

Off-Label Use in der Onkologie

Aufgabenstellung und Selbstverständnis
der Expertengruppe



Prof. Dr. Wolf-Dieter Ludwig

HELIOS Klinikum Berlin
Universitätsklinikum Charité,
Campus Berlin-Buch

Regressse wegen „Off Label Use“ in Millionenhöhe

Ausgangspunkt

Regressforderungen in Millionenhöhe wurden durch Krankenkassen z.B. wegen der Verordnung von Zytostatika bei soliden Tumoren beantragt,

- deren Anwendung zwar medizinisch-wissenschaftlich begründbar, aber
- rechtlich außerhalb der gesetzlichen Zulassung erfolgte.

Grundsatzurteil des Bundessozialgerichtes (BSG) vom 19.03.2002

Aus der Entscheidung des BSG resultiert:

1. Eine deutliche Einschränkung der Möglichkeiten des Off-Label-Use, und
2. Der Off-Label-Use darf nur noch unter engen Voraussetzungen der BSG-Rechtsprechung zu Lasten der GKV erfolgen.

(Az.: B1 KR 37/00 R)

Ausnahmen für den Off-Label-Use durch das BSG

- © Es muss sich um eine **schwerwiegende** (lebensbedrohliche oder die Lebensqualität auf Dauer nachhaltig beeinträchtigende) **Erkrankung** handeln, bei der
- © **keine andere Therapie verfügbar** ist und
- © auf Grund der Datenlage die begründete Aussicht besteht, dass mit dem betreffenden Präparat ein **Behandlungserfolg** (kurativ oder palliativ) zu erzielen ist.

(Az.: B1 KR 37/00 R)

Kontrollierter Off-Label-Use notwendig

Das BSG stellt fest:

- ⊙ Die aufgezeigten Defizite des Arzneimittelrechts dürfen nicht dazu führen, dass den Versicherten unverzichtbare und erwiesenermaßen wirksame Therapien vorenthalten bleiben.
- ⊙ Es besteht im medizinischen Alltag offenkundig ein dringendes Bedürfnis nach einem zulassungsüberschreitenden Einsatz von Arzneimitteln.

Rationale Gründe für den Off-Label-Use von Medikamenten

- ◎ Dynamik des medizinischen Fortschritts
- ◎ Enge Fassung der Zulassungsbescheide zu Indikationen oder Dosierungen:
Zulassungen gelten nur noch explizit für solche Patientengruppen und Gegebenheiten, die in Phase-3-Studien untersucht wurden.
- ◎ Mangelnde Versorgungsforschung zur Exploration bestehender Zulassungen.
- ◎ Mangelndes Interesse der Pharmaindustrie an Indikationserweiterungen bei geringem ökonomischen Nutzen

Gründung der Expertengruppe „Off-Label“

1. Das BMGS hat mit Erlass vom 17.09.2002 die Errichtung der Expertengruppe "Anwendung von Arzneimitteln außerhalb des zugelassenen Indikationsbereichs" (Expertengruppe Off-Label) für Arzneiverordnungen angeordnet.
2. Ziel ist die Schaffung von Voraussetzungen für die frühzeitige Bereitstellung innovativer Arzneimitteltherapien entsprechend dem Stand der wissenschaftlichen Erkenntnis.

Mitglieder der Expertengruppe

Die ehrenamtlich tätigen Experten
(7 ständige und 3 nichtständige Mitglieder)
wurden von folgenden Gremien vorgeschlagen :

- ◎ Bundesärztekammer,
 - ◎ Kassenärztliche Bundesvereinigung,
 - ◎ Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlich-Medizinischen Fachgesellschaften,
 - ◎ Deutsche Krankenhausgesellschaft und
 - ◎ Spitzenverbände der Krankenkassen
- Sie wurden vom BMGS berufen.

Aufgaben der Expertengruppe

§ 1 Absatz 2 des Errichtungserlasses des BMGS vom 17.09.2002

1. Feststellungen zum Stand der wissenschaftlichen Erkenntnis über die Anwendung von zugelassenen Arzneimitteln in nicht zugelassenen Anwendungsgebieten (zunächst für ausgewählte Krebstherapeutika).

Die Feststellungen sollen in geeigneten Zeitabständen an die Weiterentwicklung des Stands der wissenschaftlichen Erkenntnis angepasst werden.

Aufgaben der Expertengruppe

§ 1 Absatz 2 des Errichtungserlasses des BMGS vom 17.09.2002

2. Auskunftserteilung gegenüber den vorschlagsberechtigten Institutionen zu Fragen des Stands der wissenschaftlichen Erkenntnis zum Off-Label-Use

Diese Feststellungen werden gemäß GKV-Modernisierungsgesetz (GMG) ab 01.01.2004 Teil der Arzneimittel-Richtlinien.

Grundverständnis der Expertengruppe

Methodenpapier

Grundsatz

Verkehrs- und Verordnungsfähigkeit von Arzneimitteln sind grundsätzlich von einer Zulassung abhängig, die durch nationale Zulassungsbehörden bzw. durch die EMA für spezifische Indikationen erfolgt.

Revidierte EU-Verfahren für neue Indikationen zugelassener Arzneimittel

1. Auf EU-Ebene gelten seit 1. Oktober 2003 die revidierten Verordnungen zu Variations.
2. In europäischen Verfahren können alle neuen Indikationen eines bereits zugelassenen Arzneimittels als **Typ-II-Änderung** beantragt werden.
3. Die Behörde muss hierbei feste Fristen einhalten (90 Tage bis zum Bewertungsbericht).

Grundverständnis der Expertengruppe

Grundsatz

„Es gibt Krankheitsbilder, bei denen ein die Zulassungsgrenzen überschreitender Einsatz eines Medikamentes aufgrund

1. des allgemein anerkannten Standes der medizinischen Erkenntnisse und
2. unter Berücksichtigung des medizinischen Fortschritts

medizinisch notwendig und therapeutisch zweckmäßig sein kann.“

Off Label Use

**Der Off-Label-Use ist in seiner jetzigen
nicht systematischen Form eine
Veranstaltung
zur Vernichtung
medizinischer Kenntnis**

**SGb (Die Sozialgerichtsbarkeit)
12/2003, 653-664**

**Francke, Robert, Hart, Dieter
Institut für Gesundheits- und
Medizinrecht (IGMR)
Universität Bremen**

Off-Label-Use

**„Niemand kann sich
glücklich preisen /
Der des Doppelblicks
ermangelt.“**

Goethe

