

Veranstaltung des BDDH im Rahmen der 67. Jahrestagung der Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung in Frankfurt

Christoph Sucker^{1,2} Jürgen Koscielny³

¹ Medizinisches Versorgungszentrum (MVZ) COAGUMED Gerinnungszentrum Berlin

² Medizinische Hochschule Brandenburg Theodor Fontane, Brandenburg an der Havel

³ Charité Universitätsmedizin, Berlin

Hamostaseologie 2023;43:222–224.

Address for correspondence PD Dr. Christoph Sucker, Medizinisches Versorgungszentrum (MVZ) COAGUMED Gerinnungszentrum Berlin, Berlin, Germany (e-mail: CS@coagumed.de).

Im Rahmen der 67. Jahrestagung der Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung (GTH) in Frankfurt veranstaltete der BDDH am 23.2.2022 nach der Mitgliederversammlung eine öffentliche Sitzung zu berufspolitischen Themen. Die Sitzung war sehr gut besucht, wobei neben BDDH-Mitgliedern auch andere interessierte Ärzte und Vertreter der Industrie teilnahmen. In dieser Ausgabe der „BDDH News“ berichten wir über 2 Themenkomplexe aus dieser Sitzung und fassen die gehaltenen Vorträge zusammen:

Jürgen Koscielny: Gentherapie der Hämophilie A (B) in Deutschland: Aktueller Stand bzgl. der Vergütungssituation.

PU (pharmazeutische Unternehmen) mit S-GKV (Spitzenverband des GKV) und Krankenkassen aus dem GKV-Bereich Im Bereich der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) innerhalb Deutschlands werden von Seiten der gesetzlichen Krankenkassen Rabbatierungsverträge nach § 130 a nach SGB V (Sozialgesetzbuch, Fünftes Buch) mit den pharmazeutischen Unternehmen (PU) angestrebt. Ein erster Vertrag ist zwischen einem Hersteller und Spectrum-K (Stand 23.02.2023) geschlossen worden. Ein anderer Hersteller strebt einen Rabbatierungsvertrag nach § 130 b nach SGB V an. Hierin sollen jährliche Vergütungen, keine Gesamtvergütung, anhand einer Pay Performance-Komponente mit einem zu definierenden jährlichen Schwellenwert an dem reduzierten Jahresverbrauch von Faktorenkonzentrat pro Patient festgelegt werden. Allerdings würde das derzeit bedeuten, dass die jährlichen Vergütungen aus dem Morbi-RSA (Risikostrukturausgleich), derzeit gekoppelt an einen jährlichen Mindestverbrauch an Gerinnungsfaktoren, für die Krankenkassen reduziert oder ganz entfallen würden. Dieses Bezahlungsmodell kann wohl nur nach einer entsprechenden Gesetzesänderung umgesetzt werden.

Verträge nach § 132 i SGB V und/oder § 140 a SGB V Diese sollen primär im Rahmen der Versorgungsverträge nach § 132 i (SGB V – Sozialgesetzbuch V) eingebettet sein. Manche Kassenverbände, wie z.B. einige regionale AOKs, überlegen Verträge entsprechend dem Modell § 140a nach SGB V „Besondere Versorgung“ abzuschließen. Hierzu wären separate Ausschreibungen notwendig, auf die sich die Behandlungszentren zuerst bewerben müssten. Für den PKV-Bereich existieren derzeit gar keine vertragliche Möglichkeiten. Inwieweit diese eintreten werden, ist derzeit nicht absehbar.

Ärztliche nicht-vergütete Leistungen Nur durch Abschluss der avisierten Verträge nach § 132 i SGB V und/oder § 140 a SGB V besteht grundsätzlich die Möglichkeit, dass die umfangreichen ärztlichen Versorgungsleistungen, die nicht in EBM (einheitlicher Bewertungsmaßstab) oder GOÄ (Gebührenordnung für Ärzte) vergütet werden, bezahlt werden können. Die umfangreichen ärztlichen und weiteren betreuenden Maßnahmen, insbesondere in den ersten 6 bis 12 Monaten nach Beginn der der Gentherapie, sind bereits durch ein fachliche Arbeitsgruppe des BDDH (Berufsverband der Deutschen Hämostaseologen) in Abstimmung mit der GTH (Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung) und eines PU in Absprache mit den gesetzlichen Krankenkassen dokumentiert. Als Grundlage zur Leistungsberechnung dient der Minutenwert mit 2,56 € nach dem EBM (Einheitlicher Bewertungsmaßstab). Diese Vergütungen sollen dann nach Einführung der Gentherapie über zusätzliche Entgelte nach den Versorgungsverträge nach § 132 i SGB V (oder ggf. auch nach § 140 a SGB V) erfolgen. Der Nachweis der Qualitätssicherung wird über die Bescheinigung gemäß § 11 Absatz 1 ATMP-QS-Richtlinie erfolgen – nach erfolgreicher Zertifizierung. Hierzu laufen

bereits Gespräche zwischen den Krankenkassen aus dem GKV-Bereich mit dem BDDH und der GTH. Entsprechend den erbrachten Leistungen sollen diese Vergütungen sowohl für das dosierende als auch für das betreuende ärztliche Zentrum gestaffelt stattfinden. Der Umfang der zu erbringenden Leistungen für die Zentren sind erheblich: mehrstufiges Aufklärungsverfahren, Aufgabenbesprechung dosierendes und betreuendes Zentrum, Durchführung der Eignungstests, Abstimmung der Zentren mit der versorgenden Apotheke, Anträge für Kostenzusage der Krankenkasse, Applikationstag im Dosierungszentrum und ambulante Überwachung, fast wöchentliche Blutentnahmen, Durchführung, Beratung und Steuerung immunsuppressiver Therapie, umfangreicher „Follow up“ mit Eingabe in die Register. Die zukünftigen Meldungen, u.a. DHR, weiteres EMA konformes Melderegister, wird nach dem zu erwartenden Beschluss des G-BA (gemeinsamer Bundesausschuss) bei genterapierten Patienten umfangreicher werden. Auch dieser Punkt wird bei der zukünftigen Vergütung mitberücksichtigt werden.

Qualitätsanforderungen an die behandelnden Zentren: ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie/ATMP-QS-RL zur Hämophilie vom G-BA Der gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat am 14.06.2022 die Beschlussfassung zur Einleitung der Beratung eines Qualitätssicherungsverfahrens im Rahmen der Anwendung von „Arzneimitteln für neuartige Therapien“ (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP) in der Genterapie (für die Hämophilie A und B) eingeleitet. Diese neue ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie wird zu weiteren Qualitätsanforderungen an Hämophiliezentren führen. Es wird eine dreigeteilte Zertifizierung für die Indikationsstellung, die Durchführung und das „Follow up“ der Genterapie erfolgen. Da die Genterapie in der Hämophilie A und B zulassungsgemäß nach der EMA ambulant erfolgen muss, wird die ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie derzeit entsprechend angepasst. Da u.a. auch zukünftige Registermeldungen nach EMA-Anforderung erfolgen müssen, hat der G-BA am 06.02.2023 auf Grund weiterer Anhörungsverfahren das Verfahren gesetzlich verlängert. Es wird frühestens am 30.09.2023 die neue ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie/ATMP-QS-RL vom G-BA zur Hämophilie erwartet.

Qualitätsanforderungen an Apotheken In diesem Arbeitsfeld besteht weiterhin ein hoher Regelungsbedarf, nicht nur von Seiten der PU, die damit bereits begonnen haben. Behandelnde Zentren sollten, auch auf Empfehlung der KBV (Kassenärztliche Bundesvereinigung) einen Kooperationsvertrag mit der herstellenden und liefernden Apotheke(n) schließen, um auch Qualitätsanforderungen an die Apotheken zu hinterlegen und diese damit auch geprüft zu haben.

Der VHA (Verband der hämophilieversorgenden Apotheken) hat erste wegweisende Qualitätsanforderungen aufgestellt. Der S-GKV ist diesbezüglich auch weiterhin im Austausch und beabsichtigt derartige Qualitätsanforderungen an Apotheken ggf. gesetzlich zu implementieren.

Medizinischer Dienst Der medizinische Dienst hat bereits im Dezember 2022 Arztfragebögen zur ordnungsgemäßen Durchführung und Qualifikation für die Prüfung der Genterapie erstellt. Hier werden mehrseitige Checklisten

abgefragt. Auch die Qualitätskriterien, u.a. eine Bescheinigung gemäß § 11 Absatz 1 ATMP-QS-Richtlinie, die es ja noch nicht geben kann (ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie/ATMP-QS-RL vom G-BA zur Hämophilie derzeit nicht vorliegend), werden zur Vorlage verlangt. Der medizinische Dienst würde sowohl für die jeweilige regionale KV (Kassenärztliche Vereinigung) als auch für die Krankenkassen prüfen, wenn eine Genterapie rezeptiert werden würde.

Zuzahlung für Patienten Da der für eine Genterapie obligatorische Fibroscan aktuell eine IGELE-Leistung (individuelle Gesundheitsleistung) darstellt, muss der Patient eine Zahlung von 88,83.- € inklusive Mehrwertsteuer, leisten, da die Vergütungsgrundlage nach ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie/ATMP-QS-RL vom G-BA zur Hämophilie noch nicht vorliegt. Bei Hemgenix® (Etranacogene Dezaparvovec) käme theoretisch eine Zuzahlung von 10.- € für die gesamte Therapie dazu. Bei Roctavian® (Valoctocogen roxaparvovec) betrüge derzeit die Zuzahlung 10.- € pro Phiolen (Vial) nach Körpergewicht, ggf. 150.- € bei 70 kg Körpergewicht, oder mehr, sofern nicht der PU die Kosten in einem Rabattierungsvertrag mit einer Krankenkasse aus dem GKV-Bereich übernimmt.

Ärztliche Verordnung jetzt und mögliche Konsequenzen Würde derzeit ein ärztliches Rezept – nach erfolgreich bewilligtem Einzelfallantrag an die zuständige Krankenkasse – über eines der derzeit zwei verfügbaren Genterapeutika in der Hämophilie ausgestellt werden, wären möglicherweise folgende Konsequenzen für die (den) ausstellende(n) Ärztin/Arzt zu erwarten:

- Fehlende Vergütung der umfangreichen ärztlichen Versorgungsleistungen außerhalb des EBM
- Regress wegen Apothekenpauschale (*Apothekenabgabepreis mit Festzuschlag von 3%*), da dieser derzeit von den Krankenkassen aus dem GKV-Bereich und S-GKV als nicht-wirtschaftlich eingestuft wird
- Regelmäßige Prüfung des medizinischen Dienstes für die zuständige KV (*Einzelmedikament über 50.000 € Gegenwert*)
- Zusätzliche Prüfung des medizinischen Dienstes für die zuständige Krankenkasse (*Prüfung der qualitativ korrekten Umsetzung des genehmigten Einzelfallvertrages*)
- Bei „Therapieversagen“ der Genterapie, welches derzeit auch fachlich unterschiedlich definiert wird, liegt möglicherweise das vollständige finanzielle Regressrisiko (Retaxierungsrisiko) beim Arzt/bei der Ärztin
- Die Vergütung der AAV-5 Testung ist derzeit ungeregelt (*Vergütungsgrundlage nach ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie/ATMP-QS-RL vom G-BA zur Hämophilie derzeit nicht vorliegend*). Daher möglicherweise Vorteilsnahme nach Strafrecht (StGB) für den zuständigen behandelnden Arzt/Ärztin, wenn der PU die Kosten außerhalb eines Rabattierungsvertrages mit der jeweiligen Krankenkasse mit einer Direktvereinbarung zwischen dem behandelnden Zentrum tragen würde.

