



**Gemeinsamer
Bundesausschuss**

Erprobungsstudien

Rahmen, Herausforderungen und neue
Möglichkeiten

8. DNVF Forum-Versorgungsforschung (12.05.2021)

Dr. Monika Lelgemann MSc

Erklärung zu Interessenkonflikten

Hiermit erkläre ich, dass zu den Inhalten der
Veranstaltung

kein Interessenkonflikt vorliegt.

Gemeinsamer Bundesausschuss

- trifft Entscheidungen zum Leistungsanspruch der gesetzlich Krankenversicherten (ca. 72 Mio. Menschen - 90 % der Bevölkerung)
- Vorgaben des **§ 12 SGB V**:

Leistungen der GKV müssen „**ausreichend, zweckmäßig und wirtschaftlich**“ sein und „dürfen das Maß des Notwendigen nicht überschreiten“ (Wirtschaftlichkeitsgebot)

der **diagnostische oder therapeutische Nutzen**, die medizinische Notwendigkeit und die Wirtschaftlichkeit der Leistungen muss nachgewiesen sein

Methodenbewertung: gesetzliche Rahmenbedingungen

- § 135 Abs. 1
- § 137c (Änderung 2015)
- § 137e (GKV-VStG 2012)
- § 137h (GKV-VSG 2015 und TSVG 2019)
- § 139 Abs. 3 (HHVG 2017)
- § 137e (Änderung TSVG 2019)
- Methodenbewertung **grundsätzlich**
Implantateregister-Errichtungsgesetz – EIRD 2019
- Digitale-Versorgung-Gesetz (2019)
besondere Regelungen für DiGAs

Hintergrund

G-BA soll Bewertungsgrundlage bei **fehlender Evidenz für Methoden**
(= Nicht-medikamentöse Interventionen) selbst schaffen

- bis 2012: auf laufende Studien warten oder Ausschluss
- 2012 GKV-VStG: § 137e SGB V Erprobung (**Beauftragung Studien bei Potenzial**)
- 2015 GKV-VSG: § 137h SGB V **Hochrisiko-MP-Bewertung** (gekoppelt an KHEntgG/NUB)
- 2019 TSVG: § 137h SGB V **neu:**
Versichertengemeinschaft muss Kosten der Studie tragen,
Neue „Nutzenkategorien“ (ohne Potenzialfeststellung),
Neue Fristen

<https://www.g-ba.de/themen/methodenbewertung/bewertung-erprobung/erprobungsregelung/>

<https://www.g-ba.de/themen/methodenbewertung/bewertung-erprobung/137h/>

„G-BA Studien“ rekrutierend

Methoden (Akronym)	Typ	n=	Laufzeit (ca.)	Auslöser
Magnetresonanztomographie-gesteuerte hochfokussierten Ultraschalltherapie beim Uterusmyom (MARGI-T)	RCT, multizentrisch NCT03948789	127	2,5 J.	§ 137e Antrag
Überwachung des pulmonal-arteriellen Drucks bei Herzinsuffizienz (PASSPORT-HF)	RCT, multizentrisch NCT04398654	554	4 J.	§ 137e Antrag
Aktive Bewegungsschiene zur häuslichen Selbstanwendung bei Rupturen des vorderen Kreuzbands (CAMOped)	RCT, multizentrisch DRKS00021739 (Overhead herstellerfinanziert)	120	Erhebung primärer Endpunkt 6 W., sekundär bis 2 J.	§§ 135 Bewertung
Tonsillotomie bei rezidivierender akuter Tonsillitis (TOTO)	RCT, multizentrisch DRKS00020823	454	2 J. Follow up	§§ 135, 137c Bewertung
Liposuktion bei Lipödem in den Stadien I, II oder III (LIPLEG)	RCT, multizentrisch NCT04272827	450	5 J.	§§ 135/137c Bewertung

„G-BA Studien“ in Vorbereitung

Methoden	Typ	n=	Laufzeit (ca.)	Auslöser
Transkorneale Elektrostimulation bei Retinopathia Pigmentosa	RCT, multizentrisch EudraCT: 2020-004072-17	154	3 J. Behandlungsdauer pro Patient*in	§ 137e Antrag
Amyloid-PET bei Demenz unklarer Ätiologie	RCT, multizentrisch Link	k. A.	2 J. Follow up (Richtlinie)	§ 137e Antrag
Pulsierende elektromagnetische Felder bei Knochenheilungsstörungen der langen Röhrenknochen	RCT, multizentrisch Link	k. A.	3 J. nach Auftrag ist Abschlussbericht anzustreben (Richtlinie)	§ 137e Antrag
Allogene Stammzelltransplantation bei Multiplen Myelom (AlloRelapseMMStudy)	RCT, multizentrisch Link	100 p. a. (Richtlinie)	5 J. Follow up (Richtlinie)	§ 137c Bewertung

Erp-RL in Vorbereitung - ohne § 137h

Methode	Typ	Auslöser
Molekularer Genexpressionstest zur Überwachung von Niedrigrisiko- Patienten nach einer Herztransplantation hinsichtlich akuter zellulärer Abstoßungsreaktionen	RCT	§ 137e Antrag
Perkutan implantierter interatrialer Shunt zur Behandlung der Herzinsuffizienz	RCT	§ 137e Antrag
Phonokardiographie zum Ausschluss einer koronaren Herzkrankheit	RCT	§ 137e Antrag
Schlafpositionstherapie bei milder bis mittelgradiger lageabhängiger obstruktiver Schlafapnoe	RCT	§ 137e Antrag
Stereotaktische Radiochirurgie mit Kobalt-60-Gammastrahlungsquellen von <ul style="list-style-type: none"> <li data-bbox="129 868 1829 975">- interventionsbedürftigen Rezidiven eines Hypophysenadenoms nach erfolgter Resektion <li data-bbox="129 975 1829 1160">- unvorbehandelten zerebralen arteriovenösen Malformationen mit einem Nidus-Durchmesser bis 30 Millimeter, für die eine Behandlung mittels Embolisation bzw. Mikrochirurgie nicht infrage kommt 	RCT	§ 137e Antrag
RCT	RCT	§ 137e Antrag
Transkutane Vagusnervstimulation zur Behandlung von Patientinnen und Patienten mit pharmakoresistenter Epilepsie	RCT	§ 137e Antrag
Bronchoskopische Lungenvolumenreduktion mittels Thermoablation bei schwerem Lungenemphysem	RCT	§§ 135/137c Bewertung

Erp-RL in Vorbereitung - nur § 137h (1/2)

Methode	Typ	Auslöser
Endovaskuläre Implantation eines Stentgrafts mit Klappenelement bei Trikuspidalklappeninsuffizienz	RCT	§ 137h Bewertung
Medikamentenbeschichteter Ballondilatationskatheter* zur transurethralen Behandlung von Harnröhrenstrikturen	RCT	§ 137h Bewertung
Irreversible Elektroporation* bei chronischer Bronchitis	RCT	§ 137h Bewertung
Endoskopische Thermoablation der Duodenalschleimhaut bei Diabetes mellitus Typ 2	RCT	§ 137h Bewertung
Perkutan implantierter interatrialer Shunt* zur Behandlung der Herzinsuffizienz mit reduzierter linksventrikulärer Ejektionsfraktion (LVEF < 40 %)	RCT	§ 137h Bewertung
Koronare Lithoplastie bei koronarer Herzkrankheit	RCT	§ 137h Bewertung
Transkranieller Magnetresonanztomographie-gesteuerter fokussierter Ultraschall bei essentiellen Tremor	RCT	§ 137h Bewertung

Erp-RL in Vorbereitung - nur § 137h (2/2)

Methode	Typ	Auslöser
Ultraschallgesteuerter hochintensiver fokussierter Ultraschall bei Leiomyomen des Uterus	RCT	§ 137h Bewertung
Ultraschallgesteuerter hochintensiver fokussierter Ultraschall bei nicht chirurgisch behandelbaren bösartigen Neubildungen des Pankreas	RCT	§ 137h Bewertung
Ultraschallgesteuerter hochintensiver fokussierter Ultraschall bei nicht chirurgisch behandelbaren hepatozellulären Karzinom	RCT	§ 137h Bewertung

→ Bereits 10/27 Erprobungen aus § 137h – mit klarem Aufwärtstrend

→ Durchführbarkeit???

<https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/verfahren-137h/>

<https://www.g-ba.de/themen/methodenbewertung/bewertung-erprobung/erprobungsregelung/richtlinien/>

<https://www.g-ba.de/studien/>

Potenzial in der Methodenbewertung

Ergebnisunsicherheit: Erprobung nach § 137e SGB V (seit GKV-VStG 2012) – wenn ‚Potenzial‘

- Nutzen noch nicht hinreichend belegt, aber Potenzial einer erforderlichen Behandlungsalternative.
- Aussetzung des Verfahrens und Beschluss einer Erprobungsrichtlinie, um erforderliche Kenntnisse zur abschließenden Bewertung des Nutzens und Schadens zu gewinnen; Studientyp in Abhängigkeit vorhandener Daten und Methode (im Prinzip soll nach dieser **einen Studie eine abschließende Bewertung** erfolgen können.
- Durchführung und *Planung* der Studie durch unabhängige wissenschaftliche Institution (UWI); Ausschreibung durch DLR (Projektträger), Vergabeverfahren
- auch Interessenten (MP Hersteller oder Leistungserbringer) können eine Erprobung beim G-BA beantragen; wenn tatsächlich Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethode, kein hinreichender Nutznachweis aber Potenzial, dann Erprobung **(seit TSVG auf Kosten der GKV)**

Neue gesetzliche Regelung seit EIRD 2019 (Auszüge)

§ 137 e Erprobung von Untersuchungs- und Behandlungsmethoden

- Die Anforderungen an die Erprobung (Erprobungsrichtlinie) haben unter Berücksichtigung der Versorgungsrealität zu gewährleisten, dass die Erprobung und die Leistungserbringung durchgeführt werden können
- Erste Patienten sollen 18 Monate nach Inkrafttreten der Erprobungsrichtlinie eingeschlossen werden
- Bei Überschreiten der Frist hat der G-BA seine „Richtlinie“ anzupassen
- Für die wissenschaftliche Begleitung und Auswertung der Erprobung schließt der G-BA mit den maßgeblichen Wissenschaftsverbänden einen Rahmenvertrag, der insbes. die Unabhängigkeit der beteiligten wissenschaftlichen Institutionen gewährleistet [...] oder beauftragt eigenständig eine wissenschaftliche Institution

Besonderheiten der Erprobungsstudie (Auszug)

Finanzierung

- UWI/Overhead: Kostentragung G-BA (Hersteller optional)
- Medizinische Leistung in Studie: Kostenübernahme direkt durch die Krankenkassen
 - ⇒ Evidenzgenerierung auf Kosten der Versichertengemeinschaft, auch wenn neue Methode im Wesentlichen auf Einsatz eines Medizinproduktes beruht
- Stationär: neue Methode / Leistung kann auch außerhalb Studie erbracht werden
- Festlegung von begleitenden QS-Maßnahmen durch G-BA möglich

„coverage with evidence generation“?

Evidenzgrundlage für Erprobung

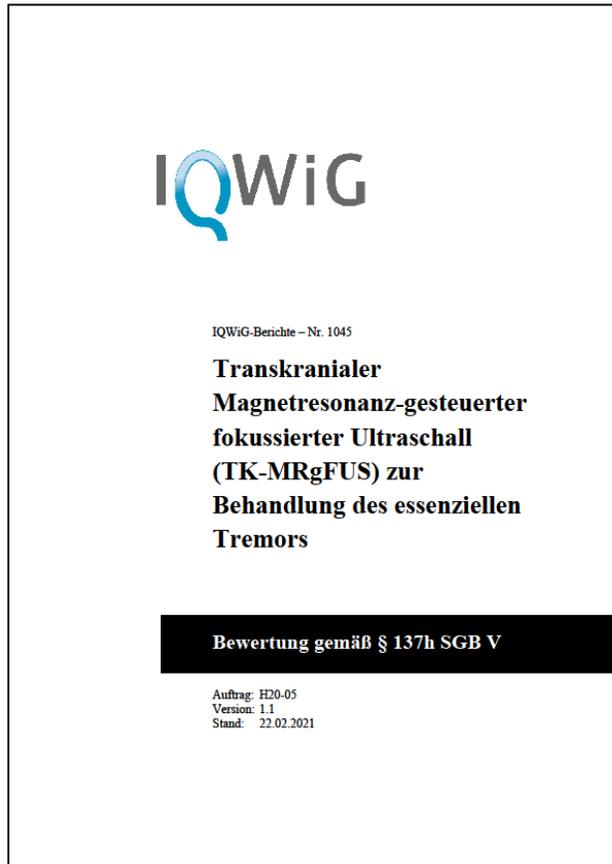
- Häufig nur Fallberichte oder Fallserien
- Daten müssen (eigentlich) ausreichen, um **die eine Studie** planen zu können
- Für Hochrisikomedizinprodukte **muss** Erprobung erfolgen, wenn :
 - weder der Nutzen noch die Schädlichkeit oder die Unwirksamkeit der Methode als belegt anzusehen ist
- Bei Anträgen von Herstellern auf Erprobung **muss** G-BA **nicht** erproben
- Bei Potenzialfeststellung nach klassischen Bewertungsverfahren des G-BA **muss** Erprobung durchgeführt werden
- **Ausmaß des möglichen Zusatznutzens unerheblich**

Exkurs: Fallstricke (Auszug)

- Hersteller beauftragen UWI nicht auf eigene Kosten, Vergabeverfahren erforderlich, verlängerte Vorbereitungszeit
- Fehlende konsequente Verbindung zwischen KHEntgG (InEK) und Erprobungsstudie, keine ausreichende Finanzierung der Leistung im Rahmen der Studie führt zu Rekrutierungsschwierigkeiten von Studienzentren
(*BMG: Erprobung ist Versorgung.....*)
- Gleichzeitige Erbringbarkeit außerhalb der Studie erschwert Rekrutierung von Patienten
- Überschneidung Studien-/Investitionskosten (Kassen oder Länder?) – unlösbar
- Zuzahlungen für Probandinnen – empörend (Bsp. Liposuktionsstudie)
- Anspruch der Versicherten auf Teilnahme an der Studie, ermessensfehlerfreier Zugang ist zu gewährleisten (erschwert Rekrutierung von Patientinnen)
- ...

→ **Unübliche Hemmnisse & Risiken durch Vermischung Studie/Regelversorgung**

Verwendung von indikationsbezogenen Registern (TK-MRgFUS/Tremor)



„Eine Erprobungsstudie [...] ist grundsätzlich möglich. Eine solche Studie wird jedoch [...] eine deutlich geringere Patientenzahl als eigentlich wünschenswert rekrutieren können. **Eine Ergänzung durch ein indikationsbezogenes Register wäre hilfreich.**“

Hintergrund: Zwei Patientengruppen gebildet

- für die Gruppe, die für Standardtherapie (Tiefe Hirnstimulation) nicht in Frage kommt ⇒ Nutzen anerkannt, Vergleich zu Nichtbehandlung
- für die Gruppe, die Standardtherapie erhalten kann ⇒ Erprobung

[H20-05, Veröffentlichung folgt]

Fazit

- Rechtsrahmen erzeugt Mühsal und Risiko des Scheiterns
 - Konsequenzen der Erprobungsstudien unklar
 - Erprobung auf Kosten der Versichertengemeinschaft ohne Vorliegen eines Potenzials eines erheblichen Zusatznutzens zu rechtfertigen?
 - Unabdingbare Voraussetzung von Erprobungsstudien wäre, dass die neue Methode nur im Rahmen der Studie auf Kosten der Versichertengemeinschaft erbracht werden kann (vom Gesetzgeber nicht gewollt)
- **Erbringbarkeit auf einige Innovationszentren beschränken und hier z.B. auch über anwendungsbegleitende Datenerhebung versuchen ausreichend Erkenntnisse zu gewinnen ?**

Herzlichen Dank!