Stellungnahme der Bundesärztekammer

gem. § 91 Abs. 5 SGB V
zur Änderung der Richtlinie Methoden vertragsärztliche Versorgung in Anlage I: Apheresebehandlung bei isolierter Lp(a)-Erhöhung

Berlin, 16.06.2009

Bundesärztekammer
Herbert-Lewin-Platz 1
10623 Berlin

Hintergrund

Die Bundesärztekammer wurde mit Schreiben vom 20.05.2009 durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) zur Stellungnahme gemäß § 91 Abs. 5 SGB V bezüglich einer Änderung der Richtlinie Methoden vertragsärztliche Versorgung in Anlage I: Apheresebehandlung bei isolierter Lp(a)-Erhöhung aufgefordert.

Der G-BA hatte mit Beschluss vom 19.06.2008 die Apheresebehandlung bei isolierter Lp(a)-Erhöhung als GKV-Leistung in die vertragsärztliche Versorgung aufgenommen. Ausgangspunkt war ein entsprechender Antrag der KBV Anfang 2006 gewesen. Zuvor war die Apheresebehandlung bei isolierter Lp(a)-Erhöhung nicht Bestandteil der vertragsärztlichen Versorgung gewesen, da der Nutzenbeleg zu dieser Indikation in der Vergangenheit nicht valide hatte geführt werden können.

Der Unterausschuss Methodenbewertung war damals zu der Feststellung gekommen, dass aufgrund der Seltenheit isolierter Lp(a)-Erhöhungen die Studienlage, die einen Nutzen der Apheresebehandlung mit dem Ziel der Senkung kardiovaskulärer Endpunkte belegen könnte, grundsätzlich als schlecht beschrieben werden müsse. Somit sei der Nutzenbeleg der Apherese bei isolierter Erhöhung der Lp(a) nur auf Grundlage eines Kausalschlusses zu führen, der sich aus wissenschaftlichen Publikationen niedrigerer Evidenzstufen und Expertenmeinungen ableiten ließe.

Der G-BA flankierte daher den Beschluss vom 19.06.2008 zeitgleich mit einer gesonderten Erklärung zur Evaluation der Behandlung, in der kritisiert wurde, dass trotz des jahrelangen Einsatzes der Lp(a)-Apherese keine Studien vorlägen, aus denen ein eindeutiger Beleg im Hinblick auf einen patientenrelevanten Nutzen dieser Behandlungsmethode hätte abgeleitet werden können. Die Leistungserbringer wurden in Zusammenarbeit mit den wissenschaftlichen Fachgesellschaften daher aufgefordert, dem G-BA ein Konzept für eine prospektive kontrollierte Studie vorzulegen, um die Evidenzlage zu verbessern.

Ein solches Konzept, verfasst von einer Studiengruppe der Charité, Berlin, ist dem G-BA inzwischen zugegangen und wird dort als tauglich im Sinne der soeben geschilderten Auflage befunden. Der G-BA möchte daher die Anlage I Nr. 1 der Richtlinie Methoden vertragsärztliche Versorgung um einen neuen § 9 „Ausnahmeregelung für Patienten mit isolierter Lp(a)-Erhöhung zur Teilnahme an Studien" erweitern. Damit soll ein bundesweit einheitliches, auf die Studienerfordernisse abgestimmtes und methodisch einwandfreies Vorgehen beim Einschluss der Patienten in die Studie gewährleistet werden.

Die Bundesärztekammer nimmt zur Richtlinienänderung wie folgt Stellung:

Die Bundesärztekammer hatte den damaligen Beschlussentwurf des G-BA zur Aufnahme der Apheresebehandlung bei isolierter Lp(a)-Erhöhung als GKV-Leistung in die vertragsärztliche Versorgung in ihrer Stellungnahme vom 31.03.2008 begrüßt. Die Bundesärztekammer begrüßt ebenfalls die Aussicht, dass mittels methodisch hochwertiger Studien die bislang schwache Evidenzlage verbessert werden soll. Zu dem beabsichtigten Vorgehen des G-BA ergeben sich allerdings noch folgende Anmerkungen:

- Der Beschlussentwurf berührt den grundsätzlichen Umgang des G-BA mit Studien. Bisher ist nach Kenntnis der Bundesärztekammer der G-BA nicht als Organisator von Studien tätig geworden, und er hat auch selbst keine Studien durchgeführt. Der G-BA wird jetzt insofern auf diesem Feld aktiv, indem er eine Studiendurchführung durch Dritte initiiert hat, siehe die Pressemeldung des G-BA vom 20.06.2008:

  > „Deshalb [weil „trotz jahrelangen Einsatzes der Apherese bei isolierter Lp(a)-Erhöhung bis heute keine aussagekräftigen wissenschaftlichen Daten vorliegen"] werden die Leistungserbringer aufgefordert, in Zusammenarbeit mit den wissenschaftlichen Fachgesellschaften innerhalb von sechs Monaten zumindest ein überzeugendes Konzept für eine prospekti-

ve kontrollierte Studie und eine möglichst komplette Erfassung aller Behandlungsfälle dem G-BA vorzulegen, mit ihm abzustimmen und mit dieser Studie spätestens innerhalb des nächsten Jahres zu beginnen."

Mit dem geforderten Prozess der Abstimmung wird der G-BA auch zum Beteiligten der Studie, wogegen im Sinne einer Verbesserung der Evidenzlage nichts einzuwenden ist. Der G-BA dürfte allerdings ab diesem Punkt einen Teil seiner fachlichen Unabhängigkeit zur Bewertung von Verfahren verlieren, ohne dafür im Gegenzug eine substantielle Steuerungsmöglichkeit über die Studie zu erhalten. Diese Unsicherheit geht aus einzelnen Formulierungen der Begründung hervor:

„Der G-BA geht davon aus, dass die Studieneinschlusskommission die potenziellen Studienteilnehmer sachlich korrekt und neutral über die zur Verfügung stehenden Behandlungsalternativen aufklärt."

„ ...dass der G-BA es sehr begrüßen würde, wenn nach einer Laufzeit der Studie von einem Jahr über ... berichtet würde"

Unklar sind etwa die Konsequenzen, falls sich die Annahmen und Wünsche des G-BA nicht erfüllen sollten. Falls noch nicht geschehen, regt die Bundesärztekammer an, die Rolle des G-BA bei wissenschaftlichen Studien durch die Geschäftsstelle des G-BA prüfen zu lassen. Auf Basis der derzeit gültigen Verfahrensordnung erscheint das geplante Vorgehen nicht uneingeschränkt nachvollziehbar.

Dies gilt insbesondere im Falle einer Beteiligung des G-BA an den Kosten der Studie. Viele Beratungen bzw. Entscheidungen des G-BA beruhen auf Basis einer eher schwachen Evidenz, für die etwa § 14 Abs. 4 der Verfahrensordnung die Möglichkeit einer befristeten Beschlussaussetzung vorsieht. Sollte sich der G-BA entschließen, zwecks Verbesserung der Evidenz neben der Initiierung auch in die Finanzierung von Studien einzusteigen, dürfte dies Signalwirkung für zahlreiche ähnlich gelagerte Entscheidungssituationen haben.

- Einen Bezug zur Unabhängigkeit der Studie(n) hat auch der Hinweis in den tragenden Gründen, wonach die Gerätehersteller in die Finanzierung der jeweiligen Studie eingebunden werden sollen. Hier wird darauf zu achten sein, dass die Interessen dieser Gerätehersteller keinerlei Einfluss auf die Studienergebnisse nehmen können. Auch dies berührt die Verantwortung des G-BA, die er im Falle einer Beteiligung an Studien übernimmt.
- Die Ausarbeitung eines konkreten Studienkonzepts durch die mit der Versorgung der betroffenen Patienten befassten Leistungserbringer ist ausdrücklich zu begrüßen; die Nennung einer einzelnen Studie (hier: „ELAILa") und, damit verbunden, die namentliche Nennung einer einzelnen Fakultät (hier: Charité) erscheint in einem rechtsverbindlichen Beschlusstext des G-BA aber zumindest ungewöhnlich:
  - Der G-BA könnte sich damit dem Vorwurf aussetzen, er würde einzelne Hochschulstandorte im Umfeld eines auch dort politisch gewünschten Wettbewerbs um besondere Leistungen in Forschung und Lehre aktiv begünstigen. Dies wird durch den Zusatz in § 9 von Anlage I Nr. 1 „oder einer im Design vergleichbaren Studie" lediglich relativiert.
  - Mit der Möglichkeit, auch andere Studien als die der Charité zu nutzen, ergibt sich andererseits eventuell das inhaltliche Problem sinkender Fallzahlen angesichts des sehr begrenzten Patientenkollektivs. Dies könnte zu einer Schwächung der Aussagekraft der Studienergebnisse führen. Insofern ist auf die Koordination der Studienstandorte zu achten.
  - Notwendig dürfte es in diesem Zusammenhang auch sein, die zitierte Studie bzw. das Studienkonzept den Transparenzansprüchen an den G-BA anzupas-

sen, d. h., das Konzept der ELAILa-Studie sollte als Anhang zur Richtlinie zeitgleich zum Beschluss auf den Internetseiten des G-BA veröffentlicht werden.

