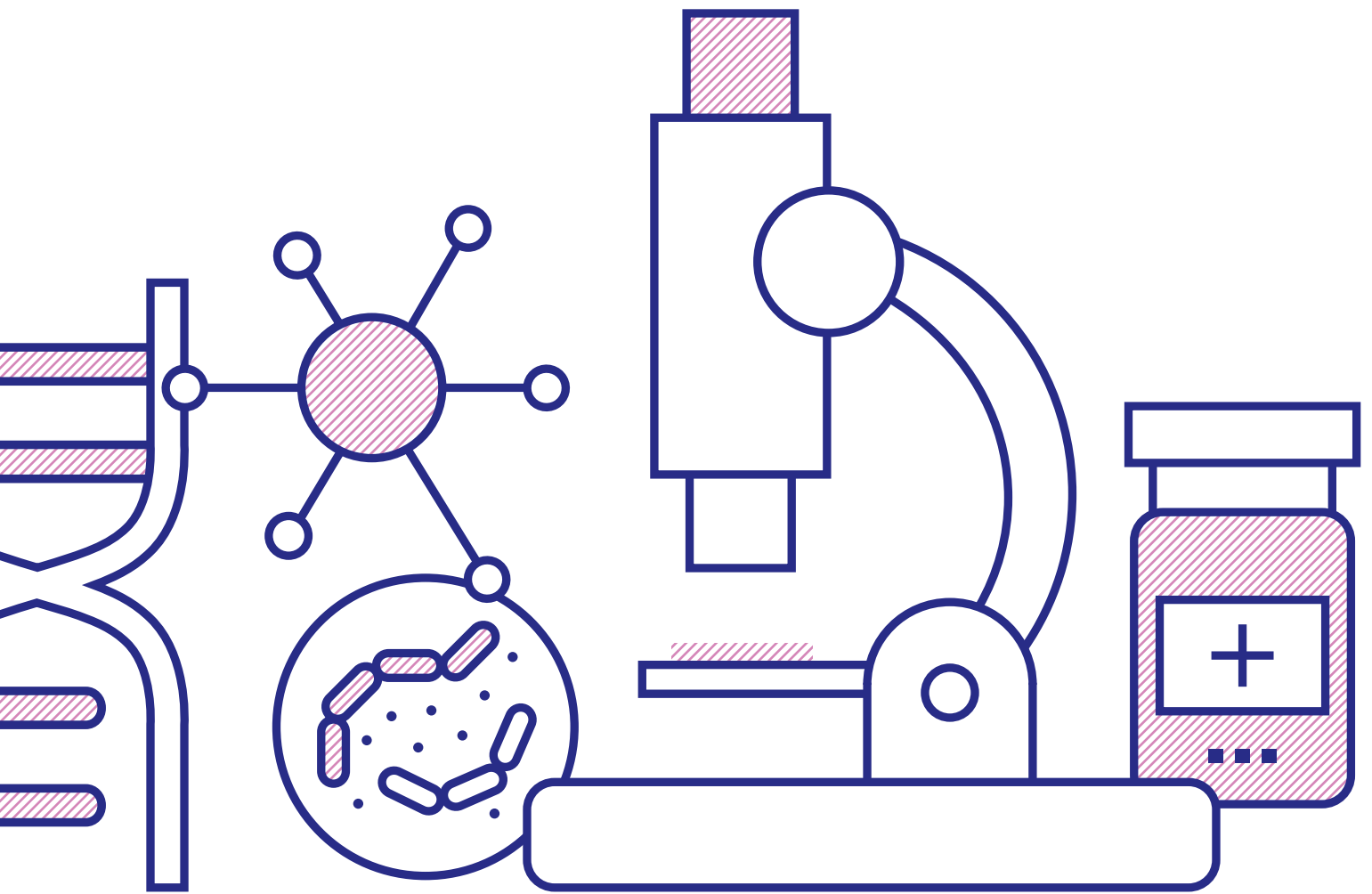




VEREINIGUNG PHARMAFIRMEN
IN DER SCHWEIZ



Seltene Krankheiten Fakten & Herausforderungen

Vorwort

Inhalt

- 3 Vorwort
- 4 Ein Thema, das alle etwas angeht
- 6 Ein gemeinsames Verständnis schaffen
- 8 Alle Betroffenen haben ein Recht auf eine Diagnose
- 10 Betroffene und Angehörige profitieren von einer besseren Koordination
- 12 Das grosse Leid bei den kleinen Patienten verringern
- 14 Herausforderungen meistern beim Übergang von der Kinder- zur Erwachsenenmedizin
- 16 Den Zugang zu Medikamenten beschleunigen
- 18 Medikamente schnell und einheitlich vergüten
- 20 Forschung, Entwicklung und Markteinführung neuer Medikamente fördern
- 22 Chance und Pflicht zum gemeinsamen Handeln

Die Schweiz verfügt über ein gut ausgebautes, allen zugängliches medizinisches Versorgungsangebot. Das gilt jedenfalls für die verbreiteten Volkskrankheiten. Schwieriger wird es im Bereich der Seltenen Krankheiten. Sechs bis acht Prozent der Bevölkerung erkranken im Verlauf ihres Lebens an einer Seltenen Krankheit. Da es pro Seltene Krankheit nur wenige Patienten gibt, fehlen oft wichtige Informationen und dadurch auch Diagnose- und Therapieverfahren. Ich kenne Geschichten von Patienten, welche bis zu zehn Jahre eine Diagnose-Odyssee über sich ergehen lassen mussten. Wenn dann nach einer Diagnose eine wirksame Therapie zur Verfügung steht, beginnt in der Regel der Kampf um eine Vergütung durch die Krankenversicherer. Es liegt in der Natur der Seltenen Krankheiten, dass sie – im Gegensatz zu Medikamenten gegen Volkskrankheiten – individuell sind und der therapeutische Nutzen daher im Einzelfall geprüft werden muss.

Vor bald zehn Jahren habe ich mit einem Postulat eine Nationale Strategie zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit Seltenen Krankheiten verlangt. Im Sommer 2011 schlossen sich verschiedene Akteure, u.a. Unispitäler, Patientenorganisationen sowie die Pharmaverbände zur «IG Seltene Krankheiten» zusammen. Das Ziel war und ist es, dass Patienten mit Seltenen Krankheiten in der ganzen Schweiz medizinisch gleich gut versorgt werden. Das bedeutet eine rechtzeitige Diagnose sowie einen rechtsgleichen Zugang zu wirksamen Therapien. Das wiederum setzt nationale Kompetenzzentren, Register sowie optimierte Prozesse

für einen schnellen Zugang zu innovativen Medikamenten voraus. Der bundesrätliche Massnahmenplan ist in der Umsetzung.

Eine entscheidende Rolle hat die Pharmaindustrie: Ich appelliere deshalb an ihr Bewusstsein, Verantwortung zu übernehmen. Zum einen, wenn es darum geht, im Bereich der Seltenen Krankheiten am Ball zu bleiben und weiter zu forschen und zum anderen die Finanzierbarkeit der Therapien, die auf den Markt kommen, zu gewährleisten.

Mit der vorliegenden Broschüre gibt die vips einen interessanten Einblick in die Situation der Menschen mit Seltenen Krankheiten.

Ich wünsche eine interessante Lektüre!

Ruth Humbel, Nationalrätin CVP
Präsidentin IG Seltene Krankheiten



Ein Thema, das alle etwas angeht

Menschen mit einer Seltenen Krankheit verdienen eine gute Versorgungs- und Behandlungsqualität. Die benötigten Therapien sollen einfach zugänglich sein und durch die Grundversicherung bezahlt werden. Wir möchten die Situation für Betroffene und ihr Umfeld in der Schweiz verbessern.

Patienten mit Seltenen Krankheiten müssen zahllose Schwierigkeiten und Hindernisse überwinden:

- Richtlinien, Gesetze und Prozesse, die Betroffene und Angehörige unterstützen, sind nicht ausreichend vorhanden.
- Es fehlen Strukturen wie nationale Referenzzentren und Register, welche den Austausch und die Forschung für Ärzte, Therapeuten und Spitäler erleichtern würden.
- Betroffene mit der gleichen Diagnose werden von Versicherern oft unterschiedlich behandelt.
- Leistungskataloge, beispielsweise der Invalidenversicherung und der obligatorischen Grundversicherung, sind nicht einheitlich.

Neue, verbindliche Grundlagen für alle Beteiligten sollen endlich ein koordiniertes Handeln ermöglichen und so die Patienten, Angehörigen und behandelnden Ärztinnen und Ärzte entlasten.

580'000

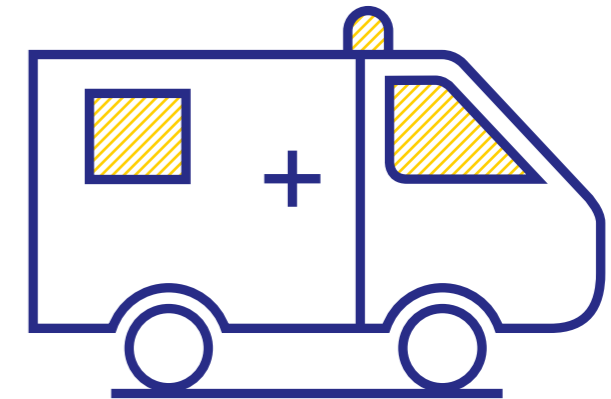
Menschen in der Schweiz sind von einer Seltenen Krankheit betroffen.

0,5%

beträgt der Anteil der Medikamente gegen Seltene Krankheiten an den Gesamtausgaben der obligatorischen Krankenpflegeversicherung.

19 CHF

pro Einwohner in der Schweiz werden jährlich für die medikamentöse Behandlung von Seltenen Krankheiten ausgegeben.



Ausgaben sind gerechtfertigt und akzeptiert

Jede Forschungsarbeit, jeder neue Diagnoseansatz und jede neue Heilmethode sind kleine Siege im Kampf gegen Seltene Krankheiten. Neue Medikamente retten Leben und heilen oder lindern das Leid vieler Menschen. Sie verbessern die Lebensqualität der Betroffenen und ihrer Nächsten.

Wenngleich der finanzielle Aufwand für die Entwicklung manchmal hoch erscheint, zahlt er sich letztendlich doch aus. Denn auch eine nicht heilbare Seltene Krankheit verursacht oft hohe Kosten: Teure Therapien, häufige Hospitalisierungen, unterschiedliche Behandlungsversuche und viele Rückschläge tragen ihren Teil dazu bei.

Eine aktuelle Umfrage unter Stimmberechtigten zeigt:

- 93 Prozent der Befragten denken, dass der medizinische Nutzen die finanziellen Aspekte übertrifft.
- 87 Prozent sind der Meinung, dass Menschen auch dann behandelt werden sollten, wenn die Krankheit nicht geheilt, sondern «nur» die Lebensqualität verbessert werden kann.
- Die Mehrheit der Bevölkerung findet, dass Krankenversicherungen gerade auch für Krankheiten geschaffen wurden, die eine hohe finanzielle Belastung bedeuten. Entsprechend ist für zwei Drittel der Befragten die Kostenfrage aufgrund des kleinen Anteils an den Gesamtkosten fehl am Platz.

Ein gemeinsames Verständnis schaffen

Eine Erkrankung gilt als «selten», wenn weniger als fünf von 10'000 Menschen davon betroffen sind und wenn die Krankheit lebensbedrohlich ist oder zu chronischer Invalidität führt.

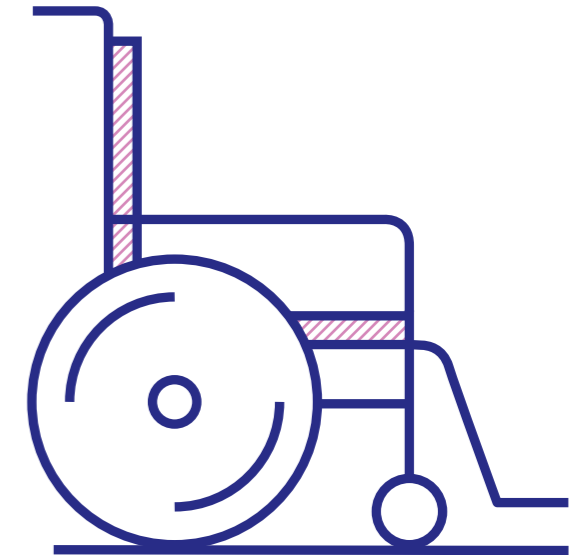
Meist leiden weltweit nur einige hundert Menschen an ein und derselben Seltenen Krankheit. Dennoch kommen diese in der Summe häufig vor. Mit 350 Millionen Betroffenen weltweit leiden mehr Menschen an einer Seltenen Krankheit als an einer Form von Krebs oder AIDS.

Das macht eine Seltene Krankheit aus:

- Von etwa 7'000 bekannten Seltenen Krankheiten sind rund 80 Prozent genetischer Natur.
- Zu den übrigen 20 Prozent zählen extrem seltene Infektionskrankheiten, Autoimmunkrankheiten, seltene Krebsformen und umweltbedingte Erkrankungen.
- Rund 50 Prozent aller Seltenen Krankheiten werden bereits im Kindesalter diagnostiziert. 30 Prozent dieser Kinder versterben, ehe sie das fünfte Lebensjahr erreichen.

Aufgrund ihrer Schwere reduzieren Seltene Krankheiten häufig nicht nur die Lebensdauer, sondern auch die Lebensqualität der Betroffenen. Sie stellen alle Beteiligten – die Erkrankten, die Angehörigen, das soziale Umfeld, Ärzte, Forscher, Krankenversicherer und Gesundheitsbehörden – vor enorme Herausforderungen: menschlich, persönlich, gesellschaftlich und finanziell.

Eine einheitliche Definition und ein gesellschaftlich akzeptiertes Verständnis für Seltene Krankheiten und deren Folgen sind die Voraussetzung für die bestmögliche Hilfestellung für die Betroffenen und deren Umfeld.

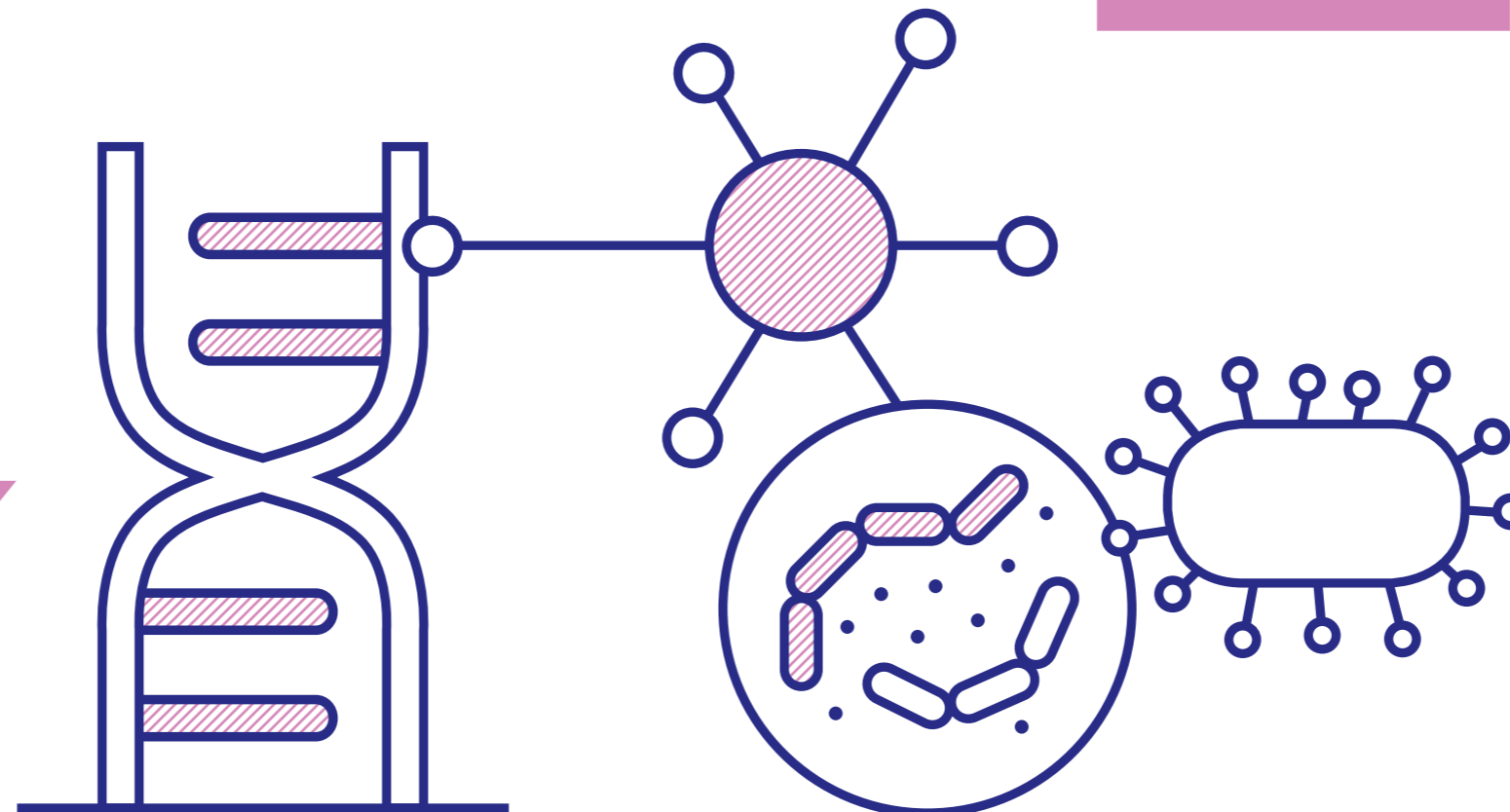


50%

aller Seltenen Krankheiten werden bereits im Kindesalter diagnostiziert.

80%

der Fälle von Seltenen Krankheiten sind genetischer Natur.



6'000 bis 8'000

verschiedene Seltene Krankheiten sind weltweit bekannt.

Alle Betroffenen haben ein Recht auf eine Diagnose

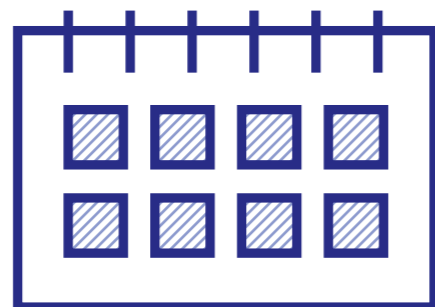
Eine fehlende Diagnose bedeutet Perspektiv- und Hoffnungslosigkeit: Einige Betroffene leben viele Jahre mit einer nicht diagnostizierten Seltene Erkrankung. Symptomatische Behandlungsversuche verschaffen nur kurzzeitig Erleichterung, Rückfälle und Nebenwirkungen sind häufig.

Mit einer nicht diagnostizierten Erkrankung zu leben, bringt extreme Herausforderungen mit sich. Betroffene und Familien erfahren viel Schmerz und Stress. Unzählige Überweisungen und Untersuchungen und ständig wechselnde Ansprechpartner verstärken das Gefühl von Isolation und Ausgrenzung. Fehlende Therapieansätze, mangelnde Kenntnisse über den Krankheitsverlauf und ungenügende medizinische oder pflegerische Massnahmen steigern die Verunsicherung und Hilflosigkeit.

Bei vererbten Erkrankungen sind in vielen Familien gleich mehrere Geschwister betroffen. Für diese Familien ist die Belastung noch grösser und die fehlende Diagnose bringt Ungewissheit für die weitere Familienplanung.

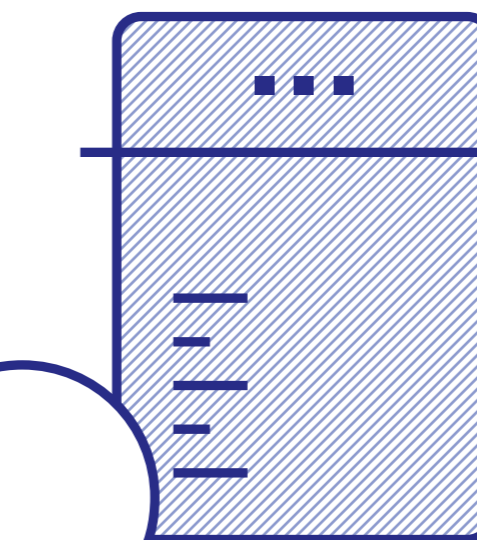
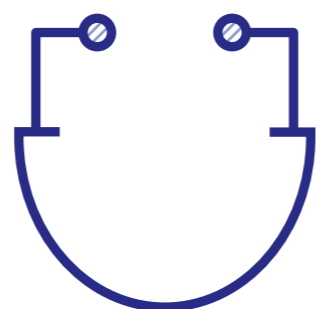
5 Jahre

dauert es durchschnittlich bis eine Seltene Krankheit diagnostiziert ist.



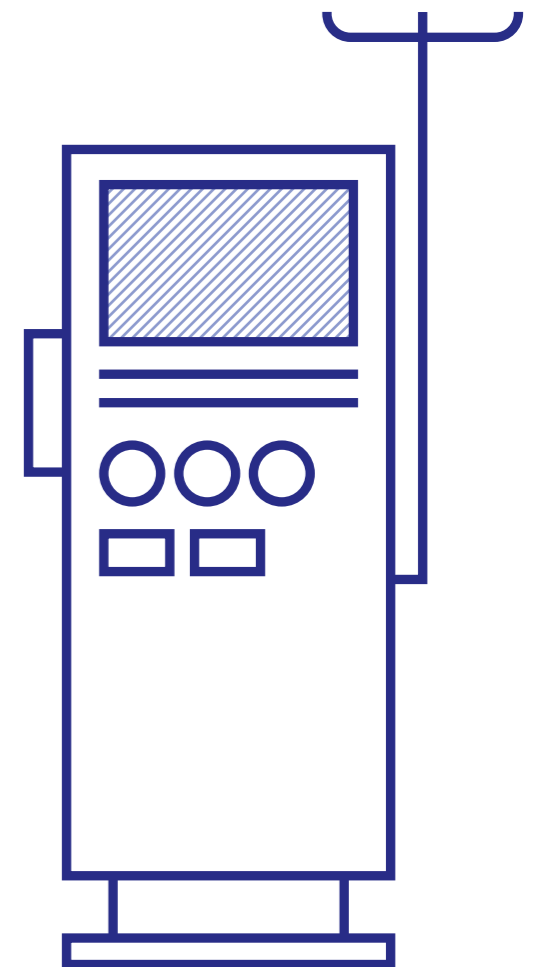
7 Ärzte

werden durchschnittlich aufgesucht bis zur richtigen Diagnose.



40%

der Betroffenen erhalten mindestens eine Fehldiagnose.



Im Durchschnitt dauert der Weg bis zur Diagnose fünf Jahre

Bis zur Diagnose durchlaufen Betroffene und ihre Angehörigen meist eine langjährige Odyssee von Arzt- und Spitalbesuchen. Doch erst die Gewissheit schafft die Voraussetzung, um gezielt Massnahmen zu ergreifen: Menschen mit einer Diagnose können sich in Selbsthilfegruppen vernetzen, an Forschungsprojekten teilnehmen und durch das Teilen der eigenen Erfahrungen zur Lösungsfindung beitragen.

Die korrekte Diagnose bedeutet Hoffnung für die Betroffenen und erhöht die Chance auf ein besseres Leben: Sie ermöglicht den Zugang zu Forschung, Behandlung und Therapien und – selbst wenn es keine Behandlung geben sollte – einen Austausch mit anderen Betroffenen. Eine Verbesserung, die die Zukunftsplanung massgeblich erleichtert.

Betroffene und Angehörige profitieren von einer besseren Koordination

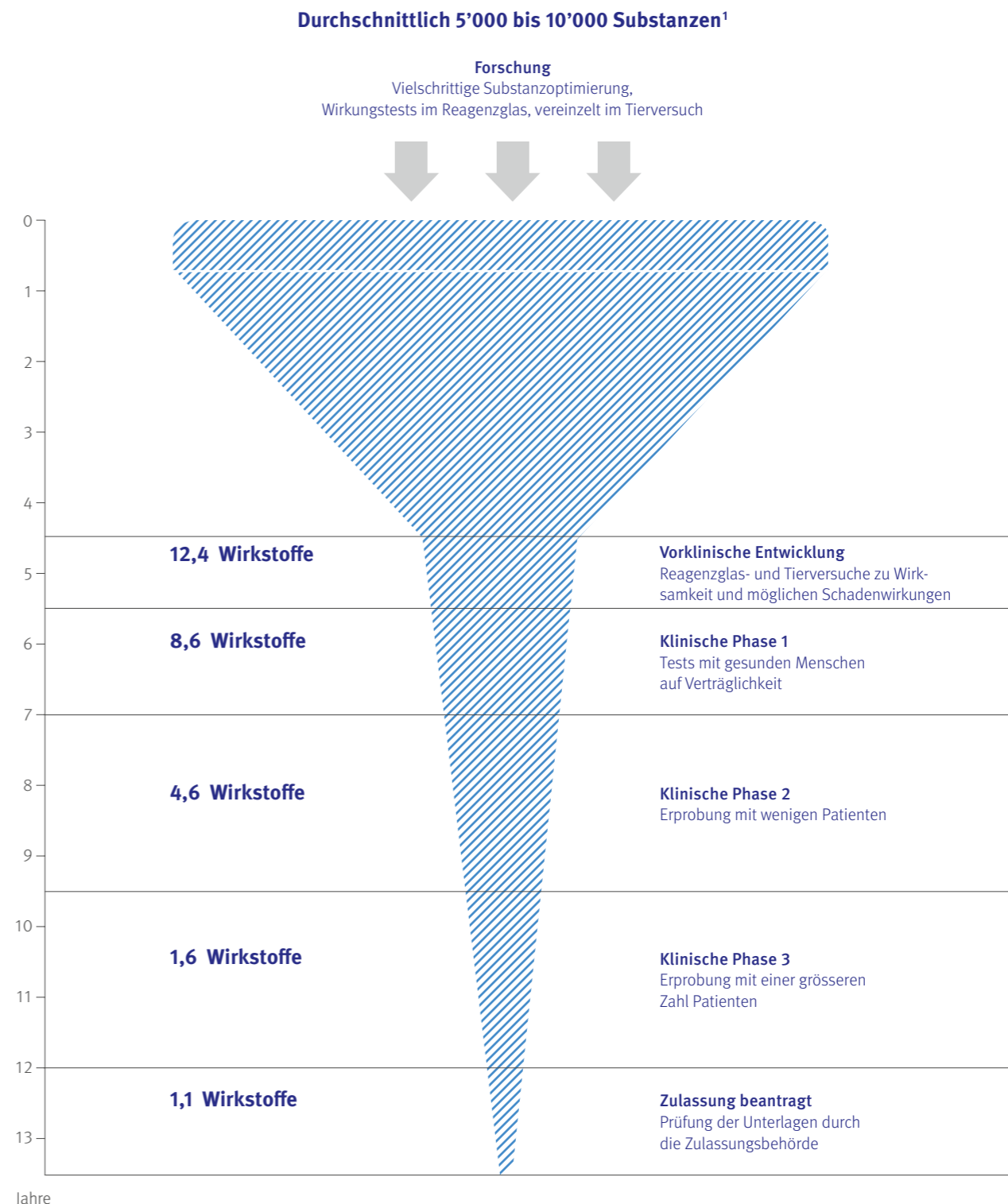
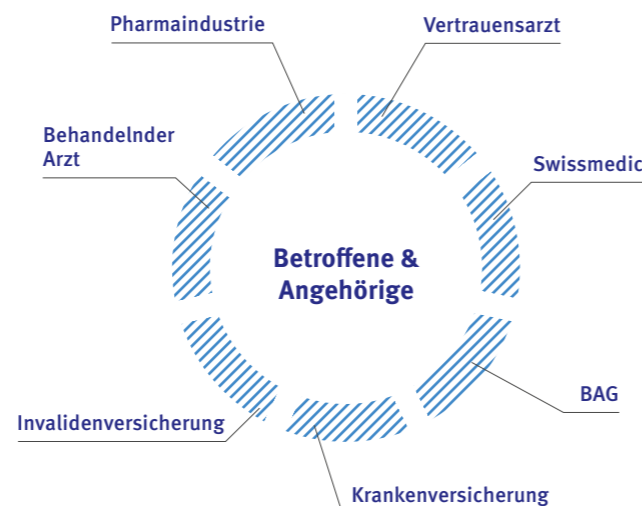
Viele Betroffene organisieren sich in der Schweiz oder international in Selbsthilfegruppen und privaten Patientenvereinigungen. Diese Zusammenschlüsse bieten eine gewisse Unterstützung, können aber eine zentrale Koordination für die komplexen und teils nur national relevanten Fragen vor allem bei Behandlung und Vergütung nicht ersetzen.

Für Menschen mit einer Seltene Krankheit und ihre Angehörigen kann der Kampf für ihre Rechte besonders lange und aufreibend sein. Viele administrative Umtriebe mit Krankenkassen und Behörden sind sowohl finanziell als auch mental stark belastend.

In der Schweiz fehlen geeignete Regeln, damit Medikamente gegen Seltene Krankheiten möglichst früh angewendet werden dürfen und die anfallenden Kosten von der Grundversicherung bezahlt werden. Es mangelt darüber hinaus an einem Wegleitungssystem und einer unabhängigen Koordinationsstelle, die Patienten und deren Angehörige durch den administrativen und rechtlichen Dschungel führen.

Der Kampf gegen eine Seltene Krankheit ist schwer genug. Je stärker die Betroffenen und Angehörigen bei Therapie- und Kostenabklärungen entlastet werden können, desto besser. Ein funktionierendes System schafft ausserdem mehr Sicherheit und Transparenz.

Zusammenspiel der verschiedenen Akteure



**Nur wenige Substanzen erreichen das Ziel:
1 Wirkstoff zugelassen nach im Schnitt 13 Jahren**

¹ die während der Forschungsphase neu synthetisiert werden, Schätzung des vfa

Das grosse Leid bei den kleinen Patienten verringern

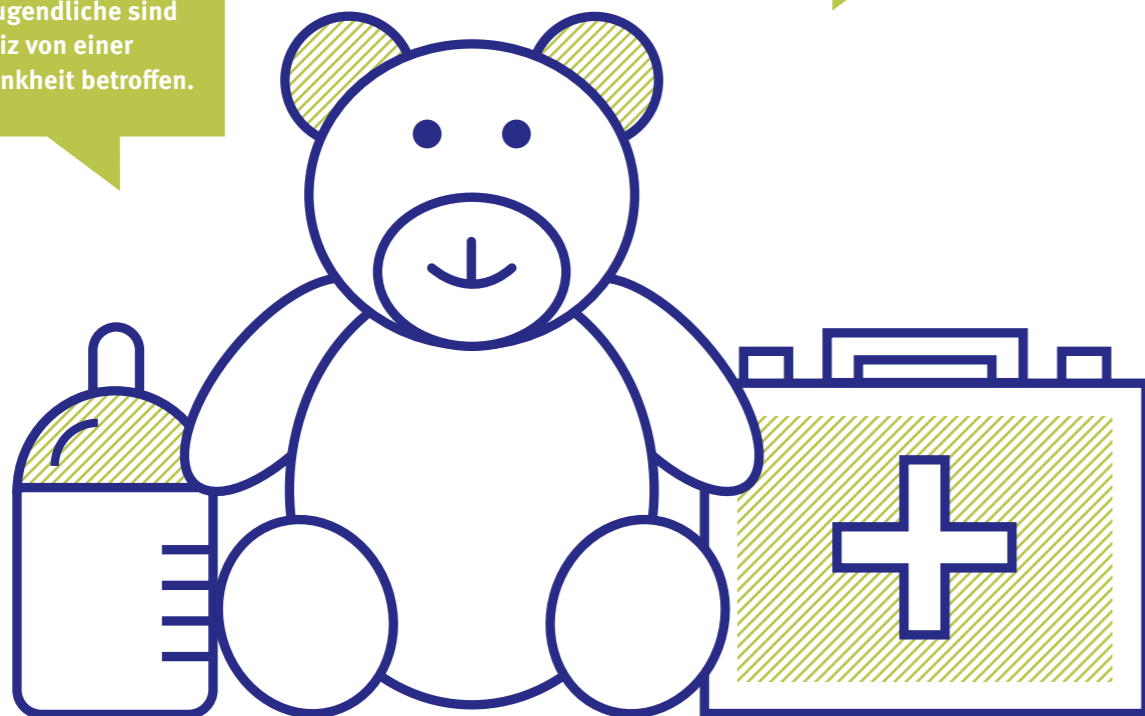
Häufig werden Seltene Krankheiten bereits in den ersten Lebensjahren der Betroffenen entdeckt. Gerade bei Kleinkindern und Kindern führt eine Diagnose zu fundamentalen Lebensumstellungen, sowohl bei ihnen selbst als auch in ihrem Umfeld.

350'000

Kinder und Jugendliche sind in der Schweiz von einer Seltene Krankheit betroffen.

75%

aller Betroffenen sind Kinder oder Jugendliche.



Kinder benötigen üblicherweise andere Medikamente als Erwachsene, da sie oft anders auf Wirkstoffe reagieren. Auch die Darreichungsformen müssen angepasst werden, da sie beispielsweise nur kleine Tabletten schlucken können. Erschwerend kommt hinzu, dass viele erkrankte Kinder so früh sterben, dass die Forschung und Entwicklung von neuen Wirkstoffen schwer oder gar nicht möglich ist.

- Aufgrund der hohen Kindersterblichkeit und der Seltenheit einer einzelnen Krankheit gibt es oftmals nicht genügend Patienten, um die erforderlichen Studien durchzuführen.
- Ohne Studienresultate gibt es keine Zulassung neuer Behandlungsmöglichkeiten und keine Vergütung durch die Grundversicherung.
- Beim Übergang vom Kinder- zum Erwachsenenalter bleiben das Wissen zu Symptomen und die Erfahrungen mit Behandlung und Linderung bei den Kinderärzten und in den Kinderspitälern, was die Gestaltung klinischer Studien erschwert.

Dies führt dazu, dass Kinder mit einer Seltene Krankheit ein Schattendasein fristen und den Betroffenen meist nur wenige und wenig erforschte Behandlungs- und Linderungsmöglichkeiten bleiben.

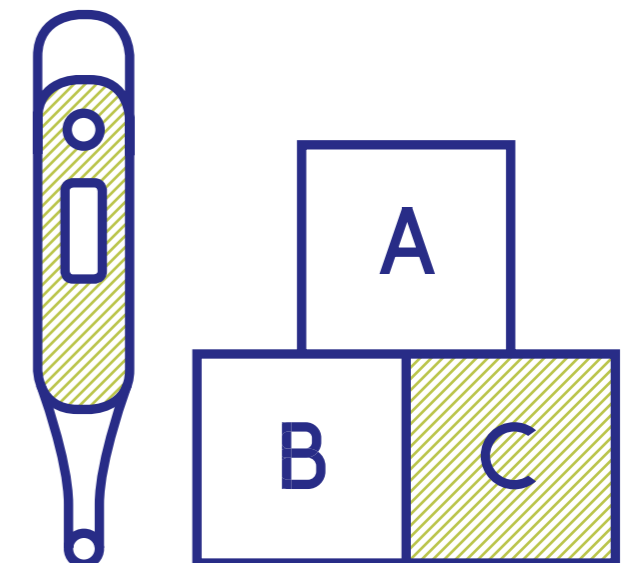
Klare Spielregeln fehlen

Ob die Behandlungen in der Kindermedizin von der Grundversicherung bezahlt werden, beurteilt der Vertrauensarzt des Krankenversicherers im Auftrag der Leistungsabteilung – von Fall zu Fall. Das führt dazu, dass Behandlungs- und Medikamentenkosten manchmal übernommen und manchmal nicht übernommen werden. Selbst dann, wenn die Krankheitsfälle identisch sind.

Gerade die Kleinsten und deren Familien leiden sehr unter einer Seltene Krankheit. Um ihre Lebensqualität zu steigern, ist es umso wichtiger, sie von allen damit verbundenen organisatorischen, administrativen und finanziellen Sorgen zu entlasten. Zudem sollte die Ungleichbehandlung seitens der Versicherer beendet werden.

3 von 10 Kindern

mit einer Seltene Krankheit erleben ihren 5. Geburtstag nicht mehr.



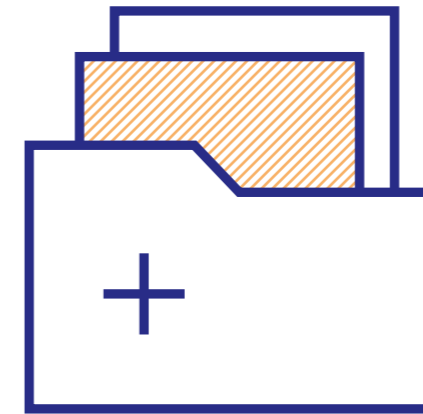
Herausforderungen meistern beim Übergang von der Kinder- zur Erwachsenenmedizin

Vor einem grossen Problem stehen junge Menschen mit einer Seltenen Krankheit, sobald sie das Erwachsenenalter erreichen. Ist die Kostenübernahme für Medikamente und Therapien für Kinder und Jugendliche durch die Invalidenversicherung (IV) gesichert, kann sich das mit Abschluss des 20. Lebensjahrs ändern.

Mit dem Eintritt ins Erwachsenenalter müssen die Betroffenen ihre teils langjährige Beziehung zum Kinderarzt kappen. Oft gehen viel Know-how und Kenntnisse verloren, da zwischen den Ärzten kein systematischer Informationsaustausch stattfindet.

Mit Beginn des 21. Lebensjahrs erfolgt eine weitere grosse und teils weitreichende Veränderung im Leben der Betroffenen. Von nun an sind die Krankenkassen für die Kostenübernahme von Medikamenten und Therapien zuständig. Da IV und Krankenkasse aber mit unterschiedlichen Leistungskatalogen arbeiten, ist es möglich, dass ein Medikament, das während vieler Jahre wirkungsvoll eingesetzt und von der IV erstattet wurde, künftig vom Patienten selbst bezahlt werden muss. Das widerspricht dem Sinn und Zweck der Sozialversicherungen und funktioniert kaum angesichts der finanziellen Möglichkeiten vieler betroffener Familien.

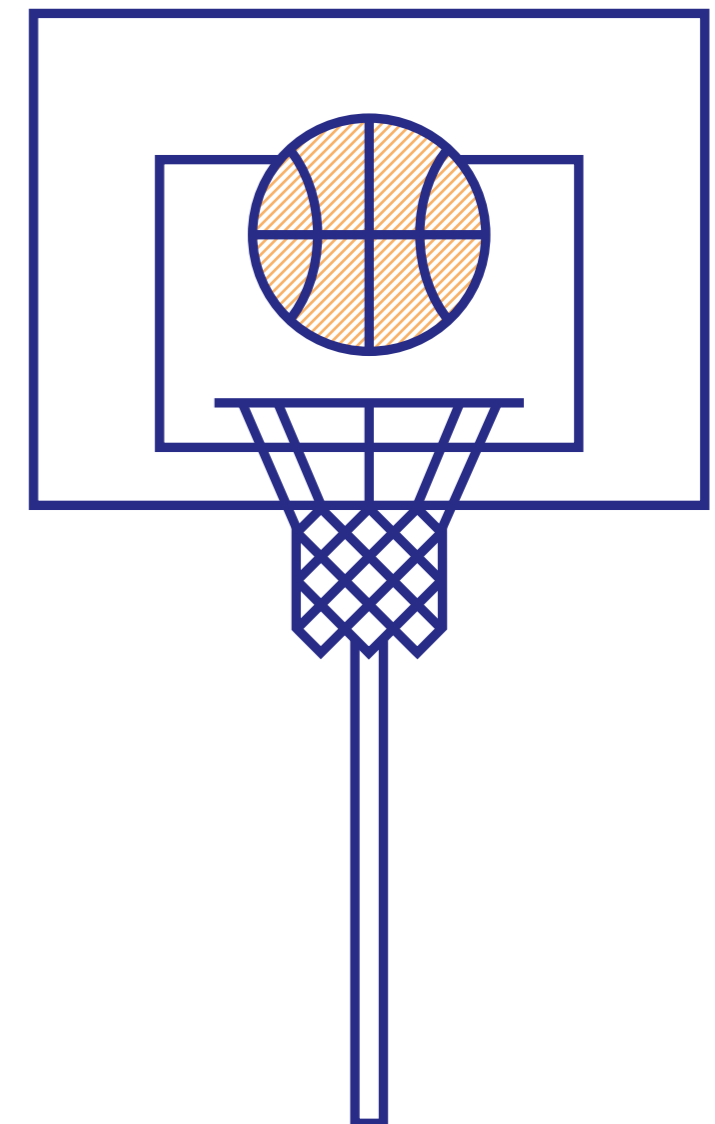
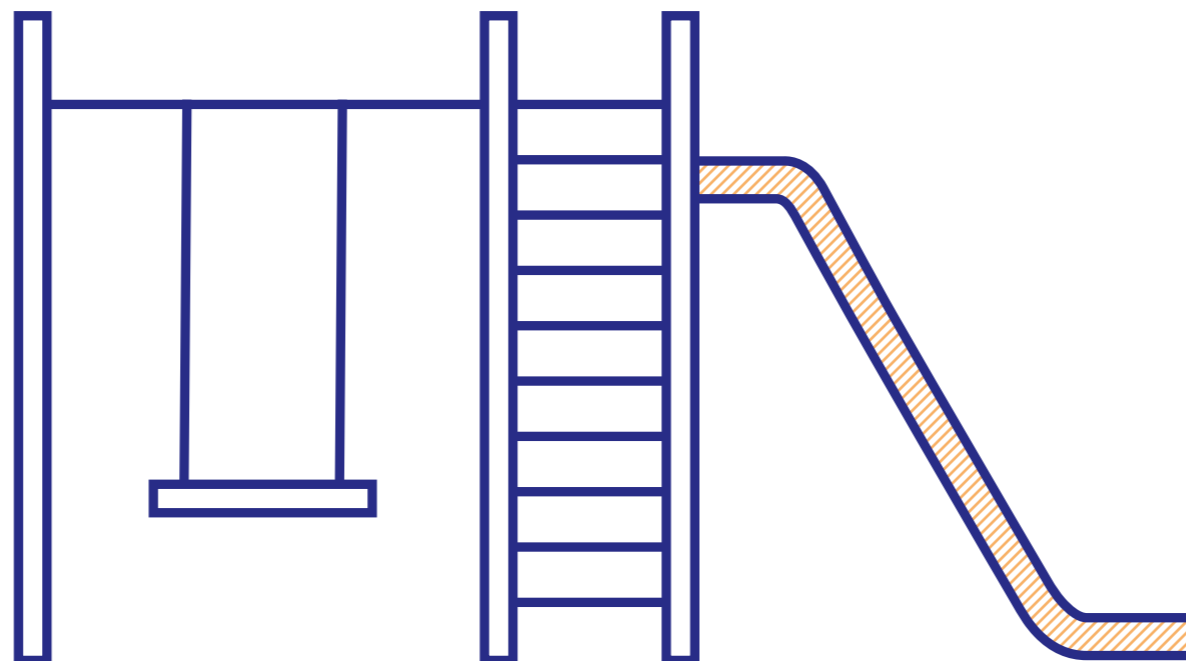
Unterschiedliche Leistungskataloge zwischen IV und Krankenversicherung sind nur ein Beispiel. Im Bereich Seltene Krankheiten ist das Gesundheitssystem Schweiz uneinheitlich, ungenügend und kompliziert – zum Nachteil der Patienten.



Durch eine stabile Behandlungsstrategie und dauerhafte, verbindliche Strukturen soll der sowieso schwierige Übergang ins Erwachsenenalter für die Betroffenen erleichtert werden. Mögliche Komplikationen durch einen Bruch in der Medikation oder Therapie werden verhindert.

20 Jahre

ist die Obergrenze, bis zu der die IV die Kosten für die medizinische Behandlung bei angeborenen Krankheiten übernimmt.



Den Zugang zu Medikamenten beschleunigen

Die Zeit, bis ein Medikament in der Schweiz gegen eine Seltene Krankheit angewendet werden darf und zudem von der Grundversicherung bezahlt wird, dauert länger als in anderen europäischen Ländern.

Ehe ein Medikament in der Schweiz eingesetzt werden kann, müssen zwei Voraussetzungen erfüllt sein:

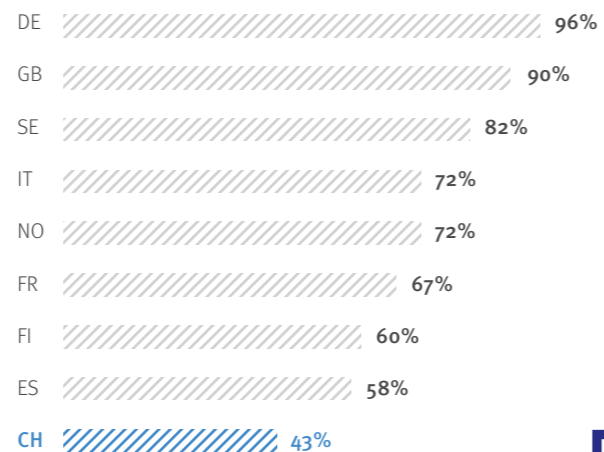
- Zunächst entscheidet die Swissmedic, ob ein Medikament für die Anwendung beim Patienten zugelassen wird. Dafür prüft sie dessen Wirksamkeit, Sicherheit und Qualität. Erleichterte Rahmenbedingungen für die Zulassung von sogenannten «Orphan Drugs», Medikamenten gegen Seltene Krankheiten, gelten hierzulande seit 2019.
- Ob die Grundversicherung das Medikament bezahlt, entscheidet das Bundesamt für Gesundheit (BAG) nach dessen Prüfung auf Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit.

Mittlerweile wurden Zulassungshürden für Medikamente gegen Seltene Krankheiten abgebaut. Doch da die Aufnahmeprozesse in den Leistungskatalogen der Grundversicherung nicht angepasst wurden, können sie in der Regel erst später als im Ausland eingesetzt werden.

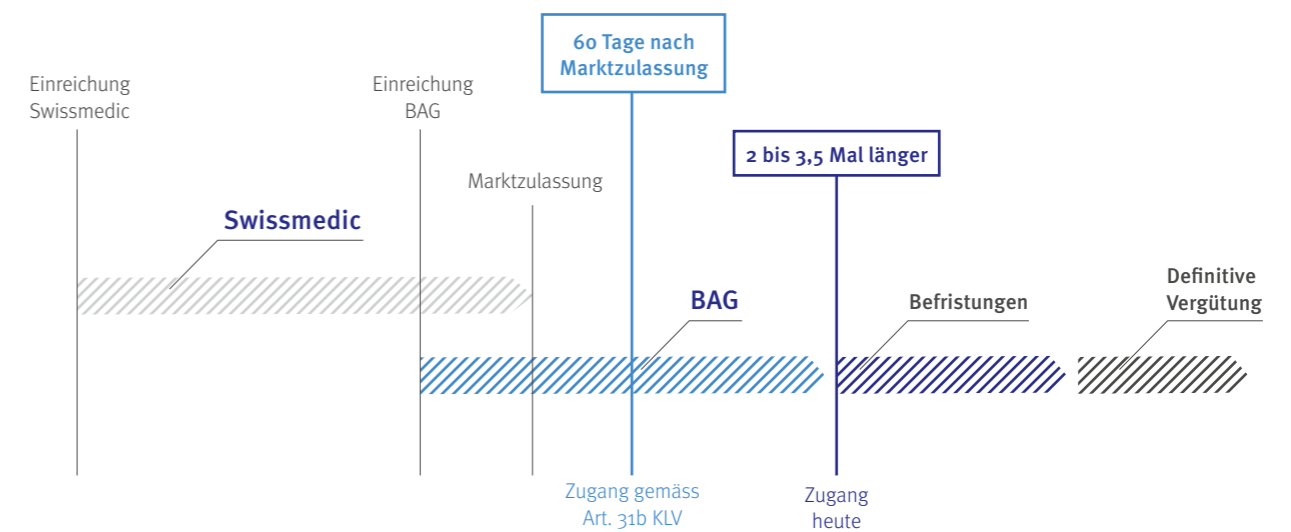
Betroffene sind oft auf eine zeitnahe Therapie und Medikation angewiesen, um das Fortschreiten der Krankheit zu bremsen oder zu verhindern. Es darf nicht sein, dass ein Patient auf eigene Kosten ins Ausland reisen muss, um schneller eine angemessene Behandlung zu erhalten.

Die Schweiz steht bezüglich Verfügbarkeit von Orphan Drugs schlecht da im europäischen Vergleich:

Kontinuierlich verwendete Orphan Medikamente in % (100% = 67 Medikamente gegen Seltene Krankheiten)



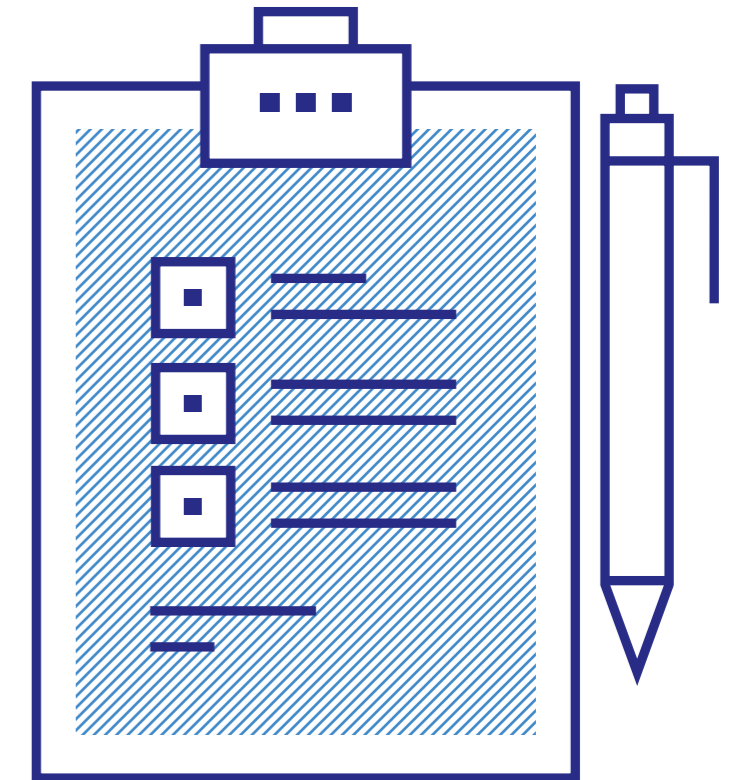
Zulassung und Vergütungsprozess



Gemäss Art. 31b KLV muss das BAG innert 60 Tagen nach Marktzulassung über die Vergütung entscheiden. In der Realität dauert es aber zwei bis dreieinhalb Mal so lang bis der BAG-Entscheid – oftmals nur befristet – vorliegt.

140

Medikamente in 203 Indikationen mit Orphan Drug Status waren 2018 zugelassen.



Medikamente schnell und einheitlich vergüten

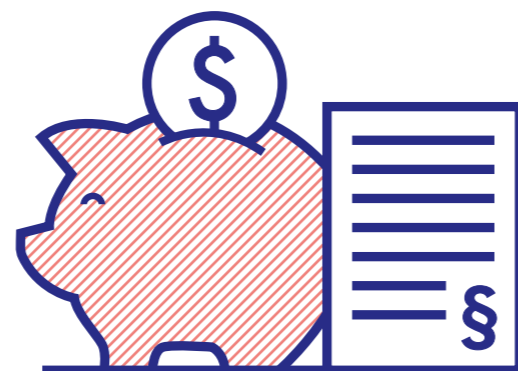
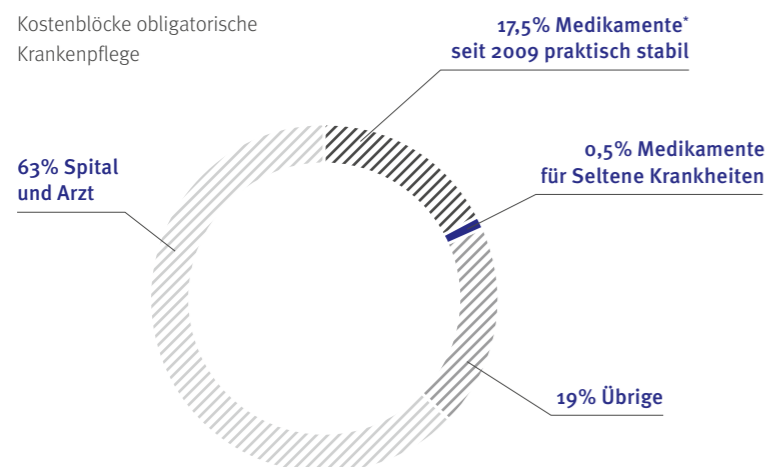
In der Schweiz hängt heute die Vergütung von Medikamenten gegen Seltene Krankheiten noch immer zu häufig von Einzelfallentscheidungen der Grundversicherer ab.

Entscheidet sich das Bundesamt für Gesundheit (BAG) gegen eine Kostenübernahme über die Grundversicherung, dann muss der Betroffene das Medikament entweder selbst bezahlen oder über den behandelnden Arzt bei der Krankenkasse einen Antrag auf «Kostenübernahme im Einzelfall» stellen. Aktuell führen unterschiedliche Einzelfallentscheidungen dazu, dass Medikamente je nach Krankenversicherer bezahlt oder eben nicht bezahlt werden.

In der Schweiz gilt folgende Regelung:

- Steht ein Medikament nicht in der Spezialitätenliste, übernimmt die Grundversicherung die Kosten nur nach Rücksprache mit dem Vertrauensarzt und meist mit finanzieller Unterstützung der Herstellerfirma.
- Damit ein Medikament vergütet wird, müssen die Kosten in einem angemessenen Verhältnis zum therapeutischen Nutzen stehen.
- Der häufigste Ablehnungsgrund einer Kostenübernahme ist die Einschätzung des BAG, wonach die Kosten in keinem angemessenen Verhältnis zum therapeutischen Nutzen stehen.

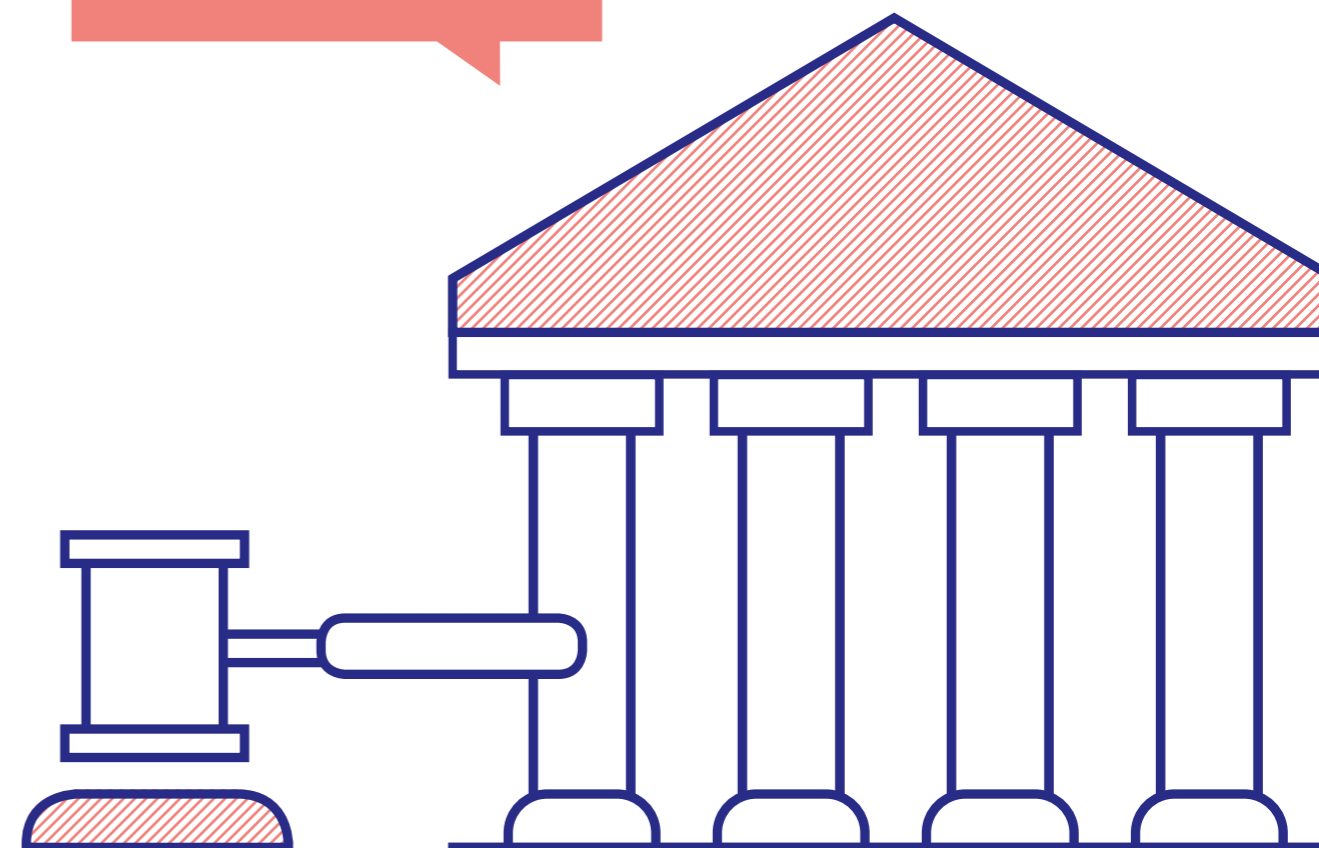
Der Anteil der Medikamentenkosten für Seltene Krankheiten ist gering



Die Gleichbehandlung der Betroffenen – egal wo sie versichert sind oder in welchem Kanton sie leben – schafft Sicherheit: Eine Therapie, die von der Krankenversicherung vergütet wird, eine gesicherte Medikation und das Wissen, die bestmögliche Behandlung zu erhalten, sind unbedingt notwendig.

66%

aller Schweizer sind der Meinung, dass die Kostenfrage bei Seltene Krankheiten aufgrund des kleinen Anteils an den Gesamtkosten fehl am Platz ist.



Forschung, Entwicklung und Markteinführung neuer Medikamente fördern

Unter üblichen Marktbedingungen ist die Entwicklung neuer Medikamente gegen Seltene Krankheiten angesichts der geringen Nachfrage und Absatzchancen finanziell höchst riskant.

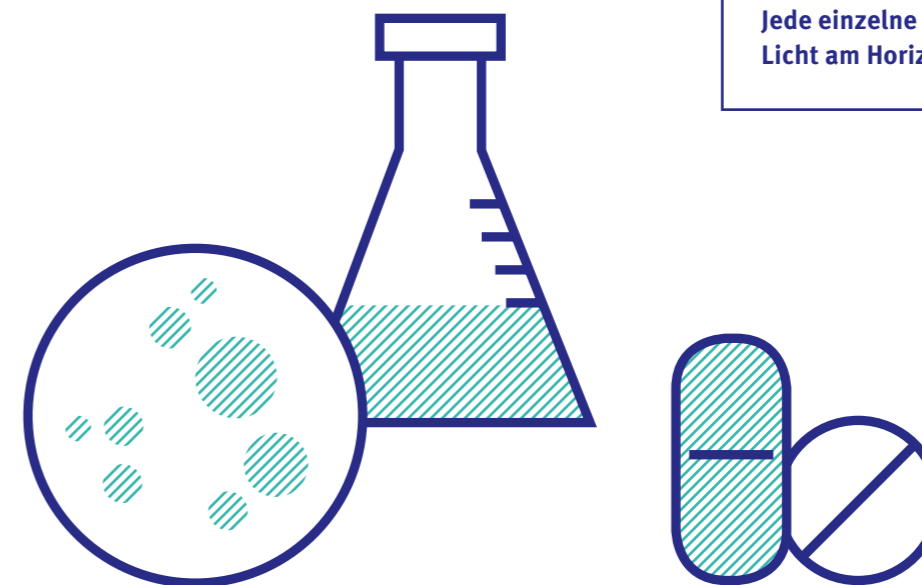
400

klinische Studien zu Wirkstoffen gegen Seltene Krankheiten laufen in der Schweiz.



350

Seltene Krankheiten werden dank neuen Medikamenten wirksam behandelt.



Durchschnittlich dauert die Entwicklung eines neuen Medikaments bis zu 13 Jahre und beschäftigt grosse internationale Forscherteams. Fast zwei Drittel der Kosten fallen im letzten Entwicklungsstadium an. Da letztlich nur eines von zehn Medikamenten zur Marktreife gelangt, verschlingt die Entwicklung pro Medikament bis zu einer Milliarde Franken.

Die ersten Massnahmen, die in der Schweiz seit einigen Jahren umgesetzt werden, zeigen Ergebnisse:

- Waren in der Schweiz im Jahr 2008 nur 70 Medikamente gegen Seltene Krankheiten zugelassen, hat sich die Zahl in der Zwischenzeit mehr als vervierfacht.
- Dank neuer Medikamente werden heute bereits über 300 Seltene Krankheiten wirksam behandelt.
- Mit vielen hervorragenden Universitätskliniken und als Sitz bedeutender Pharmafirmen der Welt ist die Schweiz ein wichtiger Standort für Forschung und Entwicklung. Derzeit laufen hierzulande über 400 klinische Studien, in denen Wirkstoffe getestet werden.

Weitere Meilensteine in Sicht

Trotz erster Erfolge sind weitere Massnahmen für die gezielte Entwicklung von Medikamenten gegen Seltene Krankheiten unerlässlich:

- Weltweit gibt es nur wenige Forschungsgruppen, die sich mit einer bestimmten Seltene Krankheit befassen. Informationsaustausch und Wissenstransfer sind deshalb nur begrenzt möglich. Die Schaffung einer zentralen Plattform bringt Abhilfe.
- Fachpublikationen zu Seltene Krankheiten und Gelder für Forschungsprojekte sind rar. Eine enge Zusammenarbeit zwischen Industrie und anderen Forschungseinrichtungen ist zwingend nötig.
- Die geringe Zahl an Patienten, die meist in verschiedenen Ländern oder Kontinenten leben, erschwert oder verunmöglicht die Durchführung klinischer Studien. Eine Einführung von Registern und die Nutzung von «Real World Data/Real World Evidence» fördert den Austausch.
- Nach der Markteinführung laufen viele Studien, die von der Industrie bezahlt werden. Dies muss zwingend von den Behörden anerkannt und unterstützt werden.
- Der Aufwand für die Betreuung eines Medikaments nach dessen Markteinführung (beispielsweise durch die Schulung von Ärzten, Fortbildungen oder Nachbeobachtungsstudien) ist unabhängig von der Patientenzahl. Er ist jedoch zwingend nötig und muss von den Behörden berücksichtigt werden.

Für die Betroffenen bietet die Pharmaindustrie mit ihren Fachkompetenzen, Entwicklungsmöglichkeiten und Erfahrungen die grösste Hoffnung auf Erfolg. Jede einzelne neue Therapie ist ein kleines Licht am Horizont.

Chance und Pflicht zum gemeinsamen Handeln

Die Ausgaben für Arzneimittel werden immer wieder in der breiten Öffentlichkeit und Gesundheitspolitik diskutiert. Die isolierte Betrachtung der Therapie- oder Behandlungskosten wird den Menschen mit einer Seltenen Krankheit jedoch nicht gerecht.

Die Kosten der obligatorischen Krankenpflegeversicherung (OKP) pro Person pro Jahr belaufen sich auf 3'840 Franken. Der Anteil der Medikamente gegen Seltene Krankheiten an den Gesamtausgaben der OKP beträgt 0,5%. Dies entspricht 19 Franken. Diesem Aufwand steht der Heilungserfolg oder die Verlangsamung des Fortschreitens von schweren Krankheitsbildern gegenüber. Das verhilft nicht nur zu einem selbstbestimmteren Leben, es verringert auch die hohen, lebenslangen Ausgaben für die symptomatische Behandlung und vermindert Rückfälle und Nebenwirkungen.

- Auch wenn künftig mehr Medikamente gegen Seltene Krankheiten durch die Grundversicherung bezahlt werden, ist die zusätzliche Belastung für das Gesamtsystem marginal.

Angesichts dieser Verhältnisse wird die Chance zum gemeinsamen Handeln zur Pflicht: Im Zentrum steht die Verbesserung der Rahmenbedingungen, um den Seltenen Krankheiten in Zukunft noch erfolgreicher als bisher die Stirn zu bieten.

Die Kostenfrage ist relativ

- Angepasste Rahmenbedingungen könnten die hohen Forschungskosten und damit verbundenen Risiken etwas entschärfen.
- Aufgrund der geringen Patientenzahlen fallen die zunehmend individualisierten Therapien bei der Kostenentwicklung des Gesundheitssystems kaum ins Gewicht.



Quellen

ProRaris – Allianz Seltener Krankheiten Schweiz
<https://www.proraris.ch/de/homepage.html>

Interpharma Gesundheitswesen Schweiz 2019
Interpharma Pharma Markt Schweiz 2019
Interpharma Informationsbroschüre Seltene Krankheiten
<https://www.interpharma.ch/thema/publikationen>

Global Genes
<https://globalgenes.org/>

Ada
<https://ada.com/de/rare-diseases/>

EURORDIS
<https://www.eurordis.org/de/uber-eurordis>

KMSK – Gemeinnütziger Förderverein für Kinder mit Seltenen Krankheiten
<https://www.kmsk.ch/>

BAG
<https://www.bag.admin.ch/bag/de/home/krankheiten/krankheiten-im-ueberblick/viele-seltene-krankheiten.html>

OBSAN
<https://www.obsan.admin.ch/de/indikatoren/kosten-der-obligatorischen-krankenpflegeversicherung-okp>

vips – Vereinigung Pharmafirmen in der Schweiz
<https://vips.ch>

Grafiken

Seite 11
nach Paul, S.M., et al.: Nature Reviews Drug Discovery 9, 203–214 (210)

Seite 16
Patient Access to Medicines for Rare Diseases in European Countries, Deticek et al., Value in Health, 2018, 553–560

Seite 18
<https://www.interpharma.ch/2365-gesundheitswesen-schweiz-2018>
<https://www.bag.admin.ch/bag/de/home/das-bag/aktuell/medienmitteilungen.msg-id-63621.html>



VEREINIGUNG PHARMAFIRMEN
IN DER SCHWEIZ

vips

Vereinigung Pharmafirmen
in der Schweiz
Baarerstrasse 2
6300 Zug
www.vips.ch