



PD Dr. Christine Petersen-Benz, MPH

Das Kriterium der Medizinischen Notwendigkeit

Eine ethische Analyse zur Allokation von Mitteln für neue Behandlungsmethoden

Die Medizinische Notwendigkeit gehört zu den Leitkriterien, an denen sich der Leistungsumfang der Gesetzlichen Krankenversicherung orientiert. Auf der einen Seite darf das Leistungsangebot das Maß des Notwendigen nicht überschreiten. Auf der anderen Seite existiert ein gesetzlicher Anspruch auf Krankenbehandlung, sofern diese notwendig ist. Insbesondere im Zusammenhang mit der Anerkennung von neuen Behandlungsmethoden kommt dem Kriterium der „medizinischen Notwendigkeit“ eine Schlüsselrolle zu. Wie ist dieses Kriterium zu verstehen? Die Autorin erörtert die Problematik, die angesichts knapper werdenden Ressourcen zunehmend an Bedeutung gewinnt, an zwei praktischen Beispielen.

Die begriffliche Konzeption der Medizinischen Notwendigkeit unterscheidet sich auf unterschiedlichen System-Ebenen.

Die Begriffskonzeption der medizinischen Notwendigkeit auf der Meso-Ebene

Auf der Ebene des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) erfolgt die Bewertung der medizinischen Notwendigkeit nicht isoliert, sondern in Kombination mit dem Qualitäts- und dem Wirtschaftlichkeitsgebot anhand der Aufstellung von Nutzen-Kosten-Relationen. Die Entscheidung über die Aufnahme neuer Behandlungsmethoden in den Leistungskatalog dauert oft mehrere Jahre, da in der Einführungsphase in der Regel noch keine hochgradigen Nutzenbelege vorliegen. Während dieser Phase dürfen neue Methoden im Krankenhausbereich bereits angewandt werden, wenn sie das Potenzial für einen ausreichenden Nutzen besitzen.

In Bezug auf Medikamente gilt die Zulassung als Voraussetzung für die Anerkennung der medizinischen Notwendigkeit. Unter einer indikationsgerechten Anwendung eines Medikaments wird im GKV-System ausschließlich die Anwendung innerhalb der zugelassenen Indikationen verstanden.

Die Begriffskonzeption der medizinischen Notwendigkeit auf der Mikro-Ebene

Aus Sicht des Arztes ergibt sich die medizinische Notwendigkeit für die Anwendung einer neuen Behandlungsmethode nur zu einem Teil aus dem für diese Methode durchschnittlich zu erwartenden und ggf. aus Studien ableitbaren Nutzen. Für die Ermittlung der individuellen Nutzen-Risiko-Relation spielen die beim jeweiligen Patienten vorhandenen Komorbiditäten und Risikofaktoren eine Rolle. Des Weiteren sind die individuelle Lebensplanung und die Bereitschaft des Patienten, die mit der Behandlung verbundenen Risiken zu tragen, zu berücksichtigen. Außerdem fließen in die Behandlungsentscheidungen auch die am jeweiligen Zentrum mit einer neuen Methode gesammelten Erfahrungen ein. Grundlage für die Beratung des

Patienten ist folglich eine von vielen Aspekten beeinflusste, individuelle Indikationsstellung.

Auch in Bezug auf den Einsatz von Medikamenten entspricht ein indikationsgerechter Einsatz aus ärztlicher Sicht nicht ausschließlich dem Einsatz innerhalb der durch Zulassungsstudien abgedeckten Indikationsgebiete. Dies betrifft vor allem Medikamente, die bei seltenen Erkrankungen eingesetzt werden, bei denen sich die Zeiträume zwischen den ersten erfolgreichen Heilversuchen bis zum Vorliegen einer wenigstens gering- bis mittelgradigen Evidenz über viele Jahre erstrecken können. Es zeigt sich, dass der Begriff der Medizinischen Notwendigkeit aufseiten der ärztlichen Behandler (Mikro-Ebene) inhaltlich anders verstanden wird als auf der Steuerungsebene (Meso-Ebene) des GKV-Systems. Es handelt sich hier jedoch nicht nur um ein semantisches Problem, sondern um eine sehr viel weitreichendere Problematik, die inzwischen in einigen Bereichen zu einem nicht mehr einzuholenden Auseinanderfallen medizinischer und sozialmedizinischer Bewertungen geführt hat.

Ursächlich für diese Entwicklung ist eine Rechtsprechung, die die für die Systemebene (Makro-, Meso-Ebene) geltenden Anforderungen an den Nutznachweis für neue Behandlungsmethoden auf die Mikro-Ebene transferiert hat.

Dies wurde dadurch bewerkstelligt, dass die gesicherte Evidenz für eine bestimmte Behandlungsmethode als vorgreifliches Kriterium für die Anerkennung der medizinischen Notwendigkeit im Einzelfall definiert wurde. Sozialrechtlich wird dies mit den Anforderungen des allgemeinen Qualitätsgebots begründet¹⁾.

Auch in Bezug auf den Einsatz von Medikamenten in neuen Indikationsgebieten wurden die Anforderungen verschärft. Dies erfolgte durch eine neue juristische Definition, die die Anerkennung von Off-Label-Anwendungen als neue Behandlungsmethoden grundsätzlich in Frage stellt und ihnen lediglich den allgemeinen Status einer Pharmakotherapie zuerkennen will²⁾. Auch bei schweren und seltenen Erkrankungen ist somit (außer bei verfassungsrechtlichem Anspruch wegen unmittelbarer Lebensbedrohung) nur noch dann von einer rechtlich abgesicher-

ten Off-Label-Anwendung auszugehen, wenn bereits positive Ergebnisse einer abgeschlossenen Phase III-Studie vorliegen. Dieser hohe Anspruch an den Nutznachweis ist unproblematisch, solange zumindest eine hochgradig evidenzbasierte Option zur Verfügung steht, die im Einzelfall tatsächlich auch angewandt werden kann.

Ist dies jedoch nicht der Fall, so kollidiert der Maximalanspruch an die Evidenzgrundlage mit dem Anspruch, eine im Einzelfall medizinisch notwendige Behandlung mit einer neuen Behandlungsmethode zu erhalten. Diese Kollision bedarf aus ethischer Sicht einer offenen Diskussion, die sich insbesondere mit Erkrankungen beschäftigen sollte, bei denen schwere Komplikationsrisiken bestehen. Die Frage der Ressourcen-Allokation für die Behandlung solcher Erkrankungen soll im Folgenden anhand von zwei Beispielen dargestellt werden.

Beispiel 1: Neuroradiologische Interventionsverfahren zum elektiven Verschluss von Aneurysmen im Bereich der zerebralen Gefäße.

Zur Behandlung zerebraler Aneurysmen können operative Verfahren sowie neuroradiologische Interventionsverfahren zum Einsatz kommen. Bisher existieren keine großen randomisierten Vergleichsstudien, auf Basis derer hochgradig evidenzbasierte Therapie-Entscheidungen gefällt werden könnten.

Das am längsten etablierte interventionelle Verfahren beruht darauf, dass zerebrale Aneurysmen durch Implantation von Nitinolspiralen (Coiling) verschlossen werden.

Bei breitbasigen Aneurysmen kann jedoch kein einfaches Coiling erfolgen, sondern es muss zusätzlich ein Stent in das Aneurysma-tragende Gefäß implantiert werden (Stent-gestütztes Coiling). Alternativ kann zur Versorgung breitbasiger Aneurysmen ein neues Verfahren angewandt werden, das auf der Implantation eines speziellen Drahtgeflechts (WEB-Device) beruht. Dieses besitzt die Vorteile, dass keine Manipulation am Trägergefäß erfolgt, und dass postinterventionell keine doppelte Thrombozytenaggregationshemmung erforderlich ist. Für dieses Verfahren haben sich aus Studien Hinweise auf eine im Vergleich zum Stent-gestützten Coiling geringere Komplikationsrate ergeben³⁾.

Für welches Verfahren im Einzelfall die besten Erfolgsaussichten und die geringsten Komplikationsrisiken zu erwarten sind, ist von mehreren Faktoren abhängig. Diese müssen gegeneinander abgewogen werden, woraus eine individuelle Therapie-Empfehlung resultiert.

Für die sozialmedizinische Bewertung der Indikationsstellung für ein WEB-Device zur prophylaktischen Behandlung eines breitbasigen Aneurysmas existieren derzeit zwei Strategien:

- Die Orientierung am juristisch definierten Maximalanspruch an den Evidenznachweis. Dies hat zur Konsequenz, dass wegen fehlender hochgradiger Evidenz unter dem Verweis auf das Qualitäts- und das Wirtschaftlichkeitsgebot auf das weniger kostenintensive Coiling verwiesen wird. Die Abrechnung des NUB-Entgelts für ein WEB-Device wird folglich nicht bestätigt.

- Die Einbeziehung der für die jeweilige Einzelfall-Entscheidung relevanten Aspekte (Aneurysmagröße, Form, Lokalisation) in Verbindung mit den für die einzelnen Verfahren existierenden Studiendaten zu Vorteilen und Komplikationsrisiken. Dies erfordert folglich, dass die Komplexität der medizinischen Indikationsstellung vor dem Hintergrund der für die einzelnen Verfahren vorhandenen Datenlage geprüft wird, auch wenn noch keine großen randomisierten und kontrollierten Studien vorliegen.

Aus ethischer Perspektive ist hierbei wesentlich, dass es sich um eine elektive Behandlung eines gesunden Menschen handelt, der ein bestimmtes Risiko tragen muss, eine tödliche oder mit schweren Folgen behaftete Hirnblutung zu erleiden. Um dieses Risiko abzuwenden, kommen unterschiedliche Behandlungsmethoden in Frage.

Unter Einbeziehung patientenindividueller Faktoren, der vorhandenen Datenlage und der Expertise der behandelnden Spezialisten wird eine möglichst gut für den jeweiligen Einzelfall geeignete Therapie-Option ausgewählt. Die Therapie-Empfehlung resultiert letztlich aus einer Abwägung, in die sowohl das mit der Erkrankung verbundene Lebenszeitrisko für eine Hirnblutung als auch das mit der jeweiligen Behandlung verbundene Komplikationsrisiko eingehen (Nutzen-Risiko-Relation). Solche Empfehlungen sind naturgemäß immer mit einem Unsicherheitsfaktor behaftet, über den der Patient aufzuklären ist. Eine rein wirtschaftlich bestimmte Therapie-Entscheidung ohne Einbeziehung der bereits vorhandenen Datenlage zu den neuen Verfahren erscheint fragwürdig, da auch GKV-Versicherte einen gesetzlichen Anspruch auf eine Teilhabe am Fortschritt haben.

Beispiel 2: Die Off-Label-Anwendung von Rituximab bei der Neuromyelitis-optica (neue Bezeichnung: Neuromyelitis-optica-Spektrumerkrankung)

Die Neuromyelitis-Optica ist eine seltene Erkrankung, die durch einen schubförmigen Verlauf gekennzeichnet ist. Längerfristig drohen schwere Funktionsstörungen wie Rollstuhlabhängigkeit und Blindheit. Zur Verhinderung von Rezidiven werden Immunsuppressiva wie Azathioprin oder Rituximab eingesetzt. Beide Medikamente sind nicht für diese Indikation zugelassen. Welches der beiden Medikamente zum Einsatz kommt, soll gemäß Leitlinie von den Befunden und vom Verlauf abhängig gemacht werden⁴⁾. Rituximab gilt als die effektivere Option, die bei prognostisch ungünstigem Verlauf frühzeitig eingesetzt werden soll⁵⁾.

Für die sozialmedizinische Bewertung der Indikationsstellung für Rituximab bei prognostisch ungünstigem Verlauf einer Neuromyelitis-optica resultieren auch hier zwei Strategien:

- Die Orientierung an den BSG-Kriterien, die für einen zulässigen Off-Label-Use das Vorhandensein von positiven Ergebnissen einer Phase III-Studie fordern. Dies hat zur Konsequenz, dass wegen fehlender hochgradiger Evidenz auch bei schweren Krankheitsverläufen auf Azathioprin verwiesen



wird. Die Abrechnung des Zusatzentgelts für Rituximab wird folglich nicht bestätigt.

- Die Einbeziehung der für die jeweilige Einzelfall-Entscheidung relevanten Aspekte (Ausmaß der Läsionen, Aggressivität des Verlaufs, Rückbildungstendenz). Diese werden vor dem Hintergrund der vorhandenen Datenlage bewertet, woraus sich bei ungünstigen Verläufen die Bestätigung der leitliniengerechten Therapie mit Rituximab ergeben sollte.

In der Praxis ist dies jedoch nicht der Fall, da die Datenlage zu Rituximab den BSG-Kriterien nicht gerecht wird, weil keine große Phase III-Studie existiert. Deshalb wird die Bestätigung der Indikation für Rituximab zumeist davon abhängig gemacht, ob bereits eine beidseitige Augenbeteiligung (Opticusneuritis) mit relevantem Visusverlust vorliegt.

Grund hierfür ist die Tatsache, dass Erkrankungen, die mit einem drohendem Verlust einer nicht kompensierbaren Sinnesfunktion oder einer wesentlichen Körperfunktion einhergehen, als gleichwertig mit einer lebensbedrohlichen Erkrankung zu bewerten sind (§ 2 Absatz 1a SGB V). Infolge dieser Einstufung sinken die Anforderungen an das Evidenzniveau. Sozialrechtlich wird in diesem Zusammenhang gefordert, dass im Einzelfall dargelegt wird, welcher konkreten (unmittelbaren) Erblindungsgefahr der einzelne Versicherte ausgesetzt ist. Theoretisch müsste für diesen Gefährdungsnachweis also abgewartet werden, bis beide Augen von der Erkrankung betroffen sind und zumindest ein Auge bereits einen dauerhaften Visusverlust aufweist. Aus ethischer Sicht ist dies eine fragwürdige Forderung, da das Ausmaß der bei abwartendem Verhalten eintretenden Sehinderung nicht kalkulierbar und ggf. auch nicht mehr beeinflussbar ist.

Anhand der genannten Beispiele lässt sich erkennen, dass die Forderung nach Erfüllung der Anforderungen des allgemeinen Qualitätsgebots dazu führt, dass die erforderlichen Ressourcen für die Anwendung neuer Behandlungsmethoden nicht zur Verfügung gestellt werden. Dies entspricht einer impliziten Rationierung, da diese Strategie darauf abzielt, dass aufwendige neue Therapie-Optionen vorenthalten werden. Zur Legitimation dieser Strategie wird angeführt, dass es unter Gerechtigkeitsaspekten angezeigt sei, Methoden ohne ausreichenden Nutzenbeleg von der Finanzierung innerhalb des Solidarsystems auszunehmen. Diese Argumentation ist gerechtfertigt, sofern sie sich auf demokratisch legitimierte Entscheidungen über die Einführung neuer Behandlungsmethoden auf der Meso-Ebene bezieht.

Die Übertragung dieser Gerechtigkeitsargumentation auf die Indikationsstellung im Einzelfall ist jedoch fragwürdig, da auf der Mikro-Ebene keine abstrakte Nutzen-Kosten-Kalkulation, sondern eine patientengerechte Therapie-Entscheidung unter Einbeziehung der vorhandenen Datenlage getroffen werden muss. Konfliktsituationen resultieren vor allem bei Erkrankungen mit bedrohlichen Komplikationsrisiken, für die neue, aber noch nicht hochgradig belegte Therapie-Optionen zur Verfügung stehen. In dieser Situation stellt sich die Frage, ob das Kriterium des hochgradigen Nutzenbeweises allein entscheidend sein

soll, um über die Zulässigkeit und damit auch über die Finanzierung einer neuen Behandlungsoption für den Bereich der GKV zu entscheiden. Diese Frage sollte innerhalb der Solidargemeinschaft transparent diskutiert werden, da jeder Versicherte von einer impliziten Rationierung betroffen sein kann.

Wenn schwerwiegenden Komplikationsrisiken auch zukünftig Rechnung getragen werden soll, dann muss die Klärung der medizinischen Notwendigkeit neuer Behandlungs-Optionen anhand einer differenzierten Bewertung der Indikation erfolgen. Dies kann jedoch nur umgesetzt werden, wenn im Rahmen von Indikationsprüfungen anstelle stereotyper Fragen nach dem „Vorliegen der erforderlichen Voraussetzungen“ die Frage gestellt wird, ob die Anwendung einer bestimmten Behandlungsmethode oder eines Off-Label-Use im Einzelfall medizinisch notwendig war. Die sorgfältige Ermittlung der individuellen Nutzen-Risiko-Relation sollte der Maßstab für das Kriterium der medizinischen Notwendigkeit auf der Mikro-Ebene sein. Die Nutzenbewertung sollte sich an der vorhandenen Datenlage und am Konsens der Fachspezialisten orientieren. Nur unter dieser Voraussetzung stellt die „Medizinischen Notwendigkeit“ ein geeignetes Kriterium für die Bewertung von Indikationen für neue Behandlungsmethoden im stationären Bereich dar.

Anmerkungen

- 1) Urteil des Bundessozialgerichts vom 8. Oktober 2019, B 1 KR 2/19 R
- 2) Urteil des Bundessozialgericht vom 13. Dezember 2016, B 1 KR 1/16 R
- 3) Kabbasch C. et al.: WEB embolization versus stent-assisted coiling: comparison of complication rates and angiographic outcomes. *J NeuroIntervent. Surg.* 2019;11:812-816
- 4) DGN/KKNMS Leitlinie zur Diagnose und Therapie der MS, Online Version, Stand: 23. April 2014 (derzeit in Überarbeitung)
- 5) Mealy MA et al: Comparison of relapse and treatment failure rates among patients with neuromyelitis optica: Multicenter study of treatment efficacy. *JAMA Neurol.* 2014;71:324-330.

Anschrift der Verfasserin

PD Dr. Christine Petersen-Benz, MPH, Universitäres DRG-Center (UDC), Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf (UKE), Martinistr. 52, 20246 Hamburg