- Die Aussage des § 9 Abs. 1 im Beschlussentwurf ist ohne genaue Kenntnis der Begründung und der übrigen Paragraphen von Anlage I Nr. 1 insofern missverständlich, als durch die „*und*"-Verknüpfung des Vorliegens der Indikation und der Bereitschaft zur Studienteilnahme der Eindruck entstehen könnte, die Studienteilnahme sei eine Bedingung für Patienten, eine Apheresebehandlung als GKV-Leistung zu erhalten. Statt

  „Patienten, bei denen die Voraussetzungen zur Apherese gemäß § 3 Nr. 3.1 dritter Spiegelstrich und § 4 gegeben sind *und* die bereit sind, an der ELAILa-Studie – Charité Berlin – oder einer im Design vergleichbaren Studie teilzunehmen, können im Rahmen solcher Studien mittels Apherese zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung behandelt werden."

  wäre folgende Formulierung zweckmäßiger:

  Patienten, bei denen die Voraussetzungen zur Apherese gemäß § 3 Nr. 3.1 dritter Spiegelstrich und § 4 gegeben sind und die bereit sind, an der ELAILa-Studie – Charité Berlin – oder einer im Design vergleichbaren Studie teilzunehmen, können ihre Apheresebehandlung zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung auch im Rahmen solcher Studien erhalten.

Fazit

Die Bundesärztekammer begrüßt nach wie vor die Sicherstellung der Grundversorgung von Patienten mit isolierter Lp(a)-Erhöhung durch Apheresebehandlung. Ebenfalls begrüßenswert ist, dass ärztlicherseits dazu ein Studien-Konzept zur Verbesserung der Evidenzlage vorgelegt wurde.

Die Bundesärztekammer vermisst allerdings die entsprechende Rechts- bzw. Verfahrensgrundlage, mit der der G-BA derartige Studien initiiert oder sich gar an solchen beteiligt. Hieraus könnte eine Beeinträchtigung der fachliche Unabhängigkeit resultieren, die der G-BA zur Beurteilung von Studien benötigt.

Der Beschlusstext sollte ferner dahingehend präzisiert werden, dass nicht das Missverständnis entsteht, eine Studienteilnahme sei Bedingung für die Patienten, die Leistung Apherese im Rahmen der GKV zu erhalten.

Grundsätzlich empfiehlt die Bundesärztekammer, insbesondere bei Leistungen mit kleinen Fallzahlen bzw. bei seltenen Erkrankungen von der Forderung nach maximaler Evidenz abzusehen. Dies ist in der Verfahrensordnung des G-BA so auch bereits angelegt (siehe § 13 Abs. 2 VerfO) und ist auf die Apheresebehandlung bei isolierter Lp(a)-Erhöhung durch den G-BA bei seinem Beschluss vom 19.06.2008 auch angewendet worden. Insofern ist anhand des vorgelegten Konzepts einer randomisierten kontrollierten Studie eine begrüßenswerte Verbesserung der Evidenzlage zu erwarten, die Bundesärztekammer erkennt in der Durchführung einer solchen Studie aber keine nachträgliche Legitimierung des Beschlusses zur Zulassung der Apherese bei isolierter Lp(a)-Erhöhung in der vertragsärztlichen Versorgung vom 19.06.2008.

Zu hinterfragen ist überdies die generelle Vorstellung des G-BA bezüglich der Verfügbarkeit von Studien. In seiner Erklärung zur Evaluation der Apherese-Behandlung vom 19.06.2008 hatte der G-BA den Mangel an belastbaren Studiendaten als „unverständlich und nicht akzeptabel" kritisiert. Dem ist entgegenzuhalten, dass die primäre Aufgabe der Medizin in der unmittelbaren Versorgung behandlungsbedürftiger Patienten liegt, nicht in

der Generierung von Studienergebnissen. Das jede Form einer Behandlung, insbesondere lebensbedrohlicher Erkrankungen, die ein pragmatisches und zeitnahes Vorgehen erfordern, jederzeit durch Studienerkenntnisse unterfüttert ist, kann aus der Perspektive eines Prüfauftrags nach dem Sozialgesetz zwar nachvollzogen werden, erscheint außerhalb dieses Kontextes aber als eine allzu idealistische Annahme.

Berlin, 16.06.2009

Dr. med. Regina Klakow-Franck, M.A.
Leiterin Dezernate 3 u. 4