Positionspapier

Zukunft der Mukoviszidose-Versorgung in Deutschland - Strukturelle Sicherung hochspezialisierter Versorgung

Herausgeber: Mukoviszidose e.V., Februar 2026

1. Ausgangslage: Mukoviszidose als Referenzfall struktureller Gesundheitssteuerung

Die Versorgung von Menschen mit Mukoviszidose (Cystic Fibrosis, kurz: CF) befindet sich in einem tiefgreifenden Transformationsprozess. Medizinische Fortschritte – insbesondere durch CFTR-Modulatoren – führen zu einer deutlich verbesserten Prognose und steigender Lebenserwartung. Gleichzeitig können nicht alle Menschen mit Mukoviszidose von diesen Therapien profitieren, und mit zunehmendem Alter steigt die Komplexität der Versorgung durch Komorbiditäten und systemische Organmanifestationen.

Parallel verändern Krankenhausreform, Fachkräftemangel, ökonomischer Druck und demografische Entwicklungen die strukturellen Rahmenbedingungen des Gesundheitswesens.

Diese Entwicklungen machen deutlich:
Die Zukunft der CF-Versorgung ist nicht allein eine indikationsbezogene Frage, sondern berührt grundsätzliche Struktur- und Finanzierungslogiken im Umgang mit seltenen, komplexen Erkrankungen.

Mukoviszidose steht exemplarisch für die Herausforderungen eines Gesundheitssystems, das hochpreisige Innovationen nachhaltig finanzieren und zugleich qualitätsgesichert steuern muss.

Der medizinische Fortschritt reduziert nicht den Bedarf an hochspezialisierter Versorgung – er macht sie zur Voraussetzung für sichere, wirksame und wirtschaftliche Behandlung.

2. Zentrale Entwicklungen der CF-Population

Auswertungen aus dem Deutschen Mukoviszidose-Registers zeigen:

Die Zahl der Menschen mit Mukoviszidose steigt kontinuierlich, trotz sinkender Geburtenraten.

Die Lebenserwartung nimmt deutlich zu; Mukoviszidose entwickelt sich zunehmend zu einer lebenslangen chronischen Erkrankung im Erwachsenenalter.

Prognose für 2035:

- ca. 9.000 Menschen mit CF
- rund 70 % Erwachsene, davon etwa 30 % über 40 Jahre

Die CF-Population wird älter, größer und heterogener, u. a. im Hinblick auf:

- Krankheitslast und Komorbiditäten
- Zugang und Ansprechen auf Modulatoren
- sozioökonomische Rahmenbedingungen

Konsequenz: Der Versorgungsbedarf nimmt insgesamt zu und wird gleichzeitig stärker individualisiert.

Es existieren parallel:

- Patient:innen mit sehr guter Stabilisierung des Krankheitsverlaufs,
- Patient:innen mit Teilresponse oder Non-Response auf Modulatoren,
- Patient:innen, die aufgrund ihrer Mutation keinen Zugang zu Modulatoren haben,
- Patient:innen mit fortgeschrittenen Organmanifestationen und Komorbiditäten.

Diese Heterogenität erfordert hochindividualisierte Therapieentscheidungen in spezialisierten, multiprofessionellen Versorgungsstrukturen.

Die beschriebenen Unterschiede im Krankheitsverlauf führen dazu, dass Mukoviszidose heute weniger eine standardisierte Erkrankung als vielmehr eine dauerhaft zu steuernde Versorgungssituation darstellt.

Entscheidend für den Behandlungserfolg ist daher nicht primär die einzelne Therapie, sondern die Fähigkeit des Versorgungssystems, komplexe individuelle Verläufe kontinuierlich zu koordinieren.

3. Warum hochspezialisierte CF-Versorgung systemrelevant ist

3.1 Komplexe Verordnung und Steuerung

CFTR-Modulatoren sind hochwirksame, indikationsspezifische und kostenintensive Arzneimittel, deren Einsatz besondere Expertise erfordert:

- genetische und klinische Indikationsprüfung
- individuelle Therapieauswahl und -anpassung
- Management von Wechselwirkungen
- Bewertung von Teil- oder Non-Response

Diese Entscheidungen können nicht standardisiert erfolgen.
Sie erfordern Erfahrung in der Gesamtbeurteilung der CF-Erkrankung.

Eine Versorgung außerhalb der spezialisierten Strukturen würde das Risiko von Fehl- und Überversorgung erhöhen und die Wirtschaftlichkeit hochpreisiger Therapien gefährden.

3.2 Engmaschiges Monitoring und Qualitätssicherung

Der Einsatz von CFTR-Modulatoren erfordert ein strukturiertes, interdisziplinäres Monitoring, u. a.:

- Leberwerte, Stoffwechsel, Infektstatus, Lungenfunktion
- Erfassung von Nebenwirkungen und Langzeitfolgen
- Anpassung begleitender Therapien
- Bewertung systemischer Therapieeffekte

**Dieses Monitoring ist multiprofessionell, langfristig und koordinationsintensiv.
Es kann nur in spezialisierten CF-Strukturen qualitätsgesichert erfolgen.**

3.3 Vermeidung von Fehl- und Überversorgung

Ohne spezialisierte Steuerung besteht die Gefahr von:

- Overcare
- Undercare

- verspäteter Erkennung von Komplikationen
- Fehlsteuerung kostenintensiver Therapien

Hochspezialisierte Ambulanzen mit einem interdisziplinären Team aus Mediziner:innen, Pflegekräften, Physiotherapeut:innen, Ernährungsberater:innen, Psycholog:innen und Sozialarbeiter:innen sichern eine bedarfsgerechte, wirtschaftlich sinnvolle Versorgung und leisten damit einen Beitrag zur Systemstabilität.

3.4 Datenbasis für Steuerung und Finanzierungsentscheidungen

Spezialisierte CF-Zentren sind eine wichtige Voraussetzung für:

- Registerdaten zu Wirksamkeit und Sicherheit neuer Therapien
- belastbare Real-World-Evidenz
- qualitätsgesicherte Einführung neuer Therapien
- rationale Preis- und Erstattungsdiskussionen

Ohne diese Strukturen fehlen Politik, Selbstverwaltung und Krankenkassen die notwendige Datengrundlage für evidenzbasierte Steuerungs- und Finanzierungsentscheidungen.

Die spezialisierte CF-Versorgung erfüllt damit eine Doppelfunktion:
Sie sichert individuelle Patientenversorgung und ermöglicht zugleich systemweite Innovationssteuerung.

4. Modulatortherapien: Innovation erfordert Struktur

Besonders sichtbar wird die Abhängigkeit innovativer, hochpreisiger Therapien von geeigneten Versorgungsstrukturen bei hochpreisigen personalisierten Dauertherapien.

Deren Einsatz kann nur dann qualitätsgesichert und wirtschaftlich erfolgen, wenn zuvor die Versorgungsstruktur definiert ist, in der Indikation, Verlaufskontrolle und Therapieanpassung stattfinden.

Am deutlichsten zeigt sich der strukturelle Steuerungsbedarf am Beispiel der CFTR-Modulatoren.

Aus dem Steuerungsbedarf ergeben sich mehrere gesundheitspolitisch relevante Fragestellungen:

- Langfristige Finanzierbarkeit bei steigenden Patientenzahlen

- Notwendigkeit belastbarer Real-World-Evidenz
- Qualitätsgesicherte Verordnungssteuerung
- Sicherstellung eines strukturell abgesicherten, indikationsgerechten Zugangs zu Modulatortherapien für alle medizinisch geeigneten Patient:innen

Die Sicherung dieses indikationsgerechten Zugangs ist keine ausschließlich patientenbezogene Frage, sondern Teil der Systemverantwortung.
Hochpreisige Innovationen können nur dann nachhaltig finanziert werden, wenn ihre Verordnung, Überwachung und Evaluation in qualitätsgesicherten Strukturen erfolgt.

Strukturelle Steuerung ist somit Voraussetzung für Arzneimittelsteuerung.

Der Mukoviszidose e.V. setzt sich ausdrücklich dafür ein, Regelungen zur Begrenzung und Reduzierung der Kosten für CFTR-Modulatoren zu entwickeln, um die langfristige Finanzierbarkeit des Systems sicherzustellen und Spielräume für eine stabile Versorgungsinfrastruktur zu erhalten.

Die Diskussion um Modulatoren ist damit keine isolierte Arzneimittelfrage, sondern ein Beispiel für die notwendige Verzahnung von Versorgungsstruktur, Qualitätssicherung und Finanzierungsmechanismen im gesamten Gesundheitssystem.

5. Strukturpolitische Herausforderungen

5.1 Krankenhausreform und Leistungsgruppen

Die stärkere Ausrichtung auf Leistungsgruppen, Qualitätskriterien und neue Finanzierungslogiken birgt das Risiko, dass hochspezialisierte, interdisziplinäre CF-Ambulanzen nicht ausreichend systemisch abgebildet werden.

Seltene Erkrankungen mit geringen Fallzahlen und hohem Koordinationsaufwand passen nur bedingt in fallzahlorientierte Planungslogiken.

Ohne explizite strukturelle Verankerung drohen Versorgungslücken und ein schleichender Abbau qualitätsgesicherter Versorgungsstrukturen.

5.2 Ambulante Versorgungsrealität

Die CF-Versorgung erfolgt überwiegend ambulant in spezialisierten Krankenhausstrukturen mit hohem multiprofessionellem und interdisziplinärem Aufwand.

Diese Versorgungsrealität ist im bestehenden Vergütungssystem nicht auskömmlich abgebildet.

Ökonomischer Druck gefährdet damit zentrale Strukturen der Innovations- und Qualitätssteuerung.

5.3 Erwachsenenversorgung

Die wachsende Zahl erwachsener CF-Patient:innen erfordert:

- mehr spezialisierte Erwachsenenambulanzen
- verlässliche Finanzierungsstrukturen
- Kapazitäten für ein komplexes Komorbiditätsmanagement

Die historisch pädiatrisch geprägte CF-Struktur trifft auf eine erwachsene, multimorbide Patientengruppe, für die es bislang keine adäquat abgesicherte Versorgung gibt.

Diese Strukturen sind in unserem System bislang nicht ausreichend abgesichert.

6. Zentrale Positionen und Handlungsbedarfe

1. Hochspezialisierte, multidisziplinäre CF-Ambulanzen müssen strukturell und finanziell abgesichert werden – unabhängig von reinen Fallzahlenlogiken.
2. Seltene Erkrankungen wie Mukoviszidose benötigen eine explizite strukturelle Verankerung in Krankenhausplanung und Finanzierungssystemen.
3. Die Erwachsenen-CF-Versorgung muss gezielt ausgebaut und nachhaltig finanziert werden.
4. Register, Qualitätssicherung und Zertifizierung sind Teil der Versorgungsinfrastruktur und dauerhaft zu finanzieren.
5. Die hohen Kosten der CFTR-Modulatoren erfordern gesundheitspolitische Steuerungsinstrumente zur langfristigen Sicherung von Solidarität und Finanzierbarkeit.
6. Medizinischer Fortschritt darf nicht zu einer Unterschätzung der strukturellen Steuerungsbedarfe führen.

7. Schlussfolgerung

Die Zukunft der Mukoviszidose-Versorgung entscheidet sich nicht allein durch innovative Therapien.

Sie entscheidet sich durch:

- stabile, hochspezialisierte Strukturen
- verlässliche Finanzierung
- qualitätsgesicherte Steuerung
- evidenzbasierte Innovationspolitik

Mukoviszidose ist ein Referenzfall für die strukturelle Sicherung der Versorgung seltener, komplexer Erkrankungen in einem reformierten Gesundheitssystem.

Die Sicherung hochspezialisierter Versorgungsstrukturen darf keine Sonderregelung sein, sondern ist eine systemische Voraussetzung für Qualität, Wirtschaftlichkeit und nachhaltige Innovationsfinanzierung.

Ohne spezialisierte CF-Strukturen sind weder Patientensicherheit noch langfristige Kostensteuerung gewährleistet.

Kontakt

Dr. Miriam Schlangen
Geschäftsführerin Mukoviszidose Institut gGmbH und
Geschäftsführende Bereichsleiterin Forschung und Therapieförderung Mukoviszidose e.V.

In den Dauen 6
53117 Bonn
Telefon: 0228-9878061
E-Mail: MSchlangen(at)muko.info
https://www.muko.info