

DEUTSCHE SOZIALVERSICHERUNG  
ARBEITSGEMEINSCHAFT EUROPA  
e.V.

*MAISON EUROPEENNE DE LA PROTECTION SOCIALE*

Rue d'Arlon 50, B-1000 Bruxelles

Telefon: +32 2 230.75.22

Telefax: +32 2 230.77.73

E-Mail: [dsv@esip.org](mailto:dsv@esip.org)

[www.deutsche-sozialversicherung.de](http://www.deutsche-sozialversicherung.de)



***Öffentliche Anhörung der EU-Kommission zu  
„Seltene Krankheiten –  
eine Herausforderung für Europa“***

**Gemeinsame Stellungnahme  
der Spitzenorganisationen  
der Deutschen Sozialversicherung**

**vorgelegt am 14. Februar 2008**

**Gemeinsame Stellungnahme  
der Spitzenorganisationen  
der Deutschen Sozialversicherung**

**vorgelegt am 14. Februar 2008**

Zu den im Rahmen der Konsultation gestellten Fragen nehmen die Spitzenorganisationen der deutschen Sozialversicherung wie folgt Stellung:

**Frage 1: Ist die gegenwärtige EU-Definition von "seltene Krankheit" zufrieden stellend?**

Die Definition seltener Erkrankung, die in der Europäischen Union verwandt wird (eine Erkrankung ist selten, wenn die Prävalenz unter fünf von zehntausend liegt), ist grundsätzlich vernünftig. Allerdings werden in verschiedenen Mitgliedsstaaten noch abweichende Prävalenzangaben zur Definition verwendet. Eine einheitliche Bezugnahme auf die Definition der EU ist anzustreben. Dabei ist jedoch zu berücksichtigen, dass aufgrund einer alleinigen Definition über die Prävalenz noch keine Aussagen über Ausprägung und Schwere der Krankheit getroffen werden können. Auch wenn viele seltene Erkrankungen einschließlich der genetisch bedingten Erkrankungen lebensbedrohlich sein können oder eine chronische Invalidität nach sich ziehen, ist dies nicht grundsätzlich gegeben. Daher sollte darauf geachtet werden, dass bei einer Definition alleine aufgrund der Prävalenz keine Aussagen zu Schweregrad und Ausprägung der Krankheit möglich sind. Hier scheint eine Klarstellung erforderlich, da beispielsweise auf der entsprechenden Webseite der Europäischen Kommission ([http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/rare\\_diseases-de](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_diseases-de).) folgende Aussage enthalten ist:

"Seltene Krankheiten  
Was ist eine Seltene Krankheit?"

"Seltene Krankheiten einschließlich genetisch bedingter Krankheiten sind lebensbedrohende oder eine chronische Invalidität nach sich ziehende Krankheiten; ihre Prävalenz ist so gering, dass zu ihrer Bekämpfung besondere gemeinsame Bemühungen erforderlich sind, um eine signifikante Morbidität bzw. perinatale oder frühzeitige Mortalität oder eine beträchtliche Verringerung der Lebensqualität oder des sozioökonomischen Potenzials einer Person zu verhindern".

Des Weiteren sollte die Definition um einen Kostenbezug ergänzt werden wie es z.B. in den USA der Fall ist: „...and for which there is no reasonable expectation

that the cost of developing and making available in...will be recovered from sales...“ (vgl. the RD act of 2002 (HR 4013) und US Orphan Drug Act).

**Frage 2: Sind Sie der Meinung, dass es dringend erforderlich ist, die Kodifizierung, Klassifizierung in diesem Bereich zu verbessern?**

Unter Berücksichtigung der Stellungnahme zu Frage 1 ist gegebenenfalls zu prüfen, ob:

- eine weitere Subklassifizierung aufgrund der Prävalenz möglich bzw. sinnvoll ist z.B. in "seltene Erkrankung" und "sehr seltene Erkrankungen";
- gegebenenfalls weitere Kriterien in Bezug auf Ausprägung/Konsequenzen der jeweiligen Erkrankung sinnvoll sind.

**Frage 3: Wäre ein europäisches Verzeichnis seltener Krankheiten eine Hilfe im Umgang mit seltenen Krankheiten für das einzelstaatliche oder regionale System ihres Landes?**

Jede Initiative, die zu einer Verbesserung des Kenntnisstandes zu seltenen Erkrankungen beiträgt, ist prinzipiell zu begrüßen. Ein europäisches Verzeichnis kann dabei zu einer Verbesserung der Transparenz beitragen. Inwieweit dieses Verzeichnis eine konkrete Hilfe darstellt, hängt von seiner Ausgestaltung ab. Allgemein gilt es den Wissensaustausch zu seltenen Erkrankungen zu verbessern.

**Frage 4: Sollten die europäischen Referenznetzwerke dem Wissenstransfer Vorrang einräumen? Oder eher der Mobilität der Patienten? Oder beidem? Wenn ja, wie?**

In Bezug auf europäische Referenznetzwerke für seltene Erkrankungen sollte eindeutig dem Wissenstransfer Vorrang eingeräumt werden. Dabei erscheint es besonders wichtig, die Studienlage zu bestimmten seltenen Krankheiten zu sammeln und nach dem Prinzip der evidenzbasierten Medizin auszuwerten. Diese könnten dann auch als Grundlage für entsprechende diagnostische/therapeutische Leitlinien dienen. In der Regel sind die nationale Gesundheitssysteme für die Versorgung der ansässigen Bevölkerung ausgestaltet. Ein allzu hohes Maß an Mobilität könnte u.U. zu Schwierigkeiten in der Versorgung führen. Im Übrigen dürfte die Mobilität bei vielen der betroffenen Patienten auf Grund ihrer Erkrankung eingeschränkt sein. Eine Regelung für kleine Mitgliedsländer sollte ggf. gefunden werden.

**Frage 5: Sollten in diesem Bereich Online- und elektronische Hilfsmittel eingesetzt werden?**

In Anbetracht des derzeitigen Standes der Informationstechnologie ist ein Wissenstransfer ohne Online- und elektronische Hilfsmittel nicht denkbar. Wünschenswert wäre beispielsweise eine zentrale elektronische Datenbank zu Studienlagen etc..

**Frage 6: Wie kann der Zugang zu qualitativ hochwertigen Tests für seltene Krankheiten weiter verbessert werden?**

Unter „Zugang“ wird in diesem Zusammenhang unsererseits der Zugang von Patienten zu qualitativ hochwertigen Tests verstanden, nicht die Entwicklung entsprechender Tests. Der Zugang kann dadurch verbessert werden, dass ein entsprechender Wissenstransfer über Symptome, diagnostische und therapeutische Möglichkeiten bei den seltenen Erkrankungen gesammelt und unter den entsprechenden Leistungserbringern verbreitet werden. Dabei sollte es unter anderem darum gehen, die derzeit teilweise lange Zeit zwischen Auftreten von Symptomen und endgültiger Diagnostik zu verkürzen.

**Frage 7: Sehen Sie einen dringenden Bedarf an einer Bewertung eines möglichen Bevölkerungsscreenings auf EU-Ebene?**

Früherkennungs- bzw. Screeningmaßnahmen sollen durch eine frühzeitige Entdeckung und daraus resultierender schonender und effektiverer Therapiemöglichkeiten zur Senkung der Mortalität und Morbidität an der Zielerkrankung führen. Für die Bewertung von Screeningmaßnahmen gibt es international etablierte wissenschaftliche Kriterien (z. B. Wilson und Jungner, 1968). Eines dieser Kriterien ist unter anderem, dass es sich bei der Zielerkrankung um ein bedeutsames Gesundheitsproblem handelt. Zwar sind auch hier Ausnahmen möglich, wie in Deutschland beispielsweise bei den Zielerkrankungen des erweiterten Neugeborenen-Screenings. Hier ist aber jeweils eine individuelle auf den Test und die Zielerkrankung bezogene wissenschaftliche Bewertung auf Grundlage der entsprechenden Kriterien erforderlich.

**Frage 8: Stellen Sie sich als Lösung des Problems des Zugangs zu Arzneimitteln für seltene Leiden eine einzelstaatliche Lösung oder eine Lösung auf EU-Ebene vor?**

Grundsätzlich ist vor der Frage des Zugangs zu Arzneimitteln für seltene Leiden auf das Ausweisungsverfahren hinzuweisen: Mit der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden wurde in der EU ein Gemeinschaftsverfahren zur Förderung von orphan drugs, also Arzneimitteln für

seltene Leiden, festgelegt (Amtsblatt der Europäischen Gemeinschaften L18 vom 22.01.2000). Die Beurteilung obliegt einem Ausschuss (Committee for Orphan Medicinal Products- COMP) bei der Zulassungsbehörde (EMA). Der besondere Status muss vor der Zulassung beantragt werden. Für als orphan drug registrierte Arzneimittel müssen die Hersteller in einem zentralisierten Zulassungsverfahren gleichwohl Qualität, Unbedenklichkeit und Wirksamkeit nachweisen. Hersteller von orphan drugs erhalten allerdings administrative und finanzielle Unterstützung im Zulassungsverfahren und ein exklusives Vermarktungsrecht, das bis zu 10 Jahren gewährt werden kann.

Im Hinblick auf die Leistungsverpflichtung der deutschen Gesetzlichen Krankenversicherung handelt es sich bei der Anerkennung als orphan drug jedoch nicht um eine arzneimittelrechtliche Zulassung. Mit dem orphan-drug-Status sind lediglich Förderungen bei dem Zulassungsverfahren sowie bei der Vermarktung verbunden. Die Zulassung muss folglich auch für orphan drugs beantragt und erfolgreich abgeschlossen werden. Da die Leistungspflicht der Krankenkassen die arzneimittelrechtliche Zulassung voraussetzt, ergibt sich keine andere Beurteilung als bei Arzneimitteln ohne orphan-drug-Status. An diesem Verfahren sollte auf jeden Fall festgehalten werden.

**Frage 9: Sollte die EU eine Verordnung zu Medizingeräten und Diagnostika für seltene Krankheiten erlassen?**

Nein.

**Frage 10: Welche Art von spezialisierten sozialen und pädagogischen Diensten für Patienten mit seltenen Krankheiten und deren Familien sollte auf EU-Ebene und auf einzelstaatlicher Ebene empfohlen werden?**

Der Bedarf an spezialisierten sozialen und pädagogischen Diensten ist abhängig von der jeweiligen Erkrankung und deren Ausprägungsgrad. Von daher kann diese Frage nicht generell, sondern nur individuell bezogen auf die jeweilige Erkrankung beantwortet werden. Maßnahmen sollten auf nationaler/regionaler Ebene hinsichtlich der speziellen gesundheitsökonomischen Faktoren getroffen werden.

**Frage 11: Welches Führungs- und Finanzierungsmodell wäre für Archive, Datenbanken und Biobanken geeignet?**

und

**Frage 12: Wie sehen Sie die Rolle der Partner (Industrie und Wohlfahrtsverbände) in einer Gemeinschaftsmaßnahme zu seltenen Krankheiten? Welches Modell wäre am besten geeignet?**

Prinzipiell ist jede Initiative zur Verbesserung des Kenntnisstandes zu seltenen Erkrankungen erstrebenswert. Es darf jedoch keine Situation entstehen, wodurch der überwiegende Teil von Forschung und Entwicklung mit öffentlichen Mitteln finanziert wird, während die pharmazeutischen Unternehmen den Gewinn machen. Im Übrigen sei auch hier noch mal auf die Verordnung Nr. 141/2000 EG verwiesen, womit der Industrie bekanntlich Unterstützung im Verfahren sowie eine Markt-exklusivität für bis zu zehn Jahren bei „orphan drugs“ zugestanden wird (siehe Frage 8).

**Frage 13: Halten Sie ebenfalls für sinnvoll, Aktionspläne zu erstellen? Wenn ja, sollten diese in Ihrem Land auf einzelstaatlicher oder regionaler Ebene erstellt werden?**

Aktionspläne, Leitfäden und Netzwerke sind hilfreich zur Verbesserung des Kenntnisstandes oder zur Ermittlung eines „best practise“ zu seltenen Erkrankungen. Die Implementierung von Aktionsplänen sollte in die Kompetenz der Mitgliedsländer fallen.

**Frage 14: Sind Sie der Meinung, dass es erforderlich ist, eine neue Europäische Agentur für seltene Krankheiten zu gründen und im Jahre 2009 eine Machbarkeitsstudie in Auftrag zu geben?**

Die Einrichtung einer Europäischen Agentur für seltene Erkrankungen kann einen Vorteil darstellen, indem sie die Maßnahmen sammelt, koordiniert und ggf. eine entsprechende Rahmgestaltung vorlegt.

**Diese Stellungnahme hat die Unterstützung aller Mitglieder der Deutschen Sozialversicherung Arbeitsgemeinschaft Europa e.V.:**

- AOK-Bundesverband, Bonn**
- Bundesverband der Betriebskrankenkassen, Essen**
- Bundesverband der Innungskrankenkassen, Bergisch-Gladbach**
- Bundesverband der landwirtschaftlichen Krankenkassen, Kassel**
- Verband der Angestellten-Krankenkassen, Siegburg**
- Arbeiter-Ersatzkassen-Verband, Siegburg**
- Knappschaft, Bochum**
- Deutsche Gesetzliche Unfallversicherung, Berlin**
- Bundesverband der landwirtschaftlichen Berufsgenossenschaften, Kassel**
- Gesamtverband der landwirtschaftlichen Alterskassen, Kassel**
- Deutsche Rentenversicherung Bund, Berlin**