

Stellungnahme der Deutschen Hämophiliegesellschaft e.V. zum Entwurf eines Gesetzes für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV)

Die Deutsche Hämophiliegesellschaft e.V. (DHG) als bundesweite Patientenvereinigung der Blutungskranken befürchtet, dass das GSAV gravierende Auswirkungen auf die Sicherheit und die Qualität der Hämophiliebehandlung haben wird. Aufgrund der weitreichenden Bedeutung des Gesetzes für die Hämophilen in unserem Land sehen wir es als **zwingend erforderlich an, dass der Entwurf in seiner gegenwärtigen Form noch einmal gründlich überarbeitet wird.**

Im Gesetzesentwurf ist vorgesehen, dass durch eine Änderung des § 47 AMG Gerinnungspräparate nicht mehr direkt von den Hämophiliezentren an die Patienten abgegeben werden, sondern künftig über die öffentlichen Apotheken vertrieben werden. Als Folge befürchten wir:

1. Gefährdung der Sicherheit und der Lookback-Verfahren

In Bezug auf die plasmatischen Präparate, die von circa der Hälfte der Patienten angewendet werden, machen wir uns größte Sorgen um die Sicherheit. Für diese Präparate besteht zwar eine hohe, aber **keine absolute Infektionssicherheit**. Die Ausnahme vom Vertriebsweg für Blutprodukte wurde aus der Historie der HIV-/HCV-Infektionen durch verseuchte Präparate geschaffen. Trotz umfangreicher Sicherheitsmaßnahmen besteht auch heute noch ein, wenngleich geringes, Rest-Infektionsrisikos bei humanen Blutprodukten. Dies wurde erneut deutlich bei der neuen Variante der Creutzfeldt-Jakob-Erkrankung (vCJD), die nach heutigen Erkenntnissen auch über Blutprodukte übertragen werden kann. Die Sicherheit in der Anwendung von aus Blut hergestellten Produkten erfordert eine qualifizierte Behandlung und ein **lückenloses Monitoring der Patienten durch ein Hämophiliezentrum**. Nicht umsonst sind die Lookback-Verfahren durch das Transfusionsgesetz und Voten des AK Blut im Rahmen der Pharmakovigilanz festgeschrieben. Der direkte Vertriebsweg ist fester Bestandteil des bestehenden bewährten Sicherheitssystems. Diese Sicherheitsmaßnahme aufzugeben ist grob fahrlässig!

2. Gefährdung der Behandlungsqualität durch Schwächung der Hämophiliezentren

Hämophilie ist eine lebensbedrohliche seltene Erkrankung, die einer hochspezialisierten Behandlung bedarf. Diese muss in **geeigneten Behandlungszentren** (Comprehensive Care Centers) erfolgen. Auch die Begleiterkrankungen wie HIV und HCV sowie die schweren orthopädischen Folgeschäden lassen sich ausschließlich in Hämophiliezentren adäquat behandeln und künftige Folgeschäden durch eine optimierte Prophylaxe weitgehend verhindern. Eine hierfür notwendige Spezialisierung ist aber nur zu erreichen, wenn die Struktur der Zentren aufrechterhalten wird, deren Finanzierung sowie die Aus- und Weiterbildung der Spezialisten sichergestellt ist und – vor allem – die Patienten sich auch dort behandeln lassen. Es ist zu befürchten, dass die Patienten nicht mehr ihr Zentrum aufsuchen, wenn die Versorgung mit Präparaten auch über den Hausarzt möglich wird. Dies wird zu einer

Aushöhlung der umfassenden Betreuung durch spezialisierte Ärzte führen und letztlich auch mit erheblichen Folgekosten einhergehen. Eine im Jahr 2000 in der Zeitschrift „Blood“ veröffentlichte, wissenschaftlich hochrangige Studie konnte bei Hämophilie-Patienten, die sich nicht in spezialisierten Zentren behandeln lassen, vermehrte Krankheitsfolgen und eine erhöhte Mortalität nachweisen.¹ Insgesamt wird die Therapie weniger leitlinien- und evidenzbasiert werden, wenn die Behandlung außerhalb von Zentren stattfindet.

Ganz besonders wichtig ist die Expertise erfahrener Spezialisten beim **Einsatz der neu auf den Markt kommenden Nicht-Gerinnungsfaktor-Therapien** wie Emicizumab (Hemlibra®, Fa. Roche/Chugai), die sich erheblich von den herkömmlichen Faktorpräparaten unterscheiden. Hier liegen noch keine Langzeiterfahrungen vor und es ist unklar, welche Nebenwirkungen und möglicherweise erheblichen Wechselwirkungen mit anderen Medikamenten auftreten können. Auch in der Behandlung eines akuten Notfalls oder bei Operationen sind die Wirkmechanismen sehr komplex. Zudem wird die Hämophilie in Krankenhäusern und Arztpraxen der Regelversorgung nicht mehr erkannt, da sich bei Emicizumab die Gerinnungswerte (insbesondere die aPTT) verändern und die hämophile Blutungsneigung nur noch mit Spezialtests zu erkennen und zu überwachen ist.

In den meisten **europäischen Ländern** stellen aus den o.g. Gründen die Hämophiliezentren die Kontrolle über den Einsatz und die Abgabe der Präparate sicher. Die *World Federation of Hemophilia* (WFH) fordert, dass die Betreuung und Versorgung der Hämophilen weltweit ausschließlich in qualifizierten Behandlungszentren stattfinden soll. Die *European Association for Haemophilia and Allied Disorders* (EAHAD) und das *European Haemophilia Consortium* (EHC) haben erst kürzlich in einer gemeinsamen Erklärung auf die zentrale Rolle der Comprehensive Care Centers bei der Therapie mit den neuentwickelten Hämophilie-Präparaten aufmerksam gemacht.² Das EHC unterstützt unsere Forderung, den Gesetzesentwurf zu überarbeiten, mit einem *Letter of Support*. Aus einigen Ländern, in denen die Abgabe der Präparate über Apotheken erfolgt, wurde uns von Schwierigkeiten berichtet, eine enge Bindung zwischen Patient und Zentrum aufrechtzuerhalten – ganz besonders bei Jugendlichen und jungen Erwachsenen. Hier gilt zu beachten, dass schon nach kurzer Zeit, in der keine adäquate Behandlung durch einen spezialisierten Arzt stattfindet, irreversible Schädigungen eingetreten sein können.

3. Gefährdung der wissenschaftlichen Forschung sowie der Aus- und Weiterbildung

Es ist eine **Schwächung der wissenschaftlichen Möglichkeiten** der Zentren zu befürchten, wenn nicht mehr das gesamte Patientenspektrum an ein Zentrum gebunden ist. Insbesondere bei „Rare-Diseases“ ist eine Bündelung der Patienten jedoch die Grundvoraussetzung für wissenschaftliches

¹ SOUCIE et al: „Mortality among males with hemophilia: relations with source of medical care“, in *BLOOD*, 15 JULY 2000, S. 437-442.

² <http://eahad.org/eahad-ehc-joint-statement-on-promoting-central-role-of-haemophilia-comprehensive-care-centres-in-the-treatment-of-haemophilia-and-rare-bleeding-disorders-using-novel-non-replacement-therapies>

Arbeiten. Es ist daher nicht abzusehen, wie künftig noch Anwendungsbeobachtungen / Postzulassungsstudien durchgeführt werden können.

Um die Qualität eines Hämophiliezentruns nachhaltig zu sichern, sind **Aus- und Weiterbildungsmöglichkeiten** essentiell. Auch hierfür ist es wichtig, dass weiterhin eine starke Bindung der Patienten an die Zentren erhalten bleibt.

4. Gefährdung der Sicherstellung der Dokumentation

Die im **Transfusionsgesetz (§ 14 und § 21)** vorgeschriebene umfassende **Dokumentationspflicht** kann in Zukunft nicht mehr erfüllt werden, weil möglicherweise verschiedene Ärzte an der Behandlung und Verordnung beteiligt sein werden und von den Apotheken keine Meldung an den rezeptierenden Arzt über die Abgabe des Präparates an den Patienten (Menge, Chargennummer) erfolgt. Somit steht das **GSAV im Widerspruch zum gerade erst überarbeiteten Transfusionsgesetz**. Zusätzlich ist die **Rückverfolgbarkeit** – eigentlich Sinn und Zweck der Dokumentationspflicht durch das Transfusionsgesetz, auch bei rekombinanten Produkten – gefährdet.

