

Nach bester verfügbarer Evidenz handeln und verschreiben

1. Situation.....	1
1.1. Zugang zu Expertise als limitierender Faktor	1
1.2. Wissensdiffusion bei generischen und Off-Label-Therapien	2
1.3. Fehlende funktionale Versorgungshierarchien	2
1.4. Fragilität von Expertise durch strukturelle Faktoren	3
1.5. Off-Label-Verschreibung als strukturelle Barriere	3
2. Bewertung von Medikamenten	4
2.1. Medizinische Bewertung sollte bei Fachgesellschaften liegen	4
2.2. Problem rein administrativer Bewertungen	4
2.3. Praktisches Modell für Österreich.....	5
2.4. International existierende ähnliche Modelle	5
3. Diskussion am Beispiel Sarkoidose.....	6
3.1. Komplexe Manifestationen brauchen individualisierte Therapie.....	6
3.2. Evidenzargument: Leitlinien erlauben frühe Eskalation	6
3.3. Schadenargument	7
3.4. Logikargument: Stufenpläne sind für Durchschnittspatienten gemacht.....	7
3.5. Verantwortungsgargument	7
3.6. Systemargument: Fehlanreize durch Bürokratie	8

1. Situation

Patienten haben Anspruch auf Behandlung nach dem Stand der Medizin.

Nach dem **Allgemeinen Sozialversicherungsgesetz** muss die Krankenbehandlung ausreichend, zweckmäßig und medizinisch notwendig sein.

Ärzte sind nach dem **Ärztegesetz 1998** verpflichtet, nach dem Stand der medizinischen Wissenschaft zu behandeln. Diese Behandlung muss ausreichend, zweckmäßig und medizinisch notwendig sein.

Damit besteht grundsätzlich ein Versorgungsanspruch auf **evidenzbasierte** Therapie.

Bei seltenen Erkrankungen erfolgt evidenzbasierte Therapie häufig Off-Label.

Für viele seltene Erkrankungen existieren

- keine zugelassenen Medikamente
- oder nur Therapien außerhalb der formalen Zulassungsindikation.

Off-Label-Therapie ist daher internationaler Standard der Versorgung.

Eine relevante Anzahl von Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen erhält in Österreich **nicht die bestverfügbare evidenzbasierte Therapie**, obwohl:

- diagnostische Kriterien international etabliert sind
- therapeutische Optionen vorhanden sind
- diese Therapien häufig kostengünstige generische Medikamente betreffen

Die Ursachen liegen daher weniger im Fehlen von Therapien als in strukturellen Problemen der Wissensverteilung, Versorgungsorganisation und Verschreibungspraxis.

1.1. Zugang zu Expertise als limitierender Faktor

Bei vielen seltenen Erkrankungen ist der entscheidende Unterschied in der Versorgung **nicht primär die Verfügbarkeit einer Therapie**, sondern der Zugang zu Personen mit ausreichender Erfahrung in Diagnose und Management.

In der Praxis zeigen sich mehrere strukturelle Muster:

- Diagnosen entstehen häufig erst nach langen diagnostischen Umwegen
- Behandlungsentscheidungen werden oft ohne Kontakt zu spezialisierten Zentren mit veraltetem Krankheitswissen getroffen
- Wissen über seltene Krankheitsbilder und Erfahrung mit Patienten bzw. Erkrankungs-Phänotypen ist stark **personengebunden**

Selbst wenn nationale oder internationale Expertise existiert, ist sie im Versorgungssystem häufig **nicht strukturell eingebunden**, sondern basiert auf informellen Netzwerken.

Für Patientinnen und Patienten bedeutet dies:

- Der Zugang zu adäquater Therapie hängt oft davon ab, ob sie zufällig zu einer bestimmten Person oder Einrichtung gelangen.
-

1.2. Wissensdiffusion bei generischen und Off-Label-Therapien

Die Wissensverbreitung über therapeutische Optionen folgt im Gesundheitssystem teilweise **anderen Logiken als der evidenzbasierten Medizin.**

Ein relevanter Teil medizinischer Fortbildung wird strukturell durch pharmazeutische Unternehmen unterstützt. Dieses Modell hat mehrere systemische Effekte:

- Themen mit kommerzieller Relevanz werden überproportional sichtbar
- etablierte Wirkstoffe ohne wirtschaftliche Vermarktungsstrategie bleiben unterrepräsentiert
- Off-Label-Therapien werden selten aktiv verbreitet

Gerade bei seltenen Erkrankungen kann dies zu paradoxen Situationen führen:

- Eine Therapie ist in der Literatur gut beschrieben
- sie wird von einzelnen Expertinnen und Experten routinemäßig verwendet
- bleibt jedoch außerhalb kleiner Netzwerke weitgehend unbekannt.

Damit entstehen Wissensinseln statt systematischer Wissensdiffusion.

1.3. Fehlende funktionale Versorgungshierarchien

In vielen medizinischen Bereichen existieren klar strukturierte Versorgungsebenen (Primärversorgung – Schwerpunktversorgung – tertiäre Zentren).

Bei seltenen Erkrankungen sind diese Strukturen häufig **nur formal oder gar nicht definiert.**

Typische Konsequenzen sind:

- unklare Überweisungspfade, Hängenbleiben beim unpassenden Facharzt
- keine systematische Rückkopplung zwischen Spezialzentren und peripherer Versorgung
- geringe Transparenz darüber, wo tatsächlich klinische Erfahrung vorhanden ist

Damit bleibt Expertise zwar vorhanden, wird aber nicht effizient in die Breite der Versorgung übersetzt.

1.4. Fragilität von Expertise durch strukturelle Faktoren

Bei seltenen Erkrankungen entstehen klinische Kompetenzen zwangsläufig langsam, da Fallzahlen gering sind.

Gleichzeitig wirken mehrere systemische Faktoren gegen eine stabile Wissensakkumulation:

- hohe Personalfluktuation
- strukturelle Umorganisationen von Abteilungen
- zunehmender ökonomischer Druck im Krankenhausbetrieb
- genereller Personalmangel

Expertise ist daher häufig **an einzelne Personen gebunden und institutionell wenig abgesichert**.

Wenn diese Personen das System verlassen oder ihre Rolle verändern, kann über Jahre aufgebautes Erfahrungswissen verloren gehen.

1.5. Off-Label-Verschreibung als strukturelle Barriere

Viele therapeutische Strategien bei seltenen Erkrankungen beruhen auf **Off-Label-Anwendungen etablierter Medikamente**.

Formal ist diese Praxis medizinisch und rechtlich möglich, in der klinischen Realität bestehen jedoch mehrere Hemmnisse:

- Unsicherheit über haftungsrechtliche Konsequenzen
- administrative Hürden bei Kostenerstattung
- Entscheidung durch interne Gremien der Kassen
- heterogene Entscheidungen von Kostenträgern – bei einem Träger problemlos genehmigt, bei einem andern abgelehnt
- fehlende Standardisierung von Entscheidungsprozessen
- keine systematische Einbindung von Fachexperten für seltene Erkrankungen

Diese Faktoren führen dazu, dass angebrachte Off-Label-Therapien teilweise **nur in spezialisierten Zentren oder durch besonders erfahrene Einzelpersonen eingesetzt werden**, während sie in der breiteren Versorgung kaum Anwendung finden.

2. Bewertung von Medikamenten

Die Bewertung der medizinischen Notwendigkeit von Off-Label-Therapien sollte primär durch die zuständigen medizinischen Fachgesellschaften und Experten in spezialisierten Zentren erfolgen. Administrativen Stellen der Sozialversicherung fehlt naturgemäß die krankheitsspezifische Expertise, um komplexe evidenzbasierte Therapieentscheidungen bei seltenen Erkrankungen zu beurteilen.

2.1. Medizinische Bewertung sollte bei Fachgesellschaften liegen

Die Beurteilung, ob eine Off-Label-Therapie medizinisch sinnvoll ist, erfordert:

- tiefes Verständnis der Erkrankung
- Kenntnis der aktuellen internationalen Literatur
- Erfahrung mit seltenen Krankheitsverläufen und heterogenen Erscheinungsbildern
- Zugang zu Expertennetzwerken

Diese Expertise liegt typischerweise bei:

- spezialisierten klinischen Zentren
- wissenschaftlichen Fachgesellschaften

Diese Gruppen sind oft auch an internationalen Leitlinien beteiligt oder erstellen nationale Positionspapiere.

2.2. Problem rein administrativer Bewertungen

Wenn Off-Label-Anträge primär von administrativen Stellen beurteilt werden (z. B. chefärztliche Dienste der Sozialversicherung), entstehen mehrere Schwierigkeiten:

1. Begrenzte Krankheitsexpertise

Chefärztliche Strukturen müssen Entscheidungen zu tausenden Erkrankungen treffen – eine spezifische Expertise für alle seltenen Erkrankungen ist realitätsfremd.

2. Schwierige Bewertung schwacher Evidenz

Bei seltenen Erkrankungen basiert Therapie oft auf:

- kleinen Studien
- Abteilungserfahrungen
- Registerdaten
- Expertenkonsens

Diese Evidenzformen lassen sich ohne Fachkenntnis schwer interpretieren.

3. Fehlende internationale Perspektive

Internationale Behandlungsstandards entwickeln sich häufig schneller als nationale Erstattungssysteme.

2.3. Praktisches Modell für Österreich

a) Evidenzempfehlungen der Fachgesellschaften

Ein realistischer Reformvorschlag könnte sein, die Evidenzempfehlungen der Fachgesellschaften anzuerkennen.

Fachgesellschaften erstellen bereits jetzt nationale Leitlinien und Positionspapiere, in denen **Off-Label-Therapieempfehlungen** entsprechend internationaler Leitlinien und Konsensuspapieren angeführt sind.

Inhalt:

- Indikation
- Patientenselektion
- Evidenzgrad
- Literaturbasis

b) Anerkennung durch Sozialversicherung

Die Sozialversicherung (z. B. die **Österreichische Gesundheitskasse**) könnte diese Empfehlungen formell anerkennen.

Konsequenz:

- Therapie gilt als medizinischer Standard
- keine individuelle chefärztliche Bewilligung notwendig

2.4. International existierende ähnliche Modelle

Mehrere Länder nutzen medizinisch getriebene Off-Label-Bewertungen, z. B.:

- Frankreich (temporäre Nutzungsempfehlungen)
- Italien (AIFA-Off-Label-Listen)
- Niederlande (fachgesellschaftliche Therapieempfehlungen)

Gemeinsames Prinzip:

Medizinische Expertise bestimmt die Indikation – Kostenträger entscheiden prinzipiell über Finanzierung.

3. Diskussion am Beispiel Sarkoidose

Ich nehme diese Erkrankung als Beispiel, weil ich mich damit ein wenig auskenne. Sie ist aber definitiv nur ein Beispiel unter Vielen.

3.1. Komplexe Manifestationen brauchen individualisierte Therapie

Bei bestimmten Organmanifestationen ist eine Eskalation der Therapie bereits zu Beginn / zum Zeitpunkt des Erkennens dieser Krankheitskonstellation medizinischer Standard.

Viele Leitlinien unterscheiden zwischen:

- milden Verlaufsformen
- organbedrohlichen Manifestationen
- signifikante Einschränkung der Lebensqualität

Bei schweren Manifestationen oder Präsentationen, die einen Erfolg einer Erst- oder Zweitlinien-Therapie nahezu ausschließen, ist **frühe Eskalation ausdrücklich vorgesehen**.

Administrative Vorgaben, die **zwingend Erst- und Zweitlinie verlangen**, ignorieren diese Differenzierung.

3.2. Evidenzargument: Leitlinien erlauben frühe Eskalation

Internationale Empfehlungen berücksichtigen bereits die klinische Realität.

Wichtige Referenzorganisationen sind z. B.:

- European Respiratory Society
- World Association of Sarcoidosis and Other Granulomatous Disorders

Deren Leitlinien zeigen klar:

- Schwere neurologische oder kardiale Manifestationen rechtfertigen **frühe immunsuppressive Therapie**.
- Steroidmonotherapie ist oft **nicht ausreichend**.
- Die grundsätzliche Empfehlung einer Steroidtherapie wird aktuell selbst in den Pneumologischen Fachgesellschaften stark in Frage gestellt.

Typische Eskalationsmedikamente sind z. B. (bzw. deren Generika und Biosimilars):

- Methotrexat
- Infliximab und Adalimumab
- Sirolimus

Administrative Regeln, die zwingend eine lange Sequenz von Therapieversuchen verlangen, **widersprechen damit internationalen Standards**.

3.3. Schadenargument

Die aktuelle Regelung verursacht **vorhersehbaren Schaden**.

Aus Verschreibungsdaten könnte man wahrscheinlich sehen, dass Patienten in Österreich im Vergleich zum internationalen Umfeld unverhältnismäßig lange mit hohen Steroiddosen behandelt werden, obwohl die Fachempfehlung dieser Vorgangsweise zunehmend widerspricht.

Bei Neurosarkoidose kann Verzögerung führen zu:

- irreversible neurologische Defizite
- chronische Behinderung
- höhere Steroidbelastung und dadurch induzierter Diabetes

Das bedeutet:

Die administrative Regel schützt nicht vor Risiken – sie erzeugt neue Risiken.

3.4. Logikargument: Stufenpläne sind für Durchschnittspatienten gemacht

Therapiealgorithmen basieren auf:

- Durchschnittsverläufen
- häufigeren Manifestationen

Seltene und schwere Präsentationen passen nicht in diese Modelle.

Daher gilt in der Medizin ein Grundprinzip:

Leitlinien sind Orientierung – keine zwingenden Behandlungsvorschriften.

Wenn Verwaltung sie wie Gesetze behandelt, wird notwendige **medizinische Individualisierung** zum Schaden der Patienten **verhindert**.

3.5. Verantwortungargument

Die behandelnden Spezialisten tragen

- die medizinische Verantwortung
- die Haftung
- die Betreuung der Komplikationen

Administrative Stellen tragen diese Verantwortung **nicht**.

Daher sollte gelten:

Wer die Verantwortung trägt, muss auch die Therapiefreiheit haben.

3.6. Systemargument: Fehlanreize durch Bürokratie

Die derzeitigen Regeln führen zu:

- ineffektiver Steroid-Langzeittherapie
- unnötigen Nebenwirkungen
- vermeidbaren Krankenhausaufenthalten

Das bedeutet:

Das System belohnt suboptimale Therapie.

Diskussionsfragen für Spezialistinnen und Spezialisten

Dieses Papier soll vor allem folgende Fragen zur Diskussion stellen:

1. Wo sehen klinische Expertinnen und Experten derzeit die größten strukturellen Hürden für evidenzbasierte Off-Label-Therapien bei seltenen Erkrankungen?
2. Wie könnten funktionale Versorgungspfade zwischen Allgemeinversorgung und spezialisierten Zentren konkret gestaltet werden?
3. Welche Rahmenbedingungen wären notwendig, um evidenzbasierte Off-Label-Verschreibungen rechtlich und organisatorisch zu erleichtern?
4. Wie kann personengebundene Expertise institutionell stabilisiert und langfristig gesichert werden?

Ziel der weiteren Diskussion

Langfristiges Ziel sollte ein Versorgungssystem sein, in dem:

- Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen **frühzeitig zu geeigneter Expertise gelangen**
-- > [JARDIN und Versorgungspfade](#)
- und klinische Erfahrung **nicht von einzelnen Personen oder Zufällen abhängt**, sondern strukturell abgesichert ist.
-- > [Versorgungspfade und Navigation](#)
- **Medikamentenverschreibung aufgrund medizinischer Expertise des behandelnden Arztes erfolgt und nicht von administrativen Launen abhängt.**
-- > [das ist ein unmittelbarer Ansatzpunkt, darüber wollen wir reden.](#)