

4.6 Off-Label-Use, unlicensed use und compassionate use

«Off-Label-Use», «unlicensed use» und «compassionate use» sind im Heilmittelgesetz nicht erwähnt, aber als Teil der therapeutischen Freiheit der Ärztinnen und Ärzte grundsätzlich zulässig.

Gemäss Art. 32 Abs. 1 Satz 1 KVG müssen Pflichtleistungen der obligatorischen Krankenpflegeversicherung nach den Artikeln 25-31 KVG wirksam, zweckmässig und wirtschaftlich sein. Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit müssen kumulativ erfüllt sein.

Zu vergüten sind nach Art. 52 Abs. 1 lit. b KVG grundsätzlich nur die Arzneimittel, die in der Spezialitätenliste aufgeführt sind. Die Spezialitätenliste führt die pharmazeutischen Spezialitäten und konfektionierten Arzneimittel im Sinne einer *Positivliste* abschliessend auf (BGE 139 V 375 Erw. 4.2 mit diversen Hinweisen).

«Kassenpflichtig sind pharmazeutische Spezialitäten des Weiteren lediglich im Rahmen von Indikationen und Anwendungsvorschriften, die bei Swissmedic registriert sind (BGE 130 V 532 Erw. 5.2). Die Anwendung eines Arzneimittels ausserhalb der registrierten Indikationen und Anwendungsvorschriften macht dieses zu einem solchen ‹ ausserhalb der Liste › bzw. zu einem ‹ Off-Label-Use › und damit grundsätzlich zur Nichtpflichtleistung.»¹

Art. 71 a -71 d KVV regeln die Vergütung von Arzneimitteln durch die OKP für Off-Label- und Off-SL-Therapien im Einzelfall.² Diese Ausnahmeregelungen soll den Zugang zu nicht auf der Spezialitätenliste aufgeführten Arzneimitteln für die Behandlung von tödlich verlaufenden Krankheiten und schweren sowie chronischen gesundheitlichen Beeinträchtigungen sicherstellen.

Zur Übernahme der Medikamentenkosten siehe [Kapitel 4.7 \(https://leitfaden.samw.fmh.ch/rechtlicher-leitfaden/4-leistungen-kvg/4-7-kostenuebernahme-kvg.cfm\)](https://leitfaden.samw.fmh.ch/rechtlicher-leitfaden/4-leistungen-kvg/4-7-kostenuebernahme-kvg.cfm).

Off-Label-Use

Gemäss der Rechtsprechung des Bundesgerichts (BGE 134 IV 175) liegt Off-Label-Use dann vor, wenn «ein Medikament ausserhalb der zugelassenen Indikation oder Dosierung abgegeben wird».

Die Schweizerische Akademie der Medizinischen Wissenschaft (SAMW) definiert in den medizin-ethischen [Richtlinien \(https://www.samw.ch/de/Ethik/Themen-A-bis-Z/Forschung-mit-Menschen.html\)](https://www.samw.ch/de/Ethik/Themen-A-bis-Z/Forschung-mit-Menschen.html) «Abgrenzung von Standardtherapie und experimenteller Therapie im Einzelfall»³ den «off-Label-Use» als Einsatz eines verwendungsfertigen Arzneimittels, das in der Schweiz oder in einem Land mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle zugelassen ist und dessen Verwendung von der durch die zuständigen Behörden genehmigten Fachinformation abweicht. Dies betrifft Indikationen, Anwendungsmöglichkeiten, Dosierung, Art der Anwendung oder die Anwendung selbst auf bestimmte Patientengruppen. In vielen Fachbereichen (insbesondere Pädiatrie, Gynäkologie, Onkologie und Geriatrie) ist der «Off-Label-Use» häufig, weil viele Medikamente für diese Patientengruppen nicht hinreichend untersucht und daher auch nicht ausdrücklich für sie zugelassen wurden.

Die Vergütung von Arzneimittel im Off-Label-Use durch die Krankenversicherung ist unter strengen Kriterien möglich.⁴

Ärztinnen und Ärzte tragen im Rahmen ihrer ärztlichen Sorgfaltspflicht die Verantwortung für die Abweichung: Sie müssen begründen können, dass der «off-Label-Use» dem Stand der Wissenschaft entspricht, und haben sich im Rahmen ihrer Sorgfaltspflicht nach Art. 3 HMG und Art. 26 HMG zu richten. Art. 3 HMG statuiert für den Umgang mit Heilmitteln eine allgemeine Sorgfaltspflicht, wonach alle Massnahmen getroffen werden müssen, die nach dem Stand von Wissenschaft und Technik erforderlich sind, damit die Gesundheit nicht gefährdet wird. In Art. 26 Abs. 1 HMG wird die allgemeine Sorgfaltspflicht bei der Verschreibung und der Abgabe von Arzneimitteln konkretisiert: Bei der Verschreibung und der Abgabe von Arzneimitteln müssen die anerkannten Regeln der medizinischen und pharmazeutischen Wissenschaften beachtet werden. Zudem müssen Ärztinnen und Ärzte ihre Patientinnen und Patienten informieren, dass bei «off-Label-Use» krankenversicherungsrechtlich eine Kostenübernahmepflicht nur unter engen Voraussetzungen erfolgt (siehe [Kapitel 4.7 \(https://leitfaden.samw.fmh.ch/rechtlicher-leitfaden/4-leistungen-kvg/4-7-kostenuebernahme-kvg.cfm\)](https://leitfaden.samw.fmh.ch/rechtlicher-leitfaden/4-leistungen-kvg/4-7-kostenuebernahme-kvg.cfm)). Schliesslich

müssen Ärztinnen und Ärzte, die ein Betäubungsmittel für eine andere als die zugelassene Indikation einsetzen, dies den kantonalen Behörden melden.⁵

Compassionate use

«Compassionate use» (wörtliche Übersetzung: «Anwendung aus Mitgefühl») ist gemäss der erwähnten SAMW- [Richtlinien](https://www.samw.ch/de/Ethik/Themen-A-bis-Z/Forschung-mit-Menschen.html) (<https://www.samw.ch/de/Ethik/Themen-A-bis-Z/Forschung-mit-Menschen.html>) der Einsatz (noch) nicht zugelassener Arzneimittel an Patientinnen und Patienten ausserhalb eines klinischen Versuchs. Mit der HMG-Revision wurde der «compassionate use» erweitert: Durch die Neuformulierung des Art. 9 a HMG wurde der Kreis der Indikationen von Arzneimitteln, welche aufgrund einer befristeten Bewilligung auf der Basis unvollständiger Zulassungsunterlagen in Verkehr gebracht werden dürfen, auf Präparate erweitert, die gegen invalidisierende Krankheiten zur Anwendung gelangen. Nicht nur Therapeutika, sondern auch Diagnostika (z.B. diagnostisch eingesetzte Radiopharmazeutika) können im Sinne eines «compassionate use» befristet zugelassen werden. Art. 9 a HMG findet Anwendung sowohl bei Human- wie auch bei Tierarzneimitteln.

Unlicensed use

Auch der «unlicensed use», das heisst die Anwendung eines in der Schweiz nicht zugelassenen verwendungsfertigen Arzneimittels, wurde vereinfacht. Swissmedic kann einzelnen Ärztinnen und Ärzten oder Kliniken die Bewilligung erteilen, Arzneimittel, die erst in klinischen Versuchen eingesetzt werden, an bestimmten Patientinnen und Patienten, die nicht in einen Versuch eingebunden sind, einzusetzen. Swissmedic kann zudem das zeitlich oder mengenmässig begrenzte Inverkehrbringen eines Arzneimittels zur Überbrückung einer temporären Nichtverfügbarkeit eines identischen, in der Schweiz zugelassenen Arzneimittels unter bestimmten Bedingungen bewilligen.

Zudem kann der Bundesrat erlauben, «dass nicht zugelassene, verwendungsfertige, nicht-verschreibungspflichtige Arzneimittel, für die nachweislich kein alternativ anwendbares und gleichwertiges Arzneimittel zugelassen ist, in kleinen Mengen von Fachpersonen gemäss Art. 25 Abs. 1 lit. b und c im Rahmen ihrer Abgabekompetenzen eingeführt werden».⁶

Nicht-etablierte Behandlungen bei einzelnen Patientinnen und Patienten

Neuartige Behandlungen und Verfahren werden in der Regel im Rahmen von Forschungsprojekten wissenschaftlich evaluiert. Eine neuartige Behandlung kann aber auch unabhängig von der Durchführung eines Forschungsprojekts aufgrund einer Therapieentscheidung bei einzelnen Patientinnen oder Patienten zur Anwendung kommen; man spricht dann von einer experimentellen Therapie im Einzelfall.

Die medizin-ethischen [Richtlinien](https://www.samw.ch/de/Ethik/Themen-A-bis-Z/Forschung-mit-Menschen.html) (<https://www.samw.ch/de/Ethik/Themen-A-bis-Z/Forschung-mit-Menschen.html>) der SAMW «Abgrenzung von Standardtherapie und experimenteller Therapie im Einzelfall» definieren die Begriffe und informieren über die bei der Anwendung von experimentellen Therapien im Einzelfall ausserhalb von Forschungsprojekten zu beachtenden Rechte und Pflichten von Ärztinnen und Ärzten sowie von Patientinnen und Patienten.

Nicht-etablierte Behandlungen kommen insbesondere zur Anwendung,

- wenn für eine bestimmte Indikation bislang keine Standardbehandlung zur Verfügung steht; oder
- wenn die Standardbehandlung bei Patientinnen und Patienten nicht oder nicht mehr hilft.

Wird eine nicht-etablierte Behandlung nach Abwägung aller Standardverfahren primär vom Behandlungsinteresse für einzelne Patientinnen und Patienten geleitet, liegt kein typischer Forschungsansatz vor. Die Übergänge zwischen nicht-etablierter Behandlung und Forschung können allerdings fließend sein. Werden verallgemeinerbare Erkenntnisse angestrebt, die über den individuellen Entscheid der hier und jetzt durchgeführten Behandlung bei einem einzelnen Patienten hinausgehen, handelt es sich in der Regel um Forschung (siehe [Kapitel 6.2](https://leitfaden.samw.fmh.ch/rechtlicher-leitfaden/6-forschung-und-register/62-forschung-am-menschen.cfm) (<https://leitfaden.samw.fmh.ch/rechtlicher-leitfaden/6-forschung-und-register/62-forschung-am-menschen.cfm>)).

1 BGE 142 V 325 Erw 2.3.

2 Iris Herzog-Zwitter, Roger von Moos, Gefährdung von Patienten- und Versorgungssicherheit? SAEZ 2022;103(42):30-33.

3 Siehe «Abgrenzung von Standardtherapie und experimenteller Therapie im Einzelfall». Medizin-ethische Richtlinien der SAMW (2014, adaptiert 2015). [Link](https://www.samw.ch/de/Ethik/Themen-A-bis-Z/Forschung-mit-Menschen.html) (<https://www.samw.ch/de/Ethik/Themen-A-bis-Z/Forschung-mit-Menschen.html>)

4 Art. 71 a – 71 d KVV.

5 Art. 11 Abs. 1^{bis} BetmG.

