

Tragende Gründe



Gemeinsamer
Bundesausschuss

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
eine Änderung der Richtlinie Methoden
Krankenhausbehandlung, des Beschlusses über Maßnahmen
zur Qualitätssicherung und der MD-Qualitätskontroll-
Richtlinie:

Stammzelltransplantation bei Multiplem Myelom

Vom 19. Dezember 2024

Inhalt

1. Rechtsgrundlage	2
2. Eckpunkte der Entscheidung	3
2.1 Hintergrund	3
2.2 Autologe Mehrfachtransplantation (Tandemtransplantation) bei Multiplem Myelom	3
2.2.1 Studienlage bei der Verlängerung der Aussetzung im Jahr 2022	3
2.2.2 Entwicklung der Studienlage seit der Verlängerung der Aussetzung im Jahr 2022 und aktuelle Studienlage.....	5
2.2.3 Bewertung der aktuellen Studienlage	5
2.3 Allogene SZT bei Multiplem Myelom in der Erstlinientherapie	6
2.3.1 Studienlage bei der Verlängerung der Aussetzung im Jahr 2022	6
2.3.2 Entwicklung der Studienlage seit der Verlängerung der Aussetzung im Jahr 2022 und aktuelle Studienlage.....	7
2.3.3 Bewertung der aktuellen Studienlage	8
2.4 Aufhebung des Beschlusses über Maßnahmen zur Qualitätssicherung.....	9
2.5 Würdigung der Stellungnahmen	9
3. Bürokratiekostenermittlung.....	10
4. Verfahrensablauf	10
5. Fazit.....	11

1. Rechtsgrundlage

Auf der Grundlage des § 137c Absatz 1 des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) überprüft der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) gemäß § 91 SGB V auf Antrag Untersuchungs- und Behandlungsmethoden, die zu Lasten der gesetzlichen Krankenkassen im Rahmen einer Krankenhausbehandlung angewandt werden oder angewandt werden sollen, daraufhin, ob sie für eine ausreichende, zweckmäßige und wirtschaftliche Versorgung der Versicherten unter Berücksichtigung des allgemein anerkannten Standes der medizinischen Erkenntnisse erforderlich sind. Ergibt die Überprüfung, dass der Nutzen einer Methode nicht hinreichend belegt ist und sie nicht das Potenzial einer erforderlichen Behandlungsalternative bietet, insbesondere weil sie schädlich oder unwirksam ist, erlässt der G-BA eine entsprechende Richtlinie, wonach die Methode im Rahmen einer Krankenhausbehandlung nicht mehr zu Lasten der Krankenkassen erbracht werden darf. Ergibt die Überprüfung, dass der Nutzen einer Methode noch nicht hinreichend belegt ist, sie aber das Potenzial einer erforderlichen Behandlungsalternative bietet, beschließt der G-BA eine Richtlinie zur Erprobung nach § 137e SGB V.

Gemäß § 7 Absatz 3 Satz 3 der Methodenbewertungsverfahrensverordnung (MBVerfV) kann der G-BA entsprechend dem Ergebnis der abschließenden Gesamtbewertung der Untersuchungs- oder Behandlungsmethode nur Folgendes beschließen:

1. die Feststellung, dass der Nutzen der Methode hinreichend belegt ist und sie für eine ausreichende, zweckmäßige und wirtschaftliche Versorgung der Versicherten im Krankenhaus erforderlich ist,
2. die Feststellung, dass die Untersuchungs- oder Behandlungsmethode das Potenzial einer erforderlichen Behandlungsalternative bietet, ihr Nutzen aber noch nicht hinreichend belegt ist, und die gleichzeitige Beschlussfassung einer Richtlinie zur Erprobung nach § 137e Absatz 1 und 2 SGB V unter Aussetzung des Bewertungsverfahrens,
3. die Feststellung, dass die Methode nicht das Potenzial einer erforderlichen Behandlungsalternative bietet, insbesondere weil sie schädlich oder unwirksam ist, und den Ausschluss dieser Methode aus der Krankenhausversorgung zu Lasten der Krankenkassen.

