

Kurzfassung

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat mit Schreiben vom 27.05.2021 das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) in Ergänzung des Auftrags H20-05 beauftragt, mögliche Eckpunkte einer registerbasierten, nicht randomisierten Studie in Ergänzung zur randomisierten Erprobungsstudie zu beschreiben.

Fragestellung

Ziel der vorliegenden Untersuchung ist, für den Transkraniellen Magnetresonanz-gesteuerten fokussierten Ultraschall zur Behandlung des medikamenten-resistenten essenziellen Tremors bei Patientinnen und Patienten, die für eine Tiefe Hirnstimulation infrage kommen,

- mögliche Eckpunkte einer registerbasierten, nicht randomisierten Studie zu beschreiben

in Ergänzung zu der in der §-137h-Bewertung H20-05 skizzierten randomisierten Erprobungsstudie.

Eckpunkte einer registerbasierten Studie

Die Skizzierung einer registerbasierten Studie in Ergänzung zur randomisierten Erprobungsstudie erfolgt vor dem Hintergrund, dass die Indikation extrem selten ist. Dies führt in einigen Aspekten der Studienplanung zu einem pragmatischen Vorgehen. Die Eckpunkte der registerbasierten Studie umfassen die Empfehlung, eine Studie mit prospektivem Design zu konzipieren. Die Fragestellung (Population, Intervention, Comparator, Outcomes) entspricht derjenigen der in H20-05 skizzierten, randomisierten Erprobungsstudie. Wesentliche Komponenten der Studienplanung sind ein explizites, vor Beginn der Datenerhebung finalisiertes Studienprotokoll, das insbesondere die Präspezifikation möglicher Confounder umfasst und Angaben zu Umfang und Dauer der Datenerhebung enthält.

Über eine Recherche nach Indikationsregistern zum essenziellen Tremor konnte kein potenziell geeignetes Register identifiziert werden. Für die Datenerhebung ist somit der Aufbau eines neuen Registers notwendig. Der notwendige Zeitraum zum Aufsetzen eines solchen neuen Registers wird – abhängig von verschiedenen Faktoren – auf ca. 1 bis 4 Jahre geschätzt. Es werden Qualitätskriterien für Indikationsregister gelistet, die dem Ziel einer möglichst hohen Ergebnisqualität dienen.

Erfolgsaussichten

Eine registerbasierte Studie, die geeignet ist, mögliche, in der randomisierten Erprobungsstudie beobachtete Effekte zu stützen, ist grundsätzlich möglich. Die Durchführung einer solchen registerbasierten Studie ist mit einem hohen Aufwand verbunden, u. a. da bislang kein geeignetes Register bekannt ist und dementsprechend der Aufbau eines neuen Registers erforderlich ist. Aufgrund der extremen Seltenheit der Indikation wird die Planung der Studie in einigen Aspekten einem pragmatischen Ansatz folgen müssen. Dennoch könnten nach einigen Jahren die Ergebnisse herangezogen werden, um mögliche, in der randomisierten

Erprobungsstudie beobachtete Effekte zu stützen. Für den Fall, dass in die randomisierte Erprobungsstudie weniger als erwartet und damit letztendlich nicht ausreichend rekrutiert wird, könnte eine solche registerbasierte Studie zumindest als eine grobe Orientierung für eine Richtlinienentscheidung am Ende der Erprobung dienen. Die Aussagekraft wird vor allem davon abhängen, wie viele Patientinnen und Patienten letztlich in dem Register erfasst werden. Gegenüber dem Status Quo würde mit der randomisierten Erprobungsstudie und der skizzierten, ergänzenden registerbasierten Studie für die vorliegende extrem seltene Indikation die beste Datenbasis geschaffen werden, die unter den gegebenen Umständen in Deutschland möglich ist.

Eine Möglichkeit, um mehr Patientinnen und Patienten in die registerbasierte Studie einzuschließen und damit die Aussagekraft zu erhöhen, liegt in einer internationalen Öffnungsoption der Studie.