

Gesellschaft für  
Thrombose-  
und Hämostase-  
forschung e.V.



## **Stellungnahme der AG Genterapie der GTH zur Kostenerstattung der Genterapie der Hämophilie**

Nach vielen Jahren klinischer Forschung wurden am 24.08.2022 und am 20.02.2023 Genterapien in Deutschland für Patienten ( $\geq 18$  Jahre) mit schwerer Hämophilie A und schwerer oder moderat-schwerer Hämophilie B zugelassen. Ein weiteres Genterapeutikum erhielt kürzlich die Zulassung für die Hämophilie B. Diese Therapien stellen einen bedeutenden Fortschritt in der Behandlung dieser genetisch bedingten Blutgerinnungsstörung dar. Die Genterapie ermöglicht es, das fehlende Protein durch Genübertragung in Leberzellen zu produzieren, was sowohl die Gelenkgesundheit als auch die Lebensqualität der Patienten erheblich verbessern kann. Mittlerweile gibt es Daten zum Langzeitverlauf der Genterapie  $>12$  Jahre bei der Hämophilie B und 7 Jahre bei der Hämophilie A, wonach der Großteil der Patienten auch ohne Prophylaxe weiterhin vor Blutungen geschützt ist und erstmalig von einer phänotypischen Heilung der Hämophilie gesprochen werden kann.

Hämophiliezentren, die Genterapeutika bei Hämophilie anwenden wollen, müssen bestimmte Qualitätsvorgaben erfüllen und benötigen in Deutschland eine Genehmigung der zuständigen KV beziehungsweise eine Bescheinigung des Medizinischen Dienstes.

Trotz der medizinischen Fortschritte und dem Therapiewunsch der Patienten steht die Genterapie weiterhin vor erheblichen finanziellen Hürden. Für die Genterapie der Hämophilie A wurde zwar ein Vergütungsmodell mit einigen Krankenkassen vereinbart; große Kassenverbände sind aber noch außen vor. Die Kostenerstattung für die Genterapie der Hämophilie B bleibt weitgehend ungeklärt.

Die Finanzierung von Genterapien stellt die Krankenversicherungen vor große Herausforderungen. Genterapien erfordern eine Einmalzahlung, die ein finanzielles Risiko darstellt, wenn die Therapie nicht ausreichend oder nur sehr kurz wirkt und die Patienten wieder auf die herkömmlichen Gerinnungsfaktor-Arzneimittel umgestellt werden müssen. Diese Unsicherheit erschwert die Verhandlungen über die Kostenerstattung und verzögert die flächendeckende Einführung der Genterapie für Hämophilie.

Um die langfristigen Auswirkungen und die Sicherheit der Gentherapie zu überwachen, hat der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) die Notwendigkeit von vergleichenden, anwendungsbegleitenden Datenerhebungen beschlossen. Diese Erhebungen erfassen auf die Patienten gerichtete Endpunkte und die Gelenkfunktion, um die Wirksamkeit der Therapie kontinuierlich zu bewerten.

Zusätzlich plant die Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung (GTH) e.V. ein Gentherapie-Register, das die Überwachung und Erfassung von Gentherapie-Daten ermöglichen wird. Mit einem bereits entwickelten elektronischen Instrument wird die Erfassung von für die Gentherapie relevanten Punkten erleichtert. Darüber hinaus steht ein internationales Register zur Verfügung, das von der World Federation of Hemophilia (WFH) bereitgestellt wird. Diese Register bieten wertvolle Instrumente zur Erfassung und Überwachung der Gentherapie-Daten und tragen zur kontinuierlichen Verbesserung der Behandlungsqualität bei.

Die Unsicherheit bei der Finanzierung erschwert die flächendeckende Versorgung der Patienten mit dieser innovativen Therapie. Diese Sorge wurde bereits von den Patientenvereinigungen Deutsche Hämophiliegesellschaft (DHG) e.V. und Interessengemeinschaft Hämophiler (IGH) e.V. in mehreren Schreiben ausgedrückt.

Die Gentherapie ist eine wichtige Therapieoption, die den Behandlern und Patienten verfügbar gemacht werden muss. Die Sichtweise, dass kein Bedarf an der Gentherapie gesehen wird, ist nicht richtig und in Teilen ein Zirkelschluss, da durch die bisher nicht geklärte Finanzierung die Ansprache der Patienten und die Antragstellung der Gentherapien in den Zentren sehr zurückhaltend gehandhabt wird.

Wir, die fachärztlichen Behandlerinnen und Behandler von Patienten mit schwerer Hämophilie, fordern daher alle Beteiligten auf, an einem Vergütungsmodell zu arbeiten, das die zeitnahe Versorgung mit den bereits zugelassenen gentherapeutischen Arzneimitteln sicherstellt. Langfristig können diese innovativen Therapien nicht nur zu einer verbesserten Lebensqualität der Betroffenen führen, sondern auch zu einer Verringerung der Gesamtkosten im Gesundheitssystem (gerade im Hinblick auf Sekundärkosten, die bei Blutungskomplikationen durch die Hämophilie entstehen können).

Mitglieder der GTH und AG Gentherapie der GTH:

Anne Angelillo-Scherrer, Cihan Ay, Hermann Eichler, Katharina Holstein, Susanne Holzauer, Robert Klamroth, Ralf Knöfler, Jürgen Koscielny, Johanna Kremer-Hovinga, Florian Langer, Wolfgang Miesbach, Johannes Oldenburg, Martin Olivieri, Andreas Tiede