

**vfa-Positionspapier
„Zulassungsüberschreitender Einsatz von Medikamenten bei
schweren Erkrankungen“**

Die Off-Label-Verordnung von Arzneimitteln, d. h. der zulassungsüberschreitende Einsatz, ist bei einigen Indikationsgebieten (z. B. Onkologie) und Patientengruppen (z. B. Kinder) integraler Bestandteil der Therapie, um im Interesse der Patienten diese nach dem aktuellen Stand des medizinischen Wissens behandeln zu können.

Die GKV vertritt grundsätzlich den Standpunkt, dass die Arzneimittelzulassung eine Grundvoraussetzung für die Kostenübernahme eines Arzneimittels ist, knüpft also die Erstattung an die Zulassung. Das heißt, es werden fast ausnahmslos nur die Arzneimittel von der GKV erstattet, die entsprechend ihrer Zulassung verordnet werden. Unter bestimmten Voraussetzungen (schwerwiegende Erkrankung, keine andere Therapie verfügbar, begründete Aussicht auf Therapieerfolg) ist jedoch die Erstattungsfähigkeit des Off-Label-Einsatzes aufgrund der Rechtsprechung des Bundessozialgerichts möglich. Dies ist im Sinne der Patienten und wird vom vfa ausdrücklich begrüßt.

Seite 1/9

Auf der anderen Seite gibt es neuere regulatorische Instrumente, die mittel- bis langfristig zu einer Reduzierung des Off-Label-Use beitragen können. Dazu zählen die EG-Verordnungen zu Arzneimitteln gegen seltene Erkrankungen (sogenannte Orphans) und zu Kinderarzneimitteln.

Was ist Off-Label-Use?

Der zulassungsüberschreitende Einsatz von Medikamenten wird im internationalen Sprachgebrauch als Off-Label-Use bezeichnet. In der einschlägigen Fachliteratur existiert dazu jedoch keine einheitliche Definition. Unklarheiten bestehen darüber, welche Parameter der Zulassung in die Betrachtung einbezogen werden. Diese umfassen: Anwendungsgebiet, Darreichungsform, Dosierung und Anwendergruppe. Die Food and Drug Administration (FDA), die amerikanische Zulassungsbehörde, beschrieb den Off-Label-Use 1997 wie folgt: „Use for indication, dosage form, dose regimen, population or other use parameter not mentioned in the approved labelling.“ Demnach umfasst die Anwendung außerhalb der Zulassung nicht nur das Anwendungsgebiet, sondern alle durch die Zulassung definierten Parameter. Im engeren Sinne wird unter Off-Label-Use aber die folgende Definition des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) verstanden: „Unter „Off-Label-Use“ versteht man die Anwendung eines zugelassenen Arzneimittels außerhalb der von den nationalen und europäischen Zulassungsbehörden genehmigten Anwendungsgebiete (Indikationen)“.

Welchen Umfang nimmt der Off-Label-Use in Deutschland ein?

Seite 2/9

Bei der Krebsbehandlung (Onkologie) von Erwachsenen und Kindern erhalten viele Patienten Medikamente außerhalb ihres Zulassungsstatus. Gerade in diesem Behandlungsgebiet liegen manchmal sogar die Standardtherapien im Off-Label-Bereich. Auch in anderen innovativen Bereichen der Medizin wie der Neurologie, Psychiatrie und Infektiologie (AIDS/HIV) ist der Off-Label-Use üblich. Aber auch in der Dermatologie oder der Gynäkologie gehört der Off-Label-Use zum Verordnungsgeschehen.

Welche verschiedenen Formen des Off-Label-Use gibt es?

Der zulassungsüberschreitende Einsatz von Arzneimitteln ist fester Bestandteil des medizinischen Alltags in Deutschland. Verschiedene Formen dazu sind bekannt. Zum einen gibt es generischen Off-Label-Use – dieser betrifft Generika, die eine engere Zulassung als das Originalpräparat haben und deshalb außerhalb ihrer Zulassung eingesetzt werden. Während der Off-Label-Use wenig kostenträchtiger Arzneimittel von den gesetzlichen Krankenversicherungen (GKV) stillschweigend gebilligt bzw. z. T. sogar im Rahmen von Rabattverträgen befördert wird, wird andererseits die zulassungsüberschreitende Verordnung innovativer, kostenträchtiger Therapeutika zunehmend in Regress genommen (bei Wirtschaftlichkeitsprüfungen: Sachbereich des „Sonstigen Schadens“). Lediglich in der Privaten Krankenversicherung (PKV) gibt es bisher keine Erstattungsprobleme, was zu Unterschieden in der Behandlung zwischen GKV- und PKV-Versicherten führt. Dass Krankenkassen den generischen Off-Label-Use bzw. die Fälle, bei denen beispielsweise von der zugelassenen Dosierung nach unten abgewichen wird, nicht verfolgen bzw. sogar fördern, zeigt, dass für sie in diesem Verordnungsfall der ökonomische vor dem medizinisch-therapeutischen Aspekt rangiert.

