

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
eine Richtlinie zur Erprobung gemäß § 137e des Fünften
Buches Sozialgesetzbuch:

Neuromuskuläre Feedbacktherapie bei Querschnittlähmung

Vom 17. August 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	8
5.	Schätzung der Studienkosten entsprechend 2. Kapitel § 22 Absatz 2 Satz 4 VerfO.....	9
6.	Verfahrensablauf	9
7.	Fazit.....	10

1. Rechtsgrundlage

Gemäß § 137e Absatz 7 des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) können unabhängig von einem Beratungsverfahren nach § 135 oder § 137c SGB V Hersteller eines Medizinprodukts, auf dessen Einsatz die technische Anwendung einer neuen Untersuchungs- oder Behandlungsmethode maßgeblich beruht und Unternehmen, die in sonstiger Weise als Anbieter einer neuen Methode ein wirtschaftliches Interesse an einer Erbringung zulasten der Krankenkassen haben, beim Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) beantragen, dass dieser eine Richtlinie zur Erprobung der neuen Methode nach § 137e Absatz 1 SGB V beschließt.

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).

2. Eckpunkte der Entscheidung

2.1 Hintergrund

Der G-BA hat am 16. Dezember 2021 den Antrag auf Erprobung der neuromuskulären Feedbacktherapie zur Behandlung von querschnittgelähmten Patientinnen und Patienten positiv beschieden. Danach weist die Methode das Potenzial einer erforderlichen Behandlungsalternative im Vergleich zur Gangtherapie auf, da die Ergebnisse zur Gehgeschwindigkeit aus den antragsbegründenden Studien darauf hindeuten, dass die neuromuskuläre Feedbacktherapie im Vergleich zu einer zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung gemäß Heilmittel-Richtlinie erbringbaren Therapie zu einer besseren Gehfähigkeit führt.

2.2 Zu § 1 Zielsetzung

Die in Satz 1 formulierte Zielsetzung dieser Erprobungs-Richtlinie verdeutlicht, dass die entsprechend den Vorgaben dieser Erprobungs-Richtlinie zu konzipierende Erprobungsstudie geeignet sein muss, die in § 2 konkretisierte Fragestellung zu beantworten. 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 Erprobungs-Richtlinie entspricht.

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 16. Dezember 2021 im Rahmen der Potenzialbescheidung festgestellte Erkenntnislücke. Die potenzialbegründenden Studien ließen erkennen, dass die neuromuskuläre Feedbacktherapie bei querschnittgelähmten Patientinnen und Patienten mit chronischer Rückenmarksverletzung, bei denen motorische Restfunktionen an den unteren Extremitäten erhalten sind, ein hinreichendes Potenzial für eine Erprobung gemäß § 137e SGB V bietet, da die Studienergebnisse mit der Erwartung verbunden sind, dass die neuromuskuläre Feedbacktherapie einer zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung gemäß Heilmittel-Richtlinie erbringbaren Therapie bezüglich des Endpunkts Gehfähigkeit überlegen ist.

Mit der geplanten Erprobungsstudie soll die benötigte Erkenntnissicherheit im Sinne der Zielsetzung von § 1 erreicht werden.

Die Begründungen zu den einzelnen Komponenten der Fragestellung (Population, Intervention, Vergleichsintervention, Endpunkt) sind in den nachfolgenden Kapiteln abgebildet.

2.4 Zu § 3 Population

Zu Satz 1

Die Studienpopulation baut auf der im Erprobungsantrag durch die Antragstellerin definierten Patientenpopulation auf. Für eine stabile Baseline sollten Patientinnen und Patienten entsprechend den potentialbegründenden Studien sowie den Einschätzungen der Fachgesellschaften im Rahmen des Einschätzungs- und Stellungnahmeverfahrens frühestens zwölf Monate nach der Verletzung eingeschlossen werden. Zudem ist sicherzustellen, dass unter leitliniengerechter konventioneller Therapie keine Verbesserung der Gehfähigkeit mehr zu erwarten ist. Speziell bei Menschen mit sensomotorisch inkompletter Lähmungssituation kann noch eine neurologische Spontanerholung im Zeitraum bis zwölf Monate stattfinden.

Zu Satz 2

Bei der Studienplanung können weitere Ein- und Ausschlusskriterien, wie z. B. Begleiterkrankungen, maximale Zeitdauer seit Verletzung, knöcherner Instabilität oder andere Einflussfaktoren auf den Endpunkt Gehfähigkeit festgelegt werden. Dabei ist darauf zu achten, dass die Übertragbarkeit der Ergebnisse auf die Zielpopulation (gemäß § 3 Satz 1) nicht gefährdet wird.

2.5 Zu § 4 Intervention und Vergleichsintervention

Zu Absatz 1

Für das für die Prüfintervention eingesetzte Medizinprodukt muss eine Verkehrsfähigkeit vorliegen und die Studienpopulation von der Zweckbestimmung umfasst sein. Die Intervention besteht in einer Behandlung mit der neuromuskulären Feedbacktherapie mit willensgesteuerter bioelektrischer Regelung. Die Feedbacktherapie darf nur durch Ärztinnen und Ärzte, also nicht eigenverantwortlich durch nichtärztliche Leistungserbringer, erbracht werden. Eine bisherige konventionelle Therapie im Sinne des langfristigen Heilmittelbedarfs

bei Querschnittslähmung gemäß Heilmittel-Richtlinie¹, die daneben indiziert ist, soll fortgeführt werden. Die konventionelle Therapie umfasst u.a. Physio- und auch Ergotherapie.

Zu Absatz 2

Als Vergleichsintervention ist eine zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung erbringbare Therapie zur Verbesserung der Gehfähigkeit im Sinne einer Krankengymnastik zur Behandlung von zentralen Bewegungsstörungen mit dem Ziel der Verbesserung der Motorik, Sensomotorik, Haltung und Koordination sowie der Verbesserung der Komplexbewegungen und der Bahnung physiologischer Bewegungsmuster durchzuführen. Diese umfasst u.a. Behandlung entsprechend dem individuell nach neurophysiologischer Befundung erstellten Behandlungsplan, ggf. Schulung im Umgang mit Hilfsmitteln sowie u. U. die Anleitung der Bezugsperson(en) zum Handling und zur notwendigen täglichen Beübung unter Ausnutzung der natürlich vorhandenen Bahnungs- und Hemmungsmechanismen des Nervensystems sowie der Stimulationsmöglichkeiten (Plastizität) des Gehirns.

Eine bisherige konventionelle Therapie im Sinne des langfristigen Heilmittelbedarfs bei Querschnittslähmung gemäß Heilmittel-Richtlinie², die daneben indiziert ist, soll fortgeführt werden. Die konventionelle Therapie umfasst u.a. Physio- und auch Ergotherapie.

Zu Absatz 3

Die Häufigkeit und die Dauer der Vergleichsintervention und der Prüfintervention sollen vergleichbar sein. In den potentialbegründenden Studien wurden diese an fünf Tagen pro Woche über einen Zeitraum von 12 Wochen durchgeführt. Da Umfang und Intensität jeglicher physiotherapeutischer Maßnahme einen Einfluss auf die Endpunkte haben können, sollen neben Vergleichs- und Prüfintervention auch die Häufigkeit und die Dauer der fortgeführten konventionellen Therapie in beiden Gruppen vergleichbar sein.

2.6 Zu § 5 Endpunkte

Zu Absatz 1

Der primäre Endpunkt ist die Gehfähigkeit (z. B. im Sinne von Gehstrecke oder -geschwindigkeit) nach dreimonatiger Behandlungsphase. Damit schließt sich der G-BA den Erkenntnissen aus der potenzialbegründenden Evidenz an, wonach der zu erwartende patientenrelevante Nutzen der Feedbacktherapie die Verbesserung der Gehfähigkeit ist. Dazu sollte die Gehfähigkeit mittels eines validen Instruments erfasst werden.

Zu Absatz 2

Die gewählten sekundären Endpunkte ergänzen den primären Endpunkt durch weitere patientenrelevante Endpunkte und dienen zur weiteren Beurteilung möglicher Effekte. Die Operationalisierung der einzelnen Endpunkte wie auch die Festlegung zusätzlicher Endpunkte obliegt der UWI, die diese jeweils zu begründen hat.

1 Gemeinsamer Bundesausschuss. Richtlinie über die Verordnung von Heilmitteln in der vertragsärztlichen Versorgung [online]. In der Fassung vom 19. Mai 2011 veröffentlicht im Bundesanzeiger Nr. 96 (S. 2247) vom 30. Juni 2011 in Kraft getreten am 1. Juli 2011 zuletzt geändert am 15. September 2022 veröffentlicht im Bundesanzeiger (BAnz AT 08.12.2022 B2) in Kraft getreten am 1. Januar 2023 [Zugriff: 04.01.2023]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/62-492-3010/HeilM-RL_2022-09-15_iK-2023-01-01.pdf.

2 Gemeinsamer Bundesausschuss. Richtlinie über die Verordnung von Heilmitteln in der vertragsärztlichen Versorgung [online]. In der Fassung vom 19. Mai 2011 veröffentlicht im Bundesanzeiger Nr. 96 (S. 2247) vom 30. Juni 2011 in Kraft getreten am 1. Juli 2011 zuletzt geändert am 15. September 2022 veröffentlicht im Bundesanzeiger (BAnz AT 08.12.2022 B2) in Kraft getreten am 1. Januar 2023 [Zugriff: 04.01.2023]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/62-492-3010/HeilM-RL_2022-09-15_iK-2023-01-01.pdf.

Zu Absatz 3

Grundsätzlich sind, wo immer möglich, in der betreffenden Indikation validierte Instrumente zur Erhebung der Endpunkte einzusetzen. Von besonderer Bedeutung ist dies bei subjektiven Endpunkten, d. h. solchen, die auf Befragung von Studienteilnehmenden, an der Behandlung beteiligten Personen oder Dritten beruhen.

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 Methodenbewertung bietet. Die Studie soll multizentrisch durchgeführt werden, da die Aussagekraft multizentrischer Studien im Allgemeinen höher ist 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, insbesondere relevante Kriterien, nach denen in der Randomisierung ggf. stratifiziert werden sollte (wie z. B. nach Schweregrad der Rückenmarksverletzung inklusive Läsionshöhe, Spastik, Zeit seit der Verletzung), sollen von der UWI vorgenommen und begründet werden.

Zu Absatz 2

Um mögliche Verzerrungen des Studienergebnisses zu vermeiden, die aufgrund der Kenntnis der Gruppenzuordnung entstehen können, sind die Personen, die die Endpunkte erheben, gegen die Intervention zu verblinden.

Eine Verblindung der Studienteilnehmenden und behandelnden Personen ist aufgrund des Charakters der Intervention bzw. Vergleichsintervention nicht möglich.

Zu Absatz 3

Dieser Absatz regelt, dass eine ausreichend lange patientenindividuelle (Nach-) Beobachtungszeit für die Studie eingeplant werden soll, um hinreichende Informationen zu den Effekten der Intervention zu erhalten. Nach Einschätzung des G-BA ist dies jedenfalls nicht bei einer patientenindividuellen Beobachtungszeit von weniger als sechs Monaten gewährleistet. Aus der Literatur (Studie Bochum³ und Field-Fote 2011⁴) zeigte sich nach 12 Wochen eine Verbesserung der Gehfähigkeit. Eine Beobachtungszeit von mindestens sechs Monaten nach Beendigung der Intervention bzw. Vergleichsintervention wird als angemessen angesehen, um auch die Dauerhaftigkeit der Veränderungen abschätzen zu können.

Zu Absatz 4

Um eine mögliche Verzerrung bzw. das Ausmaß der Verzerrung auf den Effekt in beiden Gruppen abschätzen zu können, ist die Art und Anzahl weiterer therapeutischer Interventionen mit Bezug zur Grunderkrankung oder mit möglichem Einfluss auf die zu erfassenden Endpunkte zu dokumentieren. Hierzu gehören bspw. Physiotherapie,

3 BG Universitätsklinikum Bochum. Funktionelles Outcome Querschnittgelähmter nach exoskeletaler Neurorehabilitation mit dem Hybrid assistive limb (HAL) Exoskelett [online]. [Zugriff: 04.01.2023]. URL: <https://drks.de/search/de/trial/DRKS00010250>.

4 Field-Fote EC, Roach KE. Influence of a locomotor training approach on walking speed and distance in people with chronic spinal cord injury: a randomized clinical trial. Phys Ther 2011; 91(1): 48-60.

Ergotherapie, unbeaufsichtigtes Trainingsprogramm, Medikamente gegen Spastizität oder neuropathische Schmerzen, stationäre Behandlung, Art des Hilfsmittels.

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 Gemeinsamen Bundesausschuss 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 GKV finanziert werden.

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

In Buchstabe b) wird die UWI verpflichtet, die Konformität des Studienprotokolls mit den Vorgaben der Erprobungs-Richtlinie gegenüber dem Gemeinsamen Bundesausschuss 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 Gemeinsame Bundesausschuss 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 Gemeinsamen Bundesausschuss 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 Gemeinsamen Bundesausschuss 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 Gemeinsamen Bundesausschuss 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 Gemeinsamen Bundesausschuss 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 Gemeinsamen Bundesausschuss 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 Gemeinsame Bundesausschuss 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 Gemeinsame Bundesausschuss geht davon aus, dass die Studienergebnisse zeitnah nach der Übermittlung des Studienberichts an den Gemeinsamen Bundesausschuss 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 Gemeinsamen Bundesausschuss gegenüber Bericht zu erstatten. Über Absatz 1 Buchstabe j) hinausgehend, hat der Gemeinsame Bundesausschuss 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 Gemeinsamen Bundesausschuss 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 Gemeinsamen Bundesausschuss sicherzustellen, dass die Vorgaben nach § 137e Absatz 2 Satz 2 SGB V beachtet werden. Dem Gemeinsamen Bundesausschuss 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 Gemeinsame Bundesausschuss 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

Der G-BA hat die schriftlichen und mündlichen Stellungnahmen gewürdigt. Eine detaillierte Auswertung der Stellungnahmen zur Erprobungs-Richtlinie ist in der Zusammenfassenden Dokumentation dargestellt.

Aufgrund der Stellungnahmen wird der Beschlussentwurf folgendermaßen geändert:

§ 2 wird wie folgt geändert: „.... im Vergleich zu einer zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung gemäß Heilmittel-Richtlinie erbringbaren Therapie im Sinne einer Krankengymnastik zur Behandlung von zentralen Bewegungsstörungen bezüglich des Endpunkts Gehfähigkeit überlegen ist.“

In § 4 Absatz 1 und Absatz 2 wird jeweils Satz 2 wie folgt geändert: „²Eine bisherige konventionelle Therapie gemäß Heilmittel-Richtlinie, die daneben indiziert ist, soll fortgeführt werden.“

In § 4 Absatz 2 Satz 1 wird der bisherige Text gestrichen und stattdessen folgender Text eingefügt: „¹Die Vergleichsintervention ist eine zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung erbringbare Therapie im Sinne einer Krankengymnastik zur Behandlung von zentralen Bewegungsstörungen.“

In § 4 Absatz 3 wird folgender Satz 2 ergänzt: „Ebenso sollen die Häufigkeit und die Dauer der fortgeführten konventionellen Therapie in beiden Gruppen vergleichbar sein.“

Der letzte Satz in § 6 Absatz 4 wird wie folgt geändert: „Zudem ist die Art der Therapie in der Vergleichsgruppe zu dokumentieren.“

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

Die folgenden Ausführungen zur Fallzahlschätzung sind nicht als verbindliche Kalkulation, sondern als näherungsweise Schätzung der benötigten Fallzahlen zu verstehen [auf Basis der oben aufgeführten Überlegungen zum Studiendesign und unter Annahme einer Rekrutierungszeit von 18 Monaten].

Zum Zwecke der vorliegenden Fallzahlschätzung wurden die vorhandenen Daten zur Gehfähigkeit aus Grasmücke 2017 und Field-Fote 2011 sowie das in Forrest 2014 vorgeschlagene Responsekriterium herangezogen. Hieraus ergäbe sich für die Interventionsgruppe eine relevante Verbesserung bei rund 50 % der Patientinnen und Patienten und für die Kontrollgruppe bei rund 15 % der Patientinnen und Patienten. Der Fallzahlschätzung lag ein konservativer Ansatz zugrunde, um die bestehenden Unsicherheiten (insbesondere mit Blick auf die Ergebnissicherheit sowie das in Forrest 2014 verwendete Responsekriterium) zu berücksichtigen. Daher wurde mit Responderanteilen von 45 % und 20 % ein kleinerer Unterschied angenommen.

Unter den üblichen statistischen Annahmen (Signifikanzniveau 5 %, 2-seitig, Power 90 %) resultiert eine Fallzahl von ca. 150 Patientinnen und Patienten, die in die Studie aufzunehmen sind. Damit liegt die Fallzahl in der Kategorie einer mittleren Studie.

Eine exakte Fallzahlkalkulation muss im Rahmen der konkreten Studienplanung erfolgen.

Für Studien mit mittlerer Fallzahl (hier ca. 150 Patientinnen und Patienten) und normalem Aufwand lässt sich ein studienspezifischer Aufwand in Höhe von etwa 5.500 € je Teilnehmerin oder Teilnehmer beziffern. Da die geschätzte Fallzahl am unteren Ende der Kategorie mittelgroß liegt, ist dies eine eher konservative Annahme. Auf der Basis dieser Annahmen lassen sich geschätzte Studienkosten von 825.000 € berechnen.

Die Zahlen zur Kostenschätzung haben orientierenden Charakter und sind nicht als Grundlage für vertragliche Kostenvereinbarungen geeignet.

6. Verfahrensablauf

Datum	Gremium	Beratungsgegenstand/Verfahrensschritt
16.12.2021	Plenum	Einleitung des Beratungsverfahrens zur Erprobungs-Richtlinie gemäß § 137e SGB V
23.06.2022	UA MB	Beschluss zur Ankündigung des Beratungsverfahrens im Bundesanzeiger und Freigabe des Fragenkatalogs zur strukturierten Einholung von ersten Einschätzungen anlässlich der Ankündigung des Beratungsverfahrens (gemäß 2. Kapitel § 6 VerFO)
30.06.2022		Ankündigung des Beratungsverfahrens im Bundesanzeiger und Ermittlung der stellungnahmeberechtigten Medizinproduktehersteller
12.01.2023	UA MB	Einleitung des Stellungnahmeverfahrens
23.03.2023	UA MB	Anhörung
27.07.2023	UA MB	Würdigung der Stellungnahmen und Beratung der Beschlussempfehlung
17.08.2023	Plenum	Abschließende Beratung und Beschlussfassung

7. Fazit

Der Gemeinsame Bundesausschuss beschließt die Richtlinie zur Erprobung der neuromuskulären Feedbacktherapie zur Behandlung von querschnittgelähmten Patientinnen und Patienten.

Berlin, den 17. August 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken