

Richtlinie

des Gemeinsamen Bundesausschusses
zur Erprobung des Medikamentenbeschichteten
Ballondilatationskatheters zur transurethralen Behandlung
von Harnröhrenstrikturen

in der Fassung vom 16. November 2023
veröffentlicht im Bundesanzeiger (BAnz AT 23.01.2024 B4) vom 16. November 2023
in Kraft getreten am 24. Januar 2024

Inhalt

§ 1	Zielsetzung.....	3
§ 2	Fragestellung	3
§ 3	Population	3
§ 4	Intervention und Vergleichsintervention	3
§ 5	Endpunkte	3
§ 6	Studientyp und Beobachtungszeitraum	4
§ 7	Anforderungen an die Qualität der Leistungserbringung im Rahmen der Erprobung.....	4
§ 8	Anforderungen an die Durchführung, die wissenschaftliche Begleitung und die Auswertung der Erprobung.....	4

§ 1 Zielsetzung

¹Um den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) in die Lage zu versetzen, eine abschließende Bewertung des Nutzens des Medikamentenbeschichteten Ballondilatationskatheters zur transurethralen Behandlung von Harnröhrenstrikturen durchzuführen, sollen im Wege der Erprobung die hierfür nach den §§ 135 und 137c des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) in Verbindung mit den Vorgaben der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) notwendigen Erkenntnisse für die Bewertung des Nutzens der Methode gewonnen werden. ²Die für die Beantwortung dieser Frage in ihrer Konkretisierung nach § 2 notwendige Studie soll durch eine unabhängige wissenschaftliche Institution (UWI) nach Maßgabe dieser Richtlinie entworfen, durchgeführt und ausgewertet werden. ³Die Ausgestaltung des Studiendesigns ist – soweit nicht im Folgenden näher bestimmt – von der UWI auf der Basis des Standes der wissenschaftlichen Erkenntnisse vorzunehmen und zu begründen. ⁴Bei der Erstellung des Studienprotokolls ist das Wirtschaftlichkeitsprinzip zu beachten.

§ 2 Fragestellung

Die Erprobung soll der Beantwortung der Frage dienen, ob bei erwachsenen Männern mit symptomatischer, kurzstreckiger Rezidivstriktur der anterioren Harnröhre die Behandlung mittels eines medikamentenbeschichteten Ballondilatationskatheters im Vergleich zur Urethrotomia interna hinsichtlich des primären Endpunktes bestehend aus dem International Prostate Symptom Score (IPSS) und der Strikturefreiheit überlegen ist.

§ 3 Population

¹In die Erprobungsstudie sind erwachsene Männer mit symptomatischer, kurzstreckiger Rezidivstriktur der anterioren Harnröhre einzuschließen. ²Die weiteren Ein- und Ausschlusskriterien (z.B. Lokalisation der anterioren Harnröhrenstriktur, Länge der Harnröhrenstriktur) sind so festzulegen, dass eine Übertragbarkeit der Ergebnisse auf die Zielpopulation gemäß Satz 1 ermöglicht wird.

§ 4 Intervention und Vergleichsintervention

- (1) ¹Die Prüfintervention besteht in der transurethralen Dilatation der Harnröhre im Bereich der Harnröhrenstriktur mittels eines Ballondilatationskatheters, welcher mit einem zellproliferations- und migrationshemmenden Medikament beschichtet ist. ²Die UWI legt das Nähere zur Notwendigkeit und Art der Prädilatation fest.
- (2) Die Vergleichsintervention ist die Urethrotomia interna.

§ 5 Endpunkte

- (1) ¹Der primäre Endpunkt ist der Anteil an Patienten, die
 - nach 12 Monaten eine klinisch relevante Verbesserung im IPSS-Score im Vergleich zum Ausgangswert aufweisen und
 - sich innerhalb dieses Zeitraums keiner klinisch indizierten Reintervention aufgrund des Wiederauftretens der Striktur einschließlich entsprechender Symptomatik unterziehen müssen (Strikturefreiheit).

²Als klinisch relevanter Effekt gilt eine Differenz mindestens in der Höhe von 15 % der Spannweite des zugrundeliegenden Erhebungsinstruments.

(2) ¹Als sekundäre Endpunkte sind insbesondere zu erfassen:

- harnwegsbezogene Morbidität,
- gesundheitsbezogene Lebensqualität (mittels eines krankheitsspezifischen, validierten Instruments zu messen),
- unerwünschte Ereignisse.

²Die Operationalisierung der Endpunkte sowie die Erhebung und die Operationalisierung weiterer Endpunkte sind jeweils zu begründen.

(3) Sofern vorhanden, sind für alle Endpunkte validierte Erhebungsinstrumente zu verwenden.

§ 6 Studientyp und Beobachtungszeitraum

(1) ¹Die Erprobungsstudie ist als randomisierte, kontrollierte Studie (RCT) zu konzipieren und durchzuführen. ²Die Studie soll multizentrisch durchgeführt werden.

(2) Die Nachbeobachtungszeit beginnend ab Intervention soll mindestens 12 Monate umfassen.

(3) Die Studienteilnehmer und die weiterbehandelnden Personen sowie die Personen, die die Endpunkte erheben, und die Personen, die die Endpunkte auswerten, sollen gegen die Intervention verblindet sein.

(4) Bei Studieneinschluss sind die Ausgangswerte der in § 5 genannten Endpunktparameter und die Charakteristika der Patientenpopulation zu erfassen.

§ 7 Anforderungen an die Qualität der Leistungserbringung im Rahmen der Erprobung

Es ist in jedem Studienzentrum sicherzustellen, dass die Behandlung gemäß dem Studienprotokoll unter Berücksichtigung aller erforderlichen, anerkannten, nach ethischen und wissenschaftlichen Gesichtspunkten aufgestellten Regeln für die Durchführung von klinischen Studien erfolgt.

§ 8 Anforderungen an die Durchführung, die wissenschaftliche Begleitung und die Auswertung der Erprobung

(1) Im Auftrag an die unabhängige wissenschaftliche Institution ist diese – unabhängig davon, ob die Erprobung durch den G-BA oder Hersteller oder Unternehmen durchgeführt wird – insbesondere zu verpflichten,

- a) ein Studienprotokoll zu erstellen und dieses sowie gegebenenfalls die Amendments unverzüglich nach Fertigstellung an den G-BA zur weitergehenden Information zu übersenden,
- b) die Konformität des Studienprotokolls mit den Vorgaben der Erprobungs-Richtlinie und bei Abweichungen gegenüber diesen Vorgaben eine Begründung bei Übersendung des Studienprotokolls darzulegen,
- c) die Studie in einem einschlägigen, von der World Health Organization akkreditierten Register klinischer Studien zu registrieren und den Eintrag regelmäßig zu aktualisieren und den G-BA hierüber zu informieren,

- d) zur Durchführung der Erprobung nach den Anforderungen der Richtlinie und nach Maßgabe des Auftrags, einschließlich der datenschutzkonformen Erhebung, Speicherung und Nutzung der Daten und der Einholung von erforderlichen Genehmigungen,
 - e) Bericht zu erstatten an den G-BA bei Abweichungen von den Vorgaben in der Erprobungs-Richtlinie,
 - f) zur Auswahl der Leistungserbringer, Festsetzung und Auszahlung der angemessenen Aufwandsentschädigung an diese,
 - g) zur Auswertung der Studie,
 - h) unverzüglich nach Abschluss der Studie den Studienbericht, der entsprechend der International Council for Harmonisation (ICH)-E3-Richtlinie zu erstellen ist, zusammen mit dem statistischen Analyseplan an den G-BA zu übermitteln,
 - i) dem G-BA das Recht einzuräumen, ihm auf seine Kosten eine nachträgliche Datenauswertung zur Verfügung zu stellen und
 - j) dem G-BA das Recht zur Veröffentlichung zumindest der Synopse des Studienberichts sowie weitergehender für seine Entscheidung relevanter Informationen aus dem Studienbericht und aus den nachträglichen Datenauswertungen einzuräumen.
- (2) ¹Wird die Studie vom G-BA durchgeführt, ist die UWI in diesem Fall zu verpflichten, an den G-BA zu festgelegten Meilensteinen Bericht zu erstatten. ²Außerdem ist die UWI in Ergänzung der Verpflichtung nach Absatz 1 Buchstabe j zu beauftragen, dass sie die Studienergebnisse spätestens 3 Monate nach Abnahme des Studienberichts durch den G-BA zur Veröffentlichung in einer Fachzeitschrift mit wissenschaftlichem Begutachtungsprozess einreicht und dem G-BA das Recht einräumt, im Anschluss an deren Veröffentlichung oder nach Ablauf eines Jahres nach Einreichung der Studienergebnisse den Studienbericht zu veröffentlichen. ¹Die UWI arbeitet vertrauensvoll mit der mit dem Projektmanagement beauftragten Stelle zusammen und hat dieser die zur Ausübung ihrer Aufgabe erforderlichen Informationen und Unterlagen zur Verfügung zu stellen.
- (3) ¹Wird die Studie durch Medizinproduktehersteller oder Unternehmen durchgeführt, sind diese verpflichtet, die Anforderungen dieser Richtlinie an die Durchführung und Auswertung der Erprobung zu beachten. ²Um sicherzustellen, dass eine durchgeführte Studie den Anforderungen dieser Richtlinie entspricht und geeignet ist, die notwendigen Erkenntnisse des Nutzens der Methode zu gewinnen, haben die durchführenden Medizinproduktehersteller und Unternehmen dem G-BA das Studienkonzept zur Prüfung vorzulegen und zu erklären, 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. ³Bei positivem Ergebnis der Überprüfung bescheinigt der G-BA die Konformität des vorgelegten Studienkonzepts mit den Anforderungen dieser Richtlinie und dass damit die im Rahmen der Erprobung erbrachten Leistungen von der GKV übernommen werden; andernfalls teilt er die bestehenden Defizite mit.“