfahren eine wissenschaftlich begleitete Einführung – und zwar an Zentren mit besonderer Expertise. Damit diese auch künftig sichergestellt werden kann, müssen jetzt die entsprechenden Weichen für die schnelle aber kontrollierte Einführung von Innovationen, oder besser gesagt des medizinischen Fortschritts, gestellt werden.

Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit!

CAR-T-Zellen

Modell für den Umgang mit innovativen Therapieformen

Bernhard Wörmann

In keinem Gebiet der Medizin hat es jemals eine solche Welle neuer Arzneimittel gegeben wie derzeit in der Onkologie. Die große Mehrzahl der Medikamente ist zielgerichtet, d. h. basiert auf Erkenntnissen der Grundlagenforschung zur Entstehung, Vermehrung und Verbreitung von Krebs sowie zur Reaktion des Immunsystems.

Die Behandlung mit chimären Antigen-Rezeptor-T-Zellen (CAR-T-Zellen) eröffnet neue Perspektiven für eine gezielte Immuntherapie maligner Erkrankungen. Sie hat kuratives Potenzial. Die CAR-T-Zellen sind ein Beispiel, auch ein Test, für den Umgang mit neuen Arzneimitteln. CAR-T-Zellen beinhalten fast alles, was Patienten Hoffnung und der Gesellschaft Sorgen macht:

- kuratives Potenzial bei Patienten, für die es keine andere Therapie mehr gibt
- personalisierte Immuntherapie
- genetisch modifizierte Zellen
- hohes Nebenwirkungsrisiko
- hohe Kosten.

Im Vorfeld der Zulassung der CAR-T-Zellen haben die wissenschaftlichen-medizinischen Fachgesellschaften gemeinsam mit Kostenträgern und Leistungserbringern Kriterien zur Identifikation derjenigen medizinischen Zentren entwickelt, die diese innovative Therapie anbieten. Die Kriterien wurden vom Gemeinsamen Bundesausschuss aufgegriffen:



Unser Ziel ist, möglichst schnell allen bedürftigen Patienten den Zugang zu innovativen Therapien zu ermöglichen, gleichzeitig ein Höchstmaß an Sicherheit zu gewährleisten. Die bisherigen Erfahrungen in Deutschland zeigen, dass dies möglich ist.

Prof. Dr. med. Bernhard Wörmann

Medizinischer Leiter
Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie
Alexanderplatz 1
10178 Berlin (Mitte)
Tel.: 030 / 27 87 60 89 - 0
E-Mail: woermann@dgho.de

Charité Universitätsmedizin Berlin
Campus Virchow Klinikum
Medizinische Klinik mit Schwerpunkt Hämatologie, Onkologie und Tumorummunologie
Augustenburger Platz 1
13344 Berlin
Tel.: 030/450553219
E-Mail: bernhard.woermann@charite.de



18. September 2019

Pressegespräch Neue CAR-T-Zelltherapie

Statement Ralf Heyder, Generalsekretär Verband der Universitätsklinika Deutschlands e.V. (VUD)

Universitätsklinika sind in der Regel diejenigen, die neue Behandlungsmethoden für die Patienten zur Verfügung stellen. Diese Rolle als Innovationsmotor kann aktuell aber zum Bumerang werden. Denn Gen- bzw. Zelltherapien sind extrem teuer. Wir sprechen hier von Kosten von hunderttausenden bis mehreren Millionen Euro pro Behandlung, die in erster Line für das Arzneimittel ausgegeben werden. Die Uniklinika können sich jedoch nicht darauf verlassen, dass ihnen die Kassen diese Kosten erstatten.

Der Grund dafür sind Mängel bei den Regelungen zur Finanzierung von Innovationen. Oft dauert es nach der Zulassung eines neuen Arzneimittels noch bis zu einem Jahr, bis für dieses Arzneimittel ein verbindliches Entgelt existiert. Bis dahin müssen die Krankenhäuser für jede einzelne Behandlung die Kostenerstattung bei der Krankenkasse individuell beantragen und genehmigen lassen.

In der Vergangenheit haben die Krankenhäuser ihren Patienten Innovationen häufig auch ohne gesicherte Kostenerstattung angeboten. Das finanzielle Risiko hat dabei das Krankenhaus übernommen. Doch das geht bei den neuen

Therapien mit ihren hohen Kosten nicht mehr. Hier kommen für wenige Patienten schnell Millionenbeträge zusammen.

