

03.06.21

Unterrichtung durch die Bundesregierung

Evaluationsbericht des Bundesministeriums für Gesundheit zu der Vertriebswegänderung und den gesetzlichen Folgeänderungen für plasmatisch und gentechnologisch hergestellte Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Behandlung von Hämophilie durch das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV)

Bundesministerium
für Gesundheit

Bonn, 1. Juni 2021

An den
Präsidenten des Bundesrates
Herrn Ministerpräsidenten
Dr. Reiner Haseloff

Sehr geehrter Herr Bundesratspräsident,

als Anlage übersende ich Ihnen den Evaluationsbericht des Bundesministeriums für Gesundheit (BMG) zur Vertriebswegänderung und den gesetzlichen Folgeänderungen für plasmatisch und gentechnologisch hergestellte Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Behandlung von Hämophilie durch das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) vom 9. August 2019. Das BMG hat mit Protokollerklärung im Rahmen der Beschlussfassung des Bundesrates* vom 28. Juni 2019 zum GSAV zugesagt, sechs Monate nach Inkrafttreten der Regelungen zur Hämophilie-Versorgung einen Evaluationsbericht zu übermitteln.

Mit freundlichen Grüßen
Jens Spahn

* siehe Drucksache 254/19 (Beschluss)

**Evaluationsbericht des Bundesministeriums für Gesundheit zu der
Vertriebswegänderung und den gesetzlichen Folgeänderungen für plasmatisch und gen-
technologisch hergestellte Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Behandlung von Hä-
mophilie durch das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV)
vom 9. August 2019**

A. Einleitung	3
I. Berichtsauftrag.....	3
II. Methodik	3
B. Ziel und Inhalt der Gesetzesänderungen durch das GSAV	4
I. Situation vor Inkrafttreten der Vertriebswegänderung und der gesetzlichen Folgeänderungen	4
II. Ziel der Gesetzesänderungen	5
III. Inhalt der Gesetzesänderungen im Einzelnen.....	5
1. Vertrieb und Abgabe über die Apotheken.....	5
2. Zusammenarbeit zwischen Ärzteschaft und Apothekerschaft.....	6
3. Versorgungsverträge zwischen Krankenkassen und spezialisierten ärztliche Einrichtungen.....	6
4. Dokumentations- und Meldepflicht der Ärzteschaft	7
5. Regelungen zur Preisbildung und Preisgestaltung sowie zu Zuzahlungen	7
C. Erfahrungen mit der Umsetzung der einzelnen Regelungsbereiche nach Änderung des Vertriebswegs für Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Hämophiliebehandlung im Zeitraum September 2020 bis einschließlich Januar 2021 und deren Bewertung.....	8
I. Erfahrungen mit den Regelungen zum Vertriebsweg und den Regelungen zur Zentrumsversorgung für Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Hämophiliebehandlung.....	9
1. Erfahrungen in den Apotheken.....	9
a) Dokumentations- und Meldepflicht	10
b) Lagerung	10
c) Finanzierung	10
d) Privat versicherte Hämophilie-Patientinnen und - Patienten	11
e) Organisation.....	12
2. Erfahrungen zur Versorgungssituation durch Apotheken und spezialisierte ärztliche Einrichtungen.....	12

a)	Versorgung der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten durch Apotheken.....	13
b)	Versorgung der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten durch spezialisierte Arztpraxen und Hämophilie-Zentren	14
3.	Erfahrungen im Hinblick auf die Preisgestaltung und die Preisbildung	17
a)	Kostentransparenz durch das Preisbildungsverfahren	17
b)	Neue Arzneimittel zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen	18
c)	Rabattverträge	18
d)	Ausgaben- und Preiseffekte	20
e)	Kostenfaktor Packungsgröße	21
4.	Sonstige Erfahrung	21
II.	Erfahrungen mit den Regelungen zur Notfallversorgung	22
1.	Bisher geringer Gebrauch von Notfallvorräten	22
2.	Einrichtung der Notfallvorräte	23
3.	Abschaffung der Notfallvorräte in spezialisierten Arztpraxen und Hämophilie- Zentren	24
D.	Fazit	25

A. Einleitung

I. Berichtsauftrag

Das Bundesministerium für Gesundheit (BMG) hat mit Protokollerklärung im Rahmen der Beschlussfassung des Bundesrates vom 28. Juni 2019 zum Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung vom 9. August 2019 (BGBl. I S. 1202 – GSAV) zugesagt, dem Bundesrat sechs Monate nach Inkrafttreten der mit dem GSAV geänderten Regelungen zur Hämophilie-Versorgung einen Evaluationsbericht zu übermitteln.

Mit Inkrafttreten der im GSAV vorgesehenen Gesetzesänderung in § 47 Absatz 1 Satz 1 Nummer 2a Arzneimittelgesetz (AMG) wurde der Sondervertriebsweg, der den Vertrieb von plasmatisch und gentechnologisch hergestellten Gerinnungsfaktorenzubereitungen (im Folgenden: Gerinnungsfaktorenzubereitungen) über die pharmazeutischen Unternehmer oder Großhändler direkt an die spezialisierten ärztlichen Einrichtungen erlaubte, sowie die anschließende Direktabgabe durch hämostaseologisch spezialisierte Ärztinnen und Ärzte an die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten abgeschafft. Die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten erhalten seitdem Gerinnungsfaktorenzubereitungen nach Vorlage einer ärztlichen Verordnung in Apotheken. Eine ärztliche Direktabgabe von Gerinnungsfaktorenzubereitungen ist nach § 43 Absatz 3a AMG nur noch für die Notfallversorgung gestattet. Aufgrund der Abschaffung des Sondervertriebsweges wurden Folgeänderungen im Apothekengesetz (ApoG), der Apothekenbetriebsordnung (ApBetrO) und der Arzneimittelhandelsverordnung (AM-HandelsV) erforderlich. Zudem wurden Anpassungen für das Deutsche Hämophileregister (DHR, § 21a Transfusionsgesetz – TFG, § 2 Transfusionsgesetz-Meldeverordnung – TFGMV) und zur Preisbildung für Hämophilie-Arzneimittel im Fünften Buch Sozialgesetzbuch (SGB V) vorgenommen. Die Regelungen traten zum 1. September 2020 in Kraft.

II. Methodik

Der Evaluationsbericht wurde unter Einbeziehung der Fachkreise (Interessenvertreter von Patientinnen und Patienten, der Apothekerschaft, der Ärzteschaft, des Großhandels, der pharmazeutischen Industrie sowie der Krankenkassen), der Länder und des Paul-Ehrlich-Instituts (PEI) durch das BMG erstellt. Er bildet, wie in der Protokollerklärung festgelegt, die Erfahrungen mit den neuen Regelungen zum Vertriebsweg für Arzneimittel zur Hämophiliebehandlung, zur Zentrums- und zur Notfallversorgung von Hämophilie-Patientinnen und -Patienten ab. Zudem beleuchtet er, ob seitens des BMG aufgrund der bisherigen Erfahrungen mit der

Anwendung der neuen Regelungen ein gesetzlicher Änderungsbedarf gesehen wird. Der Bericht berücksichtigt dabei die Besonderheiten der zur Behandlung von Hämophilie eingesetzten Gerinnungsfaktorenzubereitungen. Bei den Gerinnungsfaktorenzubereitungen handelt es sich um kühlpflichtige Arzneimittel, die hochpreisig sind. Ein fehlerhafter Umgang bei Transport oder Lagerung kann zu einer Verminderung der pharmazeutischen Qualität bis hin zur notwendigen Vernichtung und damit zu erheblichen wirtschaftlichen Einbußen sowie zu einer Verschlechterung der Versorgung von Hämophilie-Patientinnen und -Patienten führen.

B. Ziel und Inhalt der Gesetzesänderungen durch das GSAV

I. Situation vor Inkrafttreten der Vertriebswegänderung und der gesetzlichen Folgeänderungen

In § 47 Absatz 1 Satz 1 Nummer 2a AMG war bis zu dessen Änderung durch das GSAV mit Wirkung zum 1. September 2020 eine Ausnahme vom Apothekenvertriebsweg für plasmatisch und gentechnologisch hergestellten Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Hämophiliebehandlung vorgesehen. Danach durften die pharmazeutischen Unternehmen und Großhändler die Gerinnungsfaktorenzubereitungen direkt an die Krankenhäuser oder die Ärztinnen und Ärzte abgeben. Die Direktabgabe der Arzneimittel durch hämostaseologisch spezialisierte Ärztinnen und Ärzte an die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten war nach § 43 Absatz 1 Satz 2 AMG in Verbindung mit § 47 Absatz 1 Satz 1 Nummer 2 Buchstabe a AMG in der bis zum 31. August 2020 geltenden Fassung möglich.