Abweichend von § 7 Absatz 3 Satz 3 MBVerfV kann der G-BA ein Methodenbewertungsverfahren nach § 137c SGB V ausnahmsweise für einen befristeten Zeitraum aussetzen, wenn der Nutzen der Methode noch nicht hinreichend belegt ist, aber zu erwarten ist, dass solche Studien in naher Zukunft vorliegen werden (§ 7 Absatz 3 Satz 4 MBVerfV, 2. Kapitel § 14 Absatz 1 Satz 1 VerfO).

2. Eckpunkte der Entscheidung

2.1 Hintergrund

Auf der Grundlage eines Antrags zur Überprüfung der Stammzelltransplantation (SZT) bei Multiplem Myelom gemäß § 137c Absatz 1 SGB V hatte der G-BA die Bewertungsverfahren zur autologen Mehrfachtransplantation (Tandemtransplantation) bei Multiplem Myelom und zur allogenen SZT bei Multiplem Myelom in der Erstlinientherapie mit Beschluss vom 19. Januar 2017 im Hinblick auf laufende Studien bis zum 30. Juni 2022 ausgesetzt. Mit Beschluss vom 18. August 2022¹ wurde diese Aussetzung bis zum 31. Dezember 2024 verlängert.

Entsprechend der Bestimmungen in der Verfahrensordnung (2. Kapitel § 14 Absatz 5) wurden seit der Aussetzung vier Update-Recherchen durchgeführt und es wurde geprüft, ob die Voraussetzungen für die Aussetzung noch vorliegen oder ob die Beratungen vor dem Ende der Aussetzungsfrist wiederaufgenommen werden sollten. Im Ergebnis waren die Voraussetzungen für eine Wiederaufnahme der Beratungen bisher nicht erfüllt.

Die Bewertung der gegenwärtigen Studienlage beruht auf der zuletzt am 17. Mai 2024 durch die Fachberatung Medizin (FB Med) durchgeführten Update-Recherche (siehe Zusammenfassende Dokumentation).

2.2 Autologe Mehrfachtransplantation (Tandemtransplantation) bei Multiplem Myelom

2.2.1 Studienlage bei der Verlängerung der Aussetzung im Jahr 2022

In den Tragenden Gründen zur Verlängerung der Aussetzung am 18. August 2022 wird ausgeführt:

„Identifizierte abgeschlossene Studien

Bereits durch die Updaterecherche der FB Med vom 6. November 2020 wurde eine Ergebnis-Publikation zu der ersten aussetzungsbegründenden Studie NCT01109004 identifiziert (Stadtmauer et al. 2019²). In dieser multizentrischen Phase-III-Studie wurden 758 Patientinnen und Patienten auf drei Therapiearme randomisiert: 247 Patientinnen und Patienten erhielten eine autologe Tandemtransplantation, 254 Patientinnen und Patienten bekamen nach einer autologen SZT eine zusätzliche Therapie mit Lenalidomid, Bortezomib und Dexamethason (VRD) und 257 Patientinnen und Patienten erhielten eine autologe SZT (Standardtherapie). Im Rahmen der Erhaltungstherapie erhielten alle Patientinnen und Patienten Lenalidomid. Für das Gesamtüberleben und das progressionsfreie Überleben zeigten sich weder für das Gesamtkollektiv noch für die Untergruppe mit ungünstigen, insbesondere zytogenetischen Prognosefaktoren statistisch signifikante Unterschiede

1 Stammzelltransplantation beim multiplen Myelom bei Erwachsenen (§ 137c SGB V): Verlängerung der Aussetzung. <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/methodenbewertung/113/#verlangerung-der-aussetzung>

2 Stadtmauer EA, Pasquini MC, Blackwell B, Hari P, Bashey A, Devine S, et al. Autologous transplantation, consolidation, and maintenance therapy in multiple myeloma: results of the BMT CTN 0702 trial. Journal of Clinical Oncology 2019;37(7):589-597.

zwischen der Standardtherapie und den Therapiearmen mit zweiter autologer SZT (Tandemtransplantation) bzw. zusätzlicher Gabe von VRD.