Die Folge ist, dass die CAR-T-Zelltherapien zu langsam in die Versorgung kommen. Weil es noch keine gesicherte Erstattung gibt, können die Kliniken nur sehr wenige Behandlungen anbieten. Deutschland fällt hier hinter andere europäische Länder zurück.

Um keine Zeit mehr zu verlieren, haben VUD und vdek zwei Initiativen für Klarheit bei der Kostenerstattung gestartet:

Zum einen haben die beiden Verbände im Juni eine gemeinsame Empfehlung zu den Entgelten für die neuen Therapien abgegeben und dort unter anderem die Höhe der Behandlungskosten geklärt. Dies sollte Konfliktpotenzial aus der Verhandlung der Krankenhausbudgets vor Ort heraus nehmen und sie dadurch beschleunigen. Bedauerlich ist, dass andere Krankenkassenverbände, insbesondere die AOK, sich diesem Vorgehen nicht angeschlossen haben. Wir hoffen jedoch, dass sich auch im Zuge der Fortschreibung die anderen Kassenverbände der Vereinbarung anschließen.

Die zweite Initiative richtet sich an den Gesetzgeber. Wir müssen für diese extrem teuren Medikamente dringend die Lücke zwischen der Zulassung des Medikaments und dem Erstattungsanspruch der Krankenhäuser schließen. Die Krankenhäuser müssen direkt nach der Zulassung Erstattungssicherheit haben.

Hier setzt das Papier an, das wir Ihnen heute vorstellen. Wir fordern die Beschränkung dieser neuen, sehr teuren und teils mit hohen Behandlungsrisiken verbundenen Therapien

auf wenige, hoch qualifizierte Innovationszentren. Sie sollen die neuen Behandlungsmethoden in geeigneten Verfahren evaluieren und müssen daher in der Forschung und in der Patientenversorgung über eine ausgewiesene Expertise verfügen. Das werden zunächst überwiegend Uniklinika sein.

Die Kassen bekommen mit Innovationszentren die Sicherheit, dass diese Therapien nur von erfahrenen Teams durchgeführt werden und nur bei den Patienten zum Einsatz kommen, die wirklich von ihnen profitieren. Dadurch entfällt für die Kassen der Grund, bei der Vergütung auf die Bremse zu treten. Denn während andere Innovationen grundsätzlich von allen Krankenhäusern abgerechnet werden können und damit oft völlig ungesteuert und ohne Begleitevaluation in die Patientenversorgung gelangen, wird dies für die Gen- und Zelltherapien durch die Beschränkung auf wenige Zentren ausgeschlossen.

Das Prinzip lautet also: Beschränkung auf wenige Zentren, dafür Erstattungssicherheit vom ersten Tag an. Der Gesetzgeber ist gefordert, die derzeitigen Regelungen Finanzierung von Innovationen nun schnell entsprechend zu ändern.

Abschließend möchte ich noch auf einen zweiten wichtigen Finanzierungsaspekt aus dem Papier eingehen. **Den Innovationszentren soll nämlich die Möglichkeit eröffnet werden, neue Gen- und Zelltherapieverfahren unabhängig von der Industrie selbst herzustellen und mit den Krankenkassen abzurechnen.** Ziel ist, dass die Zentren rechtssicher und wirtschaftlich tragbar „Eigenherstellung“ betreiben können. Denn wir wollen uns bei diesen Innovationen nicht völlig von der Industrie abhängig machen. Stattdessen brauchen

wir eigene Möglichkeiten, um an neuen Therapien zu forschen und diese ggf. schnell und zu vertretbaren Kosten in die Patientenversorgung zu bringen. Die Eigenherstellung, die viele Uniklinika schon seit vielen Jahren auf hohem Qualitätsniveau betreiben, ist dafür ein wichtiger Baustein.

Qualitätsgesicherter Zugang zu innovativen Krebstherapien

Dr. Johannes Bruns, Deutsche Krebsgesellschaft, Berlin

Innovative Behandlungsverfahren in der Medizin bergen Chancen und Risiken zugleich. Das zeigt sich sehr gut am Beispiel der 2018 in Deutschland zugelassenen CAR-T-Zelltherapie. Für austherapierte Patient*innen kann der rasche Zugang zu dieser vielversprechenden Innovation über Leben oder Tod entscheiden. Andererseits ist das Wissen über Wirksamkeit und Sicherheit des neuen Verfahrens zum Zeitpunkt der Zulassung begrenzt. Ob sich die CAR-T-Zelltherapie im Versorgungsalltag als effizient und sicher erweist, muss sich erst noch zeigen. Entscheidend für die Patient*innen: Der zeitnahe Zugang zu dieser Therapie sollte für alle möglich sein, die davon profitieren können. Wer die Therapie in Anspruch nimmt, sollte qualitätsgesichert behandelt werden. Darüber hinaus muss sichergestellt sein, dass das Wissen aus dieser Anwendung dieser Therapie gesammelt, wissenschaftlich evaluiert und publiziert wird. Denn ohne diese Daten ist die Entscheidung über eine Aufnahme der neuen Therapie in die Regelfinanzierung kaum möglich.

Die Realität sieht bislang jedoch anders aus. Bis zur korrekten Kostenabbildung einer medizinischen Innovation im deutschen Fallpauschalensystem vergehen in der Regel mehrere Jahre. Bis dahin müssen Krankenhäuser entweder den Einsatz neuer Verfahren auf eigene Kosten vorfinanzieren. Oder sie vereinbaren im Rahmen einer Regelung für Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden (NUB) individuelle und zeitlich befristete Zusatzentgelte mit den Krankenkassen. Mehr als 100 Krankenhäuser haben bereits entsprechende NUB-Anträge zur Durchführung einer CAR-T-Zelltherapie gestellt. Doch selbst wenn sie bewilligt werden, kann es für die betroffenen Patient*innen zu spät sein. Denn das NUB-Verfahren wird einmal im Jahr durchgeführt und dauert üblicherweise 6 bis 18 Monate. Erschwerend kommt hinzu, dass nur ein kleiner Teil der antragstellenden Krankenhäuser über Erfahrung mit der neuen Therapie oder über eine geeignete Forschungsinfrastruktur verfügt. Maßnahmen zur flächendeckenden einheitlichen Qualitätssicherung und zur Wissensgenerierung sind unter diesen Umständen nur schwer umsetzbar.

Wie lässt sich die Situation für die Betroffenen verbessern? Ein entsprechendes Modell ist Gegenstand eines Forderungspapiers von vdek, VUD, Deutscher Krebsgesellschaft und DGHO. Demnach sollte die CAR-T-Zelltherapie zunächst nur von wenigen Innovationszentren erbracht werden, die über eine ausgewiesene Expertise für die entsprechenden Methoden und Verfahren verfügen. Die Innovationszentren verpflichten sich zur Teilnahme an spezifischen Qualitätssicherungsverfahren sowie an entsprechenden industrieunabhängigen Registerstudien. Bei der begleitenden Betreuung und Nachsorge arbeiten sie Hand in Hand in einem Netzwerk mit geeigneten Leistungserbringern. Auf diese Weise können Patient*innen auch dann begleitet werden, wenn sie nicht im unmittelbaren Behandlungsumfeld des Innovationszentrums leben. Die Netzwerke müssen entsprechende Struktur- und Qualitätskriterien erfüllen, wie sie zum Beispiel im Rahmen der Zertifizierung von Zentren durch die DKG erbracht werden. Das komplette Netzwerk, auch die ambulant tätigen Leistungserbringer, sollten sich an der Dokumentation von Behandlung und Nachsorge beteiligen.

Durch das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) hat der Gesetzgeber eine erste Möglichkeit geschaffen, Maßnahmen der Qualitätssicherung und Datenerhebung für neue

Arzneimittel und Therapieverfahren anzuordnen. Der G-BA ist nun gefordert, die Mindestanforderungen an die Struktur-, Prozess- und Ergebnisqualität für eine sachgerechte Anwendung dieser neuartigen Therapien festzulegen. Es ist dabei von zentraler Bedeutung, dass die Register nicht arzneimittelbezogen, sondern indikationsbezogen arbeiten. Nur so lässt sich der Stellenwert einer Therapie für den gesamten Krankheitsverlauf beurteilen.

