

# Alte und neue Regelungen bei der Arzneimittelversorgung für Kinder und Jugendliche

Kindernetzwerk

19. November 2010, Berlin

- è Richtlinien des Gemeinsamen Bundesausschusses
- è gesetzliche Regelungen
- è off-label-use
- è klinische Prüfung und Krankenkassen
- è Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG)

# Richtlinien des G-BA (I)



- è G-BA ein Gremium der Selbstverwaltung (Ärzte, Krankenhäuser, Krankenkassen, Zahnärzte)
- è Aufgabe:
  - n Umsetzung des vom Gesetzgeber vorgegebenen Rahmens
  - n gelten für Ärzte, Krankenkassen, andere Leistungserbringer und Versicherte gleichermaßen
  - n Stellungnahmen betroffener Kreise einbezogen
- è Grundlage:
  - n SGB V – allgemein anerkannter Stand der medizinischen Erkenntnisse
- è Aufsicht:
  - n Bundesministerium für Gesundheit

## Richtlinien des G-BA (II)



### è Transparenz:

- n alle Beschlüsse und Beschlussbegründungen werden veröffentlicht ([www.g-ba.de](http://www.g-ba.de))

### è Arzneimittel-Richtlinie

### è Schutzimpfungs-Richtlinie

### è Methoden der Bewertung:

- n evidenzbasierte Medizin ist eine sachgerechte Grundlage für die Bewertung der Qualität der Behandlung im Sinne des Rechts der GKV\*
- n GKV-WSG erhebt die evidenzbasierte Medizin zum Bewertungsmaßstab

\* Engelmann, K. in MedR 5 (2006) 245

## Verordnungsausschlüsse durch Gesetz und zugelassene Ausnahmen

è nicht verschreibungspflichtige Arzneimittel so genannte

OTC-Arzneimittel ( § 34 Abs. 1 S. 2 SGB V)

Ä Ausnahmen:

- Kinder bis zum 12. LJ.
- Jugendliche mit Entwicklungsstörungen bis zum 18. LJ.

Ä weitere Ausnahmen in der Arzneimittel-Richtlinie konkretisiert für

- zugelassene Arzneimittel zur Behandlung einer
- schwerwiegenden Erkrankung und wenn diese einen
- Therapiestandard darstellen

è Anlage I der AM-RL - Übersicht

- ∅ Antrag durch pharmazeutischen Unternehmer; Antragsbearbeitung durch G-BA in 90 Tagen; gebührenpflichtig

# Bewertung zur Aufnahme von nicht verschreibungspflichtigen Arzneimitteln in die AM-RL



- è schwerwiegende Erkrankung
  - lebensbedrohlich oder auf Grund der Schwere der verursachten Gesundheitsstörung
  - Lebensqualität auf Dauer nachhaltig beeinträchtigt
  - durch Literatur belegen
- è Therapiestandard
  - therapeutischer Nutzen zur Behandlung der schwerwiegenden Erkrankung entspricht dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse
  - durch Studien belegen (insbesondere direkt vergleichende mit patientenrelevanten Endpunkten wie Mortalität, Morbidität, Lebensqualität)
- è durch Studien belegt

