

Stellungnahme der Deutschen Arbeitsgemeinschaft für Hämatopoetische Stammzelltransplantation und Zelluläre Therapie e.V. (DAG-HSZT)

zum

Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses zu Mindestmengen bei der allogenen Stammzelltransplantation bei Erwachsenen vom 15.12.2022

Hintergrund

Die allogene Stammzelltransplantation (alloSCT) stellt eine wichtige immuntherapeutische Behandlungsmethode maligner und benigner hämatologischer Erkrankungen dar. Aufgrund ihrer hohen medizinischen Komplexität bedarf die alloSCT der Qualitätssicherung. Als ein Element der Qualitätssicherung in der interventionellen Medizin gilt das Erreichen von Interventions-bezogenen Mindestmengen.

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat mit Beschluss vom 15.12.2022 die Mindestmenge für die Vergütungsfähigkeit der alloSCT auf 40 allogene Transplantationen pro Jahr heraufgesetzt. Gleichzeitig entfiel die Mindestmengenregelung für die autologe Stammzelltransplantation (autoSCT). Im Folgenden erlauben wir uns einige Anmerkungen zum Beschluss und zum Prozess seiner Entstehung.

Anmerkungen zum Verfahren

Der aktuelle Beschluss des G-BA erfolgte ohne das bewährte Stellungnahmeverfahren unter Einbeziehung von Fachverbänden und klinischer Expertise. Dieses Vorgehen ist zwar regelkonform; angesichts der Tragweite für die Versorgungsstruktur und der Implikationen für sämtliche Behandlungseinrichtungen wäre es aus unserer Sicht dennoch äußerst wichtig gewesen, bei der Entscheidungsfindung in einem offenen Verfahren die Einschätzung von Fachverbänden und Praktikern aus dem Versorgungsalltag zu berücksichtigen.

Anmerkungen zur festgelegten Mindestmenge

Die Rationale von Mindestmengen als Qualitätskriterium komplexer Behandlungsinterventionen ist grundsätzlich nachvollziehbar. Allerdings erscheint uns die wissenschaftliche Basis der neu festgelegten Zielgröße 40 für die alloSCT nicht belastbar. Die dieser Zahl zugrundeliegende Arbeit von Majhail et al¹ spiegelt den US-amerikanischen Versorgungsalltag der Jahre 2008-2010 wieder, eine Validierung dieser Untergrenze für andere Gesundheitssysteme und aus neuerer Zeit fehlt. In diesem Zusammenhang sei hervorgehoben, dass eine Validierung mit einer etwas aktuelleren Kohorte (2012-2014) in derselben Arbeit nur noch einen marginalen Effekt der 40er Grenze zeigt. Nicht zuletzt warnen die Autoren selbst davor, diese Daten als Qualifikationskriterium für Transplantationszentren zu verwenden. Gleichzeitig erweist sich in dieser Arbeit die strukturierte und spezialisierte ambulante Anschlussbehandlung als entscheidender Faktor für den Erfolg einer allogenen Stammzelltransplantation.

Für die Versorgungsstruktur der alloSCT in Deutschland würde das Heraufsetzen der Mindestmenge auf eine Zielgröße von 40 eine erhebliche Veränderung bedeuten: Legt man die DRST-Zah-

¹ Majhail NS, Mau LW, Chitphakdithai P et al. Transplant center characteristics and survival after allogeneic hematopoietic cell transplantation in adults. Bone Marrow Transplant. 2020;55:906-917.

len von 2021 zugrunde, werden 40 Transplantationen p.a. von 20 von insgesamt 50 allogenen transplantierenden internistischen Einrichtungen nicht erreicht, darunter auch 7 universitäre Standorte.

Vor diesem Hintergrund möchten wir auf einige Besonderheiten der Intervention alloSCT und ihrer Versorgungsstruktur in Deutschland hinweisen:

- Bei der alloSCT handelt es sich um ein biologisch komplexes Therapieverfahren, bei dem im Patienten ein genetisch differentes lymphohämatopoetisches System dauerhaft etabliert wird. Im Unterschied z.B. zur soliden Organtransplantation, bei der das Therapieziel im Wesentlichen im reinen Organersatz besteht, zielt die alloSCT in der Regel primär auf die immuntherapeutische Eradikation des zugrundeliegenden Malignoms oder fehlfunktionierenden Immunsystems ab. Das impliziert, dass für den Therapieeffekt, aber auch die Risiken der Transplantation **der Steuerung des transplantierten Immunsystems während der poststationären Phase** die entscheidende Rolle zukommt, während die stationäre Phase zur Transplantation und Etablierung eines Spenderchimärismus zwar unverzichtbar ist, jedoch Behandlungserfolg und Risiken der alloSCT nur zum kleineren Teil determiniert. Mit anderen Worten: eine Immuntherapie in Form der alloSCT ist erst dann als abgeschlossen zu betrachten, wenn der lymphohämatopoetische Chimärismus in einer Weise etabliert ist, dass sämtliche immunmodulatorische Maßnahmen beendet werden konnten bzw. absehbar unnötig geworden sind. Dies ist in der Regel erst dann der Fall, wenn alle messbaren Krankheitserscheinungen anhaltend zum Verschwinden gebracht werden konnten und keine behandlungsbedürftigen Symptome einer Graft-versus-Host-Erkrankung (mehr) vorliegen. Die Steuerung dieses Prozesses macht die Kernkompetenz der qualifizierten Behandlungseinrichtungen aus und kann sich über Monate, manchmal sogar Jahre hinziehen, in denen die betroffenen Patienten teils im Wochenabstand – elektiv oder auch in Notfällen – regelmäßig das Behandlungszentrum aufsuchen müssen. Dies zeigt insbesondere auch die oben zitierte Arbeit von Maijhail et al ¹. Im Gegensatz zu allen anderen mit Mindestmengen versehenen (chirurgischen) Interventionen beschränkt sich die alloSCT also nicht auf einen einzeitigen komplexen Eingriff mit überschaubarer Nachsorge, sondern stellt im Kern eine hoch komplexe, individualisierte ambulante Langzeittherapie mit relativ einheitlicher, gut standardisierter stationärer Initialphase dar. Es liegt auf der Hand, dass vor diesem Hintergrund die Entfernung zwischen Patientenwohnort und Behandlungseinrichtung möglichst kurz sein sollte. **Gerade in bevölkerungsarmen Flächenländern könnte daher mit einer auf zwei oder mehrere Standorte aufgeteilten Versorgungsstruktur der Behandlungsqualität mehr gedient sein als mit einer zentralen, auch wenn die Mindestmengen pro Standort die Zielgröße 40 nicht erreichen.**
- Der Wegfall des allogenen Transplantationsprogramms würde an den betroffenen Universitätskliniken dazu führen, dass ein wichtiger Teil der Transplantationsmedizin nicht mehr praktisch gelehrt werden kann. Darüber hinaus würden alle von der Mindestmengenregelung betroffenen hämatologischen Kliniken erheblich an Attraktivität als Weiterbildungseinrichtung verlieren, was in Zeiten eines limitierten Arbeitskräfteangebots von existenzieller Bedeutung sein kann.

Um diesen beiden Anforderungen gerecht zu werden, erscheint aus unserer Sicht ein Unterschreiten der Zielgröße 40 allogene Transplantationen dann vertretbar, wenn gleichzeitig zusätzliche

Struktur- und Qualitätssicherungsmerkmale wie z.B. JACIE-Zertifizierung erfüllt werden. Wir bitten den G-BA, eine diesbezügliche Revision des aktuellen Beschlusses zu prüfen.

Auf der anderen Seite halten wir den Wegfall der Mindestmenge bei der **autoSCT** für problematisch, da für den Erfolg einer autoSCT und deren qualitätsoptimierte Durchführung ebenfalls ein Mindestmaß an Erfahrung und Anwendungsroutine notwendig ist. Ein Verzicht auf eine Mindestmenge würde hier unseres Erachtens die derzeit gute Versorgungsqualität ohne Not gefährden. Separate Mindestmengen für allogene und autologe Stammzelltransplantation wären insgesamt sachgerechter.

Anmerkungen zu den Fristsetzungen und Bestandsregelungen

Die zugestandene Übergangsregelung erscheint mit nur 2 Jahren zu kurz für die Weiterentwicklung perspektivisch ansonsten erfolversprechender Transplantationsprogramme auf das geforderte Volumen und die dafür erforderlichen infrastrukturellen Anpassungen. Die aktuelle Regelung berücksichtigt den notwendigen Ausbau von Strukturen einschließlich der erforderlichen Prozessvalidierungen und ihrer Zertifizierung weder in seiner inhaltlichen Komplexität noch in der zeitlichen Dimension.

Dazu ist auch die Abruptheit des Inkrafttretens (mit nur 2wöchiger Vorlaufzeit!) kritisch zu sehen, indem speziell für die Patienten solcher Einrichtungen, bei denen aufgrund finanzieller Risiken auch unter den Übergangsregelungen aus betriebswirtschaftlichen Gründen das allogene Transplantationsprogramm kurzfristig aufgegeben werden muss, ein Versorgungsnachteil zu befürchten ist.

Schließlich ist das Fehlen von Bestandsregelungen für die aktuell an der Versorgung teilnehmenden Zentren zu bemängeln, die teils noch während des Beschlussverfahrens in enger Abstimmung mit lokalen Behörden und Kostenträgern relevante Investitionen inhaltlicher und finanzieller Art auf sich genommen haben.

Wir bitten daher um entsprechende Anpassung der Fristsetzungen und die Erwägung von Bestandsregeln durch den G-BA.

Gerne stehen wir gemeinsam mit unserer Partnerorganisation, der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Onkologie e.V. (DGHO), dem G-BA für diesbezügliche Gespräche zur Verfügung.

Für die Deutsche Arbeitsgemeinschaft für Hämatopoetische Stammzelltransplantation und Zelluläre Therapie e.V. (DAG-HSZT)

Prof. Dr. Peter Dreger
(Sprecher der DAG-HSZT)

Prof. Dr. Wolfgang Bethge
(Stellvertretender Sprecher der DAG-HSZT)

im Dezember 2022