Da die Gerinnungsfaktorenzubereitungen nicht der Apothekenpflicht unterlagen, fand auf sie auch die Arzneimittelpreisverordnung (AMPreisV) keine Anwendung (§ 1 Absatz 1 AMPreisV), sodass eine Preisbindung für die Gerinnungsfaktorenzubereitungen nicht bestand.

Der Sondervertriebsweg ist historisch auf die Entwicklung der Versorgungsmöglichkeiten für Hämophilie-Patientinnen und -Patienten zurückzuführen. Bis in die 1970er-Jahre wurde Hämophilie stationär mit Blut- oder Plasmainfusionen behandelt, um den fehlenden Gerinnungsfaktor zu ersetzen. Aufgrund der geringen Haltbarkeit der Infusionszubereitungen sollten diese ohne Umwege bei den Hämophilie-Patientinnen und -Patienten angewendet werden können, sodass mit Inkrafttreten des Arzneimittelgesetzes am 17. Mai 1961 in § 34 Absatz 1 Satz 1 Nummer 2 AMG die Direktabgabe von menschlichem Blut und Gewebe durch die Hersteller, Vertriebsunternehmer und Großhändler an Krankenanstalten und Ärztinnen und Ärzte geregelt wurde

(BGBl. I S. 540). Erst im Laufe der Zeit wurden auch haltbarere Gerinnungsfaktorenzubereitungen zugelassen, die die ärztlich kontrollierte Heimselbstbehandlung der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten ermöglichten.

II. Ziel der Gesetzesänderungen

Anlass der Gesetzesänderungen zum Vertriebsweg für Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Behandlung von Hämophilie und der gesetzlichen Folgeänderungen war die Entwicklung bzw. Zulassung neuer Arzneimittelgruppen (insbesondere monoklonaler Antikörper), die nicht der bisherigen Regelung zum Direktvertrieb für Gerinnungsfaktorenzubereitungen zugeordnet werden konnten und daher von vorneherein apothekenpflichtig waren. Aufgrund der Vergleichbarkeit dieser Produkte mit den Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Behandlung von Hämophilie in Bezug auf Haltbarkeit oder Sicherheit wurde seitens des BMG keine sachliche Rechtfertigung mehr für eine unterschiedliche Behandlung durch einen unterschiedlichen Vertriebsweg gesehen. Zur Vermeidung von Marktverzerrungen wurden daher alle Arzneimittel zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie dem regulären Apothekenvertrieb unterstellt.

III. Inhalt der Gesetzesänderungen im Einzelnen

Mit Inkrafttreten der Regelungen des GSAV zur Vertriebswegänderung und der gesetzlichen Folgeänderungen zum 1. September 2020 ergaben sich im Einzelnen folgende Änderungen:

1. Vertrieb und Abgabe über die Apotheken

Die Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Behandlung von Hämophilie dürfen nicht mehr wie bisher nach § 47 Absatz 1 Satz 1 Nummer 2a in der bis zum 31. August 2020 geltenden Fassung auch im Wege des Direktvertriebs unmittelbar an Krankenhäuser und Ärztinnen und Ärzte abgegeben werden, sondern sind nach § 43 Absatz 1 Satz 1 AMG über die Apotheken in den Verkehr zu bringen.

Die Aufzeichnungs- und Dokumentationspflichten der Apotheken in § 17 Absatz 6a ApBetrO und den §§ 6 und 7 AM-HandelsV wurden auf alle Arzneimittel zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie erweitert.

Gleichzeitig wurde das Dispensierrecht der Ärztinnen und Ärzte in diesem Bereich mit Ausnahme der Bevorratung und Abgabe zur Notfallversorgung aufgehoben (§ 43 Absatz 3a AMG). Dafür werden spezialisierten ärztlichen Einrichtungen die Bereithaltung eines Notfallvorrats an Arzneimitteln zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie und die Direktabgabe an die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten im Rahmen der Notfallversorgung gestattet. Aus dem Notfallvorrat können im Bedarfsfall auch Arzneimittel an andere Einrichtungen der Krankenversorgung abgegeben werden.

2. Zusammenarbeit zwischen Ärzteschaft und Apothekerschaft

Um die Notfallversorgung mittels Notfallvorrat sicherzustellen, wurde zudem in § 11 Absatz 2a ApoG eine engere Zusammenarbeit zwischen den spezialisierten ärztlichen Einrichtungen und den Apotheken gestattet. Die Apotheken können danach mit den Ärztinnen und Ärzten Vereinbarungen zur Organisation des Notfallvorrats nach § 43 Absatz 3a AMG sowie zur unmittelbaren Abgabe der Arzneimittel zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie an die anwendende Ärztin bzw. den anwendenden Arzt treffen und sich an der Einrichtung und Umwälzung des Notfallvorrats beteiligen. Da hämostaseologische Notfälle häufig im Krankenhaus behandelt werden und die spezialisierten ärztlichen Einrichtungen häufig Teil eines Krankenhauses oder an einem Krankenhaus angegliedert sind, wird zudem vorgesehen, dass die Organisation des Notfallvorrats auch durch eine Krankenhausapotheke sichergestellt werden kann. In diesem Fall wird den Krankenhausapotheken eine Abgabe von Arzneimitteln an Hämophilie-Patientinnen und -Patienten sowie an andere Einrichtungen der Krankenversorgung (vgl. § 14 Absatz 2 Satz 4 TFG) im Rahmen der Notfallversorgung ermöglicht.

3. Versorgungsverträge zwischen Krankenkassen und spezialisierten ärztlichen Einrichtungen

Zur Erhaltung der Versorgungsstruktur der Hämophilie-Zentren und der spezialisierten Vertragspraxen sind die Krankenkassen oder ihre Landesverbände nach § 132i SGB V verpflichtet, mit ärztlichen Einrichtungen, die auf die qualitätsgesicherte Behandlung von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie spezialisiert sind, oder mit deren Verbänden Verträge über die Behandlung von Versicherten mit Gerinnungsstörungen bei Hämophilie zu schließen. In diesen Verträgen soll die Vergütung von zusätzlichen besonderen Aufwendungen zur Behandlung dieser Hämophilie-Patientinnen und -Patienten geregelt werden. Hierbei geht es insbesondere um

Vergütungen für die Beratung über die Langzeitfolgen von Gerinnungsstörungen, für die Begleitung und die Kontrolle der Selbstbehandlung sowie für die Dokumentation nach § 14 TFG und die Meldung an das DHR nach § 21 Absatz 1a TFG sowie für die Notfallvorsorge und die Notfallbehandlung.

4. Dokumentations- und Meldepflicht der Ärzteschaft

Die Dokumentationspflicht der Ärztinnen und Ärzte und der sich in Heimbehandlung befindlichen Hämophilie-Patientinnen und -Patienten hinsichtlich der Anwendung und der angewendeten Arzneimittel wird in § 14 Absatz 1 bis 2a und 3a TFG auf alle Arzneimittel zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie erweitert. Ebenso werden die Unterrichtungspflichten bei Auftreten von Nebenwirkungen entsprechend erweitert (§ 16 Absatz 1 Satz 1 und Absatz 2 Satz 1 TFG).

Die Ermächtigung der Bundesärztekammer zur Feststellung des allgemein anerkannten Standes der medizinischen Wissenschaft und Technik wird im Hinblick auf alle Arzneimittel zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie ausgedehnt (§ 18 Absatz 1 Satz 1 Nummer 1 TFG).

Für die Bewertung der langfristigen Therapiewirksamkeit und -sicherheit sowie der Nutzenbewertung wurde eine Erweiterung der ärztlichen Meldepflicht an das DHR auf alle Arzneimittel zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie erforderlich (§ 21 Absatz 1a TFG, § 2 TFGMV). Insbesondere neue Therapien sollen so langfristig wissenschaftlich und datenbasiert begleitet und Erkenntnisse über ihren effizienten und sicheren Einsatz gewonnen werden.

5. Regelungen zur Preisbildung und Preisgestaltung sowie zu Zuzahlungen

Darüber hinaus bringt die Vertriebswegänderung auch Konsequenzen für die Preisbildung und Preisgestaltung mit sich. Arzneimittel zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen unterliegen mit der Unterstellung unter den Apothekenvertriebsweg den Vorschriften der AMPreisV (§ 1 Absatz 3 Satz 1 Nummer 6 AMPreisV) und damit den durch das Bundesministerium für Wirtschaft und Energie (BMWi) im Einvernehmen mit dem BMG festgesetzten Preisspannen für die Arzneimittel.

Darüber hinaus gilt mit der Unterstellung unter den Apothekenvertriebsweg auch die Pflicht zur Gewährleistung eines einheitlichen Herstellerabgabepreises. Es war eine Preisneuordnung in zwei voneinander getrennten Phasen notwendig, da nicht alle pharmazeutischen Hersteller

die Herstellerabgabepreise für ihre Gerinnungsfaktorenzubereitungen öffentlich gelistet hatten bzw. diese gelisteten Herstellerabgabepreise nicht Grundlage der tatsächlich abgerechneten Kosten mit den Krankenkassen waren. In der ersten Phase wurden deshalb die bisherigen Direktvertriebspreise für Arzneimittel zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie, welche in der Vergangenheit nicht §130b SGB V unterlagen, nach § 130d SGB V in die Herstellerabgabepreise für den Apothekenvertriebsweg überführt und durch die Hersteller zum 1. September 2020 in den Preis- und Produktverzeichnissen gemeldet. In der zweiten Phase konnten auf Grundlage eines gesetzlichen Sonderkündigungsrechts die bestehenden Erstattungsbetragsvereinbarungen für Arzneimittel zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie mit neuen Wirkstoffen gekündigt werden, um diese auf Grundlage der ersten Phase neu zu verhandeln. Die entsprechenden Gesetzesänderungen finden sich in den §§ 130a Absatz 3a Satz 13, 130b Absatz 7a und 130d SGB V.

Unabhängig von der Vertriebswegänderung soll es nach § 3 Satz 1 der Packungsgrößenverordnung (PackungsV) bei der Möglichkeit einer Verordnung von Bündelpackungen verbleiben. Die Zuzahlung wird nur einmal erhoben, auch wenn mehrere Packungen (Bündelung von N1- zu N2- oder N3-Packung) abgegeben werden. Die Regelung umfasst auch neue Arzneimittelgruppen zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie wie z.B. monoklonale Antikörper.

C. Erfahrungen mit der Umsetzung der einzelnen Regelungsbereiche nach Änderung des Vertriebswegs für Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Hämophiliebehandlung im Zeitraum September 2020 bis einschließlich Januar 2021 und deren Bewertung

Im Rahmen der Evaluation wurden die Länder, das PEI sowie die Fachkreise um Stellungnahme zu ihren bisherigen Erfahrungen mit der Umsetzung der Vertriebswegänderung für Gerinnungsfaktorenzubereitungen für die Hämophiliebehandlung und der gesetzlichen Folgeänderungen gebeten. Die Stellungnahmen beziehen die Erfahrung seit Inkrafttreten der Regelungen bis einschließlich Januar 2021 ein. Der Fragekatalog des BMG umfasste Fragen zu

- der Umsetzung der Vertriebswegänderungen in den Apotheken und der Notfallversorgung,
- der Versorgungssituation in den Hämophilie-Zentren und spezialisierten Arztpraxen, den positiven und negativen Auswirkungen der Vertriebswegänderung für die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten sowie

- den Auswirkungen auf die Erstattung der Hämophilie-Arzneimittel durch die Krankenversicherungen.

Auf Grundlage der Rückmeldungen stellen sich die Erfahrungen mit den Regelungen zum Vertriebsweg, zur Zentrumsversorgung und zur Notfallversorgung sowie die Bewertung dieser durch das BMG wie folgt dar:

I. Erfahrungen mit den Regelungen zum Vertriebsweg und den Regelungen zur Zentrumsversorgung für Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Hämophiliebehandlung

1. Erfahrungen in den Apotheken

Abgesehen von anfänglichen Anlaufschwierigkeiten sind keine Probleme hinsichtlich der Durchführung der Vertriebswegänderung durch die Apothekerschaft übermittelt worden. Auf Grundlage der gemeldeten Erfahrungen ist festzustellen, dass in den Apotheken ausreichend Ressourcen und ein umfangreiches Engagement vorhanden sind, um die Vertriebswegänderung für Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Behandlung von Hämophilie umzusetzen. Im Vorfeld der Vertriebswegänderung erfolgten unterstützende Maßnahmen sowohl seitens der Bundesvereinigung Deutscher Apothekerverbände e.V. (ABDA) in Form von umfangreichem Informationsmaterial als auch der Landesapothekerkammern in Form von Fortbildung und Informationsschreiben an Apotheken.

Im Zuge der Vertriebswegänderung hat sich zudem der Verband der Hämophilie-Apotheken e.V. (VHA) gegründet. Dieser hat sich zum Ziel gesetzt, die Versorgung mit Hämophilie-Arzneimitteln durch die öffentlichen Apotheken bestmöglich sicherzustellen. Er hat Qualitätskriterien für Hämophilie-Arzneimittel vertreibende Apotheken festgelegt, vor allem bezüglich personeller Ausstattung mit qualifiziertem Personal, regelmäßigen Schulungen, festen Ansprechpersonen und Erreichbarkeiten. Bislang haben sich dem VHA bundesweit 72 Apotheken angeschlossen, die diese Voraussetzungen erfüllen.

Die Zusammenarbeit zwischen Hämophilie-Zentren, Apotheken, Großhandel und pharmazeutischen Unternehmen wird durchweg positiv bewertet. Die Arzneimittel könnten ohne großen Aufwand über den Großhandel oder die Hersteller bezogen und an die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten abgegeben werden. Oftmals könne den Hämophilie-Patientinnen und -Patienten

angeboten werden, die Arzneimittel mittels Botendienstes der jeweiligen Apotheke nach Hause zu liefern.

Es wurde von folgenden Anlaufschwierigkeiten zu Beginn der Vertriebswegänderung berichtet:

a) Dokumentations- und Meldepflicht

Zunächst habe ein erheblicher bürokratischer Mehraufwand durch die neu eingeführten Meldepflichten der Apotheken an die verschreibende Ärztin oder den verschreibenden Arzt bestanden. Der Dokumentationsaufwand in den Apotheken werde zwar weiterhin als hoch empfunden, die Dokumentation und Weitergabe der Daten könne jedoch mittlerweile über eine entsprechende Software bzw. digitale Dokumentationsprogramme vereinfacht werden. So stehe seit Mitte des Jahres 2020 etwa für die Dokumentation der Daten bei Abgabe der Hämophilie-Arzneimittel und Übermittlung der Daten an das Hämophilie-Zentrum oder die spezialisierte ärztliche Einrichtung eine elektronische Lösung zur Verfügung.

b) Lagerung

Aufgrund der Lageranforderungen an die Hämophilie-Arzneimittel sei es erforderlich gewesen, die Kühlkapazitäten in den Apotheken zu erweitern (u.a. durch Vergrößerung des Kühllagers). Dies habe in den Apotheken entsprechend umgesetzt werden können. Der VHA berichtet lediglich von Schwierigkeiten für Apotheken mit wenigen Hämophilie-Patientinnen und -Patienten im Hinblick auf eine lange Lagerungsdauer der Arzneimittel aufgrund der z.T. kurzen Haltbarkeit bestimmter Arzneimittel.

c) Finanzierung:

Vorfinanzierung: Die Apotheken müssen die Arzneimittel vorfinanzieren bis sie abgerechnet werden können (Zeitraum bis zu sechs Wochen). Dies stelle einige, insbesondere kleinere Apotheken, vor finanzielle Herausforderungen. Es sind Meldungen bekannt, dass es vereinzelt zu Schwierigkeiten bei der Rezepteinlösung gekommen ist. Es habe Anfragen nach Konsignationslagern gegeben. Aufgrund des hohen Rezeptwertes hätten sich jedoch mittlerweile Marktmechanismen zur Zwischenfinanzierung gebildet. Darüber hinaus berichtet der VHA über eine gute Organisation der Finanzierung durch Vereinbarung von entfernteren Zahlungszielen mit den pharmazeutischen Unternehmen, Großhändlern oder Banken. Der Dachverband der Be-

etriebskrankenkassen (BKK-DV) berichtet von Anfragen nach Direktabrechnungen (ohne Abrechnungszentrum) und Zahlungsbeschleunigungen. Eine Betriebskrankenkasse plant, ab Mitte 2021 über eine besondere Dienstleistung den Apotheken eine Direktabrechnung anzubieten.

Retaxationsrisiko: Aufgrund der hohen Einkaufspreise wird von den niedergelassenen Apotheken ein mögliches Retaxationsrisiko als problematisch eingeschätzt. Es wird von Einzelfällen berichtet, bei denen Apotheken um die Abgabe einer Kostenübernahmeerklärung durch die Krankenkassen baten. In weiteren Einzelfällen baten die Apotheken um Vorabprüfung der Verschreibung, um Formfehler und eine damit einhergehende Retaxierung zu vermeiden. Fälle, in denen es tatsächlich zu Retaxierungen kam, sind dem BMG nicht bekannt. Das Retaxationsrisiko liegt wie bei anderen hochpreisigen Arzneimitteln im Risikobereich der Apotheken und lässt sich durch entsprechende Arbeitsabläufe und Kontrollen in den Apotheken vermeiden.

Das hohe Preisniveau und das kaufmännische Risikos führe dazu, dass sich spezialisierte, überregional agierende Apotheken herausbilden. Insbesondere nach Ansicht der Interessenverbände der Industrie sei zu erwarten, dass die Versorgung nur von einigen wenigen Apotheken in der Nähe der Behandlungseinrichtungen übernommen und nicht, wie vom Gesetzgeber vorgesehen, von vielen öffentlichen Apotheken in der Fläche vorgenommen werde. Dies könne sich insbesondere nachteilig auf die Notfallversorgung auswirken. Nach Ansicht des GKV-Spitzenverbandes (GKV-SV) dürften hingegen keine nachteiligen Folgen zu erwarten sein. Im DHR seien rund 4.000 Hämophilie-Patientinnen und -Patienten registriert. Aufgrund der hohen Apothekendichte und dem sehr langfristigen und planbaren Bezug der Arzneimittel von Hämophilie-Patientinnen und -Patienten sei zu erwarten, dass sich ausreichend Schwerpunktapotheken etablieren werden. Aufgrund der Seltenheit der Krankheit ist es nicht erforderlich, dass sich jede Apotheke auf die Versorgung von Hämophilie-Patientinnen und -Patienten einstellt. Solange die Apotheken keine Hämophilie-Patientinnen und -Patienten in ihrem Umkreis versorgen, erfordert es auch der gesetzliche Versorgungsauftrag der Apotheken nicht, dass entsprechende Arzneimittel bereitgehalten werden.

d) Privat versicherte Hämophilie-Patientinnen und -Patienten

Privat versicherte Hämophilie-Patientinnen und -Patienten müssen Arzneimittel und somit auch die Hämophilie-Arzneimittel in den Apotheken grundsätzlich unmittelbar bezahlen. Aufgrund der Hochpreisigkeit der Hämophilie-Arzneimittel stelle dies viele Hämophilie-Patientinnen und -Patienten vor finanzielle Herausforderungen. Es wurde berichtet, dass daher zwischen einigen

privaten Krankenversicherungen und Apotheken – wie bei anderen hochpreisigen Arzneimitteln auch – Verträge über eine direkte Abrechnung geschlossen wurden, um eine Vorfinanzierung durch die privat versicherten Hämophilie-Patientinnen und -Patienten zu vermeiden. Zudem würden größere Apotheken teilweise Gebrauch von Abtretungsvereinbarungen machen und den an sie durch die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten abgetretenen Erstattungsanspruch gegenüber den Krankenversicherungen geltend machen. Einige Apotheken würden ihrerseits bei den privat versicherten Hämophilie-Patientinnen und -Patienten in Vorkasse gehen, indem diese erst die Rechnung begleichen müssen, wenn ihre private Krankenversicherung ihnen das Geld ausgezahlt hat.

e) Organisation

Vereinzelt wird berichtet, dass Apotheken, die sich nicht als spezialisierte Hämophilie-Apotheken etabliert haben, wenig geschult und unerfahren seien, was Probleme in der Beratung und sicheren Patientenversorgung mit sich bringe. Zudem sei einigen Ärztinnen und Ärzten das Ausstellen ordnungsgemäßer Verordnungen zunächst nicht gelungen, was den Arbeitsaufwand in den Apotheken erhöht habe. Bei diesen berichteten Umständen dürfte es sich jedoch lediglich um Anlaufschwierigkeiten handeln.

2. Erfahrungen zur Versorgungssituation durch Apotheken und spezialisierte ärztliche Einrichtungen

Hinsichtlich der Auswirkungen der Vertriebswegänderung auf die Versorgungssituation der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten werden positive Erfahrungen berichtet. Teilweise wird zurückgemeldet, dass die Versorgungssituation sich nicht verändert habe, teilweise wird angegeben, dass sich die Versorgungssituation der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten durch den Vertriebsweg über die Apotheken sogar verbessert habe.

Auswirkungen der Vertriebswegänderung auf die Versorgungsstruktur der Hämophilie-Zentren und spezialisierten Arztpraxen werden nicht berichtet.

Im Einzelnen wurden hinsichtlich der Auswirkungen der Vertriebswegänderung auf die Patientenversorgung folgende Aspekte vorgetragen und wie folgt bewertet:

a) Versorgung der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten durch die Apotheken

Flexiblere Versorgung: Im Vergleich zu den Hämophilie-Zentren würden die Apotheken längere Öffnungszeiten (auch ohne Termin) anbieten und eine wohnortnahe und schnellere Versorgung durch Verkürzung der Versorgungswege ermöglichen. Zu den Versorgungszentren (die Deutsche Hämophiliegesellschaft – DHG listet 113 Hämophilie-Zentren deutschlandweit, siehe <https://www.dhg.de/haemophiliezentren.html>) hätten die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten teilweise mehrere 100 km zurücklegen müssen, um ihre Gerinnungsfaktorenzubereitungen abzuholen. Dieser Weg sei auch mit entsprechenden Transportrisiken verbunden gewesen, etwa durch die Unterbrechung der Kühlkette. Diese Risiken und der erhöhte Aufwand werden mit Verkürzung der Wegstrecke und insbesondere durch das Angebot der Inanspruchnahme des Botendienstes vieler Apotheken vermieden. Darüber hinaus würden viele Apotheken individuelle Angebote, beispielsweise zu Teillieferungen anbieten. Dies kann von Vorteil sein, wenn die Kühlkapazitäten bei den Hämophilie-Patientinnen und -Patienten beschränkt sind.

Zusätzlicher Ansprechpartner für arzneimittelbezogenen Fragen: Die Apotheken stellen neben den behandelnden Ärztinnen und Ärzten einen zusätzlichen Ansprechpartner zur Beurteilung arzneimittelbezogener Fragestellungen dar. Es wurde vereinzelt von Verbändevertretern der Hämophilie-Zentren hervorgehoben, dass die Zentren jedoch die besseren Ansprechpartner seien. Da Apotheken in ihrer Beratungsfunktion als Ergänzung zu den behandelnden Ärztinnen und Ärzten bezüglich auftretender Arzneimittelfragen fungieren und eine abschließende Kontrollfunktion vor Abgabe der Arzneimittel ausüben, dürfte sich dies aus Sicht des BMG jedoch vorteilhaft auf die Patientenversorgung auswirken. In diesem Zusammenhang wird auch berichtet, dass der Bestellprozess aufgrund der Einbeziehung der verordnenden Ärztin bzw. des verordnenden Arztes und der Apotheke länger dauere als zuvor. Die Interessengemeinschaft Hämophilie (IGH) und die Deutsche Bluthilfe (DBH) empfehlen daher eine gewisse Bevorratung bei Hämophilie-Patientinnen und -Patienten, wobei dies aus Sicht des BMG aufgrund der in der Regel werktäglichen Belieferung der Apotheken für eine geregelte Versorgung nicht notwendig sein dürfte.

Verfügbarkeit von Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Hämophiliebehandlung in den Apotheken: Sowohl Interessenvertreter der Apothekerschaft als auch der Ärzteschaft berichten, dass nach anfänglichen Anlaufschwierigkeiten in den Apotheken Gerinnungsfaktorenzubereitung

zur Behandlung von Hämophilie nun in einem für die Patientenversorgung ausreichendem Umfang vorhanden sind oder schnell und bundesweit über (Spezial-) Großhandlungen beschafft werden können, sodass eine kurzfristige Versorgung sichergestellt ist.

Bestehende nachteilige Auswirkungen für die Versorgung der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten aufgrund des Umstandes, dass sich nicht jede Apotheke auf die Versorgung von Hämophilie-Patientinnen und -Patienten mit Gerinnungsfaktorenzubereitungen eingestellt hat, werden derzeit seitens des BMG nicht gesehen. Aufgrund der Vielzahl an Apotheken, der eine überschaubare Anzahl an Hämophilie-Patientinnen und -Patienten sowie an Hämophilie-Zentren gegenübersteht, dürfte von einer quantitativen Verbesserung des Versorgungsangebots auszugehen sein. Es sind keine Fälle bekannt, in denen eine wohnortnahe Versorgung von Hämophilie-Patientinnen und -Patienten nicht möglich war. Es wurde lediglich von Einzelfällen berichtet, in denen es zu Schwierigkeiten bei der Einlösung der Verordnungen kam. Nach Angaben einzelner Fachkreise betreffe dies kleinere Apotheken. Viele Apotheken seien hingegen bemüht, durch die Entwicklung von Finanzierungskonzepten die Versorgung mit Gerinnungsfaktorenzubereitungen zu gewährleisten. Zur Sicherstellung der Versorgung der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten sollten die Entwicklungen hinsichtlich der Diversifizierung der Leistungsangebote der Apotheken im Blick behalten werden. Das BMG geht davon aus, dass sich entsprechende Versorgungsangebote herausbilden und verstetigen werden. Auf der Internetseite der IGH sowie des VHA ist jeweils eine Liste mit Apotheken eingestellt, die sich an der Versorgung mit Hämophilie-Arzneimitteln beteiligen. Dies dient Hämophilie-Patientinnen und -Patienten zur Orientierung bei der Apothekensuche.

b) Versorgung der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten durch spezialisierte Arztpraxen und Hämophilie-Zentren

Arzt-Patienten-Bindung: Es ist auf Grundlage der eingereichten Stellungnahmen nicht zu verzeichnen, dass die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten weniger Behandlungstermine in den Hämophilie-Zentren oder spezialisierten Arztpraxen wahrnehmen. Eine hinreichende Bindung von Hämophilie-Patientinnen und -Patienten an qualifizierte Leistungsbringer sei zum einen auf ein aufgeklärtes Eigeninteresse der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten selbst zurückzuführen und zum anderen auf das besondere Leistungsangebot der Hämophilie-Zentren für Hämophilie-Patientinnen und -Patienten mit schwer therapierbaren Erkrankungen. Der VHA gibt an, dass Hämophilie-Patientinnen und -Patienten berichtet hätten, dass vor Vertriebswägänderung auch kein engerer und häufigerer Arztkontakt bestand, da es bei den Zentrums- oder

Praxisbesuchen oft nur um den Erhalt neuer Arzneimittel gegangen sei. Der Vorteil für die Hämophilie-Zentren bestünde nunmehr darin, dass sie mehr Zeit für Beratung und Betreuung hätten, weil sie sich nicht mehr um Abrechnungsangelegenheiten kümmern müssten. Die Sorge, dass die Vertriebswegänderung zu einer gelockerten Arzt-Patienten-Bindung führe, hat sich demnach nicht bestätigt. Lediglich vereinzelt geben Interessenvertreter der Ärzteschaft an, dass eine Verschlechterung der Arzt-Patienten-Bindung zu befürchten sei, was sich auf die ohnehin problematische Adhärenz und Compliance mancher Hämophilie-Patientinnen und -Patienten auswirke. Die Wahrnehmung von Arztbesuchen liegt jedoch in der Eigenverantwortung der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten. Zudem steht das Angebot der Apotheke zu dem der Hämophilie-Zentren und spezialisierten Arztpraxen nicht in einem Alternativverhältnis, sondern vielmehr in einem Kumulativverhältnis, da in den Apotheken keine medizinischen Dienstleistungen angeboten werden. In diesem Zusammenhang ist es nicht Aufgabe des Gesetzgebers, die Möglichkeiten der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten auf Wahrnehmung von Arztterminen durch notwendige Besuche zur Arzneimittelabholung zu erhöhen.

Auswirkungen auf die Hämophilie-Zentren und spezialisierten Arztpraxen: Es wird berichtet, dass es hinsichtlich der Dokumentationspflicht und der Meldepflicht der Ärzteschaft an das DHR nach § 21 Absatz 1a TFG nachteilig sei, dass die Datenübermittlung der Apotheken zu den ausgegebenen Gerinnungsfaktorenzubereitungen in unterschiedlichem Format und mit unterschiedlichem Inhalt erfolge. Zudem erfolge die Datenübermittlung deutlich verzögert oder nur auf ärztliche Nachfrage. Dies führe bei den Ärztinnen und Ärzten zu einem erhöhten Verwaltungs- und Organisationsaufwand. Kritisch angemerkt wird zudem, dass es für die ärztlich kontrollierte Heimselbstbehandlung von Nachteil sei, dass die Verfalldaten der Gerinnungsfaktorenzubereitungen von den Apotheken überwiegend nicht übermittelt werden.

Als konkrete Änderungswünsche wurde diesbezüglich an das BMG herangetragen, § 17 Absatz 6a Satz 3 ApBetrO dahingehend zu ändern, dass für die Meldung der Daten der Apotheken an die behandelnde Person eine Frist bestimmt werde. Darüber hinaus sei die Meldung des Verfalldatums der abgegebenen Packung wünschenswert.

Seitens des BMG wird eine Gesetzesänderung dahingehend nicht für erforderlich gehalten. § 17 Absatz 6 ApBetrO schreibt die Dokumentations- und Meldepflicht der Apotheken zur Ermöglichung der Rückverfolgbarkeit der angewendeten Arzneimittel fest. Bei den Verfalldaten handelt es sich nicht um diesbezüglich relevante Daten. Ebenso wie bei anderen Arzneimitteln, die

von den Patientinnen und Patienten selbst angewendet werden können, liegt es in der Verantwortung dieser, die Arzneimittel vor Anwendung auf ihre Haltbarkeit zu überprüfen und sich rechtzeitig um eine Folgeverordnung zu kümmern. Bei Bedarf können die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten das Verfalldatum zusätzlich an die behandelnde Person übermitteln. Hinsichtlich der berichteten späten oder unterbliebenen Datenübermittlungen durch die Apotheken ist es naheliegend, dass es sich um Anlaufschwierigkeiten gehandelt hat. Durch die Qualitätssicherung der Hämophilie-Arzneimittel vertreibenden Apotheken sowie der breiten Etablierung der bereits erwähnten Software, die sowohl der Dokumentation in den Apotheken als auch der Weiterleitung der Daten an die Ärzteschaft dient, sollten sich insoweit gesehene Probleme in absehbarer Zeit verbessern oder bereits verbessert haben.

Erweiterung des DHR: Die Transparenz über das Versorgungsgeschehen wird durch die Erweiterung der Meldeverpflichtungen an das DHR erhöht. Das Ziel des DHR ist es, statistisch relevante Aussagen zur Optimierung der Behandlung durch die Erfassung der Behandlungsdaten möglichst aller Hämophilie-Patientinnen und -Patienten zu erhalten.

Neuordnung der Vergütung: Es kam zu einer Neuordnung der Vergütung der Hämophilie-Zentren durch Vergütungsverträge nach § 132i SGB V, um dem Erhalt der Zentren als vorhandene anerkannte Versorgungsstruktur Rechnung zu tragen. Nach Rückmeldung der Krankenkassen sind Vertragsverhandlungen aufgenommen worden. Diese würden z.B. in Form von Mustervertragsverhandlungen des Berufsverbandes der deutschen Hämostaseologen (BDDH) mit der Deutschen Gesellschaft für Transfusionsmedizin und Immunhämatologie (DGTI) erfolgen. Mit vielen versorgungsrelevanten Hämophilie-Zentren seien bereits Versorgungsverträge geschlossen worden. Das Vertragsangebot stöße auf große Resonanz auch auf Seiten der Krankenkassen. Zusatzentgelte im Diagnosis Related Groups (DRG)-System oder eine Vergütung für ambulante spezialfachärztliche Versorgung (ASV-Vergütung) nach § 116b SGB V sollten gewährleisten, dass die Ärzteschaft sich auf die Behandlungsqualität fokussieren kann und Therapieentscheidungen nach dem Leistungsrecht des SGB V trifft. Der BKK-DV berichtet, dass bei Beauftragung eines Dienstleisters für den Abschluss eines Versorgungsvertrags eine Zertifizierung im Rahmen eines Qualitätsmanagementsystems (QM-Systems) nachgewiesen werden muss, wodurch die Bereitschaft zur Einführung entsprechender QM-Systeme sowie Erreichen einer höheren Zertifizierung gefördert wird.

Vereinzelte wird kritisiert, dass zum einen der erforderliche Abdeckungsgrad der Verträge unklar sei. Zum anderen wird vorgetragen, dass die Vergütungen im Rahmen der Verträge einschließlich der Vergütungskriterien stark zwischen den einzelnen Krankenkassen variieren und insbesondere bezüglich der Vergütungshöhe nicht nachvollziehbar seien. Es wird durch den BDDH von einem universitären Hämophilie-Zentrum berichtet, dessen Struktur und Ausstattung wegen fehlender Versorgungsverträge mit einigen Krankenkassen durch Einnahmerückgänge gefährdet sei.

Ein Interessenvertreter der Industrie trägt vor, dass Krankenkassen entgegen dem gesetzlichen Auftrag die Mehrausgaben für die Versorgungsaufwendungen durch die Versorgungsverträge finanzieren wollen, indem sie in den Verträgen Wirtschaftlichkeitspauschalen vorsehen.

3. Erfahrungen im Hinblick auf die Preisgestaltung und die Preisbildung

Die gesetzlichen Folgeänderungen zur Vertriebswegänderung haben zur Transparenz in der Preisgestaltung und Preisbildung geführt. Negative Auswirkungen auf die Patientenversorgung, beispielsweise durch Umstellung der Medikation oder der Therapie aufgrund bestehender Rabattverträge oder Wirtschaftlichkeitspauschalen in den Versorgungsverträgen, sind nicht bekannt.

Die vorgetragenen Bedenken seitens der Interessenvertreter der Industrie, dass sich die pharmazeutischen Unternehmen aufgrund nun fehlender Wirtschaftlichkeit und Planungssicherheit vom deutschen Markt zurückziehen könnten, werden vom BMG nicht geteilt. Deutschland hat innerhalb der EU hinsichtlich des Apothekenvertriebswegs für Hämophilie-Arzneimittel keine Alleinstellung. Darüber hinaus überstieg das Preisniveau für die Hämophilie-Arzneimittel in Deutschland vor Vertriebswegänderung das Preisniveau in vielen anderen EU-Mitgliedstaaten erheblich.

Im Einzelnen wurden folgende Aspekte näher beleuchtet:

a) Kostentransparenz durch das Preisbildungsverfahren

Durch die Regelungen zur Preisbildung ist erstmals eine vollständige Kostentransparenz erreicht worden, auf deren Grundlage eine rationale Arzneimitteltherapie erfolgen kann. Für die 33 Arzneimittel, die vor dem 1. Januar 2011 in Verkehr gebracht wurden (sog. Bestandsarzneimittel), gilt die AMPreisV. Dies ermöglicht erstmals einen realen Preiswettbewerb unterhalb

der gelisteten Preise. Der GKV-SV berichtet, dass durch die Preisbestimmung das mittlere gelistete Preisniveau am 1. September 2020 17% unter dem zuvor gelisteten Preisniveau lag. Die höchste Preisabsenkung beträgt 52,5 %.

b) Neue Arzneimittel zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen

Nach Angaben des GKV-SV werden derzeit hinsichtlich Arzneimitteln zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen mit neuen Wirkstoffen die Abgabepreise auf Grundlage der seit dem 1. September 2020 geltenden Preise für die Bestandsmarktprodukte im Rahmen des Arzneimittelneuordnungsgesetz (AMNOG)-Verfahrens neu verhandelt. Die Ergebnisse der laufenden Verhandlungen sind wegen des Sonderkündigungsrechts nach § 130b Absatz 7a SGB V abzuwarten.

Vertreter der Industrie sehen es dabei kritisch, dass der GKV-SV im Rahmen der Neuverhandlung in einem Markt mit einer Vielzahl von Arzneimitteln ausschließlich auf die wirtschaftlichste Vergleichstherapie abstellt, obwohl diese in der Versorgungspraxis keine Bedeutung hat. Als Konsequenz seien massive Preissenkungen zu erwarten, die die Hersteller dazu zwingen könnten, ihr Engagement im deutschen Arzneimittelmarkt zu prüfen und ggfs. Zurückzufahren. Hierbei würde es sich um eine unternehmerische Entscheidung des Herstellers, welche rein wirtschaftliche Gründe hat, handeln. Die Versorgung der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten wäre jedoch durch eine etwaige von einzelnen Herstellern initiierte Marktrücknahme nicht unmittelbar gefährdet, da zahlreiche langjährig bewährte Behandlungsalternativen zur Verfügung stehen.

c) Rabattverträge

Durch den Distributionsweg über die Apotheken ist erstmals die Möglichkeit eröffnet worden, deutschlandweit gültige Rabattverträge abzuschließen. Über diese Rabattverträge besteht die Möglichkeit, die Wirtschaftlichkeitsreserven für die hochwertige und spezialisierte Versorgung zu heben. Zusätzlich wirken sich das Preismoratorium und die gesetzlichen Herstellerabschläge signifikant ausgabedämpfend aus. Es bestehen nun die Rahmenbedingungen, um das kostendämpfende Instrument der Festbetragsgruppen auch in diesem Therapiebereich anwenden zu können. Für den überwiegenden Teil der Hämophilie-Arzneimittel wurden nach Aussage des Verbandes der Ersatzkrankenkassen e.V. (vdek) Rabattverträge geschlossen. Auch BDDH und DGTI berichten von Rabattverträgen der pharmazeutischen Unternehmen mit einem Großteil der Krankenkassen. Viele Krankenkassen würden zudem im Rahmen der Rabattverträge die Zuzahlung übernehmen.

Die aus Rabattverträgen resultierende Verpflichtung zur Abgabe preisgünstiger wirkstoffgleicher Hämophilie-Arzneimitteln der Apotheke wird von der Ärzteschaft und von Vertretern der Industrie vereinzelt kritisch betrachtet. Dabei besteht eine Verpflichtung zur Abgabe eines preisgünstigeren Arzneimittels nur, wenn die ärztliche Person ein Arzneimittel unter seiner Wirkstoffbezeichnung verordnet, sie den Austausch nicht ausschließt, indem das „aut-idem“-Kästchen auf dem Rezept durchgestrichen wird oder der Austausch nicht durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) ausgeschlossen wurde.

Darüber hinaus wird durch Vertreter der Apothekerschaft eines Landes vorgebracht, dass die Rabattverträge das Retaxationsrisiko erhöhen würden, was mit erheblichen wirtschaftlichen Risiken für die versorgenden Apotheken einhergehe. Auf die Ausführungen zum Retaxationsrisiko auf Seite 11 wird verwiesen.

Vereinzelt wird seitens der Industrie über verschlechterte Möglichkeiten zur Durchsetzung von Rabatten berichtet. Den Hämophilie-Zentren sei es durch die Steuerung der Versorgung der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten möglich gewesen, höhere Rabatte zu generieren. Ein solches Steuerungspotential entfalle mit der Vertriebswegänderung. Demnach bestünde nur ein geringes Interesse der pharmazeutischen Unternehmen, Rabattverträge abzuschließen. Es würden nur geringfügige Rabatte gewährt werden. In diesem Zusammenhang berichten einige Fachkreise, dass die pharmazeutischen Unternehmen ihre wirtschaftlichen Risiken durch die Rabattverträge zunehmend weniger solide kalkulieren können. Es bestünde die Gefahr, dass die pharmazeutischen Unternehmen zur Risikominderung zukünftig zugelassene Gerinnungsfaktorzubereitungen aus Deutschland in andere Staaten mit mehr Planungssicherheit exportieren. Vor dem Hintergrund, dass rekombinante Arzneimittel wie andere moderne Gerinnungsfaktorzubereitungen nicht fortlaufend, sondern in Chargen für bestimmte Zeitfenster produziert werden, würde ein Verkauf dieser Chargen ins Ausland eine Versorgungslücke in Deutschland zur Folge haben. Die Plasma Protein Therapeutics Association (PPTA) weist zudem auf einen erheblich erhöhten Aufwand und die starke finanzielle Belastung der pharmazeutischen Unternehmen durch die Vertriebswegänderung hin. Mittel- bis langfristige Investitionen in diesem Therapiesegment seien gefährdet und es bestünde die Gefahr, dass einige Hämophilie-Arzneimittel mangels Wirtschaftlichkeit in Deutschland von Markt genommen würden. Nach dem Kenntnisstand des BMG zeichnen sich solche Entwicklungen nicht ab. Alle Arzneimittel zur

spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie, für welche seit dem 1. September 2020 ein Herstellerabgabepreis nach den Vorgaben des § 130d SGB V gilt, sind weiterhin am deutschen Markt verfügbar. Anzeichen dafür, dass sich pharmazeutische Unternehmen nach Abschluss der sich in der Endphase befindenden Neuverhandlungen der gekündigten Verträge, die mit dem Ziel des Abschlusses von Vereinbarungen nach § 130b SGB V geführt werden, vom deutschen Markt zurückziehen werden, bestehen derzeit nicht.

d) Ausgaben- und Preiseffekte

Mangels ausreichender Abrechnungsdaten können die Ausgabeneffekte für die Gerinnungsfaktorenzubereitung noch nicht abschließend beurteilt werden. Die aktuell geringen Ausgaben können neben der vorübergehenden Senkung der gesetzlichen Umsatzsteuer von 19 % auf 16 % in der Zeit vom 1. Juli 2020 bis zum 31. Dezember 2020 auch auf eine vorausschauende, pandemiebedingte Bevorratung der Arzneimittel durch die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten vor dem 1. September 2020 zurückzuführen sein. Eine abschließende Beurteilung wird voraussichtlich erst ab dem Jahr 2022 möglich sein. Der vdek rechnet bei sinkendem Preisniveau durch Preisfestsetzung für Bestandsarzneimittel und Herstellerabschlag i. H. v. 7 % (§ 130a SGB V) trotz Großhandels- und Apothekenzuschläge und der Zentrumsvergütung nach den Versorgungsverträgen gemäß § 132i SGB V mit einem stabilen Ausgabenniveau für die Hämophilieversorgung. Die PPTA geht hingegen von einem Anstieg der Preise aufgrund der Großhandels- und Apothekenzuschläge aus.

Die PPTA weist zudem darauf hin, dass einige Krankenkassen Verträge nach § 129a SGB V mit Behandlungszentren (v.a. Universitätskliniken mit großen Hämophilie-Ambulanzen) abschließen. Das laufe dem Ziel des GSAV (Versorgung durch öffentliche Apotheken in der Breite) entgegen und erhöhe den Preisdruck auf die pharmazeutischen Unternehmer noch weiter. Weitere Vertreter der Industrie bringen vor, dass die Möglichkeit, Verträge nach § 129a SGB V zu schließen, für die ambulante spezialärztliche Versorgung im Rahmen der Heimselbstbehandlung rechtlich unklar sei und die vom GSAV angestrebten Ziele, etwa eine größere Transparenz oder Entflechtung direkter Beziehungen zwischen dem pharmazeutischen Unternehmen und den Zentren zu erreichen, konterkariere.

e) Kostenfaktor Packungsgröße

Als Kostenfaktor zu Lasten der Krankenkassen wurde von vielen Seiten der Angebotsmangel an N2- oder N3-Packungsgrößen von Hämophilie-Arzneimitteln ausgemacht. Zwar sei von zwei Anbietern jüngst N3-Packungen eingeführt worden, jedoch bleibe die überwiegende Abgabe der N1-Packungen prävalent. Bei einmaliger Abgabe von 30 dieser N1-Packungen wird die Zuzahlung für die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten zwar auf 10 € gebündelt, die Krankenkasse zahlt dennoch den Apothekenzuschlag (3 % auf den Apothekereinkaufspreis + 8,35 €) je Packung, obwohl Logistik/Handlung und Beratung nur einmal angefallen sind.

Aufgrund dieser zusätzlichen Ausgabenbelastung wird durch verschiedene Fachkreise und Länder angeregt, die Bündelung der Packungen (N1 zu N2 oder N3) bei Berechnung der Zuschläge zulasten der Krankenkassen zu berücksichtigen und in der AMPPreisV vorzusehen, dass die Preisberechnung nicht packungsweise, sondern verordnungszeilenweise vorgenommen wird. Zudem sei durch den pharmazeutischen Unternehmer eine Pharmazentralnummer (PZN) zu beantragen.

4. Sonstige Erfahrung

Parallelimport: Mit dem Inkrafttreten des GSAV und der damit verbundenen Vertriebswegänderung ist die Anzahl der Anträge auf Parallelimport-Zulassung für Arzneimittel zur Versorgung von Hämophilie-Patientinnen und -Patienten seit Oktober 2020 stark angestiegen. Eine ähnliche Erhöhung der Zahlen ist für die parallel vertriebenen, rekombinanten Gerinnungsfaktorezubereitungen und die für diese zu durchlaufenden Notifizierungsverfahren bei der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) zu beobachten. Bis auf anfängliche Verunsicherung bei den Ärztinnen und Ärzten sind derzeit keine negativen Erfahrungen und Auswirkungen auf die Arzneimittelsicherheit beim Einsatz von parallel gehandelten Arzneimitteln bekannt.

Großhandel: Es haben sich spezialisierte Pharmagroßhandlungen herausgebildet. Probleme hinsichtlich der Belieferung der Apotheken durch den pharmazeutischen Großhandel sind nicht bekannt. Die Arzneimittel seien in ausreichender Menge verfügbar und eine zeitnahe Belieferung durch die spezialisierten Großhändler sichergestellt.

Unlautere Versorgungsstrukturen: Die Ersatzkassen vermuten bei einem Teil der eingelösten Verordnungen unlautere Versorgungsstrukturen. Seit längerem sei die Beteiligung einzelner Hämostaseologen an einem Arzneimittelgroßhandel bekannt. Nun bestehe der Verdacht, dass

diese Ärztinnen und Ärzte im Rahmen der Vertriebswegänderung Hämophilie-Patientinnen und -Patienten gezielt an kooperierende Apotheken zur Rezepteinlösung verweisen. Dazu betreiben die Ersatzkassen aktuell eine Sachverhaltsaufklärung.

II. Erfahrungen mit den Regelungen zur Notfallversorgung

Bisher liegen nur wenige Erfahrungswerte zur Notfallversorgung unter neuer Rechtslage vor. Insgesamt hat sich jedoch eine gute Zusammenarbeit zwischen Ärzteschaft, Apotheken, Großhandel und Industrie sowie ein hohes Engagement dieser im Hinblick auf die Organisation von Notfallvorräten gezeigt. Vorkommnisse, dass Hämophilie-Patientinnen und -Patienten nicht rechtzeitig versorgt werden konnten, sind dem BMG nicht bekannt. Wie sich der Ausbau der Notfallversorgungsstruktur insbesondere im niedergelassenen Bereich weiter entwickeln wird, bleibt abzuwarten. Im Hinblick auf die Notfallversorgung in den Krankenhäusern durch die Krankenhausapotheken wird berichtet, dass die Neuregelung zu keinen wesentlichen Änderungen geführt habe.

Im Einzelnen wurden folgende Aspekte beleuchtet:

1. Bisher geringer Gebrauch von Notfallvorräten

Nach Angaben der Krankenkassen sind bisher nur wenige Fälle bekannt, in denen von dem Notfallvorrat in den Hämophilie-Zentren und spezialisierten Arztpraxen sowie in den Apotheken Gebrauch gemacht werden musste. Dies dürfte u.a. dadurch zu begründen sein, dass die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten sich in der Regel im Rahmen des Konzepts der Heimselbstbehandlung vorausschauend mit ausreichend Gerinnungsfaktorenzubereitungen bevorraten, sodass der Rückgriff auf einen Notfallvorrat nur in nicht vorhersehbaren und dringenden Ausnahmefällen erfolgt.

Der VHA hat folgende Gründe vorgetragen, die einen Zugriff auf dessen zwei zentralen Notfallvorräte bisher am häufigsten erforderlich gemacht haben: Anfragen von Kliniken, hauptsächlich wenn Hämophilie-Patientinnen und -Patienten notfallmäßig operiert werden mussten und keinen Notfallvorrat dabei hatten, sowie vereinzelt bei unterbrochenen oder verzögerten Belieferungen zwischen Industrie und Apotheke sowie bei späten Bestellungen von Gerinnungsfaktorenzubereitungen durch die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten.

2. Einrichtung der Notfallvorräte

Mehrere Interessenvertreter der Ärzteschaft berichteten, dass die Einrichtung von Notfallvorräten in den ärztlichen Einrichtungen grundsätzlich realisierbar, aber mit hohem Aufwand verbunden sei. Es erfordere eine professionelle Zusammenarbeit zwischen den Hämophilie-Zentren und spezialisierten Apotheken, um Notfallkonzepte auch in Zusammenarbeit mit pharmazeutischen Unternehmen und Großhändlern zu etablieren. Für diese Zusammenarbeit wurde mit der Regelung in § 11 Absatz 2a ApoG die Voraussetzung geschaffen. Die Kommunikation zwischen den Hämophilie-Zentren und den Apotheken hinsichtlich der Notfallversorgung wurde durchgängig als gut beschrieben. Lediglich die IGH meldet Nachbesserungsbedarf in den Abstimmungsprozessen, um Lieferengpässe, verfrüht geleerte Notfallvorräte und unnötige verlängerte Wartezeiten zu vermeiden.

Im stationären Bereich erfolgt die Bestückung der Notfallvorräte durch die Krankenhausapotheken. Zur Sicherstellung der ambulanten Notfallversorgung würden zudem Verträge mit öffentlichen Apotheken geschlossen werden.

Ein Land fordert, dass eine Klarstellung hinsichtlich des § 11 Absatz 2a ApoG aufgenommen wird, dass der Notfallvorrat von Apotheken nicht in den Räumen einer Praxis bzw. eines Zentrums gelagert werden muss und Arztpraxen selbst Notfallvorräte bereithalten dürfen (§ 43 Absatz 3a AMG). Dies wird seitens des BMG nicht für erforderlich gehalten. § 11 Absatz 2a ApoG verweist auf § 43 Absatz 3a AMG, der ausdrücklich ärztlichen Einrichtungen die Notfallbevorratung erlaubt. Rechtsunsicherheit hinsichtlich der Regelung der Notfallbevorratung besteht demnach nicht.

Berichtet wurde durch verschiedene Fachkreise, dass einige Notfallvorräte wegen des Verfallrisikos und der Hochpreisigkeit der Gerinnungsfaktorenzubereitungen mit nur noch wenigen unterschiedlichen Zubereitungen bestückt würden, wodurch die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten im ambulanten Notfall meist nicht ihr übliches Arzneimittel erhalten würden. Es bestehe die Gefahr einer schlechteren Versorgung bei Unverträglichkeit oder nicht gleichwertiger Wirksamkeit des Ersatzpräparats. Aus denselben Gründen seien Notfallvorräte auch im Hinblick auf die Anzahl der verfügbaren Gerinnungsfaktorenzubereitungen zu gering angelegt. Es wird vorgeschlagen, Gerinnungsfaktorenzubereitungen vor Verfall durch die ärztlichen Einrichtungen direkt an die Hämophilie-Patientinnen oder -Patienten auch außerhalb der Notfallversorgung abgegeben zu dürfen.

Dieses Vorbringen wird seitens des BMG nicht unterstützt. Den ärztlichen Einrichtungen und den Apotheken ist bekannt, welche Arzneimittel von den Hämophilie-Patientinnen und -Patienten in ihrem Umkreis benötigt werden, sodass sie den Notfallvorrat ausgerichtet an der Nachfrage bestücken können. Die Zusammenarbeit von Ärztinnen und Ärzten mit Apotheken ermöglicht eine angemessene Notfallversorgung.

Darüber hinaus wird von verschiedenen Fachkreisen und einem Land vorgebracht, dass die neue Regelung in § 11 Absatz 2a ApoG den Krankenhausapotheken ein Sonderdispensierrecht einräume, da sie Gerinnungsfaktorenzubereitungen direkt an die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten abgeben können. Wenn die Krankenhausapotheke Arzneimittel abgibt, rechne sie diese nicht anhand der AMPPreisV ab. Dadurch würden intransparente Abrechnungspreise und ein unerwünschter Direktvertrieb in gewisser Weise aufrechterhalten bleiben, was gegebenenfalls nicht im Einklang mit der gesetzgeberischen Intention des GSAV stünde. Es seien wenige Fälle bekannt, in denen Hämophilie-Patientinnen und -Patienten auch für die Heimselbstbehandlung und nicht nur für Notfälle über die Krankenhausapotheken versorgt wurden.

Das BMG teilt die Bedenken nicht. Nach § 11 Absatz 2a Satz 2 ApoG ist den Krankenhausapotheken nur im Rahmen der Notfallversorgung eine Direktabgabe der Gerinnungsfaktorenzubereitungen gestattet; die Abrechnung unterliegt nicht der AMPPreisV. Eine Preistransparenz wird jedoch insoweit gewährleistet, als die Krankenkassen bei Vereinbarungen der Verträge nach § 129a Satz 1 SGB V das Wirtschaftlichkeitsgebot zu beachten haben. Dieses verbietet es grundsätzlich, dass die vereinbarten Preise höher sind als diejenigen, die sich aus der AMPPreisV ergeben. Ein Regelungsbedarf wird daher nicht gesehen.

3. Abschaffung der Notfallvorräte in spezialisierten Arztpraxen und Hämophilie-Zentren

Darüber hinaus wurde berichtet, dass einzelne spezialisierte Arztpraxen und Hämophilie-Zentren ihre Notfallvorräte ganz abgeschafft oder solche nicht angelegt haben. Dies wird damit begründet, dass Hämophilie-Patientinnen und -Patienten mit leichter Hämophilie und Bedarfsmedikation ihre Arzneimittel zu Hause lagern und die im Notfallvorrat eingelagerten Gerinnungsfaktorenzubereitungen vermutlich ungenutzt verfallen würden. Der Verfall der teuren Gerinnungsfaktorenzubereitungen gehe mit einem hohen Kostenrisiko einher. Die Beschaffung notwendiger Gerinnungsfaktorenzubereitungen erfolge dann im Bedarfsfall über die Apotheken oder über Notfallvorräte spezialisierter Großhandlungen. Die VHA hat zwei Notfallvorräte zentral organisiert und eine telefonisch erreichbare Hämophilie-Notfallzentrale eingerichtet, die von Apotheken, der Ärzteschaft sowie von Hämophilie-Patientinnen und -Patienten genutzt

wird. Auf diesem Wege soll eine bundesweite Notfalllieferung aus Hamburg und Berlin innerhalb von maximal 12 Stunden oder aus kleineren Notfallvorräten von 20 der 72 VHA-Apotheken organisiert werden können. Die zwei großen Notfallvorräte sollen dauerhaft alle erforderlichen Gerinnungsfaktorenzubereitungen in ausreichender Menge enthalten. Alle bisher eingegangenen Anfragen seien deutschlandweit innerhalb weniger Stunden bedient worden. Nach Angaben des VHA habe sich die Organisation der Notfallvorräte über die Apotheken gut eingespielt. Dies führe neben einer guten Versorgung zu einer Reduzierung der Kosten für das Gesundheitswesen, indem der Verfall der Arzneimittel in den Notfallvorräten der Hämophilie-Zentren minimiert wird. Der VHA sieht den Grund für den Abbau von Notfallvorräten in einigen Hämophilie-Zentren gerade darin, dass die kurzfristige Versorgung über die Apotheke von diesen als ausreichend eingeschätzt werde.

Kritik zu dieser Vorgehensweise wird seitens Vertretern der Industrie geäußert, da sie zu längeren Wartezeiten auf die Gerinnungsfaktorenzubereitungen führe und durch die Notfallbelieferung zusätzliche Kosten entstünden. Zudem sollten sich mehr Apotheken an den Notfallvorräten beteiligen und eine 24/7-Versorgung (24 Stunden am Tag, 7 Tage die Woche) anbieten.

Der GKV-SV sieht zudem die Organisation des Notfallvorrates im niedergelassenen Bereich als problematisch an, da Strukturen zur Kooperation der Ärzteschaft mit öffentlichen Apotheken erst aufgebaut werden müssten. Insgesamt bestünden aber mehr Anlaufstellen für Notfallsituationen, da die medikamentöse Notfallversorgung neben den Hämophilie-Zentren und spezialisierten Arztpraxen auch über die öffentlichen Apotheken gewährleistet werden könne.

D. Fazit

Das Ziel der Gesetzesänderung, die Arzneimittel zur Behandlung von Hämophilie einem einheitlichen Vertriebsweg über die Apotheken zuzuführen, um Marktverzerrungen zu vermeiden, wurde erreicht. Die Umsetzung der Vertriebswegänderung wurde von den Ländern, den Fachkreisen und dem PEI insgesamt positiv bewertet. Probleme in der Patientenversorgung mit Gerinnungsfaktorenzubereitung zur Behandlung von Hämophilie haben sich im Rahmen der Evaluation nicht gezeigt. Die Qualität der Versorgung wurde als gleichbleibend gut und teilweise sogar aufgrund der mit der Versorgung über die Apotheken einhergehenden größeren Flexibi-

lität für die Hämophilie-Patientinnen und -Patienten als verbessert beschrieben. Anfänglich bestehenden Problemen im Rahmen der Umsetzung der Vertriebswegänderung und der gesetzlichen Folgeänderungen konnte durch ein hohes Engagement und eine gute Zusammenarbeit zwischen den Apotheken, dem Großhandel, den pharmazeutischen Unternehmen, den spezialisierten ärztlichen Einrichtungen und den Krankenkassen zum Wohle der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten erfolgreich begegnet werden.

Auf Grundlage der erfolgten Auswertung der Stellungnahmen wird seitens des BMG zur Sicherstellung der Versorgung der Hämophilie-Patientinnen und -Patienten kein gesetzlicher Änderungsbedarf gesehen. Das BMG wird jedoch weiterhin die Entwicklungen des Marktes und der Versorgung beobachten.