Außerdem liegt die Publikation von Cavo et al. 2020³ vor: eine erste Auswertung einer europäischen multizentrischen Phase 3-Studie mit dem Titel *Study to Compare VMP With HDM Followed by VRD Consolidation and Lenalidomide Maintenance in Patients With Newly Diagnosed Multiple Myeloma (HO95)* (EudraCT 2009-017903-28, NCT01208766). Die Studie startete im Januar 2011, das geschätzte Studienende ist für April 2023 vorgesehen (last update posted: 24. März 2021). Im Rahmen der Studie wurden zwei Randomisierungen vorgenommen: 1.197 Patientinnen und Patienten mit neu diagnostiziertem Multiplem Myelom, die geeignet für eine Hochdosis-Chemotherapie waren, wurden im Anschluss an eine Induktionstherapie [drei oder vier Zyklen mit VCD (Vincristin, Cyclophosphamid, Dexamethason)] in einen Studienarm, in dem eine Chemotherapie mit VMP (Bortezomib, Lenalidomid, Prednison) als Intensivierungstherapie eingesetzt wurde (n = 495), oder in einen Studienarm, in dem autolog transplantiert wurde (n = 702), randomisiert [permutierte Blockrandomisierung; stratifiziert nach Standort und Krankheitsstadium (ISS)]. Die Patientinnen und Patienten im SZT-Studienarm erhielten zudem 200 mg/m² Körperoberfläche Melphalan. Diejenigen Patientinnen und Patienten, die eine autologe Tandemtransplantation erhalten sollten, bekamen zwei Gaben Melphalan im Abstand von zwei bis drei Monaten. Im weiteren Studienverlauf wurden 877 Patientinnen und Patienten randomisiert auf einen Studienarm, in dem eine Konsolidierungstherapie mit VRD durchgeführt wurde (n = 449), oder in einen Studienarm, in dem keine weitere Konsolidierungstherapie erfolgte (n = 428). Der Stellenwert einer autologen Tandemtransplantation im Vergleich zur einfachen autologen SZT wurde im Studienarm, in dem autolog transplantiert wurde, untersucht. Dazu wurden in der ersten Randomisierungsphase 419 Patientinnen und Patienten in den Zentren, die sowohl einfache als auch Tandemtransplantationen vornahmen, randomisiert: 210 Patientinnen und Patienten erhielten eine Tandemtransplantation und 209 Patientinnen und Patienten eine einfache autologe Transplantation. Die maßgebliche intention-to-treat (ITT)-Auswertung zeigte einen signifikanten Vorteil im progressionsfreien Überleben (PFS) für Tandemtransplantation im Vergleich zur einfachen autologen Transplantation: Nach fünf Jahren lag das PFS bei 53,5 % versus 44,9 % (p = 0,036.). Ebenfalls zeigte sich im Gesamtüberleben (OS) ein signifikanter Vorteil für die Tandemtransplantation im Vergleich zur einfachen autologen Transplantation: Nach fünf Jahren lag das OS bei 80,3 % versus 72,6 % (p = 0,022). Die Autorengruppe Cavo et al. kommt auf Basis der ITT-Analyse zu dem Schluss, dass eine autologe Tandemtransplantation einer einfachen SZT beim Multiplen Myelom in Hinblick auf das progressionsfreie Überleben und das Gesamtüberleben nach fünf Jahren überlegen ist.

Identifizierte laufende Studien

In den einschlägigen Studienregistern ist derzeit noch die zweite für die Aussetzung der Beschlussfassung vom 19. Januar 2017 maßgebliche Studie DSMM XIV des Universitätsklinikums Würzburg (NCT01685814) enthalten. Die Rekrutierung ist beendet. Als

3 Cavo M, Gay F, Beksac M, Pantani L, Petrucci MT, Dimopoulos MA, et al. Autologous haematopoietic stem-cell transplantation versus bortezomib-melphalan-prednisone, with or without bortezomib-lenalidomide-dexamethasone consolidation therapy, and lenalidomide maintenance for newly diagnosed multiple myeloma (EMN02/HO95): a multicentre, randomised, open-label, phase 3 study. *Lancet Haematology* 2020;1(6):e456-e468.

geschätztes Datum für den Studienabschluss wird nunmehr der Dezember 2021 angegeben (last update posted: 8. April 2021). Laut der Studienleitung ist mit einer Bereitstellung des Manuskriptes nicht vor Ende des Jahres 2022 zu rechnen.“

2.2.2 Entwicklung der Studienlage seit der Verlängerung der Aussetzung im Jahr 2022 und aktuelle Studienlage

Identifizierte abgeschlossene Studien

Die aussetzungsbe gründende Studie mit dem Titel „Stem Cell Transplant With Lenalidomide Maintenance in Patients With Multiple Myeloma“ (BMT CTN 0702/NCT01109004) ist abgeschlossen. Die Ergebnisse wurden von Stadtmauer et al. (2019) veröffentlicht (siehe Kapitel 2.2.1). Weitere relevante Publikationen zu dieser Studie wurden nicht identifiziert.

Identifizierte laufende Studien

In den einschlägigen Studienregistern ist derzeit noch die zweite für die Aussetzung der Beschlussfassung vom 19. Januar 2017 maßgebliche Studie DSMM XIV des Universitätsklinikums Würzburg (NCT01685814)⁴ enthalten. Die Rekrutierung ist beendet. Laut der Mitteilung der Studienleitung aus April und Juni 2024 liefen noch Nachbeobachtungen und die Studie würde mit Ergebnissen in ein bis zwei Jahren abgeschlossen sein.

Die europäische multizentrische Phase-3-Studie mit dem Titel „Study to Compare VMP With HDM Followed by VRD Consolidation and Lenalidomide Maintenance in Patients With Newly Diagnosed Multiple Myeloma (HO95)“ (EUCTR 2009-017903-28, NCT01208766) startete im Januar 2011. Das geschätzte Studienende wurde geändert und ist nun für Januar 2025 vorgesehen [last update posted: 21.08.2024]⁵. Erste Ergebnisse wurden von Cavo et al. (2020) publiziert (siehe Kapitel 2.2.1). Weitere relevante Publikationen zu dieser Studie wurden nicht identifiziert.

2.2.3 Bewertung der aktuellen Studienlage

Die Ergebnisse der aussetzungsbe gründenden US-amerikanischen Studie NCT01109004 (Stadtmauer et al. 2019) und der europaweiten Studie NCT01208766 (Cavo et al. 2020) ließen schon bei der letzten Verlängerung der Aussetzung keine definitive Bewertung des Stellenwertes einer autologen Tandemtransplantation zu, da die Ergebnisse, insbesondere für Patientinnen und Patienten mit ungünstigen zytogenetischen Prognosefaktoren, in unterschiedliche Richtungen weisen.

Die Ergebnisse der ebenfalls aussetzungsbe gründenden deutschen Studie NCT01685814 (DSMM XIV) werden voraussichtlich erst im Laufe des Jahres 2026 als Vollpublikation vorliegen. Diese und die Ergebnisse der Untergruppenanalyse der europaweiten Studie

4 Lenalidomide, Adriamycin, Dexamethasone (RAD) Versus Lenalidomide, Bortezomib, Dexamethasone (VRD) for Induction in Newly Diagnosed Multiple Myeloma Followed by Response-adapted Consolidation and Lenalidomide Maintenance: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT01685814>

5 Stichting Hemato-Oncologie voor Volwassenen Nederland. Study to compare VMP with HDM followed by VRD consolidation and lenalidomide maintenance in patients with newly diagnosed multiple myeloma [online]. NCT01208766. In: ClinicalTrials.gov. Last updated: 21.08.2024. [Zugriff: 04.09.2024]. URL: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT01208766>.

NCT01208766 für den Endpunkt Gesamtüberleben mit einer längeren Nachbeobachtung sollen abgewartet werden.

Im Vergleich zur Kenntnislage bei Verlängerung der Aussetzung am 18. August 2022 sind keine neuen Studienauswertungen publiziert worden.

Aufgrund von eingetretenen Verzögerungen und Verschiebungen des erwarteten Abschlusses der aussetzungsbezüglichen deutschen Studie NCT01685814 (DSMM XIV) und aufgrund der avisierten Ergebnisse der europaweiten Studie NCT01208766 ist zu erwarten, dass publizierte Ergebnisse im Jahr 2026 für die Methodenbewertung genutzt werden können. Sollten Ergebnisse bereits früher vorliegen, werden die Beratungen vorzeitig wiederaufgenommen.

2.3 Allogene SZT bei Multiplem Myelom in der Erstlinientherapie

2.3.1 Studienlage bei der Verlängerung der Aussetzung im Jahr 2022

In den Tragenden Gründen zur Verlängerung der Aussetzung am 18. August 2022 wird ausgeführt:

„Identifizierte abgeschlossene Studien

Bereits durch die Updaterecherche der FB Med vom 22. Mai 2018 wurde eine Ergebnis-Publikation der bereits bekannten Studie NCT00415987 (Bruno et al. 2007) aus dem Abschlussbericht des IQWiG identifiziert: Giaccone et al. 2018. Diese Publikation stellt eine Langzeitnachbeobachtung der Studie dar. Die Studienpopulation, 58 Patientinnen und Patienten mit allogener SZT nach autologer SZT und 46 Patientinnen und Patienten mit autologer Tandemtransplantation, wurde über einen Zeitraum von etwa 12 Jahren nach zweiter SZT verfolgt. Für das Gesamtüberleben und ereignisfreie Überleben zeigten sich signifikante Ergebnisse zugunsten einer Behandlungsstrategie mit Hybridtransplantation im Vergleich zur autologen Tandemtransplantation.

Identifizierte laufende Studien

In den einschlägigen Studienregistern sind derzeit noch die beiden für die Aussetzung der Beschlussfassung vom 19. Januar 2017 maßgeblichen Studien NCT00777998 (Hamburg) und NCT01685814 (Würzburg) enthalten:

Die Studie NCT01685814 ist die gleiche Studie, die auch für die autologe Mehrfachtransplantation (Tandemtransplantation) aussetzungsbezüglichschlagend ist (siehe Kapitel 2.2.2). Deren Rekrutierung ist beendet. Als geschätztes Datum für den Studienabschluss wird nunmehr der Dezember 2021 angegeben (last update posted: 8. April 2021). Laut der Studienleitung ist mit einer Bereitstellung des Manuskriptes nicht vor Ende des Jahres 2022 zu rechnen.

Für die Studie NCT00777998 wurde als geschätztes Datum für den Studienabschluss der Juni 2018 angegeben (last update posted: 4. Mai 2018). Laut der Studienleitung befindet sich das Manuskript in der finalen Phase.“

2.3.2 Entwicklung der Studienlage seit der Verlängerung der Aussetzung im Jahr 2022 und aktuelle Studienlage

Identifizierte abgeschlossene Studie

Die Studienergebnisse der aussetzungsbegründenden Studie NCT00777998 wurden im Jahr 2023 von Kröger et al. in der Publikation mit dem Titel „*Autologous-allogeneic versus autologous tandem stem cell transplantation and maintenance therapy with thalidomide for multiple myeloma patients less than 60 years of age: a prospective phase II study*“ veröffentlicht.⁶

In der Publikation werden Kurz- und Langzeitergebnisse einer allogenen Tandemstammzelltransplantation (alloTSZT) im Vergleich mit einer autologen Tandemstammzelltransplantation (autoTSZT) berichtet. In beiden Studienarmen erfolgte eine Erhaltungstherapie mit Thalidomid (100mg/Tag) für zwei Jahre, die 120 Tage nach der TSZT gestartet wurde.

Die prospektive multizentrische Studie wurde als nicht-randomisierte, nicht-verblindete klinische Studie im Parallelgruppendesign an 20 deutschen Studienzentren im Zeitraum zwischen 2008 und 2014 durchgeführt. In die Studie wurden Patientinnen und Patienten im Alter zwischen 18 und 60 Jahren mit Multiplem Myelom im Stadium II oder III nach der Klassifikation von Salmon und Durie eingeschlossen. Die Patientinnen und Patienten hatten vor Studieneinschluss maximal 8 Zyklen Chemotherapie erhalten und wurden unabhängig von der Response eingeschlossen. Die Response wurde gemäß den Kriterien der International Myeloma Working Group bestimmt. Ausgeschlossen wurden Patientinnen und Patienten mit schweren Nieren-, Leber-, Lungen- oder Herzerkrankungen oder vorangegangener autologer SZT.

Im Anschluss an eine autologe SZT erfolgte eine allogene SZT, wenn ein Transplantat eines HLA-identischen Familienspenders oder eines HLA-identischen Fremdspenders mit einer HLA-Kompatibilität von 10/10 oder 9/10 vorlag. Zusätzlich war nach alloSZT eine eskalierende prophylaktische Spender- Lymphozyteninfusion möglich. Lag kein passendes Transplant für eine alloTSZT vor bzw. wurde eine alloSZT von der Patientin oder dem Patienten abgelehnt, dann erfolgte eine autoTSZT.

Der primäre Endpunkt war das Progressionsfreie Überleben vier Jahre nach der TSZT, definiert über die Ereignisse Rückfall, Progression oder Tod jeglicher Ursache.

Sekundäre Endpunkte waren die kumulative Inzidenz von Rezidiven vier Jahre nach TSZT, die Krankheitsbezogene Mortalität vier Jahre nach TSZT, die Non-Relapse-Mortality und das Gesamtüberleben vier Jahre nach TSZT. Das Langzeit-Follow-up umfasste einen Zeitraum von zehn Jahren mit einem medianen Follow-up von 82 Monaten.

Im Studienzeitraum wurden 217 Patientinnen und Patienten eingeschlossen. 208 Patientinnen und Patienten erhielten eine erste autoSZT mit peripheren Blutstammzellen. Eine Tandemtransplantation erfolgte bei 178 Patientinnen und Patienten im Alter von 52 Jahren (Median; Spanne: 26-61 Jahre), wobei 46 autoTSZT und 132 alloTSZT (59,8 %

6 Kröger N, Wulf G, Hegenbart U, Burchert A, Stelljes M, Gagelmann N, et al. Autologous-allogeneic versus autologous tandem stem cell transplantation and maintenance therapy with thalidomide for multiple myeloma patients under 60 years of age: a prospective, phase II study. *Haematologica* 2024;109(5):1469-1479.

Familienspender; 40,2 % Fremdspender) durchgeführt wurden. Zwischen der autoSZT und der TSCT vergingen im Median 84 Tage (Spanne: 49 bis 209 Tage).

Zum Zeitpunkt 48 Monate nach TSZT lebten 118 von 178 Patientinnen und Patienten: 87 (66 %) von 132 nach alloTSZT und 31 (67 %) von 46 nach autoTSZT. Gegen Ende des Langzeit-Follow-up lebten 105 Patientinnen und Patienten: 78 (59 %) von 132 nach alloTSZT und 27 (59 %) von 46 nach autoTSZT.

Das **Gesamtüberleben** nach vier Jahren lag für alloTSZT bei 66 % [95 % CI, 57-73 %] und für autoTSZT bei 66 % [95 % CI, 50-78 %] (P=0.90). Das Gesamtüberleben nach acht Jahren lag bei 52 % [95 % CI, 41-62%] für alloTSZT und bei 50 % [95 % CI, 32- 67 %] für autoTSZT (P=0.86).

Das **progressionfreie Überleben (PFS)** vier Jahre nach TSZT lag bei 47 % [95% CI, 38-55 %] für Patientinnen und Patienten, die eine alloTSZT erhalten hatten, und bei 35 % [95 % CI, 21-49 %] nach autoTSZT (P=0.26). Das 8-Jahre-PFS lag bei 43 % [95% CI, 34-51 %] nach alloTSZT und bei 21 % [95 % CI, 9-36 %] nach autoTSZT (P=0.10). Obwohl sich ein Anstieg der Differenz der Ereignisraten von 12 % zum Zeitpunkt 48 Monate auf 22 % zum Zeitpunkt acht Jahre zeigte, lag zu keinem der beiden Zeitpunkte eine statistische Signifikanz vor. Das mediane PFS lag bei 40,1 Monaten nach alloTSZT und bei 29,8 Monaten nach autoTSZT.

Identifizierte laufende Studie

In den einschlägigen Studienregistern ist derzeit noch die für die Aussetzung der Beschlussfassung vom 19. Januar 2017 maßgebliche Studie NCT01685814 (Würzburg) enthalten: Diese Studie ist die gleiche Studie, die auch für die autologe Mehrfachtransplantation (Tandemtransplantation) aussetzungsbegründend ist (siehe Kapitel 2.3). Deren Rekrutierung ist beendet. Laut der Mitteilung der Studienleitung aus April und Juni 2024 liefen noch Nachbeobachtungen und die Studie würde mit Ergebnissen in ein bis zwei Jahren abgeschlossen sein.

2.3.3 Bewertung der aktuellen Studienlage

Die Ergebnisse der Publikation von Giaccone et al. 2018 zur Studie NCT00415987 bestätigen bereits bekannte Auswertungen derselben Studie, die bereits im Jahr 2017 nicht für eine Nutzenbewertung ausreichten und zur Aussetzung führten. Diese sind deshalb keine grundsätzlich neuen Erkenntnisse und begründen keine Wiederaufnahme der Beratungen zum jetzigen Zeitpunkt.

Die im Kapitel 2.3.2 genannten Ergebnisse der Publikation von Kröger et al. 2023 zur aussetzungsbegründenden Studie NCT00777998 reichen für eine Nutzenbewertung nicht aus.

Die Ergebnisse der aussetzungsbegründenden Studie NCT01685814 werden voraussichtlich erst im Laufe des Jahres 2026 als Vollpublikation vorliegen und sollen abgewartet werden.

Im Vergleich zur Kenntnislage bei der Verlängerung der Aussetzung am 18. August 2022 sind zwar grundsätzlich neue Studienergebnisse verfügbar. Diese begründen jedoch keine Wiederaufnahme der Beratungen zum jetzigen Zeitpunkt.

Aufgrund von eingetretenen Verzögerungen und Verschiebungen des erwarteten Abschlusses der aussetzungsbegründenden Studie NCT01685814 ist zu erwarten, dass publizierte Ergebnisse im Jahr 2026 für die Methodenbewertung genutzt werden können. Sollten Ergebnisse bereits früher vorliegen, werden die Beratungen vorzeitig wiederaufgenommen.

2.4 Aufhebung des Beschlusses über Maßnahmen zur Qualitätssicherung

Die Aussetzung der Bewertung zur allogenen SZT bei Multiplem Myelom in der Erstlinientherapie ist bisher durch den Beschluss über Maßnahmen zur Qualitätssicherung der allogenen Stammzelltransplantation bei Multiplem Myelom⁷ gemäß 2. Kapitel § 14 Absatz 1 Satz 3 VerfO mit Anforderungen an die Qualität der Leistungserbringung gemäß § 136 Absatz 1 Satz 1 Nummer 2 SGB V sowie an eine hierfür notwendige Dokumentation verbunden. Diese Maßnahmen treten für die genannte Indikation (allogene SZT in der Erstlinientherapie) gemäß § 10 Satz 1 des Beschlusses am Tag nach der Veröffentlichung im Bundesanzeiger außer Kraft.

Auch wenn die Aussetzung der Nutzenbewertung der allogenen SZT in der Erstlinientherapie mit dem gegenständlichen Beschluss verlängert wird, sieht der G-BA von einer gleichzeitigen Verlängerung der genannten Maßnahmen zur Qualitätssicherung ab, da ab dem 1. Januar 2025 indikationsübergreifend die Anforderungen der Mindestmengen-Regelung des G-BA (Mm-R, zuletzt geändert am 21. Dezember 2023 und in Kraft getreten am 15. Februar 2024) für alle Einrichtungen gelten, die allogene Stammzelltransplantationen durchführen. Durch die neue Mindestmenge ist sichergestellt, dass in den betroffenen Krankenhäusern eine hinreichende Qualität der Leistungserbringung, insbesondere hinsichtlich der Erfahrung des medizinischen sowie des pflegerischen Personals, aber auch mit Bezug auf die vorgehaltene Versorgungsinfrastruktur, besteht. Aufgrund des indikationsübergreifenden Geltungsbereichs der Mindestmenge treffen diese Feststellungen ebenfalls auf die Anwendung der allogenen Stammzelltransplantation bei Multiplem Myelom jenseits der Erstlinientherapie zu, deren Nutzen gegenwärtig im Rahmen einer Erprobungsstudie des G-BA überprüft wird. Die Qualitätsvorgaben werden angesichts der Mindestmengen-Regelung und in Abwägung mit dem einhergehenden Verwaltungs- und Bürokratieaufwand bei den betroffenen Krankenhäusern, der gesetzlichen Krankenversicherung und den medizinischen Diensten, der durch Doppelregelungen entstehen könnte, nicht mehr für verhältnismäßig erachtet. Um Rechtsrisiken für die Krankenhäuser auszuschließen, wurde von einem rückwirkenden Inkrafttreten abgesehen. Die Maßnahmen zur Qualitätssicherung der allogenen Stammzelltransplantation bei Multiplem Myelom und der Verweis auf den Beschluss über Maßnahmen zur Qualitätssicherung (Nummer 12) in der Anlage „Richtlinien gemäß Abschnitt 2 Teil B“ der Richtlinie nach § 137 Absatz 3 SGB V zu Kontrollen des Medizinischen Dienstes nach § 275a SGB V sowohl für die Anwendung in der Erstlinientherapie als auch für die Anwendung jenseits der Erstlinientherapie werden deshalb am Tag nach der Veröffentlichung im Bundesanzeiger aufgehoben. Der Verweis auf den QS-Beschluss in Anlage II Abschnitt A Nr. 11.3 KHMe-RL wird konsekutiv ebenso gestrichen.

2.5 Würdigung der Stellungnahmen

Aufgrund der zustimmenden Stellungnahmen wurden keine Änderungen im Beschlussentwurf vorgenommen.

⁷ Qualitätssicherungsmaßnahmen der allogenen Stammzelltransplantation bei Multiplem Myelom: <https://www.g-ba.de/richtlinien/134/>

3. Bürokratiekostenermittlung

Mit vorliegendem Beschluss zur Aufhebung des Beschlusses über Maßnahmen zur Qualitätssicherung und der MD-Qualitätskontroll-Richtlinie im Rahmen der allogenen SZT bei Multiplem Myelom werden bislang bestehende Informationspflichten für Leistungserbringerinnen und Leistungserbringer im Sinne von Anlage II zum 1. Kapitel Verfo abgeschafft:

Für die Abbildung der Entlastungen wird im Folgenden Bezug genommen auf die mit Erstbeschluss vom 19. Januar 2017 (<https://www.g-ba.de/beschluesse/2845/>) und mit Beschluss vom 20. Oktober 2022 (<https://www.g-ba.de/beschluesse/5691/>) ausgewiesenen Bürokratiekosten:

Ausgehend von den bislang bezifferten Kosten für das gemäß § 4 geregelte Nachweisverfahren in den Folgejahren reduzieren sich mit Aufhebung des o. g. Beschlusses die jährlich entstehenden Bürokratiekosten in Höhe von geschätzt 4.480 Euro.

Mit Aufhebung des Abschnitts 2 Teil B Nummer 12 der MD-Qualitätskontroll-Richtlinie durch den o. g. Beschlusses entfallen zudem die jährlichen Bürokratiekosten in Höhe von 2.660 Euro, welche mit einer angemeldeten Kontrolle vor Ort in Form einer Stichprobenprüfung einhergehen.

Auch die Übermittlung der Daten zum klinischen Zustand von Patientinnen und Patienten an das Deutsche Register für Stammzelltransplantation gemäß Abschnitt 1 § 1 Absatz 3 entfällt künftig. Somit fallen die ursprünglich veranschlagten Bürokratiekosten in Höhe von 84 Euro nicht mehr an.

Des Weiteren entfällt mit Aufhebung des o. g. Beschlusses die Dokumentation von Teambesprechungen und die damit bisher einhergehenden jährlichen Bürokratiekosten in Höhe von 10.500 Euro.

Insgesamt entstehen infolge der Aufhebung des o. g. Beschlusses Entlastungen der jährlichen Bürokratiekosten in Höhe von geschätzt 17.724 Euro.

4. Verfahrensablauf

Datum	Gremium	Beratungsgegenstand / Verfahrensschritt
19.01.2017	Plenum	Beschluss über Änderung der KHMe-RL: Aussetzung des Bewertungsverfahrens bis 01.07.2021
18.08.2022	Plenum	Beschluss über die Verlängerung der Aussetzung bis zum 31.12.2024
10.10.2024	UA MB	Vorlage der Beschlussempfehlung, Festlegung der am Stellungnahmeverfahren zu beteiligenden Fachgesellschaften und Einleitung des Stellungnahmeverfahrens gemäß § 91 Abs. 5 sowie § 92 Abs. 7d SGB V
28.11.2024	UA MB	Würdigung der Stellungnahmen und abschließende Beratungen im UA MB

Datum	Gremium	Beratungsgegenstand / Verfahrensschritt
19.12.2024	Plenum	Beschluss über die Verlängerung der Aussetzung

5. Fazit

Die Aussetzung der Bewertungsverfahren zur autologen Mehrfachtransplantation (Tandemtransplantation) bei Multiplem Myelom und zur allogenen SZT bei Multiplem Myelom in der Erstlinientherapie wird bis zum 31. Dezember 2026 verlängert. Der Beschluss zu Maßnahmen zur Qualitätssicherung der allogenen SZT bei Multiplem Myelom wird am Tag nach der Veröffentlichung im Bundesanzeiger aufgehoben.

Berlin, den 19. Dezember 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken