

Titel:**Interdisziplinäre Therapieentscheidungs-Boards für seltene Erkrankungen****Autoren:**

Holm Graessner¹, Jennifer Gansau², Andreas Ziegler³, Joachim Weber²

1 Universitätsklinikum Tübingen

2 BIH Berlin

3 Universitätsklinikum Heidelberg

Hintergrund:

Die ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie (§136a Absatz 5 SGB V §5 Abs. 1, Anlage I) sieht interdisziplinäre Tumorkonferenzen für die Indikationsstellung vor. Auch für seltene Erkrankungen, bei denen häufig neuartige, komplexe und hochpreisige Gen- und Zelltherapien (GCT) eingesetzt werden, sind strukturierte, interdisziplinäre Entscheidungsprozesse erforderlich. Diese erfolgen idealerweise in spezialisierten Therapieentscheidungs-Boards.

Methodik:

Im Rahmen der Nationalen Gen- und Zelltherapiestrategie wurde eine Umfrage zu bestehenden Boards im Bereich seltener Erkrankungen durchgeführt. Erhoben wurden Struktur, Arbeitsweise und Herausforderungen. Ziel war es, Empfehlungen zur Integration solcher Boards in die Regelversorgung abzuleiten. Die Ergebnisse wurden um Daten konkreter Boards ergänzt.

Ergebnisse:

Die befragten Boards agieren lokal, national, europäisch oder global. Sie vereinen die für eine fundierte Therapieentscheidung nötigen Fachdisziplinen und treffen sich bei konkretem Entscheidungsbedarf, meist virtuell. Die Zusammensetzung ist fallabhängig, häufig vertreten sind Genetik, Neurologie, präklinische Forschung und indikationsspezifische Fachärzt*innen. Patientenvertretungen sind teils eingebunden. Einheitliche Standards bestehen teilweise, eine Vergütung durch Kostenträger fehlt vollständig.

Beispielhafte Boards:

(i) Treatabolome Board am ZSE Tübingen,

(ii) Nationales Therapieentscheidungsboard für Gen- und Zelltherapien,

(iii) MLD Treatment Eligibility Panel des ERN-RND,

(iv) Molecular Treatment Board zur individuellen ASO-Entwicklung („1Mutation1Medicine“).

Schlussfolgerung:

Die Ergebnisse belegen klar den Bedarf an interdisziplinären Therapieentscheidungs-Boards zur Anwendung neuartiger Therapien bei seltenen Erkrankungen. Ihre Standardisierung, strukturierte Verankerung und Vergütung sollten im Rahmen von Modellprojekten erprobt und in die Regelversorgung überführt werden, um eine qualitätsgesicherte, faire Versorgung zu gewährleisten.