

An

...

Hamburg, 23.09.2025

Zugang zu Gentherapien für Menschen mit Hämophilie

Sehr geehrte Damen und Herren,

im Juni 2024 haben Sie zu derselben Thematik bereits ein Schreiben von uns erhalten. Da sich seither an der Situation bedauernswerter Weise nur sehr wenig geändert hat, wenden wir uns nun erneut an Sie.

Obwohl mit den beiden Gentherapien Roctavian (für Hämophilie A, zugelassen seit August 2022) und Hemgenix (für Hämophilie B, zugelassen seit Februar 2023) den Patienten theoretisch schon seit längerem eine innovative Behandlungsoption zur Verfügung steht, bleibt deren tatsächliche Anwendung im Versorgungsalltag nach wie vor erheblich eingeschränkt. Nach unserem Wissen wurde bislang nur eine sehr geringe Zahl von Patienten außerhalb klinischer Studien behandelt. In weiteren Fällen kam es zu langwierigen und nicht nachvollziehbaren Verzögerungen bei der Kostenübernahme.

Dabei ist die Rechtslage eindeutig: Hemgenix und Roctavian sind zugelassene Arzneimittel, Teil des GKV-Leistungskatalogs und erstattungsfähig – ein Antrag auf Kostenübernahme ist nicht notwendig. Für beide ist das Nutzenbewertungsverfahren beim G-BA abgeschlossen, und es besteht ein Vertrag mit dem GKV-Spitzenverband. Dennoch wird Patienten, deren Ärzte die Gentherapie als beste Behandlungsoption empfehlen, der Zugang massiv erschwert.

Uns ist bewusst, dass es sich um hochpreisige Therapien handelt. Allerdings relativiert sich der Preis vor dem Hintergrund, dass eine einmalige Gabe die dauerhafte, ebenfalls sehr kostenintensive Prophylaxe mit Faktorpräparaten ersetzt. Die bestehende Unsicherheit hinsichtlich der Wirkdauer wird durch Pay-for-Performance-Vergütungsmodelle, bei denen nur bei Therapieerfolg Zahlungen erfolgen, zusätzlich abgefedert.

Das Bundesamt für Soziale Sicherung hat im aktuellen Jahresbericht 2024 unmissverständlich klargestellt:

„Die Gentherapie ist auf der Grundlage der gesetzlichen Orphan-Drug-Privilegierung preiswerteren etablierten Therapien als überlegen zu betrachten. Gegen den Anspruch auf die Gentherapie darf die zuständige Krankenkasse daher nicht die Unwirtschaftlichkeit einreden.“

Diese Klarstellung macht deutlich: Wenn eine zugelassene, verhandelte und erstattungsfähige Gentherapie medizinisch indiziert ist, darf der Zugang nicht aus Kostengründen blockiert werden.

Gerade für Menschen mit seltenen Erkrankungen ist das ein entscheidendes Signal. Die BAS-Position unterstreicht Ihre Verantwortung, innovative Therapien nicht nur theoretisch zu ermöglichen, sondern praktisch zugänglich zu machen.

Daher fordern wir Sie auf, Ihre bisherige Praxis grundlegend zu überdenken.

Zudem muss sichergestellt werden, dass in den Verträgen nach § 132i SGB V klar geregelt ist, dass es in den Behandlungszentren durch die Arztvergütung und die Wirtschaftlichkeitspauschale nicht zu einer benachteiligten Kostensituation für die Gentherapie gegenüber der Prophylaxe kommt.

Als Patientenorganisation für Menschen mit Blutungserkrankungen setzt sich die Deutsche Hämophiliegesellschaft e.V. seit jeher für eine qualitativ hochwertige und zukunftsichere medizinische Versorgung ein. Diese sehen wir durch aktuelle Entwicklungen ernsthaft bedroht.

Unsere Sorge betrifft nicht allein den erschwerten Zugang zur Gentherapie. Wir befürchten, dass die aktuell gelebte Praxis ein gefährliches Signal sendet: Innovationsfeindlichkeit darf nicht Schule machen. Wenn Patienten keinen Zugang zu zugelassenen Therapien erhalten, droht langfristig ein Rückzug forschender Unternehmen aus Deutschland mit gravierenden Folgen für die Versorgung.

Aus diesen Gründen sehen wir die Gewährleistung der künftigen Behandlungsqualität in Gefahr und appellieren an Sie, unverzüglich für einen verlässlichen Zugang zu Gentherapien zu sorgen.

Gerne bringen wir unsere Perspektive in einem offenen Austausch ein und stehen für Rückfragen jederzeit zur Verfügung.

Mit freundlichen Grüßen



Rainer Stähler
Vorsitzender des Vorstandes



Alf Kreienbring
Stv. Vorsitzender



Dr. Günter Auerswald
Stv. Vorsitzender