



zur Einholung der medizinischen Expertise von klinischen Sachverständigen

Hintergrund

Bei der folgenden Fragensammlung handelt es sich um einen Leitfaden für ein halbstandardisiertes Interview. Bei der Nutzenbewertung von Orphan Drugs kann dieser Interviewleitfaden dem G-BA zur Einholung der Perspektive von klinischen Sachverständigen zum Krankheitsbild und zu Endpunkten, z. B. im Rahmen von klinischen Relevanzeinschätzungen, dienen.

Interviewleitfaden zur Einholung der Einschätzung von klinischen Sachverständigen

Fragen zur Erkrankung <<wird vom G-BA eingesetzt>>

1. Wie sieht der natürliche Krankheitsverlauf aus? Welche Lebenserwartung haben die Betroffenen?
 - a) Welche Symptome und Beeinträchtigungen treten im Zuge der Erkrankung auf?
 - b) Welche davon sind für die Betroffenen besonders relevant oder beeinträchtigend?
2. Sind Patientengruppen bei der Behandlung der Erkrankung gegebenenfalls gesondert zu betrachten und wenn ja, welche?
3. An welchen Kriterien wird die Behandlungsbedürftigkeit gemessen?
4. Was ist derzeit die therapeutische Standardbehandlung bzw. welche therapeutischen Optionen werden genutzt? Was sind die Vor- und Nachteile der vorhandenen Optionen?
5. Welche Behandlungserfolge sind nach dem derzeitigen medizinischen Kenntnisstand bei der Erkrankung möglich? Welche Behandlungserfolge wären darüber hinaus wünschenswert?
6. Welche Beschwerden im Zusammenhang mit der Erkrankung stehen für die Betroffenen im Vordergrund? Welches sind aus Ihrer Sicht die patientenrelevanten Endpunkte für die Messung des Therapieerfolgs?

Optional: Spezifische Fragen zu <<Endpunkt>> im Kontext der Erkrankung

- a) Wie wirkt sich die Erkrankung auf <<den Endpunkt>> aus? Bzw. wie ist <<der Endpunkt>> bei den Betroffenen ausgeprägt?
- b) Wie ist der Stellenwert von <<dem Endpunkt>> für die Betroffenen einzuordnen?
- c) *Bei Endpunkten, die als Häufigkeiten (z. B. Anzahl von Anfällen) oder Zeitlängen (Dauer von Schmerzen) gemessen werden:*

Gibt es Unterschiede (z. B. zu Ablauf, Schwere, Intensität) je <<gezähltem Merkmal>>?
Bitte beschreiben Sie exemplarisch <<das gezählte Merkmal>> bzw. ggf. die verschiedenen <<gezählten Merkmale>> und die Unterschiede.
- d) Inwiefern zeigen sich im Verlauf der Erkrankung Veränderungen <<des Endpunktes>> (positive/negative)?
- e) Treten im natürlichen Verlauf der Erkrankung z. B. kurzzeitige oder phasenweise Verbesserungen oder Verschlechterungen <<des Endpunktes>> bei den Betroffenen auf? Falls ja, bitte beschreiben Sie diese.
- f) Ist es sinnvoll, zwischen verschiedenen Personengruppen zu unterscheiden (z. B. anhand von Alter, Geschlecht, Ethnie, Krankheitsdauer, Erkrankungssubtyp, Krankheitsstadium etc.)?
- g) Gibt es bestimmte Ausprägungen <<des Endpunktes>>, die aus klinischer Sicht bei Erreichen eine besondere Bedeutung haben (positiv oder negativ)?
- h) Inwiefern beeinflusst <<der Endpunkt / beeinflussen die Beeinträchtigungen durch den Endpunkt>> die Aktivitäten des täglichen Lebens der Betroffenen?

- i) In welchem Umfang sind Betroffene aufgrund der Einschränkungen im Zusammenhang mit <<dem Endpunkt>> auf Hilfe oder auf Hilfsmittel angewiesen?
 - j) Bei welchen Veränderungen <<des Endpunktes>> würde man von einem Behandlungserfolg bzw. -misserfolg sprechen (z. B. „Versagen der Behandlung“ bei progredienten Krankheitsbildern)?
 - k) *Im Fall von pädiatrischen Betroffenen:*
Ab welchem Alter treten erste Beeinträchtigungen bzgl. <<des Endpunktes>> auf?
7. Durch welche Nebenwirkungen wird der Therapieerfolg jeweils beeinflusst?
8. Gibt es von Ihrer Seite noch etwas, das Sie dem G-BA gerne zu dem Thema mitgeben würden?