Erst wenn die Auswertung der therapiebegleitenden Dokumentation einen nachhaltigen Nutzen der CAR-T-Zelltherapie nachweist, kann sie in die Regelversorgung bzw. -finanzierung überführt werden. Bis dahin wird die Kostenerstattung durch das vom VUD beschriebene, vorgeschaltete NUB-Verfahren geregelt, das unmittelbar nach der Zulassung beginnt. Ein solches Modell ermöglicht Patient*innen rasch einen qualitätsgesicherten Zugang zur CAR-T-Zelltherapie und trägt dazu bei, unnötig hohe Gesundheitsausgaben zu vermeiden.

Forderungen des VUD und der Ersatzkassen zur Einführung hochpreisiger neuer Behandlungsverfahren am Beispiel der CAR-T-Zelltherapie

Unterstützt durch die

und die

Stand: 29.08.2019

Hintergrund

Mit der CAR-T-Zelltherapie – die unter die sogenannten Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMP) fällt – haben zwei Pharmaunternehmen eine neuartige Krebsimmuntherapie entwickelt. Seit August 2018 sind die Präparate in Deutschland für die Behandlung von Patienten, bei denen herkömmliche Therapieoptionen ausgeschöpft sind, als Drittlinientherapie für aggressive Varianten von Leukämie („Blutkrebs“) und Lymphomen („Lymphdrüsenkrebs“) zugelassen. Die Kosten der reinen Zelltherapie liegen bei ca. 320.000 Euro ohne Mehrwertsteuer pro Patient. In den nächsten Jahren sind weitere Therapieverfahren zu erwarten, verbunden mit jeweils ähnlich hohen Kosten für die gesetzliche Krankenversicherung (GKV). Hinzu kommen die Behandlungskosten; diese können insbesondere bei häufig auftretenden Komplikationen sehr hoch sein. Für die bisher im Rahmen der CAR-T-Zelltherapie zugelassenen Indikationen kommen etwa 1.200 bis 1.400 an Blutkrebs erkrankte Patienten pro Jahr infrage. Für das Jahr 2019 haben 107 Krankenhäuser bereits Anträge gestellt, um das Verfahren im Rahmen einer Regelung für Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden (NUB) zu erbringen.

Die Forschung und Entwicklung dieser Zelltherapieverfahren erfolgte maßgeblich in Universitätskliniken und wurde dann von der Industrie übernommen. Aufgrund der starken Forschungsaktivitäten werden in den nächsten Jahren weitere Präparate für andere Indikationen auf den Markt kommen; u. a. auch solche zur Behandlung von soliden Tumoren. Auch außerhalb der Onkologie finden sich für die Gentherapie neue Einsatzfelder. Das IGES Institut geht davon aus, dass in den nächsten Jahren bis zu 45 weitere Therapien für ein breites Erkrankungsspektrum auf den Markt kommen werden, die zum Teil mehrere Millionen Euro pro Behandlung kosten könnten. Angesichts dessen ist mit einem hohen Kostenanstieg für die GKV insgesamt zu rechnen.

Hochpreisige Behandlungsverfahren für seltene Erkrankungen oder beschleunigt zugelassene Medikamente bieten Chancen und Risiken zugleich. Die Evidenz ist in diesen Bereichen häufig niedriger. Andererseits können medizinische Innovationen schneller in die Versorgung gelangen; dies ist im Interesse der Patienten. Allerdings müssen die Risiken der geminderten Evidenz abgefangen werden. Diese Behandlungsverfahren sollten zunächst nur in neu einzurichtenden Innovationszentren, die grundsätzlich universitären Charakter haben, angewendet und evaluiert werden. Erst nach positivem Abschluss einer bundesweiten Evaluierungsphase ist ein Verfahren für die stationäre Regelversorgung freizugeben.

Forderungen der Ersatzkassen und des VUD

(1) Standards der Zulassung beibehalten

Eine Absenkung der Anforderungen bei der Bewertung des Arzneimittels durch die Zulassungsbehörden darf nicht erfolgen. Auch Patienten mit seltenen oder schwerwiegenden Erkrankungen müssen sich auf eine positive Nutzen–Risiko–Abwägung verlassen können.

