

Versorgung von Mukoviszidose

Die Zahl an erwachsenen Patienten mit Mukoviszidose liegt in Bayern bei 600 (Stand: 2017) und steigt durch die steigende Lebenserwartung stark an. Ihre Versorgung in Spezialambulanzen ist finanziell stark unterdeckt. Ärzte und Patientenorganisationen fordern daher die Sicherstellung ihrer Versorgung.

Hintergrund

Mukoviszidose oder auch Zystische Fibrose (Cystic Fibrosis = CF) genannt ist eine autosomal rezessiv vererbte Multiorganerkrankung. In Deutschland ist ca. 1 von 3.300 bis 4.800 Neugeborenen betroffen, die Gesamtzahl der an Mukoviszidose Erkrankten liegt in Deutschland bei ca. 8.000. Damit gehört die Mukoviszidose zu den sogenannten Seltenen Erkrankungen.

Bei Mukoviszidose sind durch eine Störung der Funktion des Cystic Fibrosis Transmembrane Regulator (CFTR)-Proteins die transepitheliale Chlorid- und damit die Flüssigkeitssekretion in verschiedenen Gangsystemen gestört. Dadurch wird der Transport von Sekreten in Gangsystemen wie den Pankreasausführungsgängen, den Gallenwegen, dem Darm, den Vasa deferentia und auch den Atemwegen beeinträchtigt. In den Schweißdrüsen führt der Defekt des CFTR-Proteins zu einem erhöhten Salzverlust mit dem Schweiß, welcher auch diagnostisch zur Bestätigung der Diagnose genutzt wird. Typische klinische Symptome, die an die Diagnose Mukoviszidose denken lassen sollten, sind:

- » Mekoniumileus beim Neugeborenen,
- » Gedeihstörung mit Fettstühlen,
- » Analprolaps,
- » Rezidivierende Bronchitiden, insbesondere mit produktivem Husten,
- » Echte Nasenpolypen,
- » Hypochlorämische Alkalose mit Hyponatriämie und Hypokaliämie, insbesondere im Sommer,
- » Azoospermie.

Seit 2016 wird in Deutschland ein Neugeborenen-Screening auf die Erkrankung durchgeführt. Über dieses Screening erfolgten 2018 bereits mehr als die Hälfte der ca. 200 Neudiagnosen pro Jahr. Es gibt jedoch immer noch Menschen mit Mukoviszidose, bei denen die Krankheit erst im Erwachsenenalter erkannt wird.

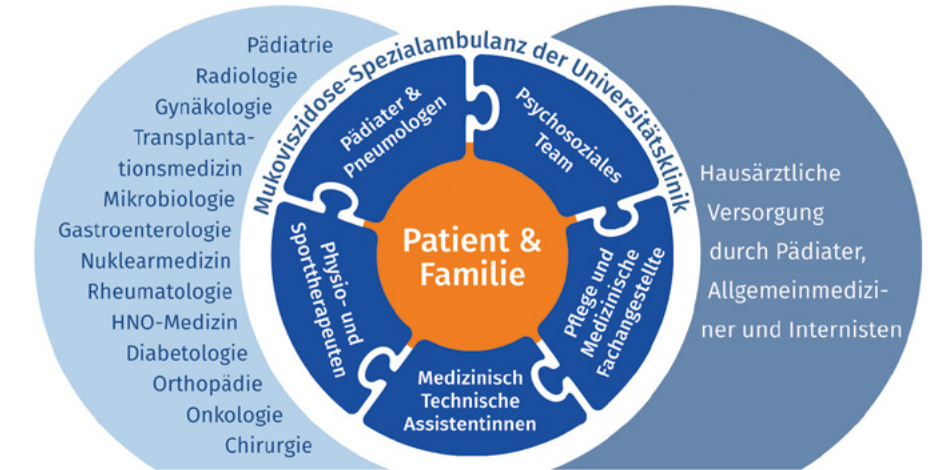


Abbildung 1: Betreuung der Patienten und ihrer Familien durch ein spezialisiertes Team mit Zugriff auf ein großes Netzwerk am Beispiel des Christiane Herzog-Zentrums für Mukoviszidose in Würzburg.

Bei den meisten Betroffenen ist auch heute noch der Verlust der Funktion der Lunge lebensbegrenzend. Therapeutisch steht daher die Lunge im Vordergrund. Hier werden neben einer physiotherapeutischen Behandlung sowie Bewegung und Sport vor allem Medikamente wie Antibiotika und Mukolytika inhalativ und systemisch eingesetzt. Die orale Gabe von Pankreasenzymen und die Substitution von fettlöslichen Vitaminen adressiert die Fettmalabsorption bei exokriner Pankreasinsuffizienz. Viele Patienten erhalten zusätzlich Ursodesoxycholsäure zur Verbesserung des Gallenflusses, Antidiabetika sowie gegebenenfalls weitere Medikamente. In den vergangenen Jahren wurden für einen Teil der Betroffenen sogenannte CFTR-Modulatoren verfügbar, die die Funktion des CFTR-Kanals zumindest teilweise wiederherstellen. Eine Heilung von der Erkrankung gibt es jedoch bisher nicht.

Seit der Erstbeschreibung der Mukoviszidose 1937 ist die mittlere Lebenserwartung bei Mukoviszidose von wenigen Jahren auf aktuell ca. 50 Jahre gestiegen. Aktuell sind in Deutschland mehr als 58 Prozent der Betroffenen älter als 18 Jahre, mit stark steigender Tendenz: Eine 2015 auf Basis der Patientendaten des Europäischen Mukoviszidose-Registers (European Cystic Fibrosis Society) errechnete demografische Prognose ergab, dass die Anzahl der Erwachsenen mit Mukoviszidose bis 2025 um etwa 50 Prozent steigen wird.

Versorgungsstrukturen bei Mukoviszidose

Aufgrund der komplexen Anforderungen an die medizinische Betreuung von Menschen mit Mukoviszidose haben sich in den vergangenen Jahrzehnten Spezialambulanzen bzw. Zentren mit multiprofessionellen Teams entwickelt, die ihre Patienten regelmäßig wenigstens alle drei Monate sehen und zwischenzeitlich bei Fragen oder Problemen zur Verfügung stehen. Zu den Kernteams gehören neben Kinder- und Jugendärzten (Kinderpneumologen oder -gastroenterologen) und Erwachsenenpneumologen auch spezialisierte Pflegekräfte, Ernährungsberater, Physiotherapeuten, Sporttherapeuten, Sozialarbeiter und Psychologen. Abbildung 1 stellt die erweiterte Betreuungsstruktur in den Mukoviszidosezentren am Beispiel des Zentrums in Würzburg vor. Die Ambulanzen bzw. Zentren bieten dabei nicht nur eine umfassende ambulante Versorgung und Organisation stationärer Aufenthalte, sondern koordinieren zusammen mit den Kinder- und Hausärzten alle Aspekte der medizinischen Betreuung auch heimatnah. Beispiele können hier sowohl die interdisziplinäre Versorgung zum Beispiel bei Schwangerschaften oder Diabetes sein, die Beratung und Vermittlung zur Lungentransplantationsevaluation bis hin zur Begleitung über die Transplantation, die Unterstützung bei Anträgen auf Rehabilitationsmaßnahmen oder Behindertenausweis etc. Weiterhin ist der rasche Fortschritt in der Behandlung der

Mukoviszidose über die vergangenen Jahrzehnte ohne die Zentrierung der Versorgung mit hoher wissenschaftlicher Aktivität und Beteiligung an Studien zur Medikamentenentwicklung und Testung durch die Ambulanzen und Zentren nicht denkbar.

Die spezialisierte Betreuung hat sich zunächst an den Kinderkliniken der Universitätsklinik entwickelt. Inzwischen gibt es jedoch auch entsprechende Strukturen in Schwerpunktpraxen und nicht-universitären Kliniken, neben den Angeboten für Kinder und Jugendliche auch solche allein für Erwachsene und altersgruppenübergreifende interdisziplinäre und multiprofessionelle Strukturen.

In Bayern gibt es eine Reihe von zertifizierten Einrichtungen zur Behandlung der Mukoviszidose (siehe Abbildung 2).

Transition

Ein Wechsel von der pädiatrischen Betreuung in die Betreuung als Erwachsener kann auf verschiedenen Wegen gestaltet werden. Hier gibt es zum einen das Konzept der klassischen Transition. Der Transitionsprozess beginnt optimalerweise bereits im Kindes- und Jugendalter mit Schulungen und zunehmend „eigener“ Zeit mit dem Behandlungsteam ohne die Anwesenheit der Eltern. Die Übergabe in die Erwachsenenbetreuung erfolgt dann individualisiert im späten Jugend- oder jungen Erwachsenenalter durch strukturierte Übergaben zwischen den Behandlern und gemeinsame Transitionssprechstunden. Meist erfolgt über einen gewissen Zeitraum eine gemeinsame Betreuung durch die Pädiatrie und Pneumologie, bevor der Patient ganz in die Erwachsenenmedizin wechselt. Ein anderer Weg, der sich insbesondere bei kleineren und mittelgroßen Zentren anbietet, ist eine altersgruppenübergreifende Versorgung in gemeinsamen räumlichen Strukturen. Der Vorteil dieses Konzepts ist nicht nur, dass die Betroffenen immer dieselbe räumliche Anlaufstelle behalten, sondern dass auch ein Teil des Teams nicht wechselt. Für die Einrichtungen besteht der Vorteil auch darin, dass aufgrund der dann insgesamt höheren Patientenzahlen so leichter ausreichend qualifiziertes Personal auch für Urlaubs- und Krankheitsphasen vorgehalten werden kann.

Finanzierung der Versorgung von Erwachsenen ist nicht gesichert

Die spezialisierte Betreuung der Kinder- und Jugendlichen mit Mukoviszidose erfolgt in Bayern meist über die Sozialpädiatrischen Zentren und wird über die entsprechende Pauschale fi-



Abbildung 2: Karte der Spezialambulanzen und Zentren für Mukoviszidose in Bayern. An allen Orten wird eine konfirmatorische Schweißtestdiagnostik durchgeführt.

nanziert. Die Erwachsenen werden in der Regel in Hochschulambulanzen oder im Rahmen der Ambulanten Spezialfachärztlichen Versorgung (ASV) behandelt. Hier sind die hohen Kosten von mehr als 1.000 Euro pro Quartal sehr stark unterdeckt, sodass eine zusätzliche Finanzierung durch Querfinanzierung aus anderen Bereichen oder Arzneimittelstudien erfolgen muss. Eine Petition des Selbsthilfevereins Mukoviszidose e. V. für eine Finanzierung und damit längerfristige Sicherung, auch der Erwachsenenversorgung, vom Februar 2019 resultierte in einer Anhörung im Bayerischen Landtag und einem anschließenden runden Tisch im Forschungsministerium. Die Versorgung der zunehmenden Zahl erwachsener Patienten in Spezialambulanzen muss sichergestellt werden. Durch die Anpassung von § 117 SGB V hat der Gesetzgeber im Jahr 2015 den Ermächtigungsumfang der Hochschulambulanzen ausdrücklich auf schwere komplexe Erkrankungen wie Mukoviszidose ausgeweitet. Die Vergütung soll laut Gesetz die Leistungsfähigkeit bei wirtschaftlicher Betriebsführung der Ambulanz ermöglichen. Deshalb sollen die Behandlungspauschalen nach den verhandelten „Grundsätzen der Vergütungsstruktur“ nach Behandlungsaufwand differenziert werden. Die Bayerische Staatsregierung unterstützt die Forderung der Patientenverbände, dass die Verhandlungspartner dies bei den nächsten Entgeltverhandlungen für Hochschulambulanzen berücksichtigen, das heißt eine Pauschale für Mukoviszidose-Ambulanzen verhandeln, die eine auskömmliche Vergütung ohne klinikinterne Querfinanzierung ermöglicht.

Die ausreichende Finanzierung der Mukoviszidose-Ambulanzen ist zwingend erforderlich: Der Deutsche Ethikrat fordert in seiner Emp-

fehlung vom November 2018 [1], dass dringend Maßnahmen für eine gerechtere Versorgung für Menschen mit Seltene Erkrankungen ergriffen werden: So sollen Zentren für Seltene Erkrankungen bundesweit ausreichend finanziert werden, um chronisch kranken Menschen wie zum Beispiel Patienten mit Mukoviszidose die Möglichkeit einer fachlich angemessenen und langfristigen Versorgung zu bieten.

Literatur:

[1] Deutscher Ethikrat: Herausforderungen im Umgang mit seltenen Erkrankungen, Ad-hoc-Empfehlung 2018 <https://www.ethikrat.org/publikationen/kategorie/ad-hoc-empfehlungen/>

Autoren

Professor Dr. Helge Hebestreit¹
 Professor Dr. Michael Pfeifer²
 Stephan Kruij³

¹ Direktor des Zentrums für Seltene Erkrankungen – Referenzzentrum Nordbayern, Stell. Direktor der Universitäts-Kinderklinik, Josef-Schneider-Str. 2, 97080 Würzburg

² Chefarzt der Pneumologischen Abteilung, Klinik Donaustauf, Ludwigstr. 68, 93093 Donaustauf

³ Vorsitzender Mukoviszidose e. V. – Bundesverband Cystische Fibrose, Mitglied des Deutschen Ethikrates