

## **Konkretisierung des Auftrags des Gemeinsamen Bundesausschusses an das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen: Bewertung eines Screenings auf schwere kombinierte Immundefekte**

Vom 30. Juli 2015

Mit Schreiben vom 26. November 2014 wurde durch den GKV-Spitzenverband die Bewertung eines Screenings auf schwere kombinierte Immundefekte bei Neugeborenen nach § 26 SGB V i.V.m. nach § 135 Abs. 1 SGB V beantragt.

Der Unterausschuss Methodenbewertung hat in seiner Sitzung am 30. Juli 2015 beschlossen, das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Bewertung eines Screenings auf schwere kombinierte Immundefekte bei Neugeborenen nach § 26 SGB V gemäß §§ 139b Abs. 1 S. 1 i.V.m. 139a Abs. 3 SGB V zu beauftragen.

Dieser Auftrag wird im Folgenden konkretisiert.

### **I. Auftragsgegenstand und –umfang**

Zur Nutzenbewertung soll das IQWiG gemäß § 139a Abs. 3 Nr. 1 SGB V die Recherche, Darstellung und Bewertung des aktuellen Wissensstandes zur Anwendung eines Screenings auf schwere kombinierte Immundefekte bei Neugeborenen zu folgenden Fragestellungen durchführen:

- Hat das Screening auf schwere kombinierte Immundefekte 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 kurativen Therapie ein besseres Überleben für Kinder mit schweren kombinierten Immundefekten erreicht werden?
  - Kann durch ein Neugeborenscreening auf SCID eine gesundheitliche Gefährdung bei Kindern mit Immundefekten verhindert werden?
  - Welche diagnostischen Testverfahren sind für ein Screening geeignet (Cut-off-Werte, Sensitivität, Spezifität, ppV)? Kann der Test in die bisher schon praktizierte Diagnostik integriert werden, in dem beispielsweise Filterkartenblut verwendet wird? Wenn Testkombinationen verwendet werden, wie und in welcher Reihenfolge sollten sie eingesetzt werden?
- Sind die bisher vorliegenden Studienergebnisse hinsichtlich der Prävalenz auf den deutschen Versorgungskontext übertragbar?

Die Bewertung hat unter Beachtung des 2. Kapitels § 13 Abs. 2 Verfo zu erfolgen.

Die beim G-BA im Zusammenhang mit der Ankündigung des Bewertungsverfahrens eingegangenen Einschätzungen 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 Institut 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 Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen gemäß 1. Kapitel § 20 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.

## **III. Unterlagen zum Auftrag**

Mit diesem Auftrag werden dem Institut folgende Unterlagen zugeleitet:

- Antrag des GKV-Spitzenverbandes vom 26. November 2014
- Beschluss zur Annahme des Antrags auf Überprüfung eines Screenings auf schwere kombinierte Immundefekte durch den G-BA vom 19. Februar 2015
- Beschluss zur Beauftragung des IQWiG vom T. Monat JJJJ
- Fragenkatalog zur strukturierten Einholung von Einschätzungen anlässlich der Ankündigung des Bewertungsverfahrens
- Einschätzungen anlässlich der Ankündigung des Bewertungsverfahrens.