

Gastbeitrag für FAZ-Verlagsspezial - 24. Februar 2021

Selten – und dennoch im Blick

Der Gemeinsame Bundesausschuss hat sich zum Ziel gesetzt, die Versorgung von Patienten mit seltenen Erkrankungen zu verbessern. Dazu entwickelt er Konzepte für die ambulante Betreuung, liefert Qualitätsvorgaben für Kliniken und bewertet den Nutzen von neuen Arzneimitteln. Von Josef Hecken

Die Gesellschaft wird immer wieder neu gefordert, wenn es darum geht, nützliche neue Therapien durch die Solidargemeinschaft der gesetzlichen Krankenversicherung zu finanzieren und qualitätsgesichert anzubieten. Das ist nicht nur bei kleinen Patientengruppen der Fall – aber hier in besonderer Weise. An dieser Stelle kommt dem Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA), als oberstem Beschlussgremium der gemeinsamen Selbstverwaltung, eine besondere Rolle zu, um eine gute Versorgung auch für jene Betroffene sicherzustellen, die sich selbst im politischen Diskurs oft kein Gehör verschaffen können. Berührungspunkte mit seltenen Erkrankungen gibt es für den G-BA viele – unter anderem bei der Konzeptentwicklung für die ambulante Betreuung von komplexen, schwer therapierbaren Erkrankungen durch spezialisierte Fachärzte. Daneben sind Qualitätsvorgaben für spezialisierte Krankenhäuser sowie die Nutzenbewertung von neuen Arzneimitteln wichtige Eckpfeiler.

Regeldefinition für eine ambulante spezialfachärztliche Versorgung

Seltene Erkrankungen sind prädestiniert für die ambulante spezialfachärztliche Versorgung (ASV). Erstens sind sie oft komplex und nur schwer zu therapieren. Zweitens können bestimmte Leistungen notwendig sein, die bislang nur für die stationäre Versorgung etabliert sind. Und drittens fordern sie den Sachverstand von spezialisierten Ärzten verschiedener Fachrichtungen und deren Bereitschaft, im Team koordiniert über die Grenzen der Versorgungssektoren Krankenhaus und Vertragsarztpraxis hinaus zusammenzuarbeiten. Genau das organisiert der G-BA seit 2012 mit seiner ASV-Richtlinie. Diese legt neben generellen Anforderungen auch Details zur Qualifikation des ASV-Teams oder zum diagnostischen und therapeutischen Leistungsumfang fest. In den vergangenen Jahren hat der G-BA zum Beispiel für Sarkoidose, Hämophilie, seltene Lebererkrankungen, Morbus Wilson und Mukoviszidose ASV-Anforderungen definiert. Dieses Versorgungsangebot wird kontinuierlich erweitert.

Krankenhäuser der Spitzenmedizin bekommen finanzielle Hilfen

Patienten mit seltenen Erkrankungen kennen das Phänomen nur zu gut: Trotz zahlreicher Untersuchungen durch Ärzte gelingt eine diagnostische Einordnung nicht. Die physischen – oft verbunden mit psychischen – Leiden der Menschen bleiben und verschlimmern sich gegebenenfalls. Hilfe versprechen hochspezialisierte stationäre Zentren. Gemeint sind damit Krankenhäuser der Spitzenmedizin, die besondere und über die Patientenversorgung

hinausgehende Aufgaben wahrnehmen. Das reicht von der Koordinierung von Fallbesprechungen über Fachexpertise bis hin zu einer außergewöhnlichen technischen Ausstattung. In den sogenannten Zentrums-Regelungen führt der G-BA fachbereichsbezogen die besonderen Aufgaben und die damit verbundenen Qualitätsanforderungen auf – zum Beispiel Art und Anzahl von Fachabteilungen, Mindestfallzahlen, regelmäßige Qualitätszirkel oder die Mitarbeit an der Weiterentwicklung medizinischer Leitlinien.

Bei seinen besonderen Aufgaben und Qualitätsanforderungen für Zentren für Seltene Erkrankungen (ZSE) orientierte sich der G-BA an Vorgaben des Nationalen Aktionsbündnisses für Menschen mit seltenen Erkrankungen (NAMSE). Weil bei seltenen Leiden die Diagnose oft unklar ist, muss ein ZSE ein breites Spektrum dieser Erkrankungen behandeln können. Eine vernetzte Struktur sowie ein interdisziplinäres und multiprofessionelles Team stellen sicher, dass für Patienten mit initial unklaren Befunden eine umfassende Diagnostik- und Therapieinfrastruktur vorgehalten wird. Weiterhin stehen Lotsen zur Verfügung, die Betroffene dabei unterstützen, geeignete Anlaufstellen im ZSE oder einem Krankenhaus des Netzwerks zu finden. Um die Sichtbarkeit der ZSE zu verbessern, sind diese zudem verpflichtet, sich im Versorgungsatlas für Seltene Erkrankungen zu registrieren.

Unter welchen Bedingungen solche Kliniken seit 2020 finanzielle Zuschläge zusätzlich zur Vergütung über die Fallpauschalen erhalten können, legt der G-BA fest. Die Höhe des Zuschlags selbst wird zwischen dem Krankenhaus und den Krankenkassen in den Regionen vereinbart.

Daten aus der Versorgung ergänzen Wissen bei neuen Arzneimitteln

Bei der Bewertung des Zusatznutzens von neuen Arzneimitteln, einer Kernaufgabe des G-BA, sind Medikamente gegen seltene Leiden eine große Herausforderung. Bei diesen Orphan Drugs gibt es naturgemäß nur kleine Gruppen von Patienten, an denen untersucht werden kann, wie sicher und zuverlässig neue Arzneimittel sind. Da oft Alternativen fehlen und der Nutzen entsprechend groß sein kann, werden Orphan Drugs zunehmend über einen verkürzten Sonderweg zugelassen. Abgesichertes Wissen über den genauen Nutzen und mögliche Nebenwirkungen sind bei Markteintritt dann relativ gering. Hier kommt künftig die anwendungsbegleitende Datenerhebung ins Spiel.

Zeigen die Zulassungsstudien für neue Arzneimittel zu große Erkenntnislücken auf, kann der G-BA vom Hersteller verlangen, diese Leerstellen mit Daten aus der laufenden Anwendung zu schließen. Zugleich kann der G-BA die Anwendung der Therapie mit neuen Medikamenten an Behandlungseinrichtungen und Leistungserbringer binden, die an der Datenerhebung mitwirken. Dass es eine anwendungsbegleitende Datenerhebung geben soll, hat der G-BA für Zolgensma[®], einer kürzlich zugelassenen Gentherapie gegen spinale Muskelatrophie bei Kindern, erstmals beschlossen. Für diese Orphan Drug lagen zum Zeitpunkt der Zulassung noch keine vollständigen klinischen Daten vor, um den langfristigen Zusatznutzen zu beurteilen. Laut Hersteller soll das Arzneimittel bei bestimmten Formen der Erkrankung eine Kopie des fehlenden Gens liefern und das Fortschreiten der Muskelschwäche aufhalten.

Auch die Verknüpfung der Anwendung von Zolgenma® mit hohen Qualitätsstandards hat der G-BA hier vollzogen. Das stellt sicher, dass die jungen Patienten optimal behandelt werden. Gleichzeitig werden weitere Erkenntnisse aus Versorgungsdaten gewonnen, um den therapeutischen Stand des Medikaments im Vergleich zu Alternativen besser beurteilen zu können. Gerade bei einem solchen Arzneimittel kann die anwendungsbegleitende Datenerhebung wichtige Erkenntnisse liefern.

Entscheidungen unabhängig von Interessengruppen treffen

Nicht zuletzt durch die Coronapandemie steigen die Ausgaben des Gesundheitswesens wieder deutlich an. Ein beachtlicher Teil davon wird für die Versorgung von Patienten mit seltenen Erkrankungen eingesetzt. Denn die sozialen Absicherungssysteme dienen genau diesem Zweck – Menschen im Krankheitsfalle versorgen zu können. Der G-BA trägt seinen Teil dazu bei: Zum einen indem er Versorgungsangebote wie die ASV und ZSE konzipiert, zum anderen indem er Arzneimittel und Behandlungsmethoden bewertet und damit den Leistungskatalog der gesetzlichen Krankenversicherung gestaltet. Seine Maßstäbe sind dabei das Qualitäts- und Wirtschaftlichkeitsgebot im Sozialgesetzbuch V sowie die Standards der evidenzbasierten Medizin. Auf dieser Grundlage trifft er seine Entscheidungen – unabhängig von Größe und Lautstärke von Interessengruppen. So werden auch die Bedürfnisse der Patienten mit seltenen Erkrankungen, die eben keine große Lobby haben, berücksichtigt.

Professor Josef Hecken ist unparteiischer Vorsitzender des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) in Berlin.