(2) Schnellen Zugang unter Evaluationsbedingungen ermöglichen

Gerade Patienten, bei denen Standardtherapien nicht zu dem erhofften Erfolg geführt haben, sollen einen schnellen Zugang zu neuen Behandlungsmethoden erhalten. Diese neuen, aber auch risikoreichen Behandlungsmethoden müssen grundsätzlich in adäquate Evaluationsverfahren eingebunden werden.

(3) Vorgeschaltetes NUB–Verfahren an Innovationszentren

Bevor neue Behandlungsverfahren für seltene Erkrankungen oder Medikamente mit beschleunigten Zulassungsverfahren in die Regelversorgung bzw. –finanzierung gelangen, sollten sie in einem mit der Zulassung beginnenden vorgeschalteten NUB–Verfahren ausschließlich in Innovationszentren angewendet und evaluiert werden. Die Innovationszentren müssen in der Lage sein, Patienten über einen längeren Zeitraum zu begleiten, auch wenn diese nicht im unmittelbaren Behandlungsumfeld des Innovationszentrums leben (z. B. über die Hochschulambulanzen oder über kooperierende Zentren). Zudem müssen sie Erkenntnisse über den Behandlungserfolg feststellen und dokumentieren, um ggf. an gesetzlich zu verankernden zentralen Studien des Gemeinsamen Bundesausschusses (G–BA) oder Registern mitzuwirken. Darüber hinaus müssen diese Innovationszentren aktiv an der Erforschung der Verfahren mitwirken, über umfangreiche medizinische Erfahrung in der Anwendung einschlägiger Verfahren in der Patientenversorgung verfügen und qualitätsgesichert risikoreiche innovative Behandlungsmethoden in die Patientenversorgung einführen können. Erst wenn der nachhaltige Nutzen dieser Behandlungsverfahren oder Medikamente nachgewiesen worden ist, dürfen sie, wenn dies sinnvoll ist, in die Regelversorgung bzw. –finanzierung auch außerhalb der Innovationszentren überführt werden.

(4) Kontrollierte Einführung in qualitätsorientierten Angebotsstrukturen schaffen

Diese innovativen Verfahren sollten gerade in der Einführungsphase nur von wenigen Zentren erbracht werden, die in der Forschung und Patientenversorgung über eine ausgewiesene Expertise für die entsprechenden Methoden und Verfahren verfügen. Diese Zentren müssen sich an spezifischen Qualitätssicherungsverfahren sowie ggf. an einem entsprechenden industrieunabhängigen Register beteiligen.

Die begleitende Betreuung und Nachsorge kann in Kooperation mit geeigneten Leistungserbringern erbracht werden. Der G-BA sollte Prozess- und Strukturkriterien für die Zentren festlegen. Nur so können aufgrund der insgesamt kleinen betroffenen Patientenzahl ausreichend und schnell qualitätsgesicherte Erfahrungen, insbesondere über den Erfolg und Misserfolg sowie die Präzisierung der Indikationsstellung, gesammelt werden. Gerade bei lebensbedrohlichen Erkrankungen ist schneller Erkenntnisgewinn für die Betroffenen existenziell wichtig.

(5) Forschung und Eigenherstellung fördern

Die Erforschung und Entwicklung neuer Gen- und komplexer Zelltherapieverfahren muss industrieunabhängig möglich werden. Dies setzt eine entsprechende Finanzierung für Forschung und Entwicklung in den Innovationszentren voraus. Zudem benötigen die Innovationszentren eine adäquate Infrastruktur für die Eigenherstellung entsprechender Arzneimittel. Um diese Infrastruktur aufbauen zu können, müssen die für die Eigenherstellung einschlägigen Regularien so ausgestaltet werden, dass Innovationszentren rechtssicher und planbar Eigenherstellung wirtschaftlich betreiben können.

(6) Preisbildung überdenken und langfristigen Finanzierungsrahmen schaffen

Die für die Hersteller geltenden Regeln bei der Preisbildung von Arzneimitteln für die Behandlung von seltenen Erkrankungen müssen rechtlich so gestaltet sein, dass die Solidargemeinschaft nicht überfordert wird. Es muss ein Rahmen geschaffen werden, der konjunkturunabhängig die Finanzierbarkeit der Behandlungen aller versicherten Patienten garantiert.