Die **Meldungen an das Deutsche Hämophilieregister (DHR)** werden erschwert, wenn weniger Patienten in einem Hämophiliezentrum behandelt werden und den Ärzten somit die notwendigen Informationen fehlen. Das DHR, dessen Rolle erst im letzten Jahr durch das „Gesetz zur Fortschreibung von Vorschriften für Blut- und Gewebezubereitungen und zur Änderung anderer Vorschriften“ bewusst gestärkt wurde, wird bedeutungslos werden. Die **Transparenz und die Qualitätskontrolle** der Hämophiliebehandlung gehen entsprechend verloren.

5. Gefährdung der Wirtschaftlichkeit der Therapie

Die Regelung, Gerinnungsfaktoren direkt über die Hämophiliezentren abzugeben, wurde nicht zuletzt aus Gründen der Kostenreduktion eingeführt, da der **Abgabeweg über die Zentren wirtschaftlicher** ist als über die Apotheken. Dies wurde so auch im **Urteil des Bundessozialgerichts (BSG)** aus dem Jahr 2015 bestätigt. Hier wurde höchstrichterlich entschieden, dass bei der Verordnung von Gerinnungsfaktoren aus Wirtschaftlichkeitsgründen (§ 12 SGB V) ein Bezug über Apotheken zu unterlassen ist. Die geplante Neuregelung des § 47 AMG wäre somit eine unwirtschaftliche Maßnahme und könnte langfristig die Finanzierbarkeit der ohnehin kostenintensiven Therapie erheblich belasten.

Zwar halten auch wir die Intention des Ministeriums, die **Transparenz bei der Verordnung und Abgabe der Hämophilie-Präparate zu verbessern**, selbstverständlich für gut und wichtig. Um einer vermuteten finanziellen Verflechtung die Grundlage zu entziehen, wäre es jedoch weit effektiver, flächendeckend **Versorgungsverträge** abzuschließen – unter Beibehaltung des Direktvertriebs.

Der **Bundesrat ist in seiner Stellungnahme zum GSAV unserer Argumentationslinie gefolgt** und bittet darum, die „Neuregelung im weiteren Gesetzgebungsverfahren zu überprüfen.“ Weiter heißt es dort: „Die geplante Änderung des Vertriebswegs hätte eine erhebliche Schwächung der Zentrumsversorgung zur Folge, weil die enge Bindung zwischen Zentrum und Patient durchbrochen würde.“

Wir sind der Meinung, dass alle oben genannten Punkte gründlich durchdacht werden müssen, bevor ein neues Gesetz – mit ggf. fatalen Auswirkungen für die Betroffenen – Fakten schafft. Nur so kann eine **gesteigerte Transparenz unter gleichzeitiger Beibehaltung der Behandlungsqualität und deren künftiger Fortentwicklung** erreicht werden.

Essentielle Grundvoraussetzungen hierfür sind:

1. Sicherstellung, dass **die Behandlung der Hämophilen weiterhin ausschließlich in der Hand hämostaseologisch qualifizierter Ärzte verbleibt**
2. Gewährleistung einer **lückenlosen Dokumentation sowie eines lückenlosen Monitorings durch den behandelnden Arzt.**

Die Kette „Patient kontaktiert Arzt im Hämophiliezentrum – Arzt stellt Indikation zur Behandlung – Arzt legt Präparatetyp (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 Gerinnungspräparate durch das Hämophiliezentrum jederzeit gewährleistet. Diese Kette bietet eine hohe Sicherheit sowie Qualität der Behandlung für die Patienten und ist zudem hocheffizient und wirtschaftlich. Sie zu durchbrechen und damit ein wirkungsvolles und bewährtes Konstrukt leichtfertig aufzugeben, halten wir für unverantwortlich.

Hamburg, 4. April 2019



Dr. Stefanie Oestreicher
Vorsitzende des Vorstands

Anlage:
Schreiben des Europäischen Hämophiliekonsortiums (EHC)