Wissensstand zum Zeitpunkt der Zulassung versus Stand des aktuellen medizinischen Wissens

Der zum Zeitpunkt der Zulassung vorliegende Wissensstand zum Arzneimittel vergrößert sich im Laufe der Anwendung des Arzneimittels unter Alltagsbedingungen stetig. Dies führt dazu, dass der Erkenntnisstand eines bereits zugelassenen Arzneimittels beispielsweise zu einer Erweiterung der Indikation oder zu einer Änderung des Therapieregimes (z. B. Änderung der Dosierung oder der Komponenten einer Kombinationstherapie) führt und nicht mehr demjenigen zum Zeitpunkt der Zulassung entspricht. Gerade in der Onkologie ist eine außerordentlich rasche Weiterentwicklung der medizinischen Erkenntnisse und intensive klinische Therapiefor-schung gegeben. Aus Sicht des vfa kann daher nur durch eine sinnhafte Versorgungsforschung einerseits und durch die Aktivitäten von Leistungserbringern, Ärzteschaft und pharmazeutischer Industrie andererseits eine rasche Anpassung bestehender Zulassungen an den fortschreitenden Erkenntnisstand erreicht werden.

Daher sollten die Versorgungsforschung in diesem Therapiebereich in Deutschland gestärkt und von Ärzten initiierte klinische Studien (neben industrieveranlassten Studien) mit öffentlichen Mitteln gefördert werden.

Seite 3/9

Rechtlicher Rahmen zum Off-Label-Use

Eine gesetzliche Grundlage für den Off-Label-Use existiert weder im Arzneimittelgesetz (AMG) noch im Sozialgesetzbuch (SGB V). Das AMG stellt mit der Zulassung die Qualität, Wirksamkeit und Unbedenklichkeit eines Arzneimittels sicher.

Das SGB V legt fest, dass die Versorgung mit Arzneimitteln notwendig, ausreichend, zweckmäßig und wirtschaftlich zu sein hat. Gemäß § 2 SGB V haben die gesetzlich versicherten Patienten Anspruch darauf, nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse unter Berücksichtigung des medizinischen Fortschritts behandelt zu werden. Arzneimittel werden durch die Zulassung verkehrsfähig und, sofern sie nicht durch die Regelungen nach § 34 SGB V ausgeschlossen sind, auch erstattungsfähig.

Die GKV vertritt grundsätzlich den Standpunkt, dass die Arzneimittelzulassung eine Grundvoraussetzung für die Kostenübernahme eines Arzneimittels ist, knüpft also die Erstattung an die Zulassung. Das heißt, es werden fast ausnahmslos nur die Arzneimittel von der GKV erstattet, die entsprechend ihrer Zulassung verordnet werden. Aus Sicht des vfa dürfen jedoch Regelungsdefizite im Sozial- und Arzneimittelrecht nicht dazu führen, dass schwerkranken Patienten unverzichtbare und wirksame Therapien vorenthalten bleiben.

Regulatorische Aspekte des Off-Label-Use

Seit Mitte der 1990er Jahre werden die Anwendungsgebiete durch die nationalen und europäischen Zulassungsbehörden sehr viel enger gefasst als davor. Der Wortlaut zu Indikationen oder Dosierungen in der Fach- und Gebrauchsinformation bezieht sich nur noch explizit auf solche Patientengruppen und Gegebenheiten, die in Phase-III-Studien (ausnahmsweise auch in Phase-II-Studien) untersucht wurden. Die Phase-III-Protokolle mit ihren strikten Ein- und Ausschlusskriterien spiegeln die engen behördlichen Anforderungen wider; die klinische Realität geht oftmals weit darüber hinaus.

Der zeitliche und finanzielle Aufwand für die klinische Entwicklung von Indikationserweiterungen bereits zugelassener Präparate unterscheidet sich nicht wesentlich von demjenigen einer Erstzulassung, zumal auch die behördlichen Anforderungen an die Datenqualität gleich hoch sind. Mitunter liegt der Aufwand sogar darüber, wenn sich der Zulassungsinhaber entschieden hatte, zuerst eine „kleinere“ Indikation anzustreben, um das Arzneimittel so schnell wie möglich verfügbar zu machen. Dies wiegt umso schwe-

rer, da der Zulassungsinhaber für neue Indikationen lediglich ein zusätzliches Jahr an Unterlagenschutz erhält. Dies gilt aber nur für neue, signifikante Indikationen, die innerhalb von acht Jahren nach der Erstzulassung eines Arzneimittels genehmigt werden.

Seite 4/9

Der prozedurale Aufwand für die Zulassung neuer Indikationen hält sich dagegen in Grenzen. Danach können in europäischen Verfahren alle neuen Indikationen eines bereits zugelassenen Arzneimittels als Typ-II-Änderung beantragt werden; dabei sind von der Behörde feste Fristen einzuhalten (90 Tage bis zum Bewertungsbericht).

Für rein nationale Zulassungen können Indikationserweiterungen gemäß § 29 Abs. 2a Nr. 1 AMG per genehmigungspflichtiger Änderungsanzeige erwirkt werden, wenn die neue Indikation dem gleichen Therapiegebiet zuzuordnen ist. Bei einer Erweiterung des Anwendungsgebietes hingegen ist ein Neuzulassungsverfahren notwendig. Da solche nationalen Erweiterungsverfahren in der Bearbeitung eine geringere Priorität als europäische Verfahren einnehmen, werden hier in der Regel die gesetzlich vorgeschriebenen Bearbeitungsfristen von max. 7 Monaten nicht eingehalten und dauern unter Umständen zwei oder mehr Jahre.

Regulatorische Instrumente zur Reduzierung des Off-Label-Use

Es existieren einige Instrumente bei der Zulassung, die mittel- bis langfristig zu einer Reduzierung des Off-Label-Use beitragen können. So gibt es für die Entwicklung von Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten seit Anfang 2000 Anreize im Rahmen der EG-Verordnung zu Orphan Medicinal Products (Ermäßigung von Zulassungsgebühren, 10-jährige bzw. bei Kinderzulassungen 12-jährige Marktexklusivität, kostenlose Beratung beim Prüfprotokoll). Dies ist insbesondere für eine Reihe von seltenen Krebserkrankungen und Stoffwechselstörungen relevant. Bis Dezember 2011 haben rund 860 in Entwicklung befindliche Arzneimittel den „Orphan“-Status erhalten, und 62 Medikamente sind in der EU als Orphan Drugs zugelassen. Hinzu kommen eine Reihe weiterer Medikamente, für die der ursprüngliche Orphan-Status zurückgegeben wurde oder 10 Jahre nach der Zulassung abgelaufen ist.

Die Anfang 2007 in Kraft getretene EG-Verordnung zu Kinderarzneimitteln verpflichtet die Firmen, bei der Neuentwicklung von Medikamenten wo immer sinnvoll Kinderstudien durchzuführen. Als Ausgleich ist hierfür eine 6-monatige Verlängerung des Patentschutzes vorgesehen; bei der freiwilligen Entwicklung eines bereits bekannten Arzneimittels für Kinder erhält der Hersteller einen 10-jährigen Unterlagenschutz für die Studiendaten.

Weiterhin ist hier die 2005 eingeführte Möglichkeit einer frühzeitigen, aber mit Auflagen zur Nachlieferung bestimmter Daten verbundenen Zulassung („conditional approval“) zu nennen.

Seite 5/9

Damit haben sich die Möglichkeiten für forschende Pharma-Unternehmen verbessert, neue Indikationen bzw. Indikationserweiterungen zuzulassen, wodurch der Off-Label-Use reduziert werden kann.

