

Beschluss

des Innovationsausschusses beim Gemeinsamen Bundesausschuss gemäß § 92b Absatz 3 SGB V zum abgeschlossenen Projekt *SELECT* (01VSF22003)

Vom 23. Mai 2025

Der Innovationsausschuss beim Gemeinsamen Bundesausschuss hat im schriftlichen Verfahren am 23. Mai 2025 zum Projekt *SELECT - S3 Guideline für Cystinose* (01VSF22003) folgenden Beschluss gefasst:

- I. Die neuentwickelte S3-Leitlinie wird der Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften (AWMF) e. V. zur Veröffentlichung im AWMF Leitlinien-Register zur Verfügung gestellt.

Begründung

Ziel des Projekts war die Entwicklung einer S3-Leitlinie für Patientinnen und Patienten aller Altersgruppen mit der Diagnose Cystinose. Die Pathogenese der Erkrankung ist nach wie vor ungeklärt und führt bei Betroffenen häufig zu Zell- und Organschädigungen fast aller Organe. Erst mit der Einführung der medikamentösen Therapie ‚Cysteamin‘ sowie der Möglichkeit einer Nierenersatztherapie Anfang der 80iger Jahre, können Betroffene das Erwachsenenalter überleben. Bei den jetzigen Erwachsenen Cystinose-Patientinnen und -Patienten handelt es sich damit um die erste Erwachsenengeneration, wodurch insbesondere der Krankheitsverlauf als auch mögliche Therapienebenwirkungen kritisch beobachtet werden müssen.

Aufgrund der Seltenheit der Erkrankung wurde die Leitlinie in Zusammenarbeit mit nationalen und internationalen Kooperationspartnern sowie Selbsthilfeorganisationen erstellt und wird sowohl national als auch international implementiert.

Die im Rahmen dieses Projekts neuentwickelte S3-Leitlinie zur Behandlung der Cystinose bietet evidenzbasierte Empfehlungen für die Diagnostik, Therapie und Prävention sowie für den Übergang in die Erwachsenenmedizin. Dadurch wird den an der Versorgung beteiligten Ärztinnen und Ärzten sowie Therapeutinnen und Therapeuten eine Orientierung gegeben, welche Maßnahmen zu welchem Zeitpunkt indiziert sind. Somit kann die Versorgungsqualität mithilfe von evidenzbasierten Empfehlungen für die klinische Praxis gesteigert werden. Die S3-Leitlinie weist eine hohe methodische und fachliche Qualität auf, ist leicht zugänglich und unterstützt die praktische Anwendung durch prägnante Formulierungen. Die miterstellte Leitlinie für Patientinnen und Patienten stellt für Betroffene eine evidenzbasierte Information zur Verfügung.

Die neu entwickelte S3-Leitlinie erfüllt die Kriterien des AWMF-Regelwerks für S3-Leitlinien und damit die Voraussetzung zur Ausschöpfung ihres Potentials zur Verbesserung der Versorgung entsprechend der Antragstellung.

- II. Dieser Beschluss sowie der Ergebnisbericht des Projekts *SELECT* werden auf der Internetseite des Innovationsausschusses beim Gemeinsamen Bundesausschuss unter www.innovationsfonds.g-ba.de veröffentlicht.
- III. Der Innovationsausschuss beauftragt seine Geschäftsstelle mit der Weiterleitung der gewonnenen Erkenntnisse des Projekts *SELECT* an die unter I. genannte Institution.

Berlin, den 23. Mai 2025

Innovationsausschuss beim Gemeinsamen Bundesausschuss
gemäß § 92b SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken