

# Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über  
eine Richtlinie zur Erprobung gemäß § 137e SGB V:  
Medikamentenbeschichteter Ballondilatationskatheter zur  
transurethralen Behandlung von Harnröhrenstrikturen

Vom 16. November 2023

## Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
2.1	Hintergrund.....	2
2.2	Zu § 1 Zielsetzung.....	2
2.3	Zu § 2 Fragestellung.....	3
2.4	Zu § 3 Population.....	3
2.5	Zu § 4 Intervention und Vergleichsintervention.....	3
2.6	Zu § 5 Endpunkte.....	4
2.7	Zu § 6 Studientyp und Beobachtungszeitraum.....	5
2.8	Zu § 7 Anforderungen an die Qualität der Leistungserbringung im Rahmen der Erprobung.....	6
2.9	Zu § 8 Anforderungen an die Durchführung, die wissenschaftliche Begleitung und die Auswertung der Erprobung.....	6
3.	Würdigung der Stellungnahmen.....	8
4.	Bürokratiekostenermittlung.....	9
5.	Schätzung der Studienkosten entsprechend 2. Kapitel § 22 Absatz 2 Satz 4 Verfo....	9
6.	Verfahrensablauf.....	10
7.	Fazit.....	11

## **1. Rechtsgrundlage**

Stellt der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) in einer Bewertung nach § 137h Absatz 1 Satz 4 des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) fest, dass für die zu bewertende Methode weder der Nutzen noch die Schädlichkeit oder die Unwirksamkeit als belegt anzusehen ist (§ 137h Absatz 1 Satz 4 Nummer 3 SGB V), entscheidet er innerhalb von sechs Monaten nach dem Beschluss nach § 137h Absatz 1 Nummer 3 SGB V über eine Richtlinie zur Erprobung nach § 137e SGB V, um die notwendigen Erkenntnisse für die Bewertung des Nutzens der Methode zu gewinnen.

Der G-BA regelt in der Richtlinie nach § 137e Absatz 1 Satz 1 SGB V die in die Erprobung einbezogenen Indikationen und die sächlichen, personellen und sonstigen Anforderungen an die Qualität der Leistungserbringung im Rahmen der Erprobung. Er legt zudem Anforderungen an die Durchführung, die wissenschaftliche Begleitung und die Auswertung der Erprobung fest (§ 137e Absatz 2 Satz 1 und 2 SGB V).

Falls zu erwarten ist, dass Studien in naher Zukunft vorliegen werden, die die notwendigen Erkenntnisse für eine abschließende Nutzenbewertung liefern können, kann der G-BA gemäß 2. Kapitel § 37 Absatz 4 Satz 7 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) das Beratungsverfahren über eine Richtlinie zur Erprobung aussetzen i.S.v. 2. Kapitel § 14 Absatz 1 VerfO. Für den Aussetzungsbeschluss gilt nach 2. Kapitel § 37 Absatz 4 Satz 8 VerfO das Stellungnahmerecht nach § 92 Absatz 7d SGB V.

## **2. Eckpunkte der Entscheidung**

### **2.1 Hintergrund**

Der G-BA hat im Rahmen einer Bewertung nach § 137h Absatz 1 Satz 4 SGB V mit Beschluss vom 1. April 2021 festgestellt, dass für die Methode des Medikamentenbeschichteten Ballondilatationskatheters zur transurethralen Behandlung von Harnröhrenstrikturen weder der Nutzen noch die Schädlichkeit oder die Unwirksamkeit der Methode als belegt anzusehen ist<sup>1</sup>, und das Beratungsverfahren über eine Richtlinie zur Erprobung nach § 137e SGB V der vorgenannten Methode eingeleitet.

### **2.2 Zu § 1 Zielsetzung**

Die in Satz 1 formulierte Zielsetzung dieser Erp-RL verdeutlicht, dass die entsprechend der Vorgaben dieser Erp-RL zu konzipierende Erprobungsstudie geeignet sein muss, die in § 2 konkretisierte Fragestellung beantworten zu können. Damit wird dem G-BA eine Bewertung des Nutzens dieser Methode auf einem für eine spätere Richtlinienentscheidung ausreichend sicheren Erkenntnisniveau erlaubt.

Mit Satz 2 wird vorgeschrieben, dass eine unabhängige wissenschaftliche Institution (UWI) mit der Planung, Durchführung und Auswertung einer Studie beauftragt werden soll, die den Vorgaben dieser Erp-RL entspricht.

---

<sup>1</sup> <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/verfahren-137h/36>

Die UWI wird mit Satz 3 verpflichtet, aus Gründen der Objektivierbarkeit und Nachvollziehbarkeit sämtliche Festlegungen der Parameter des Studiendesigns nach wissenschaftlichen Kriterien zu treffen; damit wird sichergestellt, dass die Zielsetzung nach § 1 Satz 1 erreicht werden kann.

Das Wirtschaftlichkeitsprinzip ist gemäß § 1 Satz 4 bereits bei der Erstellung des Studienprotokolls zu beachten, da sich die späteren Studienkosten unmittelbar oder mittelbar aus den im Studienprotokoll spezifizierten Eckdaten und Parametern (z. B. der benötigten Patientenzahl, der Studiendauer, der Anzahl der Studienzentren, der Studienvisiten und der Qualitätssicherung) ergeben. Darüber hinaus ist gemäß 2. Kapitel § 25 Absatz 3 Spiegelstrich 3 Verfo neben der fachlichen Eignung sowie der Geeignetheit des Angebots der angebotene Preis der wissenschaftlichen Begleitung und Auswertung ein Kriterium für die Beauftragung der UWI.

### **2.3 Zu § 2 Fragestellung**

Mit der hier definierten Fragestellung adressiert der G-BA die am 1. April 2021 im Rahmen der Bewertung nach § 137h Absatz 1 Satz 4 SGB V festgestellte Erkenntnislücke.

### **2.4 Zu § 3 Population**

Die Studienpopulation baut auf der in der Informationsübermittlung nach § 137h Absatz 1 SGB V durch das Krankenhaus definierten Patientenpopulation auf. In die Erprobungsstudie einzuschließen sind demnach erwachsene Männer mit symptomatischer, kurzstreckiger Rezidivstriktur der anterioren Harnröhre. Bei der Studienplanung sollten weitere Ein- oder Ausschlusskriterien, wie z. B. die Lokalisation der anterioren Harnröhrenstriktur (bulbär, penil, glandulär) und die Strikturlänge durch die UWI festgelegt werden. Dabei ist gemäß Satz 2 darauf zu achten, dass die Übertragbarkeit der Ergebnisse auf die Zielpopulation gemäß Satz 1 nicht gefährdet wird.

### **2.5 Zu § 4 Intervention und Vergleichsintervention**

#### **Zu Absatz 1**

Für das eingesetzte Medizinprodukt im Prüfinterventionsarm muss Verkehrsfähigkeit vorliegen und die Studienpopulation von der Zweckbestimmung umfasst sein. Bei stark stenotischen Strikturen stellen die Urethrotomia interna, die Dilatation mit unbeschichteten Ballondilatationskathetern und die Aufbougieung mit Kathetern zunehmender Größe mögliche Verfahren zur Prädilatation vor Durchführung der Prüfintervention dar. Ob eine Prädilatation erfolgen soll und welches Verfahren dafür anzuwenden ist, wird von der UWI festgelegt. Dabei kann es der Ärztin oder dem Arzt entweder freigestellt werden, im Rahmen der Behandlung individuell zu entscheiden, ob und ggf. mit welchem Verfahren eine Prädilatation der Striktur erfolgen soll, oder die UWI legt entsprechend dem aktuellen Stand der Wissenschaft ein einheitliches Vorgehen fest.

#### **Zu Absatz 2**

Die Vergleichsintervention ist die Urethrotomia interna. Gemäß internationalen Leitlinien<sup>2,3</sup> sollen in der Rezidivsituation offen-chirurgische Verfahren aufgrund höherer Erfolgsraten angeboten werden.

Auf Basis der durch das informationsübermittelnde Krankenhaus angeführten Zahlen der DRG-Statistik kommt der G-BA jedoch zu dem Schluss, dass aufgrund einer höheren Einsatzhäufigkeit die Urethrotomia interna im deutschen Versorgungskontext, vermutlich aufgrund der Patientenpräferenz, als Versorgungsstandard zu betrachten ist.

## **2.6 Zu § 5 Endpunkte**

### **Zu Absatz 1**

Als primärer Endpunkt der Studie wird die Kombination aus der klinisch relevanten Verbesserung im IPSS-Score im Vergleich zum Ausgangswert sowie der Strikturfreiheit über einen Zeitraum von 12 Monaten erhoben. Der IPSS-Score stellt ein geeignetes Erhebungsinstrument dar, um als patientenrelevanter Endpunkt die Verbesserung der Harnröhrenstriktur-bedingten Symptomatik, wie beispielsweise die Verbesserung von Miktionsbeschwerden subjektiv erfassen zu können. Die Festlegung einer klinisch relevanten Verbesserung im IPSS-Score soll unter Zugrundelegung einer Verbesserung um mindestens sechs Punkte [ $\geq 15\%$  der Skalenspannweite] im Vergleich zum Ausgangswert erfolgen. Der Grund, wieso der G-BA die Forderung einer Responseschwelle von mindestens 15% der Skalenspannweite bei patientenberichteten Endpunkten für gerechtfertigt erachtet, ist den Tragenden Gründen zu einem Beschluss vom 16.12.2021 zu entnehmen, mit dem der G-BA die Anlage II zum 5. Kapitel VerfO entsprechend geändert hat.<sup>4</sup> Die Strikturfreiheit nach Intervention, definiert als fehlende Erforderlichkeit von weiteren klinisch indizierten Reinterventionen aufgrund erneut auftretender Rezidivstrikturen innerhalb von 12 Monaten, stellt eine weitere patientenrelevante Verbesserung dar. Anhand der bisher vorliegenden Daten (ROBUST I, II und III Studien) ist erwartbar, dass eine aussagekräftige Anzahl der Patienten eine solchermaßen definierte Strikturfreiheit nach 1 Jahr erzielen kann.

### **Zu Absatz 2 und 3**

Die gewählten sekundären Endpunkte ergänzen den primären Endpunkt durch international übliche Parameter und dienen zur weiteren Beurteilung möglicher Effekte. Als geeignete Parameter für den sekundären Endpunkt harnwegsbezogene Morbidität können beispielsweise klinisch indizierte Reinterventionen, Wiederauftreten der Striktursymptomatik, wiederkehrende Harnwegsinfekte und akuter Harnverhalt in Betracht kommen.

Die Operationalisierung der einzelnen Endpunkte obliegt der UWI, die diese jeweils zu begründen hat. Grundsätzlich sind, wo immer möglich, validierte Instrumente zur Erhebung der Endpunkte einzusetzen. Von besonderer Bedeutung ist dies bei subjektiven Endpunkten,

---

<sup>2</sup> **Wessells H, Angermeier KW, Elliott S et al.** Male Urethral Stricture: American Urological Association Guideline. J Urol 2017; 197(1): 182-190. <https://dx.doi.org/10.1016/j.juro.2016.07.087>.

<sup>3</sup> **Chapple C, Andrich D, Atala A et al.** SIU/ICUD Consultation on Urethral Strictures: The management of anterior urethral stricture disease using substitution urethroplasty. Urology 2014; 83(3 Suppl): S31-47. <https://dx.doi.org/10.1016/j.urology.2013.09.012>.

<sup>4</sup> <https://www.g-ba.de/beschluesse/5217/> Zugriff am: 04.10.2023

d. h. solchen, die auf Befragung von Studienteilnehmenden, an der Behandlung beteiligten Personen oder Dritten beruhen.

Für die Erhebung der Lebensqualität sind, sofern möglich, krankheitsspezifische validierte Instrumente einzusetzen.

## **2.7 Zu § 6 Studientyp und Beobachtungszeitraum**

### **Zu Absatz 1**

In Satz 1 ist geregelt, dass die Erprobungsstudie als eine randomisierte, kontrollierte Studie (RCT) zu konzipieren und durchzuführen ist, da jedenfalls dieser Studientyp ein ausreichend sicheres Erkenntnisniveau für eine spätere Systementscheidung bietet. In Satz 2 wird festgelegt, dass die Studie multizentrisch durchgeführt werden soll. Die Aussagekraft multizentrischer Studien ist im Allgemeinen höher als bei monozentrischen Studien. Das liegt vornehmlich daran, dass der Einfluss lokaler Besonderheiten auf das Ergebnis reduziert wird. Zudem können schneller höhere Patientenzahlen rekrutiert werden.

Weitere Konkretisierungen des Designs sollen von der UWI vorgenommen werden.

### **Zu Absatz 2**

Eine über die Erfassung des primären Endpunktes (12 Monate nach Intervention) hinausgehende Beobachtung kann erfolgen. Dieser Absatz regelt, dass eine ausreichend lange Nachbeobachtungszeit für die Studie eingeplant werden soll, um hinreichende Informationen zu den Effekten der Intervention zu erhalten.

### **Zu Absatz 3**

Die Studie ist mit angemessenen Maßnahmen zur Verblindung zu konzipieren und durchzuführen. Die Studienteilnehmer und weiterbehandelnden Personen sowie Personen, die die Endpunkte erheben, sollen nicht über die Gruppenzugehörigkeit informiert sein. Auch bei denjenigen Personen, die die Endpunkte auswerten, soll eine vollständige Verblindung gewährleistet werden, um mögliche Verzerrungen des Studienergebnisses, die aufgrund der Kenntnis der Gruppenzugehörigkeit entstehen können, zu vermeiden. Die Verblindung soll bis zum Ende der Studie aufrechterhalten werden.

### **Zu Absatz 4**

Zur Darstellung der Interventionseffekte und zur Interpretation patientenindividueller Unterschiede sind entsprechend den Vorgaben der Gute Klinische Praxis (Good Clinical Practice) die Ausgangswerte der unter § 5 genannten Endpunktparameter und die Charakteristika der Patientenpopulation (z. B. Genese der Harnröhrenstriktur, Lage der Striktur zum Sphinkter, Anzahl der Rezidive, Strikturlänge, Vorliegen anderer urologischer (Vor-)Erkrankungen) zu erfassen.

## **2.8 Zu § 7 Anforderungen an die Qualität der Leistungserbringung im Rahmen der Erprobung**

Bei der Durchführung von Erprobungsstudien des G-BA mit Medizinprodukten soll die Gute Klinische Praxis gemäß ISO 14155 (Klinische Prüfung von Medizinprodukten an Menschen - Gute Klinische Praxis) angewendet werden.

Die Gute Klinische Praxis ist ein internationaler ethischer und wissenschaftlicher Standard für Planung, Durchführung, Dokumentation und Berichterstattung von klinischen Studien am Menschen. Die Einhaltung dieses Standards schafft öffentliches Vertrauen, dass die Rechte, die Sicherheit und das Wohl der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer gemäß der Deklaration von Helsinki geschützt werden und die bei der klinischen Studie erhobenen Daten glaubhaft sind.

## **2.9 Zu § 8 Anforderungen an die Durchführung, die wissenschaftliche Begleitung und die Auswertung der Erprobung**

### **Zu Absatz 1**

Absatz 1 beschreibt die notwendigen Inhalte des Auftrags an die UWI. Die in Absatz 1 aufgeführten Auftragsinhalte gelten sowohl für die durch Hersteller oder Unternehmen als auch durch den G-BA beauftragte wissenschaftliche Begleitung und Auswertung der Erprobung. Nur bei Vorliegen eines den Anforderungen dieses Absatzes genügenden Vertrages mit der UWI ist die Erprobung als konform mit der Erprobungs-Richtlinie anzusehen und kann damit als Erprobung im Sinne des § 137e SGB V gewertet und im Leistungsanteil von der Gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) finanziert werden.

Nach Buchstabe a) soll die Übersendung des Studienprotokolls und der Amendments die rasche Abklärung von Zweifelsfragen ermöglichen; eine Gesamtprüfung auf Konformität des Studienprotokolls mit den Vorgaben der Erprobungs-Richtlinie wird vom G-BA nicht von Amts wegen vorgenommen.

In Buchstabe b) wird die UWI verpflichtet, die Konformität des Studienprotokolls mit den Vorgaben der Erprobungs-Richtlinie gegenüber dem G-BA zur weitergehenden Information mit Übersendung des Studienprotokolls darzulegen. Zeitgleich hat die UWI Abweichungen von den Vorgaben zu begründen. Dies eröffnet nicht die Möglichkeit, von der Erprobungs-Richtlinie abzuweichen.

Nach Buchstabe c) ist die Studie in einem einschlägigen, von der World Health Organization (WHO) akkreditierten Register klinischer Studien zu registrieren und der Eintrag regelmäßig zu aktualisieren. Der G-BA ist hierüber zu informieren. Zu den akkreditierten Registern zählen derzeit insbesondere das Deutsche Register Klinischer Studien (DRKS) und das ClinicalTrials.gov; eine vollständige Übersicht findet sich auf der Homepage der WHO (<https://www.who.int/clinical-trials-registry-platform/network/data-providers>). Durch die Registrierung wird der weltweite Überblick über laufende Studien unterstützt, der für die Transparenz der Studiendurchführung und auch für den G-BA insbesondere bei Methodenbewertungen wichtig ist.

Nach Buchstabe e) ist vorgesehen, dass Abweichungen von den Vorgaben der Erprobungs-Richtlinie im Laufe der Erprobung durch die UWI dem G-BA mitzuteilen sind.

Nach den Buchstaben f) und g) ist die UWI verpflichtet, die Leistungserbringer auszuwählen, die angemessene Aufwandsentschädigung festzusetzen und an diese auszuzahlen sowie die Studie auszuwerten.

Nach Buchstabe h) ist nach Abschluss der Studie der Studienbericht zusammen mit dem statistischen Analyseplan an den G-BA ohne schuldhaftes Zögern zu übermitteln. Es wird zwingend vorgegeben, dass dieser entsprechend der International Council for Harmonisation (ICH)-E3-Richtlinie zu erstellen ist.

Gemäß Buchstabe i) ist dem G-BA die Möglichkeit einzuräumen, auf eigene Kosten Datenauswertungen bei der UWI durchführen zu lassen. Die Datenhoheit verbleibt bei den durch Unternehmen und Hersteller durchgeführten Erprobungen grundsätzlich bei diesen Sponsoren. Da jedoch gesichert sein muss, dass die Bewertung der Studie durch den G-BA dadurch nicht beeinträchtigt wird, muss er die durch den Studienbericht nicht eindeutig beantworteten relevanten Fragen aufklären können.

Synopse im Sinne des Buchstaben j) meint eine der ICH-E3-Leitlinie Annex I entsprechende Übersicht zu den wesentlichen Eckdaten und Ergebnissen der Studie. Durch die in Buchstabe j) vorgesehene Regelung sichert der G-BA die Verwertbarkeit der Erprobungsstudie, weil die Qualität der Studie sowie Einzelfragen unter Umständen nur mit den angeforderten Daten oder deren spezifischer Auswertung geprüft werden können. Der G-BA geht davon aus, dass die Studienergebnisse zeitnah nach der Übermittlung des Studienberichts an den G-BA zur Veröffentlichung in einer referenzierten Fachzeitschrift eingereicht werden.

### **Zu Absatz 2**

Absatz 2 legt erweiterte Verpflichtungen für die UWI fest, die gelten, wenn die Beauftragung der UWI durch den G-BA erfolgt:

Die UWI hat über die vereinbarten Meilensteine dem G-BA gegenüber Bericht zu erstatten. Über Absatz 1 Buchstabe j) hinausgehend, hat der G-BA im Auftrag mit der UWI festzulegen, dass diese die Studienergebnisse spätestens 3 Monate nach Abnahme des Studienberichts zur Veröffentlichung in einer Fachzeitschrift mit wissenschaftlichem Begutachtungsprozess einreicht. Sie hat dem G-BA im Anschluss an deren Veröffentlichung oder nach Ablauf eines Jahres nach Einreichung der Studienergebnisse das Recht zur Veröffentlichung des Studienberichts einzuräumen. Satz 3 legt fest, dass die UWI vertrauensvoll mit der mit dem Projektmanagement beauftragten Stelle zusammenzuarbeiten und dieser die zur Ausübung ihrer Aufgabe erforderlichen Informationen und Unterlagen zur Verfügung zu stellen hat. Die Verpflichtung ist ebenso im Vertrag mit der UWI zu regeln.

### **Zu Absatz 3**

Absatz 3 stellt klar, dass die beteiligten Hersteller und Unternehmen sämtliche Anforderungen der Erprobungs-Richtlinie zu beachten haben, damit ihre Studie als Erprobung im Sinne des § 137e SGB V gewertet und im Leistungsanteil von der GKV finanziert wird.

Die Regelungen sehen vor, dass Medizinproduktehersteller und Unternehmen gehalten sind, in Abstimmung mit dem G-BA sicherzustellen, dass die Vorgaben nach § 137e Absatz 2 Satz 2 SGB V beachtet werden. Dem G-BA ist daher nach Absatz 3 Satz 2 das Studienkonzept und eine Erklärung, dass der Vertrag mit der UWI den Anforderungen nach Absatz 1 entspricht und eine Einflussnahme durch den Sponsor auf das Ergebnis der Studie vertraglich ausgeschlossen ist, vor Beauftragung einer UWI in deutscher Sprache vorzulegen. Damit erfolgt nicht erst nach

Studienabschluss eine Prüfung der Konformität von Inhalt der Erprobungs-Richtlinie und Studiendurchführung und die Finanzierung im Leistungsanteil von der GKV wird bestätigt. Der G-BA bescheinigt nach positivem Prüfergebnis die Konformität. Weisen die vorgelegten Unterlagen hingegen noch Defizite auf, weil die Studie ausweislich der vorgelegten Unterlagen den Anforderungen der Richtlinie nach § 137e Absatz 1 Satz 1 SGB V nicht entspricht oder nicht geeignet ist, die notwendigen Erkenntnisse des Nutzens der Methode zu gewinnen, wird dies dem vorlegenden Unternehmen oder Hersteller mitgeteilt, das beziehungsweise der daraufhin die verbesserten Unterlagen erneut zur Prüfung einreichen kann.

### **3. Würdigung der Stellungnahmen**

Im Rahmen des Stellungnahmeverfahrens gemäß 1. Kapitel 3. Abschnitt VerfO, welches der UA MB am 8. Juli 2021 eingeleitet hat, wurden dem G-BA umfangreiche Unterlagen zu einer laufenden (ROBUST-III) und einer geplanten (ReBUS) Studie zu der hier gegenständlichen Methode übermittelt. Der UA MB hat in seiner Sitzung am 26. August 2021 das IQWiG beauftragt, die vorliegenden Unterlagen dahingehend auszuwerten, ob sich - insbesondere im Hinblick auf die Geeignetheit der vorgenannten Studien, Daten zum Nutzen der Methode zu generieren - neue Erkenntnisse ergeben, wodurch eine Erprobungsstudie obsolet würde. Der UA MB hat sich in seiner Sitzung am 14. Oktober 2021 mit dem Bericht des IQWiG<sup>5</sup> zusammen mit den im Stellungnahmeverfahren vorgetragenen Inhalten befasst und ist zu der Einschätzung gelangt, dass es hinreichende Gründe gibt, die Beratung zur Erprobungs-Richtlinie aufgrund der beiden o. g. Studien auszusetzen.

Mit Beschluss vom 19. November 2021 setzte der G-BA die Beratungen über eine Erprobungs-Richtlinie für den medikamentenbeschichteten Ballondilatationskatheter zur transurethralen Behandlung von Harnröhrenstrikturen aufgrund der laufenden Studie ROBUST-III und der geplanten Studie ReBUS bis zum 31. Dezember 2022 aus, da deren Ergebnisse voraussichtlich sowohl geeignet seien, den Nutzen der Methode zu bewerten, als auch in naher Zukunft vorliegen.

Nach Ablauf der Aussetzungsfrist wurden im Rahmen einer Updaterecherche durch die Fachberatung Medizin vom 03. Januar 2023 eine Veröffentlichung der 1-Jahres-Daten zur ROBUST-III-Studie sowie eine Veröffentlichung des NICE mit zugehörigem HTA-Bericht zur Methode insgesamt und mit einer Bewertung dieser veröffentlichten 1-Jahres-Daten gefunden. Der UA MB hat in seiner Sitzung am 23. Februar 2023 das IQWiG mit der Auswertung der 1-Jahres Daten zur ROBUST III Studie beauftragt. Der UA MB hat sich mit der Updaterecherche sowie dem Bericht des IQWiG<sup>6</sup> befasst und in seiner Sitzung am TT.MM.JJJJ festgestellt, dass die ROBUST III Studie nicht geeignet ist, die notwendigen Erkenntnisse für die Bewertung des Nutzens der gegenständlichen Methode zu liefern. Im Weiteren hat der UA MB in derselben Sitzung festgestellt, dass die geplante ReBUS-Studie bislang nicht durchgeführt wird. Daher wird nun an dem ursprünglichen Vorhaben des Beschlusses einer Erprobungs-Richtlinie festgehalten.

---

<sup>5</sup> [IQWiG Addendum H21-11, Version 1 Stand: 17.09.2021](#)

<sup>6</sup> [IQWiG Addendum H23-02, Version 1 Stand: 18.04.2023](#)



Der UA MB hat die im Rahmen des o.g., am 08. Juli 2021 zum gegenständlichen Beschlussentwurf der Erprobungs-Richtlinie durchgeführten, Stellungnahmeverfahrens eingegangenen schriftlichen und mündlichen Stellungnahmen gewürdigt. Aufgrund dessen wurden folgende Änderungen am Beschlussentwurf vorgenommen. Der G-BA überlässt der UWI die Strikturlänge so festzulegen, dass eine Übertragbarkeit der Ergebnisse auf die Zielpopulation möglich wird. Des Weiteren wurde im § 5 konkretisiert, dass für die Festlegung einer klinisch relevanten Verbesserung eine Differenz mindestens in der Höhe von 15 % der Spannweite des zugrundeliegenden Erhebungsinstruments gilt.

#### 4. Bürokratiekostenermittlung

Durch den vorgesehenen Beschluss entstehen keine neuen bzw. geänderten Informationspflichten für Leistungserbringer im Sinne von Anlage II zum 1. Kapitel VerFO und dementsprechend keine Bürokratiekosten.

#### 5. Schätzung der Studienkosten entsprechend 2. Kapitel § 22 Absatz 2 Satz 4 VerFO

Für die Fallzahl ist die Größe des nachzuweisenden Effekts maßgeblich. Diese hängt maßgeblich von der Operationalisierung des primären Endpunkts (hier: IPSS Score und Strikturfreiheit) ab.

Unter Annahme einer Effektstärke von beispielsweise 15 % (80 % der Teilnehmer erreichen den primären Endpunkt in der Interventionsgruppe, 65 % in der Kontrollgruppe), abgeleitet aus den Ergebnissen der Studien ROBUST- I<sup>7</sup> und ROBUST-II<sup>8</sup> sowie aus Daten zur Strikturfreiheit nach 12 Monaten in Abhängigkeit der Anzahl vorheriger Interventionen<sup>9</sup>, ergibt sich als grobe Approximation eine Fallzahl von 400 Studienteilnehmern.

Eine konkrete Fallzahlkalkulation kann erst im Rahmen der genauen Studienplanung erfolgen.

Im Ergebnis von Informationen der Koordinierungszentren für Klinische Studien, dem Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen sowie dem DLR Projektträger (Projektmanagement für Erprobungen des G-BA) schätzt der G-BA die Kosten pro Teilnehmer auf Basis der Studiengröße und des studienbezogenen Mehraufwands (s. nachstehende Tabelle).

Studiengröße (n)	studienbezogener Mehraufwand		
	gering	Normal	hoch
klein (< 100)	8.000 €	10.000 €	12.000 €
mittel (100 bis < 500)	4.000 €	5.500 €	7.000 €
groß (≥ 500)	2.000 €	3.000 €	4.000 €

7 Urotronic. ROBUST I Pilot Study (ROBUST) [online]. 2020 [Zugriff: 17.12.2020]. URL: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03014726>.

8 Urotronic. Re-establishing Flow Via Drug Coated Balloon For The Treatment Of Urethral Stricture Disease (ROBUST-II) [online]. 2019 [Zugriff: 17.12.2020]. URL: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03270384>.

9 Heyns CF, Steenkamp JW, De Kock ML et al. Treatment of male urethral strictures: is repeated dilation or internal urethrotomy useful? J Urol 1998; 160(2): 356-358. [https://dx.doi.org/10.1016/s0022-5347\(01\)62894-5](https://dx.doi.org/10.1016/s0022-5347(01)62894-5).

Entsprechend der o. g. Fallzahlschätzung handelt es sich um eine mittelgroße Studie (100 bis < 500). Der studienbezogene Mehraufwand wird als normal (hier etwa 5.500 € je Studienteilnehmer) eingeschätzt. Auf der Basis dieser Annahmen lassen sich geschätzte Studienkosten von 2,2 Millionen € berechnen.

## 6. Verfahrensablauf

Datum	Gremium	Beratungsgegenstand/ Verfahrensschritt
01.04.2021	Plenum	Einleitung des Beratungsverfahrens zur Erprobungs-Richtlinie gemäß § 137e SGB V
06.04.2021		Ankündigung des Beratungsverfahrens im Bundesanzeiger zur strukturierten Einholung von ersten Einschätzungen (gemäß 2. Kapitel § 6 VerfO) sowie zur Ermittlung weiterer betroffener Medizinproduktehersteller
08.07.2021	UA MB	Einleitung des Stellungnahmeverfahrens
23.09.2021	UA MB	Mündliche Anhörung
14.10.2021	UA MB	Beratung zur Aussetzung des gegenständlichen Beratungsverfahrens über eine Richtlinie zur Erprobung aufgrund zu erwartender Erkenntnisse aus einer laufenden und einer geplanten Studie.
11.11.2021	UA MB	Würdigung der Stellungnahmen und abschließende Beratung der Beschlussempfehlung zur Aussetzung des Beratungsverfahrens
19.11.2021	Plenum	Abschließende Beratung und Beschlussfassung zur Aussetzung des Beratungsverfahrens
19.11.2021		Inkrafttreten der Aussetzung des Beratungsverfahrens
31.12.2022		Ablauf der Aussetzungsfrist
03.01.2023		Übersendung der Updaterecherche der Fachberatung Medizin
23.02.2023	UA MB	Beauftragung IQWiG mit Bewertung 1-Jahres-Daten ROBUST III Studie
26.10.2023	UA MB	<i>Feststellung der Nichteignung der 1-Jahres-Daten der ROBUST III Studie</i>  <i>Würdigung der Stellungnahmen und abschließende Beratung der Beschlussempfehlung zur Erprobungs-RL</i>
TT.MM.JJJJ	Plenum	<i>Abschließende Beratung und Beschlussfassung</i>
		<i>Nichtbeanstandung i.R. d. Prüfung nach § 94 Abs. 1 SGB V des Bundesministeriums für Gesundheit</i>
		<i>Veröffentlichung im Bundesanzeiger</i>
		<i>Inkrafttreten</i>


## **7. Fazit**

Der Gemeinsame Bundesausschuss beschließt die Richtlinie zur Erprobung eines Medikamentenbeschichteten Ballondilatationskatheters zur transurethralen Behandlung von Harnröhrenstrikturen.

Berlin, den 16. November 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken