Schweizer Leberpatienten Verein
Association suisse des patients atteints de maladies du foie
Associazione svizzera dei pazienti epatologici
Swiss liver patients association

Swiss HePa – Stellungnahme zur Vernehmlassung

Änderung der Verordnung über die Krankenversicherung (KVV) und der Krankenpflege-Leistungsverordnung (KLV)

Umsetzung des Kostendämpfungspakets 2 im Arzneimittelbereich

1. Einleitung

Swiss HePa vertritt Patientinnen und Patienten mit seltenen, chronischen sowie onkologischen Lebererkrankungen und deren Folgeerkrankungen in der Schweiz. Dazu gehören unter anderem Patientinnen und Patienten mit:

- Alagille-Syndrom (ALGS)
- Alpha-1-Antitrypsin-Mangel (AATM)
- Autoimmunhepatitis
- Budd-Chiari-Syndrom (BCS)
- Caroli-Syndrom
- Gallengangsatresie / biliäre Atresie (BA)
- Hämochromatose
- Hepatischer Enzephalopathie (HE)
- Hepatitis A–E (HAV/HBV/HCV/HDV/HEV)
- Hepatozellulärem Karzinom (HCC)
- IgG4-assoziierter Cholangitis
- LAL-D
- Morbus Wilson
- Porphyrien
- Primär biliärer Cholangitis (PBC)
- Primär sklerosierender Cholangitis (PSC)
- Progressiver familiärer intrahepatischer Cholestase (PFIC)
- Sekundär sklerosierender Cholangitis (SSC)
- Leberzirrhose
- Tumorerkrankungen der Leber und Gallenwege (HCC/CCC)
- sowie Patientinnen und Patienten vor und nach Lebertransplantation (LTX).

Darüber hinaus engagiert sich Swiss HePa für Menschen mit alkoholassoziierten Lebererkrankungen, Fettlebererkrankungen, toxin- und arzneimittelbedingten Leberschäden sowie weiteren chronischen Lebererkrankungen.

Swiss HePa anerkennt ausdrücklich das Ziel einer langfristig tragbaren Finanzierung des Schweizer Gesundheitssystems sowie die Notwendigkeit einer sorgfältigen und evidenzbasierten Kostenkontrolle im Arzneimittelbereich. Gleichzeitig darf die Regulierung im Arzneimittelbereich nicht primär auf kurzfristige Kostenminimierung ausgerichtet sein, sondern muss den tatsächlichen patientenrelevanten Nutzen, die Versorgungssicherheit sowie die langfristigen gesundheitlichen, gesellschaftlichen und versorgungsrelevanten Auswirkungen berücksichtigen.

Die vorliegende Revision der KVV und KLV birgt aus Sicht von Swiss HePa erhebliche Risiken für Menschen mit chronischen, seltenen und onkologischen Lebererkrankungen. Besonders kritisch erscheinen die vorgesehenen Regelungen dort, wo sie den Zugang zu Therapien

Swiss HePa • Carina Bobzin • Keltenstrasse 10 • CH-8125 Zollikerberg • Hotline +41 43 542 21 20 • Mobil +41 79 852 77 11
info@swisshepa.org • www.swisshepa.org • www.lebertag.ch • ZKB IBAN CH 97 0070 0110 0072 6678 4 • BIC ZKBKCHZZ80A

verzögern, zusätzliche Unsicherheiten schaffen oder die Versorgungssicherheit kleiner und medizinisch besonders vulnerabler Patientengruppen beeinträchtigen könnten.

Gerade im Bereich der Lebererkrankungen bestehen häufig:

- nur wenige Therapieoptionen,
- kleine Patientenpopulationen,
- komplexe Krankheitsverläufe,
- hohe Anforderungen an interdisziplinäre Versorgung,
- sowie erhebliche Unterschiede im erwartbaren Evidenzniveau.

Dies betrifft insbesondere seltene cholestatische Erkrankungen, seltene Stoffwechselerkrankungen, Autoimmunerkrankungen, transplantationsassoziierte Therapien sowie innovative Therapien in der Hepatologie und Onkologie.

Vor diesem Hintergrund lehnt Swiss HePa die vorliegende Revision in ihrer aktuellen Form ausdrücklich ab. Aus Sicht von Swiss HePa bestehen in mehreren Bereichen substanzielle Risiken für Menschen mit seltenen, chronischen und onkologischen Lebererkrankungen.

Da im weiteren regulatorischen Verfahren erfahrungsgemäss insbesondere ausdrücklich abgelehnte Bestimmungen vertieft geprüft, politisch priorisiert und überarbeitet werden, erachtet Swiss HePa eine konsequente Ablehnung kritischer Regelungen als notwendig.

Eine tiefgreifende Überarbeitung der Vorlage erscheint aus Sicht von Swiss HePa erforderlich, um sicherzustellen, dass Versorgungssicherheit, Therapiezugang und die praktische Umsetzbarkeit für Menschen mit Lebererkrankungen angemessen berücksichtigt werden.

2. Grundsätzliche Anmerkungen

2.1 Seltene und chronische Lebererkrankungen benötigen spezifische regulatorische Berücksichtigung

Viele Lebererkrankungen sind selten, chronisch fortschreitend oder lebensbedrohlich. Die Evidenzbasis unterscheidet sich häufig wesentlich von grossen Volkskrankheiten.

Randomisierte Studien oder Head-to-Head-Vergleiche sind bei seltenen Lebererkrankungen oftmals aus ethischen, praktischen oder epidemiologischen Gründen nicht realistisch umsetzbar.

Deshalb müssen stärker berücksichtigt werden:

- Registerdaten,
- Real-World-Evidence,
- Expertenkonsensus,
- adaptive Evidenzmodelle,
- patientenrelevante Endpunkte,
- sowie die Einbindung der Patientenstimme in den regulatorischen und gesundheitsökonomischen Entscheidungsprozess.

Preis- und Vergütungsdiskussionen dürfen nicht zulasten des tatsächlichen Zugangs zu notwendigen Therapien für Menschen mit schweren oder seltenen Erkrankungen geführt werden.

Swiss HePa • Carina Bobzin • Keltenstrasse 10 • CH-8125 Zollikerberg • Hotline +41 43 542 21 20 • Mobil +41 79 852 77 11
info@swisshepa.org • www.swisshepa.org • www.lebertag.ch • ZKB IBAN CH 97 0070 0110 0072 6678 4 • BIC ZKBKCHZZ80A

Übermässige Evidenzanforderungen können bei seltenen Lebererkrankungen in der Praxis zu Verzögerungen oder faktischen Einschränkungen des Therapiezugangs führen.

2.2 Bedeutung der Versorgungssicherheit

Menschen mit chronischen oder seltenen Lebererkrankungen sind oftmals langfristig auf kontinuierlich verfügbare Therapien angewiesen.

Nicht ausreichend rare-disease-adaptierte Preisbildungsmechanismen können langfristig die Versorgungssicherheit und Verfügbarkeit von Therapien für kleine Patientengruppen beeinträchtigen.

Die Besonderheiten kleiner Patientenpopulationen dürfen nicht zu einer strukturellen Benachteiligung im Zugang zu Innovation und Versorgung führen.

Dies betrifft insbesondere:

- Orphan Drugs,
- individualisierte Therapien,
- transplantationsassoziierte Therapien,
- innovative Medikamente in der Hepatologie,
- sowie Therapien bei seltenen cholestatischen oder metabolischen Erkrankungen.

Die Versorgungssicherheit muss deshalb als eigenständiger patientenrelevanter Faktor regulatorisch berücksichtigt werden.

Gerade bei fortschreitenden Lebererkrankungen können Verzögerungen im Therapiezugang irreversible gesundheitliche Folgen bis hin zu Leberversagen, Transplantationsnotwendigkeit oder Tumorprogression verursachen.

2.3 Patientenperspektive und krankheitsspezifische Expertise

Swiss HePa erachtet es als zentral, dass bei regulatorischen und gesundheitsökonomischen Bewertungen nicht primär kurzfristige Kostenminimierung, sondern der tatsächliche patientenrelevante Nutzen stärker berücksichtigt wird.

Gerade bei chronischen, seltenen und onkologischen Lebererkrankungen können Therapien:

- Krankheitsprogression verlangsamen,
- Transplantationen hinauszögern oder verhindern,
- Hospitalisationen reduzieren,
- Lebensqualität verbessern,
- Arbeitsfähigkeit erhalten,
- sowie Überleben und Langzeitprognose wesentlich beeinflussen.

Diese Aspekte müssen bei Nutzenbewertungen, Wirtschaftlichkeitsbeurteilungen und regulatorischen Entscheiden angemessen berücksichtigt werden.

Eine primär kostengetriebene Betrachtung wird der medizinischen und versorgungsrelevanten Realität komplexer Lebererkrankungen aus Sicht von Swiss HePa nicht gerecht.

Swiss HePa • Carina Bobzin • Keltenstrasse 10 • CH-8125 Zollikerberg • Hotline +41 43 542 21 20 • Mobil +41 79 852 77 11
info@swisshepa.org • www.swisshepa.org • www.lebertag.ch • ZKB IBAN CH 97 0070 0110 0072 6678 4 • BIC ZKBKCHZZ80A

Swiss HePa erachtet die systematische Einbindung krankheitsspezifischer medizinischer Expertise sowie von Patientenvertretungen als zentral.

Gerade bei seltenen und komplexen Lebererkrankungen reichen generische Bewertungen häufig

nicht aus, um:

- Krankheitslast,
- Lebensqualität,
- Therapienutzen,
- praktische Umsetzbarkeit,
- sowie langfristige Versorgungsauswirkungen

angemessen beurteilen zu können.

Das BAG muss bei Arzneimitteln für seltene und komplexe Lebererkrankungen verpflichtend krankheitsspezifische medizinische Expertinnen und Experten sowie Patientenvertretungen beiziehen.

3. Kritische Punkte der Revision

Swiss HePa ist der Auffassung, dass die nachfolgenden Bestimmungen nicht lediglich angepasst, sondern in ihrer aktuellen Form ausdrücklich abgelehnt werden sollten, sofern sie:

- den Zugang zu Therapien verzögern,
- unverhältnismässige Evidenzanforderungen schaffen,
- kleine Patientenpopulationen strukturell benachteiligen,
- zusätzliche Unsicherheit verursachen,
- oder die Versorgungssicherheit gefährden.

Gerade im Bereich der Hepatologie bestehen häufig progressive Krankheitsverläufe, limitierte Therapieoptionen und hohe medizinische Vulnerabilität. Verzögerungen oder regulatorische Unsicherheiten können deshalb unmittelbare Auswirkungen auf Morbidität, Mortalität und Transplantationsnotwendigkeit haben.

Aus Sicht von Swiss HePa sollten kritische Bestimmungen deshalb im Konsultationsverfahren konsequent mit „Ablehnung“ bewertet werden, sofern keine ausreichenden rare-disease- und hepatologiespezifischen Schutzmechanismen vorgesehen sind.

3.1 Standardisierte Nutzenbewertung – Ablehnung in aktueller Form

Swiss HePa lehnt standardisierte Nutzenbewertungsmodelle ohne ausreichende rare-disease- und hepatologiespezifische Anpassungen ab.

Fehlende rare-disease-spezifische Bewertungsansätze bergen das Risiko einer strukturellen Benachteiligung von Patientinnen und Patienten ohne Therapiealternativen.

Gerade im Bereich seltener Lebererkrankungen können generische Bewertungsmodelle:

- den tatsächlichen klinischen Nutzen,

Swiss HePa • Carina Bobzin • Keltenstrasse 10 • CH-8125 Zollikerberg • Hotline +41 43 542 21 20 • Mobil +41 79 852 77 11
info@swisshepa.org • www.swisshepa.org • www.lebertag.ch • ZKB IBAN CH 97 0070 0110 0072 6678 4 • BIC ZKBKCHZZ80A

- krankheitsspezifische Symptome,
- transplantationsrelevante Aspekte,
- sowie die Lebensrealität der Betroffenen

unzureichend abbilden.

3.2 Datenauflagen und befristete Vergütungen – Ablehnung in aktueller Form

Zusätzliche Datenanforderungen können im Rare-Disease-Bereich erhebliche Unsicherheit für Betroffene und behandelnde Zentren verursachen.

Bei chronischen oder fortschreitenden Lebererkrankungen können Verzögerungen im Zugang zu Therapien irreversible gesundheitliche Folgen haben.

Dies gilt insbesondere bei:

- progressiven cholestatischen Erkrankungen,
- Leberzirrhose,
- transplantationsrelevanten Erkrankungen,
- seltenen Stoffwechselerkrankungen,
- sowie onkologischen Erkrankungen der Leber.

3.3 Preisbildungsmechanismen – Ablehnung in aktueller Form

Swiss HePa anerkennt die Notwendigkeit wirtschaftlicher und transparenter Preisbildungsmechanismen.

Gleichzeitig dürfen Preisbildungsinstrumente nicht dazu führen, dass kleine Patientenpopulationen oder seltene Erkrankungen strukturell benachteiligt werden.

Übermässiger Preisdruck bei kleinen Patientenpopulationen kann mittel- bis langfristig negative Auswirkungen auf die Verfügbarkeit und nachhaltige Bereitstellung von Therapien für seltene Lebererkrankungen haben.

3.4 Praktische Umsetzbarkeit im klinischen Alltag – Ablehnung in aktueller Form

Bei individualisierten oder pädiatrischen Therapien muss die praktische Umsetzbarkeit im klinischen Versorgungsalltag angemessen berücksichtigt werden.

Dies betrifft insbesondere:

- seltene pädiatrische Lebererkrankungen,
- komplexe Dosierungsschemata,
- individualisierte Therapien,
- transplantationsassoziierte Behandlungen,
- sowie Situationen mit kleinen Patientenzahlen.

Regulatorische Anforderungen dürfen nicht zu unverhältnismässigen administrativen Belastungen für behandelnde Zentren oder Patientinnen und Patienten führen.

Swiss HePa • Carina Bobzin • Keltenstrasse 10 • CH-8125 Zollikerberg • Hotline +41 43 542 21 20 • Mobil +41 79 852 77 11
info@swisshepa.org • www.swisshepa.org • www.lebertag.ch • ZKB IBAN CH 97 0070 0110 0072 6678 4 • BIC ZKBKCHZZ80A

4. Schlussfolgerung

Swiss HePa unterstützt grundsätzlich das Ziel einer langfristig tragbaren Finanzierung des Gesundheitssystems.

Die vorliegende Revision der KVV und KLV berücksichtigt jedoch aus Sicht von Swiss HePa die besondere Situation von Menschen mit seltenen, chronischen und onkologischen Lebererkrankungen nicht ausreichend.

Die vorgesehenen Regelungen bergen substanzielle Risiken für:

- Versorgungssicherheit,
- Therapiezugang,
- klinische Umsetzbarkeit,
- seltene Patientenpopulationen,
- sowie die langfristige Verfügbarkeit innovativer Therapien.

Swiss HePa lehnt die Vorlage deshalb sowohl in ihrer Gesamtbewertung als auch bei einzelnen kritischen Unterpunkten ausdrücklich ab.

Insbesondere dort, wo lediglich allgemeine Anpassungsmöglichkeiten vorgesehen sind, ohne verbindliche Schutzmechanismen für seltene, chronische und onkologische Lebererkrankungen festzulegen, besteht aus Sicht von Swiss HePa dringender regulatorischer Handlungsbedarf.

Swiss HePa fordert:

- eine stärkere Berücksichtigung des tatsächlichen patientenrelevanten Nutzens von Therapien,
- eine ausgewogene Nutzen-Risiko- und Wirtschaftlichkeitsbewertung statt primärer Kostenminimierung,
- rare-disease-spezifische regulatorische Leitplanken,
- stärkere Berücksichtigung der Patientenperspektive,
- verpflichtende krankheitsspezifische Expertise,
- flexible und verhältnismässige Evidenzanforderungen,
- sowie eine stärkere Berücksichtigung der Versorgungssicherheit.

Nur so kann sichergestellt werden, dass Menschen mit chronischen, seltenen und onkologischen Lebererkrankungen auch künftig einen rechtzeitigen, angemessenen und diskriminierungsfreien Zugang zu notwendigen Therapien erhalten.

Freundliche Grüsse

Schweizer Leberpatienten Verein Swiss HePa
Im Namen des Vorstands

Carina Bobzin
Gründerin und ehrenamtliche Präsidentin Swiss HePa und Schweizer Lebertag

Swiss HePa • Carina Bobzin • Keltenstrasse 10 • CH-8125 Zollikerberg • Hotline +41 43 542 21 20 • Mobil +41 79 852 77 11
info@swisshepa.org • www.swisshepa.org • www.lebertag.ch • ZKB IBAN CH 97 0070 0110 0072 6678 4 • BIC ZKBKCHZZ80A