

Konkretisierung des Auftrags des Gemeinsamen Bundesausschusses an das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen:

Bewertung eines Neugeborenen-Screenings auf Metachromatische Leukodystrophie (MLD) gemäß § 135 Absatz 1 i. V. m. § 26 SGB V

Vom 12. Dezember 2024

Mit Schreiben vom 28. Oktober 2024 wurde durch die Patientenvertretung nach § 140f SGB V die Bewertung eines Neugeborenen-Screenings auf Metachromatische Leukodystrophie (MLD) gemäß § 135 Absatz 1 i. V. m. § 26 SGB V beantragt.

Der Unterausschuss Methodenbewertung hat in seiner Sitzung am 12. Dezember 2024 in Delegation für das Plenum vorbehaltlich der Beschlussfassung über die Einleitung eines Beratungsverfahrens am 16. Januar 2025 beschlossen, das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Bewertung eines Neugeborenen-Screenings auf MLD gemäß § 135 Absatz 1 i. V. m. § 26 SGB V gemäß § 139b Absatz 1 Satz 1 in Verbindung mit § 139a Absatz 3 SGB V zu beauftragen.

Dieser Auftrag wird im Folgenden konkretisiert.

I. Auftragsgegenstand und –umfang

Zur Nutzenbewertung soll das IQWiG gemäß § 139a Absatz 3 Nummer 1 SGB V die Recherche, Darstellung und Bewertung des aktuellen Wissensstandes zur Anwendung eines Neugeborenen-Screenings auf MLD gemäß § 135 Absatz 1 i. V. m. § 26 SGB V zu folgenden Fragestellungen durchführen:

- Hat das Neugeborenen-Screening auf MLD unter Verwendung von Trockenblut der Filterpapierkarte einen Nutzen und ggf. Schaden hinsichtlich patientenrelevanter Endpunkte (Mortalität, Morbidität und Lebensqualität)?

Dabei ist insbesondere zu prüfen:

- Kann im Vergleich zum jetzigen klinischen Vorgehen durch die Vorverlegung der Diagnosestellung und Behandlung ein besseres Überleben bzw. günstigerer Krankheitsverlauf für Kinder mit MLD erreicht werden?
- Welche diagnostischen Testverfahren sind für ein Screening geeignet (Metabolite, Cut-off-Werte, Sensitivität, Spezifität, positiver prädiktiver Wert)? Wenn Testkombinationen verwendet werden, wie und in welcher Reihenfolge sollten sie eingesetzt werden?

Die Bewertung hat unter Beachtung des 2. Kapitels der Verfahrensordnung des G-BA zu erfolgen.

Die Erkenntnisse aus den beim G-BA im Zusammenhang mit der Ankündigung des Bewertungsverfahrens eingegangenen Ersteinschätzungen sowie eine daraus möglicherweise

resultierende Auftragsanpassung durch den G-BA sind im Rahmen dieses Auftrages zu berücksichtigen.

Die Arbeitsergebnisse sollen eine Grundlage für die Bewertung des G-BA bilden, ob die Methode für eine ausreichende, zweckmäßige und wirtschaftliche Versorgung der Versicherten insbesondere unter Berücksichtigung des gegenwärtigen Standes der medizinischen Erkenntnisse erforderlich ist.

Ergebnisse oder Teilergebnisse der Auftragsbearbeitung sind innerhalb einer angemessenen Frist vor einer Veröffentlichung durch das IQWiG dem G-BA zuzuleiten.

Falls bei der Literaturrecherche zum Nutzen auch relevante Studien identifiziert werden, die sich mit Fragen der Wirtschaftlichkeit der Methode beschäftigen, sollen diese Studien dem G-BA ebenfalls zur weiteren Bewertung übermittelt werden.

II. Weitere Auftragspflichten

Mit dem Auftrag wird das IQWiG gemäß 1. Kapitel § 16d der Verfahrensordnung des G-BA verpflichtet

- a) die jeweils gültige Verfahrensordnung zu beachten,
- b) in regelmäßigen Abständen über den Stand der Bearbeitung zu berichten,
- c) den Gremien des G-BA für Rückfragen und Erläuterungen auch während der Bearbeitung des Auftrages zur Verfügung zu stehen und
- d) die durch die Geschäftsordnung des G-BA bestimmte Vertraulichkeit der Beratungen und Beratungsunterlagen zu beachten.

Nach Abschluss des schriftlichen Stellungnahmeverfahrens zum Vorbericht des IQWiG sind die schriftlichen Stellungnahmen unverzüglich dem G-BA zur vertraulichen Kenntnisnahme zu übermitteln.

III. Unterlagen zum Auftrag

Mit diesem Auftrag werden dem Institut folgende Unterlagen zugeleitet:

- Antrag der Patientenvertretung vom 28. Oktober 2024 (inklusive übermittelter Literatur),
- Beschluss zur Annahme des Antrags auf Bewertung eines Neugeborenen-Screenings auf MLD gemäß § 135 Absatz 1 i. V. m. § 26 SGB V durch den G-BA vom 16. Januar 2025,
- Beschluss zur Beauftragung des IQWiG vom 12. Dezember 2024,
- Fragebogen zur strukturierten Einholung von Einschätzungen anlässlich der Ankündigung des Bewertungsverfahrens,
- Einschätzungen anlässlich der Ankündigung des Bewertungsverfahrens (werden nach Abschluss des Einschätzungsverfahrens nachgereicht).

IV. Abgabetermin

Die Abgabe der Auftragsergebnisse an den G-BA soll bis **12 Monate nach Auftragserteilung** erfolgen.