

Herausforderung Rare diseases: Rolle des Vertrauensarztes

15. internationaler Tag der Seltenen Krankheiten in der Schweiz,
1.3.2025 Luzern

Dr. med. et lic. iur. Konrad Imhof

Facharzt allgemeine innere Medizin/Rechtsanwalt

Vertrauensarzt SGV/Zertifizierter Gutachter SIM

Disclosures

- Leiter Vertrauensärztlicher Dienst SWICA
- Leiter Kommission Weiter- und Fortbildung der Gesellschaft der Vertrauensärzte (SGV)
- Vorstandsmitglied Swiss Insurance Medicine (SIM)
- Dozent Uni Luzern/ZHAW/asim MAS
Versicherungsmedizin



Rare diseases: was ich von Ihnen weiss...

- 600'000 in CH
- Seltene Krankheiten sind gar nicht so selten!
- 60 Patientenorganisationen
- Nationales Konzept
- Hauptanliegen: **Bezahlbare Therapien**

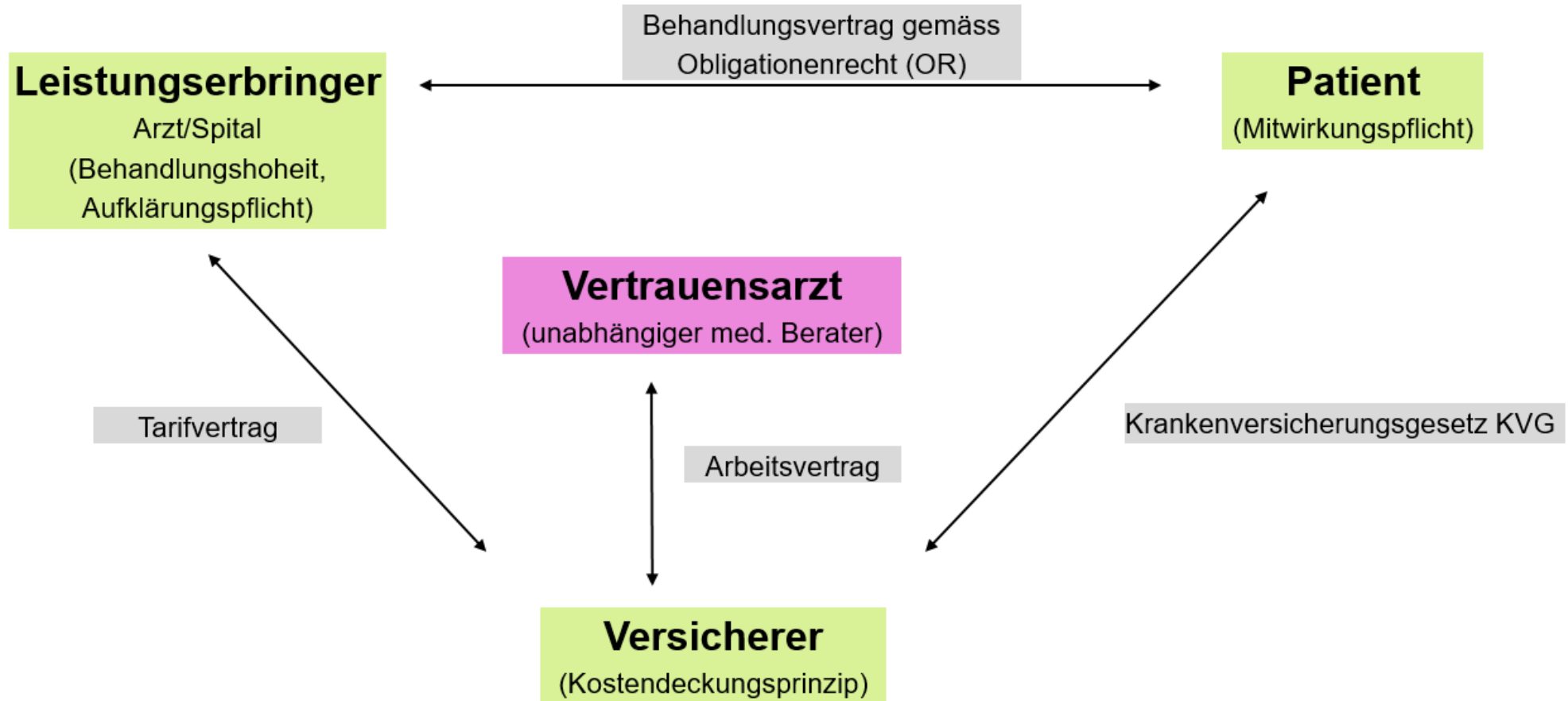
Fragen an den Vertrauensarzt...

- Welche besonderen Herausforderungen stellen sich bei der Beurteilung von Kostengutsprache gesuchen bei Menschen mit seltenen Krankheiten?
- Wie können Betroffene als Expert:innen eingesetzt werden?
- Was sind die Wünsche der Vertrauensärzte und Vertrauensärztinnen an die Community?

Agenda

- Rolle/Aufgabe des Vertrauensarztes
- Crashkurs: KVG/WZW
- Nutzenbewertung durch den Vertrauensarzt
- Goethe/Faust: des Pudels Kern!
- Swisrating!
- Quintessenz

Rolle des Vertrauensarztes



CAVE!

Die Frage, wie behandelt werden soll, ist eine **Frage der Medizin;**



Die Frage, ob die Behandlung auch von der Krankenkasse bezahlt wird, ist eine **Frage des Rechts!**



Grundprinzipien KVG

- Kostendeckungsprinzip (Art. 24 KVG)
- **WZW (Art. 32 KVG)**
- **Listenprinzip (Art. 33 KVG)**
- Tarifschutz (Art. 44 KVG)
- Qualitätssicherung (Art. 58 KVG)
- Legalitätsprinzip
- Territorialitätsprinzip

WZW

Wirksamkeit

- Erreichbarkeit des Behandlungsziels
- Nachweis mit wissenschaftlichen Methoden

Zweckmässigkeit

- Massnahme ist relevant und geeignet

Wirtschaftlichkeit

- Kostengünstigste Massnahme bei mehreren zweckmässigen Massnahmen

**Medizinische
Indikation**
- **Vertrauensarzt**

Kosteneffektivität
- **Versicherer!**

WZW: beide Ebenen

Generelle WZW

Konkrete WZW

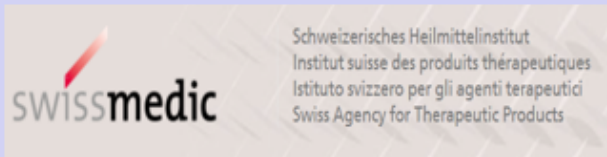
WZW muss sowohl auf genereller als auch auf konkreter Ebene **kumulativ** erfüllt sein

Listenprinzip (Art. 33 KVG)

Rechtstechnisch sieht das KVG zur Verwirklichung der für das Leistungsrecht der OKP fundamentalen Prinzipien von WZW ein Listensystem mit Positiv- und Negativlisten, sowie einer offenen Liste vor.

Zulassung und Vergütung von Arzneimitteln

Heilmittelrecht (HMG)



Zulassung

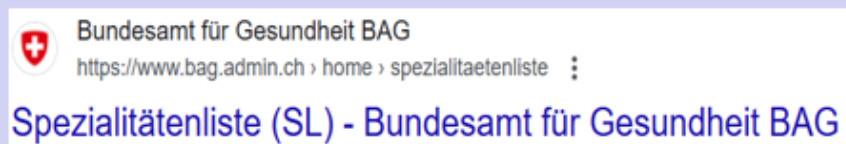
Wirksamkeit/Sicherheit (*nihil nocere*)

Entscheidgrundlagen:

- Laborprüfungen
- Klinische Studien

Zulassung für bestimmte
Indikationen (Label)

Krankenversicherungsgesetz



Aufnahme in SL

Wirksamkeit/Zweckmässigkeit/Wirtschaftlichkeit

Entscheidgrundlagen:

- Zulassungsunterlagen Swissmedic
- Konsultation EAK

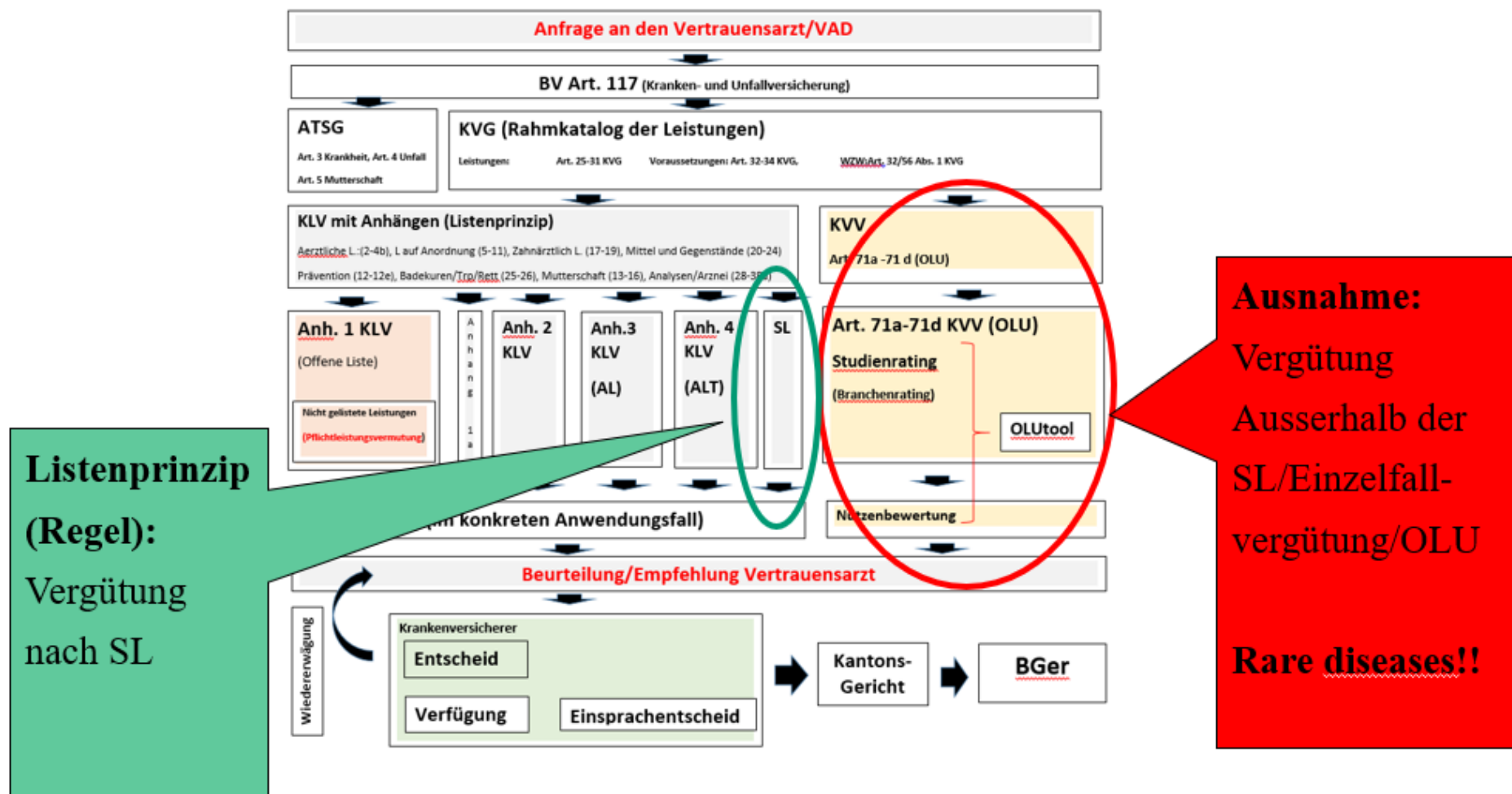
Vergütung für zugelassene Indikationen Zulassung
für bestimmte Indikationen (Label)

Morbus Pompe: Myozyme®



- **BGer: Ausnahme möglich!**
- **Seit 2011: Art. 71 KV**

Medikamente: Regel und Ausnahme



Bewertung des therapeutischen Nutzens gemäss Art. 38b KLV

**1. Studienrating =
WZW generell**

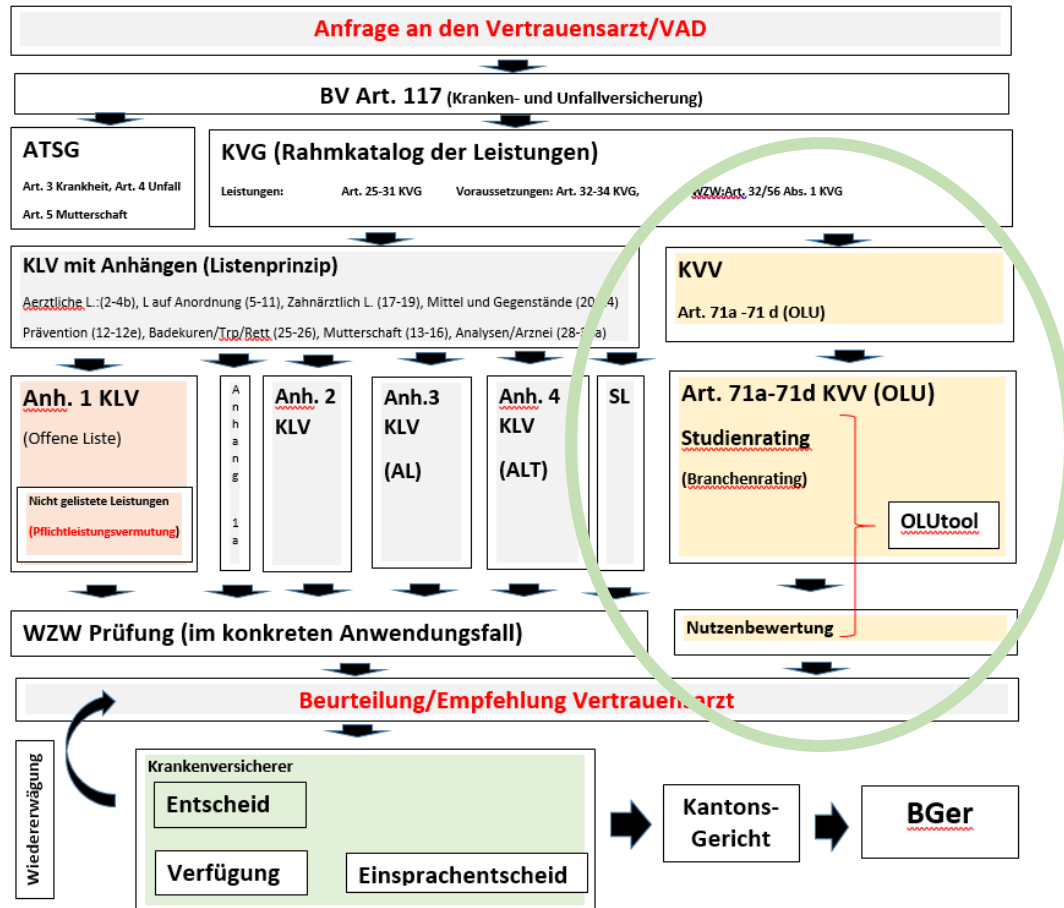
- Art. 38b Bewertung des therapeutischen Nutzens

¹ Der Vertrauensarzt oder die Vertrauensärztin bewertet den therapeutischen Nutzen eines Arzneimittels:

- a. in einem ersten Schritt **anhand der vorliegenden Evidenz** in der entsprechenden Indikation; und
- b. in einem zweiten Schritt im Einzelfall **auf der Grundlage der klinischen Gegebenheiten.**

**2. Nutzenbewertung =
WZW konkret**

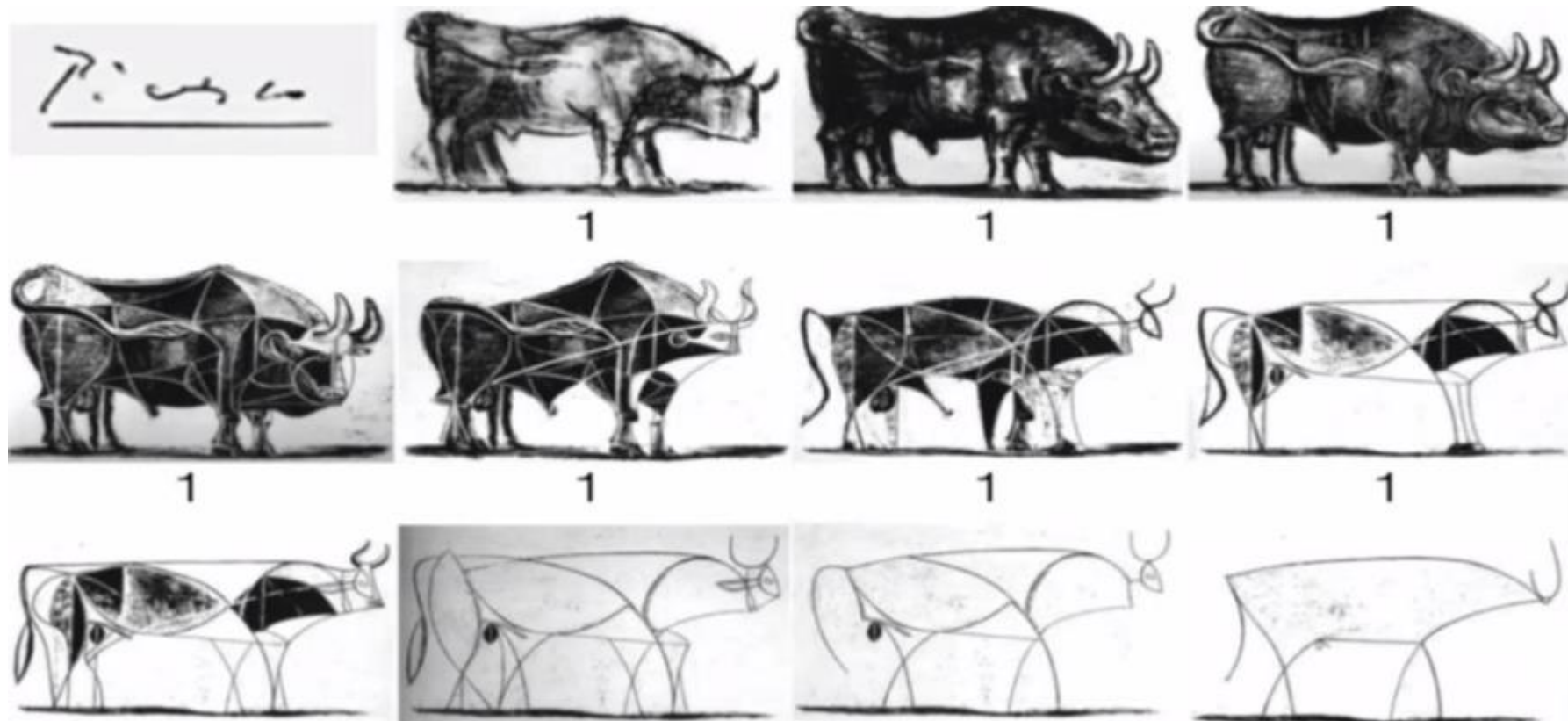
Aufgaben des Vertrauensarztes bei Gesuchen für rare diseases



1. Studienrating (OLUtool)

2. Finale Nutzenbewertung

OLUtool als Hilfsmittel für Nutzenbewertung



1. Studienrating im Nononco-Bereich (=WZW generell)

OLUtool Schweizerische Gesellschaft der Vertrauens- und Versicherungsärzte SGV NonOnko

Studie Update 2023, Version 4.0

Studienrating

| Typ | 1° Endpunkt Studie | Mess-Parameter von 1° Endpunkt | Bestimmung von Clinical Benefit als $\Delta\%$ |
|-----|---|--|--|
| 1 | Funktionsänderung | %-Veränderung ausgehend von Baseline | $\Delta\%$ Verum und Kontrolle → berechnen |
| 2 | Anzahl Ereignisse | %-Veränderung ausgehend von Baseline | $\Delta\%$ Verum und Kontrolle → berechnen |
| 3 | Scorepunktmessung | %-Veränderung ausgehend von Baseline 1. Verbesserung: Gesamt Score = 100% 2. Verzögerung: Baseline Population = 100% | $\Delta\%$ Verum und Kontrolle von • % Scorepunkte von Gesamt Score → berechnen • % Scorepunkte von Baseline Studienpopulation → berechnen |
| 4 | Surrogatwerte mit Studienrange (x - y) | %-Veränderung ausgehend von Baseline Masszahl Studienrange (x - y) = 100% | $\Delta\%$ Verum und Kontrolle von Studienrange (x-y) → berechnen |
| 5 | Ansprechrate eines Ziels im 1° Endpunkt | %-Ansprechrate von 1° Endpunkt | $\Delta\%$ = Prozent Punkte = ARR → direkt aus Studie zu entnehmen |
| 6 | Mortalität | Mortalitätsenkung in Jahren oder HR | Δ direkt aus Studie zu entnehmen oder berechnen |

1 (2) Verzögerung gilt als Erfolg → Leiden, welche zu einer kontinuierlichen Verschlechterung führen, ohne Möglichkeit zur Verbesserung

| Typ 1 - 4 | Typ 5 | Typ 6 | Scorepunkte |
|---|--------------------|---|-------------|
| $\Delta \geq 50\%$ | $\Delta \geq 40\%$ | $\Delta OS \geq 2\%$ pro Jahr | 4 |
| $\Delta \geq 30\%$ oder HR $\leq 0,65$ | $\Delta \geq 20\%$ | $\Delta OS \geq 1\%$ pro Jahr oder HR $\leq 0,80$ | 3 |
| $\Delta \geq 10\%$ oder HR $\leq 0,70$ | $\Delta \geq 10\%$ | $\Delta OS \geq 0,5\%$ pro Jahr oder HR $\leq 0,85$ | 2 |
| $\Delta \geq 5\%$ oder HR $\leq 0,75$ | $\Delta \geq 5\%$ | - | 1 |
| Einarmige Studien mit klinisch relevantem Benefit | | | |
| Ansprechen $> 60\%$ und DoR > 6 Mt. | | | 3 |
| Ansprechen $\geq 30\%$ | | | 2 |
| Angaben zum Ansprechen fehlen | | | 1 |

Klinisch relevanter Benefit → Der Benefit selbst ist nicht quantifiziert
 Typ 6 → Zeitpunkt ΔOS am validierten Studienende, vorgegeben durch Studie oder es gilt das Studienende bei noch 15 lebenden Probanden der Verumgruppe
 HR → Absolute Werte mit Δ haben Vorrang gegenüber HR

| Bonus Malus | QoL | Deklariert als 2°, $p \leq 0,05$ und mit validierten Fragebogen erhoben. Kein Bonus bei «non inferior» oder falls Bonus Teil von 1° Endpunkt. | +1 |
|------------------------|---|--|----|
| | Serious AE (sAE) | Δ sAE $\geq 35\%$ (Δ = Verum ↔ Kontrollgruppe) oder $\geq 50\%$ bei single-arm | -1 |
| Ansprechen (RR) | RR 15-30%. Nicht bei Typ 5 und single-arm. (RR < 15 % = Max. Studienrating C) | -1 | |
| Studiendefizite | <ul style="list-style-type: none"> Kontrollgruppe nicht adäquat dargestellt oder historische Kontrollgruppe mit unpräzise definierten Kriterien Studienvolltext liegt nicht vor → Die Studie ist damit nicht voll beurteilbar Langzeitwirkung ist aus Studie nicht plausibel ableitbar Andere klinisch relevante Defizite, welche der VA begründen kann | -1 | |
| Expertenbezug durch VA | Zur Klärung einer für den VA unklaren klinischen Relevanz Zur Klärung von Besonderheiten der Studie | oder +1/-1 | |

QoL = Teil von 1° Endpunkt
 Beispiel: Reduktion von Nasenpolypen = 1° Endpunkt → Die verbesserte Nasenatmung führt zu signifikantem QoL-Benefit → kein Bonus für QoL möglich

| Studienrating | 5 → A | 4 → A | 3 → B | 2 → C | 1 → C | 0 → D |
|---|-------|-------|-------|-------|-------|-------|
| Punktezahl für das Rating | | | | | | |
| Scorepunkte und maximal (+1) oder (-1) aus der Summe aller Bonus/Malus Punkte | | | | | | |

Bemessungspunkte

(1° Endpunkt Studie):

- Funktionsänderung
- Anzahl Ereignisse
- Scorepunktmessung
- Surrogate mit Studienrange
- Ansprechrate eines Ziels im 1° Endpunkt
- Mortalität

2. Finale Nutzenbewertung im Einzelfall

Finale Nutzenbewertung im Einzelfall

| | | | | | |
|---------------|---|---|---|----|---|
| Studienrating | A | B | C | C* | D |
|---------------|---|---|---|----|---|

VA Prüfung

→ Passt der Einzelfall zur Studienpopulation? Nur wenn der Einzelfall passt, kann der Nutzen im Studienrating auch im Einzelfall erwartet werden

| | | | |
|---|---|--|---|
| 1 | Standardfall | Der Einzelfall passt zur Studienpopulation | Studienrating = Einzelfallrating |
| 2 | Ungenügende Datenlage | Der Einzelfall passt in keiner Art und Weise zur Studienpopulation | Kategorie D, im Zweifelsfall Rücksprache mit dem Antragsteller |
| 3 | Downgrading Maximal um eine Nutzenkategorie | Der Einzelfall passt nicht optimal zur Studienpopulation | Beispiele <ul style="list-style-type: none"> • Einzelfall gehört zu einer Subgruppe der Studienpopulation mit ungenügender Relevanz • Einzelfall in relevant anderer Lebenssituation oder massive Zusatzaufwendungen |
| 4 | Upgrading Maximal um eine Nutzenkategorie bis maximal B möglich | Zusätzliche Daten oder fachspezifische Besonderheiten zur Patientensituation begründen das Upgrading | Beispiele <ul style="list-style-type: none"> • Experten eines interdisziplinären Tumorboards oder eines universitären Zentrums für rare disease (Referenzzentrum) befürworten den Nutzen, obwohl die Medikation nur auf molekular-genetischer Analyse oder auf case reports basiert: D → C. • Besonderheiten im Einzelfall: D → C oder C → B |

**Berücksichtigung
Rare diseases**



Hinweis

Die Antragsteller müssen dem VA die Studiendaten liefern, welche den Nutzen aufzeigen sollen, weil die beantragte Medikation ausserhalb der regulären Leistungspflicht steht

Einteilung des therapeutischen Nutzens (Art. 38b Abs. 6 KLV)

| | |
|----------------------------|---|
| Nutzenkategorie A : | sehr grosser therapeutischer Nutzen; |
| Nutzenkategorie B : | grosser therapeutischer Nutzen; |
| Nutzenkategorie C : | erwarteter grosser therapeutischer Nutzen |
| Nutzenkategorie D : | moderater, geringer oder kein therapeutischer Nutzen. |

Neu vorgeschriebene Rabattabschläge (Art. 38d Abs. 6 KLV)

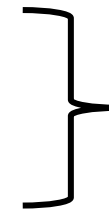
| | |
|--------------------|----------------------------------|
| Nutzenkategorie A: | 30% |
| Nutzenkategorie B: | 35% |
| Nutzenkategorie C: | 40% (+ Kostenübernahme 2 Monate) |
| Nutzenkategorie D: | Keine Vergütung |

CAVE!

| | |
|-----------------|--|
| Nutzenkat. A-C: | Grundsätzlich Pflichtleistungen (sofern Pharma zu diesen Bedingungen liefert!) |
| Nutzenkat. D: | Keine Pflichtleistung |

Beizug von Fachexperten bei rare diseases (Art. 71c Abs. 5 KVV)

Ist absehbar, dass ein Gesuch um Vergütung eines wichtigen Arzneimittels für seltene Krankheiten nach Artikel 4 Absatz 1 Buchstabe a^{decies} Ziffer 1 HMG aufgrund Bewertung des therapeutischen Nutzens abgelehnt werden wird, und liegen keine klinischen Studien vor, so hört der Vertrauensarzt oder die Vertrauensärztin mindestens einen klinischen Fachexperten oder eine klinische Fachexpertin an. Dieser oder diese gibt eine Empfehlung ab.



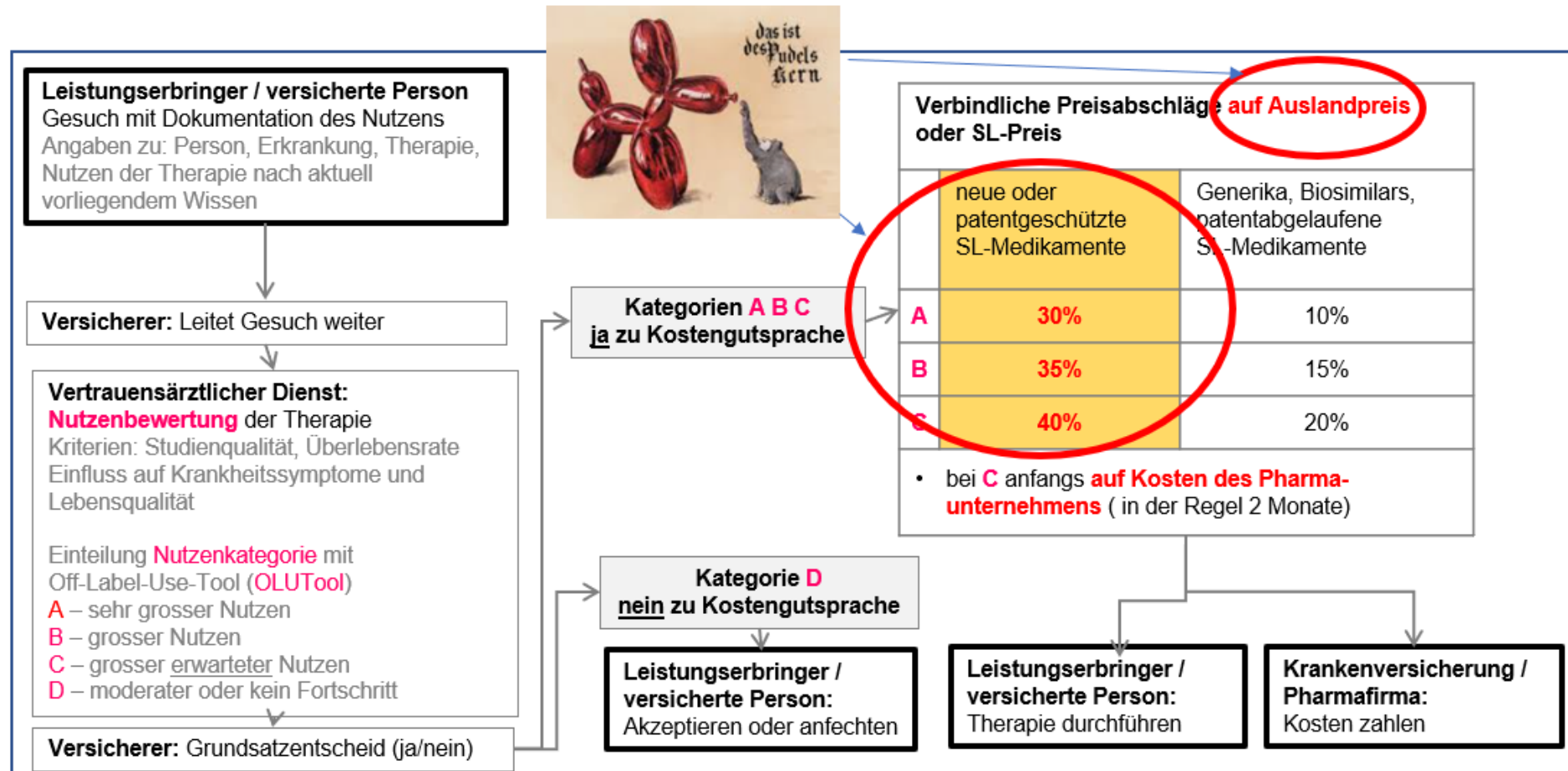
= Rating D

CAVE:

- Verordnung schreibt keinen generellen Beizug von Fachexperten vor
- Fachexpertise hat Empfehlungscharakter, keine Entscheidkompetenz!

Des Pudels Kern...


Prozessschema Anwendung von Artikel 71 KVV: Des Pudels Kern: fixe Rabatte und Auslandpreis (= Schaufensterpreis ohne Rabatte!)



Des Pudels Kern...

- Wir landen vertrauensärztlich oft im Rating C (keine harten klinische Studienendpunkte wie im Onko Bereich!)
- Fixe Rabatte – kein Verhandlungsspielraum für Pharma!
- Rating C oft von Pharma nicht akzeptiert! (man will Rating B oder A)
- Entscheid der Pharma oft im Head Quarter gefällt (CH = zu kleiner Markt)
- Vertrauensarzt kann/darf wegen wirtschaftlicher Problematik nicht hochraten; allenfalls Upgrading in der finalen Nutzenbewertung möglich!

Swissrating (Branchenrating)



Wichtigste Herausforderungen

- Monitoringbericht BAG / Resultate aus der Datenlieferung
- Vorwurf der Ungleichbehandlung
- Einzelfallanfragen nehmen kontinuierlich zu
- Überbrückung / Kostendeckung bis zur SL-Aufnahme
- Reputationsrisiko für Krankenversicherung bei ungleicher Handhabung oder Ablehnung
- Revision Art. 71a-71d KVV

Branchenrating - Update BAG 15.03.2022

Branchenrating 2

- **Freitagskonferenz der leitenden CH-Vertrauenärzte**
- **>95% Abdeckung der CH-Krankenversicherer**
- **Studienrating von neuen, meist sehr teuren Medikamenten**
- **Sehr oft Medikamente für rare diseases**
- **Beizug von **Fachexperten** bei Bedarf**
- **Gute Akzeptanz**

Quintessenz

- Vergütung: Frage des Rechts
- Vertrauensarzt: Berater, nicht in Vergütung eingebunden!
- Wirksamkeit bemisst sich nach wissenschaftlichen Methoden
- Vertrauensarzt kann rare diseases nicht privilegiert behandeln (OKP!)
- Knackpunkt Vergütung: Fixe Rabatte – Kein Verhandlungsspielraum
- **Problem der Vergütung muss auf dieser Stufe geregelt werden und nicht auf der medizinischen Ebene!**

Wunsch...

... Interesse und Grundkenntnisse der Versicherungsmedizin...!

Ohne Worte...

Diese Organisationen haben ProRaris 2024 unterstützt:



Vielen Dank!