Christoph Sucker: Konstruktive Kritik am Deutschen Hämophileregister (DHR) und künftige Ausrichtung der Hämostaseologie

Konstruktiv kritische Vorträge wurden bezüglich des Deutschen Hämophilieregisters (DHR) gehalten. Während das die Erfassung des Verbrauches von Gerinnungsfaktorkonzentraten früher Kernaufgabe des DHR war, wurde der Umfang der DHR-Meldung inzwischen massiv ausgeweitet, so PD Dr. Sucker, Berlin. Durch Verlagerung des DHR an das Paul-Ehrlich-Institut (PEI) wurden Ärzte und Patienten verpflichtet jährlich umfassende Daten an das DHR zu übermitteln. Der frühere freiwillige Charakter der Meldung wurde durch eine verpflichtende Meldung ohne jegliche Honorierung ersetzt. Die neue Version des DHR, 2.0, wird von deren Betreibern als „Meilenstein der Therapieoptimierung“ angesehen, wertvolle Registerdaten zur Langzeitforschung der Hämophilie-Behandlung und zur Wirksamkeit und Sicherheit der Therapien sollen zum Wohle der Patienten erhoben werden, so die Pressemitteilung des DHR. Für wen könnten diese Daten interessant sein? Dass im Lenkungsausschuss des DHR bestimmte Interessengruppen vertreten sind, etwa Vertreter der pharmazeutischen Industrie und der Kostenträger, lässt ahnen, wem die Daten nutzen, die Patienten zur Verfügung stellen und Ärzte ohne Entgelt erfassen müssen.

Das DHR gibt insbesondere nachfolgende wohlklingende Beurteilungen über sich ab: Meilenstein für die Therapieoptimierung mit hoher Benutzerfreundlichkeit und strengem Datenschutz und Erfassung wertvoller Registerdaten zur Wirksamkeit und Sicherheit von Therapien. Es stellte sich die Frage, so Sucker, wie die Ärzteschaft dies selbst beurteilt; er führte dann Ende 2022 im Namen des BDDH eine Mitgliederbefragung durch: 15 Einrichtungen beteiligten sich an der Umfrage, die wie zynisch von Sucker angemerkt, nicht wie das DHR verpflichtend, sondern freiwillig war; immerhin waren große Einrichtungen im Bereich der Hämophilie-Behandlung wie Universitätskliniken, Medizinische Versorgungszentren (MVZ) und Praxen unter den Teilnehmern. Der Zeitaufwand der DHR-Meldung wurde von allen Teilnehmern bei Einzelmeldung als zu hoch eingestuft, es bestand Konsens, dass die Sammelmeldung rasch durchführbar ist. Die vom DHR als hoch eingestufte Benutzerfreundlichkeit wurde von den Befragten als mittelmäßig bis schlecht angesehen; es wäre vielleicht hilfreich gewesen, Ärzte, die das DHR zu befüllen haben, wenigstens in die Gestaltung mit einzubeziehen. Keine befragte Einrichtung erhält ein Honorar für die DHR-Eingabe; es könne nicht sein, dass man einen Vertrag nach §132i SGB V abschließt, um hierüber zumindest indirekt eine Honorierung für die DHR-Eingabe zu erhalten, so Sucker. Die angepriesene Funktion des DHR als „Meilenstein der Therapieoptimierung“ wurde von den Befragten nicht bestätigt; Einzelkommentare der Befragten gipfelten in Formulierungen wie „es bringt keinerlei Nutzen“ oder „abschaffen“. Ein relevanter Profit für die Behandlung ihrer Patienten wurde durch die Befragten kaum gesehen. Ob die Erfassung milder und somit nicht therapiebedürftiger Gerinnungsstörungen durch das DHR sinnvoll sei, wurde unterschiedlich von den Befragten bewertet. Zumindest sei die Erfassung dieser Gerinnungsstörungen aufgrund der großen

Anzahl in einer großen Einrichtung problematisch, so Sucker, zumal die Praxissoftware häufig nicht in der Lage sei, diese Fälle automatisch zu erfassen. Außerdem seien hier datenschutzrechtliche Bedenken gegeben, da Patienten mit milden Hämostasestörungen in die Erfassung ihrer Daten im DHR nicht zustimmen und somit auch nicht die Erfassung ablehnen könnten, so Sucker.

Zusammenfassend, so Sucker, sei das DHR mitnichten ein „Meilenstein der Therapieoptimierung“. Den Ärzten würden Dokumentationsaufgaben ohne Nutzen aufgebürdet, für die sie kein Entgelt erhalten. Die Daten des DHR würden nicht publiziert, eine Handvoll von Publikationen seit Gründung des DHR beschäftige sich lediglich mit der DHR-Struktur, nicht aber mit einer Auswertung von Daten, obwohl doch die Datenauswertung Ziel des DHR sei. In der jetzigen Form hätte das DHR keinerlei Stellenwert für die Therapie von Hämophiliepatienten und erfülle in der vorliegenden Form lediglich einen Selbstzweck.

Sein Nachredner, Dr. Wolfgang Mondorf, bestätigte diese Sichtweise und führte manches genauer aus: Die späte Auswertung der DHR-Daten, zumeist erst ein Jahr nach der Meldung, und die fehlende Publikation der erhobenen Daten, wäre ein sehr kritischer Punkt, so Mondorf. „Selbst die HIV-Katastrophe wäre nicht verhindert worden, wenn Daten zwar erhoben, aber derart spät ausgewertet worden wären“. Mondorf plädierte klar für eine Sammelmeldung und gegen eine Einzelmeldung der Patienten.

In einem weiteren Vortrag „Quo vadis Hämostaseologie“ beleuchtete Dr. Ute Scholz, Leipzig, kritisch die aktuelle Situation und die Zukunft der Hämostaseologie in Deutschland. Sie betonte, dass Hämostaseologie mit Nichten gleichzusetzen sei mit der Behandlung von Hämophilie-Patienten. Der von Rudolf Marx im Jahr 1953 eingeführte Begriff der Hämostaseologie bezeichnete wörtlich „die Lehre vom Stehen- und Steckenbleiben des Blutes“. Hiermit seien demzufolge thrombotische Ereignisse von großer Bedeutung, nicht die häufig gefühlte Verengung des Begriffes Hämostaseologie auf die Behandlung von Blutern. Sie betonte, dass in einer Gerinnungssprechstunde die Hämophilie-Patienten nur einen kleinen Anteil am Patientenkollektiv ausmachen würden, während ein Großteil der Patienten sich aufgrund thrombotischer Ereignisse oder Schwangerschaftskomplikationen vorstellen würden. Auch auf dem aktuellen GTH-Kongress, so führte Scholz aus, wäre die Hämophilie stark über repräsentiert, während andere relevante Aspekte der Hämostaseologie wie etwa thrombotische Komplikationen, einschließlich arterieller Ereignisse, kaum behandelt würden. Die Hämostaseologie dürfte sich nicht über die Behandlung von Blutern definieren, sondern müsse alle Aspekte des Fachgebietes in gebotener Wichtung behandeln und repräsentieren.

Für den Vorstand der Deutschen Hämostaseologen
Priv.-Doz. Dr. med. Jürgen Koscielny, Vorsitzender
Priv.-Doz. Dr. med. Christoph Sucker, Beisitzer des
Vorstandes