Expertengruppe führt Wertungen zu Einzelwirkstoffen durch

Die erstmals im April 2003 beim BfArM eingerichtete Expertengruppe „Off-Label“ hatte zur Aufgabe, für ausgewählte Krebstherapeutika Feststellungen zum Stand der wissenschaftlichen Erkenntnis über die Anwendung von zugelassenen Arzneimitteln in nicht zugelassenen Anwendungsgebieten auf der Grundlage vorhandener (klinischer) Studien zu treffen. Diese Feststellungen werden gemäß GKV-Modernisierungsgesetz (GMG) seit 01.01.2004 nach einem entsprechenden Beschluss des G-BA Teil der Arzneimittel-Richtlinie und damit Teil des Leistungskataloges der GKV. Damit erhalten die getroffenen Feststellungen rechtsverbindlichen Charakter.

In ihrem Methodenpapier kommt die Expertengruppe zu der Überzeugung, dass es ein „Grundverständnis ... ist, dass es Krankheitsbilder gibt, bei denen ein die Zulassungsgrenzen überschreitender Einsatz eines Medikamentes aufgrund des allgemein anerkannten Standes der medizinischen Erkenntnisse und unter Berücksichtigung des medizinischen Fortschritts medizinisch notwendig und therapeutisch zweckmäßig sein kann. Ziel ist, den Patienten entsprechende Therapien nicht vorzuenthalten.“ Der Bereich Onkologie wurde vom damaligen Bundesministerium für Gesundheit und Soziale Sicherung (BMGS) als erstes Bewertungsgebiet ausgewählt, weil hier die Verwaltungspraxis des öfteren nicht mit dem Zulassungsstatus korrespondiert.

Mit Erlass vom 31. August 2005 hat das BMG die Errichtung von Expertengruppen zur Onkologie, Infektiologie mit Schwerpunkt AIDS/HIV und Neurologie/Psychiatrie verfügt, die die wissenschaftliche Bewertung des Off-Label-Use von Arzneimitteln vornehmen sollen. Am 1. Januar 2011 wurde zudem eine Expertengruppe für den Fachbereich Ophthalmologie eingerichtet. Seit Ende Dezember 2005 hat der G-BA die Bewertung des Off-Label-Use von einer Reihe von Wirkstoffen in Auftrag gegeben. Die daraufhin von den Expertengruppen erarbeiteten Empfehlungen werden vom G-BA in einem Abschnitt K der Arzneimittel-Richtlinie und Anlage VI umgesetzt, wobei je nach Prüfergebnis die Zuordnung in Teil A (verordnungsfähig) oder Teil B (nicht verordnungsfähig) erfolgt. Bisher wurden sechs Einträge in Teil A und neun Einträge in Teil B vorgenommen. Bei Aufnahme in Teil A der Richtlinie muss der pharmazeutische Unternehmer dieser Off-Label-Anwendung für sein be-

troffenes Arzneimittel zugestimmt haben, damit eine Verordnungsfähigkeit seines Präparats besteht.

Seite 6/9

Erstes Urteil des Bundessozialgerichtes setzt enge Grenzen für die Erstattungspflicht beim Off-Label-Use

Mit dem Problem des Off-Label-Gebrauchs hat sich auch das Bundessozialgericht (BSG) befasst. Dieses hat am 19.03.2002 entschieden, dass der grundsätzliche Ausschluss eines Off-Label-Use von Arzneimitteln aus der Erstattung der GKV letztlich nicht ausnahmslos gelten kann. Folgende Kernaussagen für eine Erstattungspflicht der Krankenkassen beim Off-Label-Use hat das Gericht formuliert:

- Es handelt sich um eine schwerwiegende Erkrankung,
- bei der keine andere Therapie verfügbar ist und
- auf Grund der Datenlage die begründete Aussicht besteht, dass mit dem betreffenden Präparat ein Behandlungserfolg zu erzielen ist. Dies bedeute, dass Forschungsergebnisse vorliegen müssen, die erwarten lassen, dass das Arzneimittel für die betreffende Indikation zugelassen werden kann. Hiervon könne ausgegangen werden, wenn
 - entweder die Erweiterung der Zulassung bereits beantragt sei und die Ergebnisse einer kontrollierten klinischen Prüfung der Phase III (gegenüber Standard oder Placebo) veröffentlicht seien und eine klinisch relevante Wirksamkeit respektive einen klinisch relevanten Nutzen bei vertretbaren Risiken belegen oder
 - außerhalb eines Zulassungsverfahrens gewonnene Erkenntnisse veröffentlicht seien, die über Qualität und Wirksamkeit des Arzneimittels in dem neuen Anwendungsgebiet zuverlässige, wissenschaftlich nachprüfbar Aussagen zulassen und auf Grund deren in einschlägigen Fachkreisen Konsens über einen voraussichtlichen Nutzen in dem vorgenannten Sinne besteht.

vfa-Position: Urteil des Bundessozialgerichtes verantwortungsvoll umsetzen

Das Urteil des BSG erkennt – allerdings in engen Grenzen – die Notwendigkeit an, bei schwerwiegenden Erkrankungen Arzneimittel außerhalb der Zulassung zu Lasten der GKV zu verordnen. Damit hat das oberste deutsche Sozialgericht festgestellt, dass in bestimmten Versorgungsbereichen und bei einzelnen Krankheitsbildern auf einen Off-Label-Gebrauch nicht verzichtet werden kann, wenn dem Patienten eine dem Stand der medizinischen Erkenntnisse entsprechende Behandlung nicht vorenthalten werden soll. Trotz dieses Urteils besteht aber in der Praxis im konkreten Um-

gang mit zulassungsüberschreitender Arzneimittelverordnung ein erheblicher Klärungsbedarf.

Seite 7/9

Der vfa spricht sich dafür aus, dass die im Urteil des BSG genannten drei kumulativ geltenden Kriterien verantwortungsvoll angewendet werden.

Neuere Entscheidungen zum Off-Label-Use

Das Bundesverfassungsgericht (BVerfG) hat im so genannten Nikolaus-Beschluss vom 06.12.2005 festgestellt, dass die Weigerung der GKV, für die Kosten einer neuen medizinischen Behandlungsmethode aufzukommen, gegen das Grundgesetz verstößt, wenn eine lebensbedrohliche Erkrankung vorliegt, für die eine anerkannte Behandlung nicht zur Verfügung steht. Eine enge Auslegung der Leistungspflicht der GKV bei krankheitsbedingter Lebensgefahr sei nicht mit der Schutzpflicht des Staates für das Leben zu vereinbaren. In diesem Fall sei von den Sozialgerichten zu prüfen, ob es für die vom Arzt nach gewissenhafter fachlicher Einschätzung vorgenommene/beabsichtigte Behandlung ernsthafte Hinweise auf einen nicht ganz entfernt liegenden Heilungserfolg oder auch nur auf eine spürbare positive Einwirkung auf den Krankheitsverlauf im konkreten Einzelfall gibt.

Das Hessische Landessozialgericht (LSG) nimmt in einer Entscheidung vom 15.01.2009 darauf Bezug und führt aus, dass die GKV in einer notstandsähnlichen Situation auch die Versorgung mit einem nicht zugelassenen Arzneimittel gewähren muss.

Mit Urteil vom 13.10.2010 hat das BSG seine Rechtsprechung zum Off-Label-Use weiter konkretisiert. So greift die oben aufgeführte Rechtsprechung des BVerfG nur für die Behandlung der lebensbedrohlichen Krankheit selbst, nicht jedoch für die Behandlung von Folgekrankheiten.

Mit dem Anfang 2012 in Kraft getretenen GKV-Versorgungsgesetz wird der Geltungsumfang des o.g. Nikolaus-Beschlusses des BVerfG für das Leistungsrecht der GKV insgesamt klargestellt. So heißt es im neuen § 2 Abs. 1a SGB V: „Versicherte mit einer lebensbedrohlichen oder in der Regel tödlichen Erkrankung oder mit einer zumindest wertungsmäßig vergleichbaren Erkrankung, für die eine allgemein anerkannte, dem medizinischen Standard entsprechende Leistung nicht zur Verfügung steht, können auch eine von Absatz 1 Satz 3 abweichende Leistung beanspruchen, wenn eine nicht ganz entfernt liegende Aussicht auf Heilung oder auf eine spürbare positive Einwirkung auf den Krankheitsverlauf besteht.“

Haftung des pharmazeutischen Unternehmers beim Off-Label-Use

Im Rahmen des „bestimmungsgemäßen Gebrauchs“ bekennen sich die pharmazeutischen Unternehmer auch zur arzneimittelrechtli-

chen Haftung (§§ 84 ff. AMG) beim Off-Label-Use. Die Haftung des pharmazeutischen Unternehmers nach § 84 AMG für Schäden durch die Anwendung fehlerhafter Arzneimittel knüpft nicht (allein) an den Inhalt und Umfang der Zulassung, sondern an den „bestimmungsgemäßen Gebrauch“ des betreffenden Arzneimittels. Durch die Voraussetzung des bestimmungsgemäßen Gebrauchs grenzt das Gesetz die Risiko- und Verantwortungsbereiche des pharmazeutischen Unternehmers und des verschreibenden Arztes voneinander ab. Dies gilt auch für den Off-Label-Use. Welcher Gebrauch bestimmungsgemäß ist, richtet sich in erster Linie nach den vom pharmazeutischen Unternehmer angegebenen und von der Zulassungsbehörde akzeptierten Indikationen, Kontraindikationen und sonstigen Aussagen bei Kennzeichnung, in der Packungsbeilage und in der Fachinformation.

Wie bereits oben erläutert, ist der Stand des aktuellen medizinischen Wissens aber nicht auf den Wissensstand zum Zeitpunkt der Zulassung eines Arzneimittels fixiert, sondern vergrößert sich im Laufe der Anwendung des Arzneimittels unter Alltagsbedingungen stetig. Deshalb kann unter bestimmten Umständen aufgrund der Erkenntnisse der medizinischen Wissenschaft auch ein vom pharmazeutischen Hersteller bei der Zulassung nicht vorgesehener Gebrauch eines Arzneimittels medizinisch sachgerecht sein. Durch die wissenschaftlichen Erkenntnisse kann sich infolgedessen in engen Grenzen im Laufe der Zeit der bestimmungsgemäße Gebrauch eines Arzneimittels über den Bereich der Zulassung hinaus erweitern, wenn er in der ärztlichen Anwendung üblich ist und vom Hersteller vorausgesetzt bzw. – auch stillschweigend – gebilligt wird. Insofern können die beim BfArM eingerichteten Expertengruppen „Off-Label“ mit der Aufarbeitung und Feststellung der wissenschaftlichen Erkenntnisse zum Medikamenteneinsatz außerhalb der Zulassung einen wichtigen, allerdings keinesfalls exklusiven Beitrag zur Abgrenzung des bestimmungsgemäßen vom bestimmungswidrigen Gebrauch eines Arzneimittels leisten.

Soweit der pharmazeutische Unternehmer für die Schäden aus dem „bestimmungsgemäßen Gebrauch“ eines Arzneimittels nach § 84 AMG haftet, ist er auch zur Deckungsvorsorge nach § 94 AMG verpflichtet. Diese Deckungsvorsorge wird in der Praxis durch eine entsprechende Versicherungspolice erbracht. Wie oben erläutert wurde, hat sich sowohl die Haftpflicht als auch die Versicherungsdeckung im Umfang an dem „bestimmungsgemäßen Gebrauch“ des Arzneimittels zu messen, der nicht immer deckungsgleich mit der Zulassung ist.

Fazit

Die Off-Label-Verordnungen von Arzneimitteln sind bei einigen Indikationsgebieten und Patientengruppen integraler Bestandteil der Therapie. Dennoch teilt der vfa den Grundsatz, dass die Zulassung die Grundvoraussetzung für die Verordnung und Erstattung eines

Arzneimittels sein sollte. Dies sollte aber für alle Arzneimittel gelten, nicht nur für innovative Produkte. Im Interesse der Patienten kann es notwendig sein, zulassungsüberschreitend zu verordnen - insbesondere im Therapiegebiet der Onkologie und bei Kindern - um diese nach dem aktuellen Stand des medizinischen Wissens zu behandeln.

Seite 9/9

Um den Off-Label-Use zu kanalisieren, ist aus Sicht des vfa auch darauf hinzuwirken, dass:

- Regelungslücken im Sozial- und Arzneimittelrecht nicht dazu führen, schwerkranken Patienten unverzichtbare und wirksame Therapien vorzuenthalten,
- die Arbeit der Expertengruppen „Off-Label“ zügig und effizient erfolgt und
- die Versorgungsforschung gerade im Therapiebereich „Onkologie“ in Deutschland verstärkt wird.

Die EG-Verordnung zu Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten hat gezeigt, dass durch die Schaffung adäquater Rahmenbedingungen der Off-Label-Einsatz reduziert werden kann. Dies ist auch durch die EG-Verordnung zu Kinderarzneimitteln zu erwarten, die bis Ende 2011 zu über 500 mit der Zulassungsbehörde abgestimmten Kinderentwicklungsplänen (PIPs) geführt hat. Damit kann eine Reduzierung des Off-Label-Use bei schweren Erkrankungen in Deutschland gelingen.

Stand: 01.2012