# off-label-use von Arzneimitteln (I)

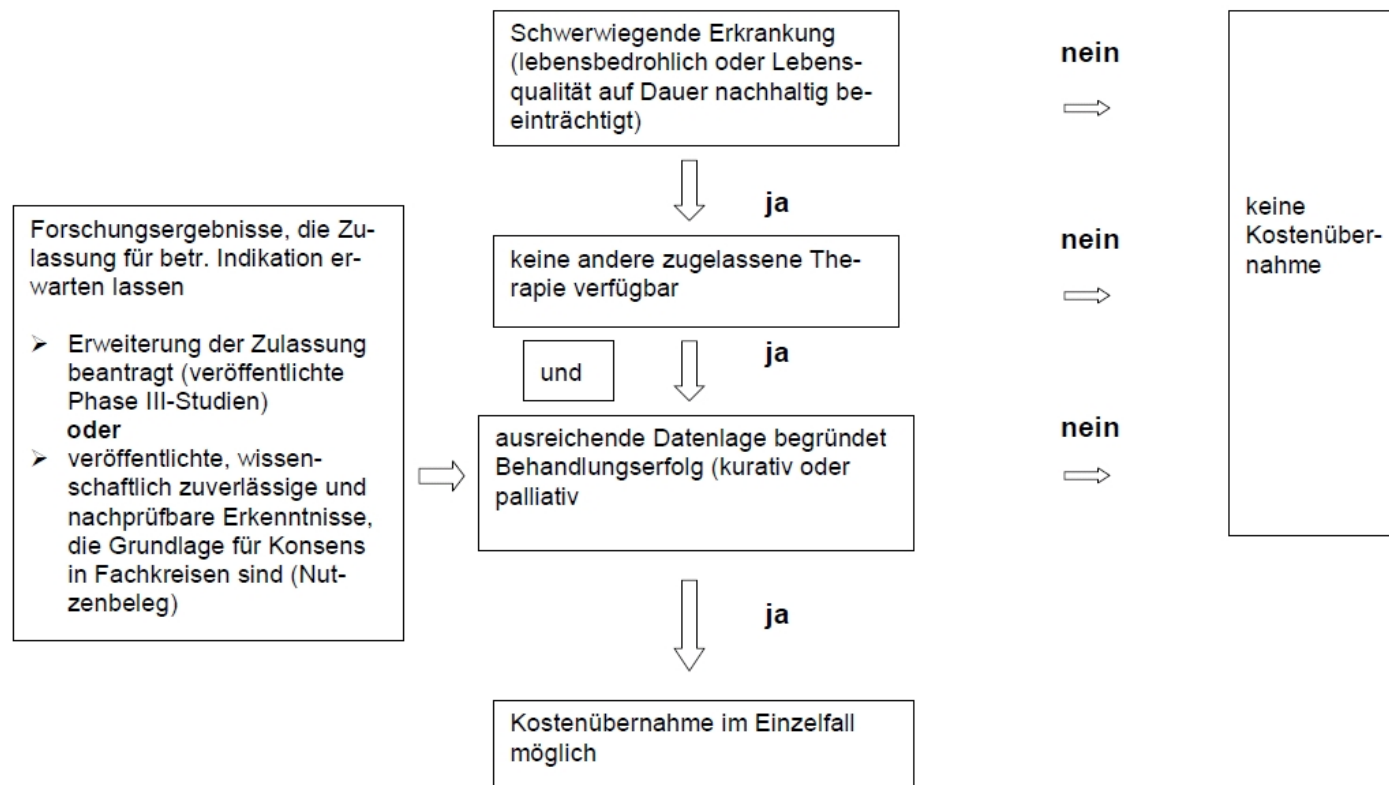


- è Arzneimittelgesetz regelt die Zulassung von Arzneimitteln
- è dient der Arzneimittelsicherheit und dem Schutz des Verbrauchers
- è langer Weg bis zu den heutigen Regelungen
  - ∅ Contergan-Katastrophe (1957 – 1961)
  - ∅ Register für Spezialitäten (1961)
  - ∅ einheitliche Zulassungsverfahren (1976)
    - Regelungen zur klinischen Prüfung
    - Probandenschutz und Haftung
  - ∅ heute weitgehend Europäische Regelungen seit 1965
    - garantieren gleichförmiges Handeln

# off-label-use von Arzneimitteln (II)

## è Rechtsprechung des BSG vom 19.03.2002

Arzneimittelverordnung außerhalb der zugelassenen Indikation  
Bedingung für eine Kostenübernahme durch die GKV





# Aktivitäten des BMG und Europaregelungen



16.04.2002

- § Erlass über die Einrichtung des Expertengremiums für Kinder und Jugendliche
  - ∅ von der (Fach-) Öffentlichkeit wenig bemerkt

31.08.2005

- § Erlass weiterer Expertengruppen (Onkologie, Infektologie, Neurologie)

01.01.2007

- § Verordnung zu Arzneimitteln für Kinder
  - ∅ für Neuzulassungen obligatorisch (Ausnahmen, Zurückstellungen)
  - ∅ für patentfreie zugelassene Arzneimittel (neues Arzneimittel nur für Kinder; 10 Jahre Unterlagenschutz)

è Bewertung zur Leistungspflicht von neuen Untersuchungs- und Behandlungsmethoden nach § 135 SGB V

1. lebensbedrohliche oder regelmäßig tödlich verlaufende Erkrankung  
und
2. eine allgemein anerkannte, dem medizinischen Standard entsprechende Therapie steht nicht zur Verfügung  
und
3. es besteht eine nicht ganz fern liegende Aussicht auf Heilung oder spürbare positive Einwirkungen auf den Krankheitsverlauf

gilt für Arzneimittel sinngemäß

# nachfolgende BSG-Rechtsprechung (I)



è BSG übernimmt Kriterien des BVerfG

aber für Arzneimittel muss die besondere Schutzwirkung des AMG berücksichtigt werden

Weitere Kriterien<sup>1</sup> müssen erfüllt sein:

4. es darf kein Vorstoß gegen das Arzneimittelrecht vorliegen
5. Abwägung der Chancen und Risiken des voraussichtlichen Nutzens individuell auf den Patienten nicht nur abstrakt
6. (fach-)ärztliche Behandlung muss den Regeln der ärztlichen Kunst entsprechen und ausreichend dokumentiert werden

<sup>1</sup> BSG-Urteil vom 4. April 2006 (B 1 KR 7/05 R) zu Tomudex®

## nachfolgende BSG-Rechtsprechung (II)



### è weitere Bedingungen und Voraussetzungen

- § Arzneimittelzulassung bleibt Voraussetzung für die Leistungspflicht in der GKV
- § Ausnahmen sind nur gerechtfertigt in notstandsähnlichen Situationen
- § Arzt verantwortet die Therapie
- § Patient muss aktiv zustimmen  
Aufklärung wie bei klinischer Prüfung

# Zulassungsüberschreitende Anwendung von Arzneimitteln in klinischen Studien (I)



- è zu Lasten der GKV bei schwerwiegender Erkrankung zulässig (§ 35c SGB V)
  - therapierelevante Verbesserung im Vergleich zu bestehenden Behandlungsmöglichkeiten erwartet
  - Mehrkosten im angemessenen Verhältnis zum therapeutischen Zusatznutzen
  - ambulant
  - keine Bereitstellung des Prüfpräparates durch pharmazeutischen Unternehmer
  - G-BA hat dem Antrag nicht widersprochen
- è keine Zulassungsstudien

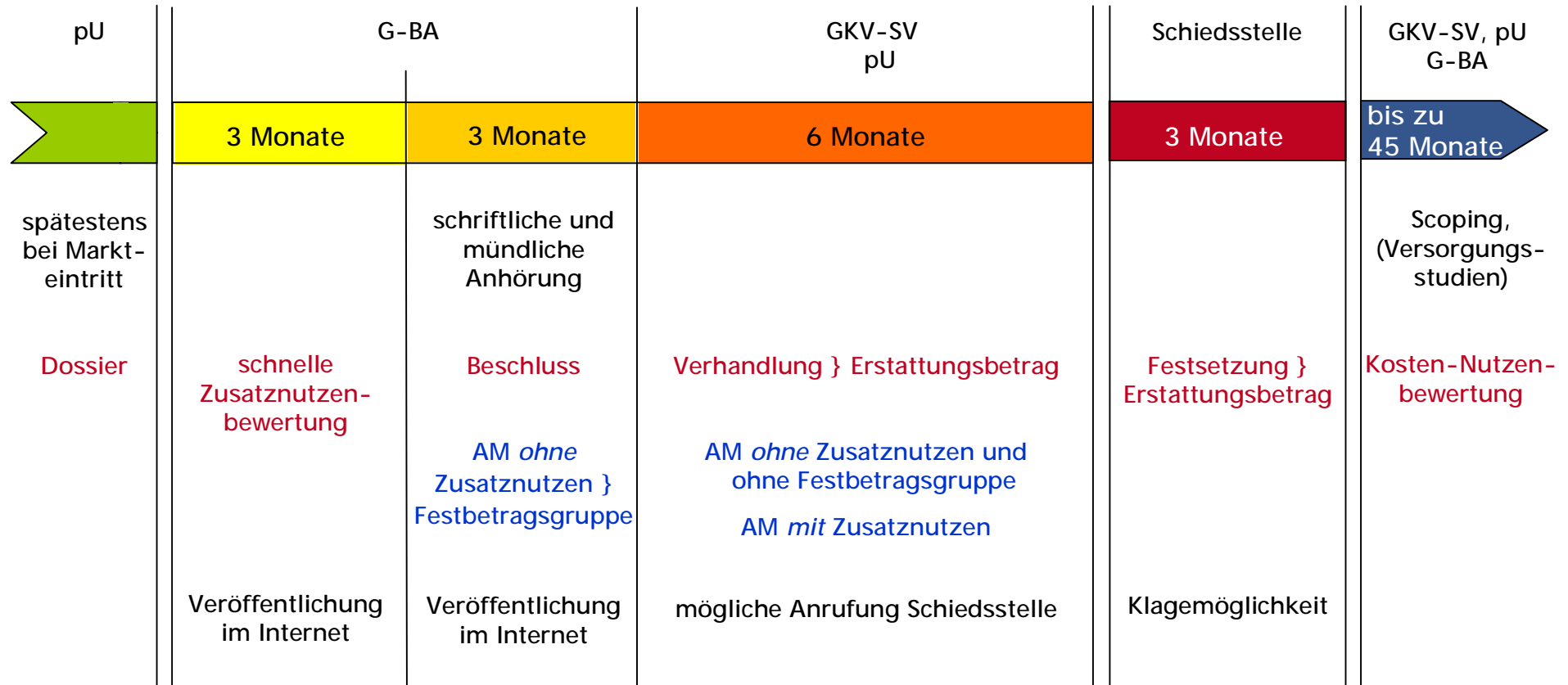
# Zulassungsüberschreitende Anwendung von Arzneimitteln in klinischen Studien (II)



## è therapeutische Verbesserung erwartet

- Beurteilung erfolgt insbesondere auf der Grundlage der zu untersuchenden konfirmatorischen Endpunkte
- klinische relevante Verbesserung im Hinblick auf Beeinflussung patientenrelevanter Endpunkte (Mortalität, Morbidität, Lebensqualität, geringere Nebenwirkungen)

# AMNOG: Aufgaben und Fristen für G-BA und GKV-SV



BT-Drs. 17/3698 vom 10.11.2010

Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit.