



Neue Medikamente – zwischen Off-Label und Therapieinnovation: Pitfalls des medizinischen Fortschritts

*Prof. Dr. med. Achim Wöckel, Klinikdirektor der Universitätsfrauenklinik Würzburg,
Kordinator der deutschen S3-Leitlinie zur Interdisziplinären Früherkennung, Diagnostik,
Therapie und Nachsorge des Mammakarzinoms*

Die Entwicklung innovativer Substanzen, die in der Therapie gynäkologischer Malignome und Brustkrebs eingesetzt werden, hat in den vergangenen Jahren stark zugenommen. Hierbei ist der gesamte Prozess von der Entwicklung über die Zulassung bis zur Markteinführung durch Richtlinien der Gesundheitssysteme sowohl im internationalen als auch nationalen Umfeld klar geregelt.

Auf nationaler Ebene sind die Zulassungsverfahren von Therapieinnovationen strikt von den Bewertungsverfahren eines potenziellen Zusatznutzens zu trennen. Zulassungsverfahren beinhalten eine Nutzen-Schaden-Abwägung einer Substanz, während die Bewertung des Zusatznutzens die Relation von Nutzen und Kosten zu Therapiealternativen aufzeigen soll und insbesondere der ökonomischen Bewertung dient.

Beide Verfahren werden jedoch in der öffentlichen Wahrnehmung partiell vermengt, was zu Unsicherheiten bzgl. des Einsatzes innovativer Onkologika führen kann. Innerhalb der Versorgungsrealität existieren zudem Problemfelder und nachvollziehbare Perspektiven der Therapeuten, die im Kontext zu diesen Verfahren nicht ausreichend beantwortet sind:

Im Bereich der zugelassenen Substanzen ergeben sich bspw. häufig Fragen zum erweiterten Einsatz von Substanzen außerhalb des Zulassungsbereiches. So versteht der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) unter „Off-Label-Use“ einen zulassungsüberschreitenden Einsatz eines Arzneimittels außerhalb der von den nationalen oder europäischen Zulassungsbehörden genehmigten Anwendungsgebiete. Grundsätzlich ist Ärztinnen und Ärzten eine zulassungsüberschreitende Anwendung von Arzneimitteln erlaubt. Eine Krankenkassenleistung ist ein solcher Off-Label-Use jedoch nur in Ausnahmefällen. Denn grundsätzlich kann ein Medikament in Deutschland nur dann zulasten der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) verordnet werden, wenn es zur Behandlung von Erkrankungen eingesetzt wird, für die ein pharmazeutisches Unternehmen die arzneimittelrechtliche Zulassung bei der zuständigen Behörde erwirkt hat (dem Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte [BfArM], dem Paul-Ehrlich-Institut [PEI] oder der Europäischen Arzneimittel-Agentur [EMA]).

Im Bereich der Bewertungsverfahren im Hinblick auf einen möglichen Zusatznutzen einer Therapieinnovation ergeben sich häufig Fragen bei Vorliegen von Diskrepanzen zum Zulassungsverfahren. Hier ist anzuführen, dass bspw. bei bereits zugelassenen Substanzen eine Verschreibung und Erstattung auch bei fehlender Anerkennung eines Zusatznutzens durchaus erfolgen kann, wenn definierte Kriterien erfüllt sind. Aber wie kommt es dazu, dass zugelassene Substanzen keinen Zusatznutzen aufweisen und wie soll mit dieser Diskrepanz in der Praxis und der Kommunikation mit der Patientin verfahren werden? Ein Grund für diese Diskrepanz sind beispielsweise unterschiedlich gewertete onkologisch relevante Endpunkte, die bei den Zulassungs- und Bewertungsverfahren eine Rolle spielen. So wird ein alleiniges verlängertes progressionsfreies Intervall bei einer fortgeschrittenen Tumorerkrankung ohne Nachweis eines Vorteils im Gesamtüberleben vom G-BA nicht als patientenrelevant anerkannt, was zu einer negativen Bewertung beim Bewertungsverfahren eines Zusatznutzens führt. Auf der anderen Seite stehen Patientinnen im klinischen Alltag, die eine fehlende Progression ihrer Erkrankung als hochrelevant erleben.

Zukünftige Bewertungsverfahren müssen methodisch weiterentwickelt werden, um diese Diskrepanzen aufzulösen und die Aspekte der Diskussion zu onkologisch relevanten Endpunkten und Patientenrelevanz einschließen.

3.549 Zeichen

Kontakt:

Prof. Dr. med. Achim Wöckel
Klinikdirektor Frauenklinik
Universitätsklinikum Würzburg
Josef-Schneider-Str. 4
97080 Würzburg
Tel.: +49 (0) 9312 012 5251
E-Mail: woeckel_a@ukw.de
Internet: <https://www.ukw.de/frauenklinik/startseite/>