



An den
Bundesminister für Gesundheit
Herrn Prof. Dr. Karl Lauterbach
Bundesministerium für Gesundheit
11055 Berlin

Hamburg, 25. Juni 2024

Zugang zu Gentherapien für Hämophilie-Patienten

Sehr geehrter Herr Minister Prof. Dr. Lauterbach,

als Patientenvertretung der Blutungskranken setzt sich die Deutsche Hämophiliegesellschaft e.V. für eine bestmögliche medizinische Versorgung der Betroffenen ein. Diese sehen wir aufgrund der aktuellen Entwicklungen in Gefahr.

Mit der Zulassung der Gentherapien Roctavian (Hämophilie A) und Hemgenix (Hämophilie B) steht Hämophilie-Patienten in Deutschland schon seit längerer Zeit (Roctavian: August 2022, Hemgenix: Februar 2023) eine innovative Behandlungsoption zur Verfügung – aber leider nur in der Theorie. Denn seit den Zulassungen wurden nach unserem Kenntnisstand gerade einmal zwei Patienten außerhalb von Studien behandelt. Bei allen weiteren Patienten wurde die Kostenübernahme von den Krankenkassen abgelehnt. Wie kann das sein?

Hemgenix und Rocatvian sind als zugelassene Arzneimittel Teil des GKV-Leistungskatalogs. Für beide ist das Nutzenbewertungsverfahren beim G-BA abgeschlossen. Und dennoch wird Patienten, denen ihr Arzt die Gentherapie als für sie beste Behandlungsoption empfiehlt, der Zugang zu diesen Therapien verweigert.

Wir haben Kenntnis von einem Fall, in dem lapidar mitgeteilt wurde, der Patient habe nicht genug Blutungen, um für eine Gentherapie in Frage zu kommen. Uns ist nicht bekannt, dass irgendwo eine Mindestanzahl von Blutungen als Voraussetzung für die Gentherapie festgeschrieben wäre. Eine solche Argumentationsweise ist für uns weder nachvollziehbar noch hinnehmbar.

Uns ist durchaus bewusst, dass es sich hier um sehr hochpreisige Therapien handelt. Allerdings relativiert sich der Preis vor dem Hintergrund, dass eine Einmalgabe der Gentherapie-Präparate die dauerhafte, ebenfalls sehr kostspielige Prophylaxe mit Faktorpräparaten ersetzt – was absolut neuartig ist. Entsprechend neuartig könnten auch passende Finanzierungsmodelle – wie etwa Ratenzahlungen – aussehen. Wir möchten Sie daher bitten, in Abstimmung mit dem Bundesamt für Soziale Sicherung zeitnah und mit Offenheit für Neues entsprechende Vorschläge zu prüfen.



Die bestehende Unsicherheit in Bezug auf die Wirkdauer der Gentherapie bei den einzelnen Patienten wird durch die Pay for Performance-Vergütungsmodelle, bei denen nur bei Therapieerfolg Zahlungen geleistet werden müssen, aufgefangen. Vor diesem Hintergrund haben wir ein Schreiben an die Krankenkassen verfasst, in dem wir sie auffordern, ihre Überlegungen zur Wirtschaftlichkeit der Gentherapien noch einmal grundlegend zu überdenken.

Der G-BA hat sowohl für Hemgenix als auch für Roctavian eine Anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD) gefordert. Wie sollte eine AbD durchführbar sein, wenn keine Patienten behandelt werden?

Unsere Sorge betrifft nicht allein den versperrten Zugang zur Gentherapie. Vielmehr fürchten wir für die Zukunft, dass die hier zu Tage tretende Feindlichkeit gegenüber neuen Behandlungsmöglichkeiten Schule machen könnte. Innovative Therapien nützen uns nichts, wenn die Patienten keinen Zugang zu ihnen erhalten. Darüber hinaus ist zu befürchten, dass Pharmafirmen unter diesen Umständen in Zukunft von der Entwicklung und Bereitstellung neuer Therapien bei uns in Deutschland abrücken werden.

Aus diesen Gründen sehen wir die Gewährleistung der künftigen Behandlungsqualität unserer Patienten in Gefahr. Wir möchten Sie bitten, sich für unser Anliegen einzusetzen und der derzeit bestehenden Innovationsfeindlichkeit bei den Krankenkassen entschieden entgegenzuwirken.

Wir bringen uns gerne ein, wenn es um Fragen aus Patientenperspektive geht. Dafür stehen wir Ihnen jederzeit zur Verfügung.

Mit freundlichen Grüßen

Rainer Stähler
Vorsitzender des Vorstandes

Alf Kreienbring
Stv. Vorsitzender

Dr. Günter Auerswald
Stv. Vorsitzender