

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Einstellung der Nutzenbewertung nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) von Melphalanflufenamid (neues Anwendungsgebiet: Multiples Myelom, refraktär, nach 2 Vortherapien, in Kombination mit Dexamethason)

Vom 4. April 2024

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung	3
4.	Verfahrensablauf	3

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Hierzu gehört insbesondere die Bewertung des Zusatznutzens und seiner therapeutischen Bedeutung. Die Nutzenbewertung erfolgt aufgrund von Nachweisen des pharmazeutischen Unternehmers, die er einschließlich aller von ihm durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen spätestens zum Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens als auch der Zulassung neuer Anwendungsgebiete des Arzneimittels an den G-BA elektronisch zu übermitteln hat, und die insbesondere die folgenden Angaben enthalten müssen:

1. zugelassene Anwendungsgebiete,
2. medizinischer Nutzen,
3. medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie,
4. Anzahl der Patienten und Patientengruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht,
5. Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung,
6. Anforderung an eine qualitätsgesicherte Anwendung.

Der G-BA kann das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Nutzenbewertung beauftragen. Die Bewertung ist nach § 35a Absatz 2 SGB V innerhalb von drei Monaten nach dem maßgeblichen Zeitpunkt für die Einreichung der Nachweise abzuschließen und im Internet zu veröffentlichen. Nach § 35a Absatz 3 SGB V beschließt der G-BA über die Nutzenbewertung innerhalb von drei Monaten nach ihrer Veröffentlichung. Der Beschluss ist im Internet zu veröffentlichen und ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Der Wirkstoff Melphalanflufenamid wurde am 17. August 2022 erstmals als Arzneimittel zugelassen (Pepaxti). Die Zulassung erfolgte für das Anwendungsgebiet:

„Pepaxti ist in Kombination mit Dexamethason zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit multiplen Myelom angezeigt, die zuvor mindestens drei Therapielinien erhalten haben, deren Erkrankung gegenüber mindestens einem Proteasom-Inhibitor, einem immunmodulatorischen Mittel und einem monoklonalen CD38-Antikörper refraktär ist und die ein Fortschreiten der Erkrankung während oder nach der letzten Therapie gezeigt haben. Bei Patienten mit vorangegangener autologer Stammzelltransplantation sollte die Zeit bis zur Progression nach der Transplantation mindestens 3 Jahre betragen“

Nachdem der Wirkstoff Melphalanflufenamid erstmalig zum 1. Oktober 2022 in Verkehr gebracht worden ist, hat der G-BA eine Nutzenbewertung nach § 35a durchgeführt und die Arzneimittel-Richtlinie in Anlage XII mit Beschluss vom 16. März 2023 um den Wirkstoff Melphalanflufenamid ergänzt.

Am 14. Dezember 2023 hat Melphalanflufenamid die Zulassung für ein neues Anwendungsgebiet erhalten, das als größere Änderung des Typs 2 nach Anhang 2 Nummer 2 Buchstabe a der Verordnung (EG) Nummer 1234/2008 der Kommission vom 24. November 2008 über die Prüfung von Änderungen der Zulassungen von Human- und Tierarzneimitteln (ABl. L 334 vom 12.12.2008, Satz 7) eingestuft wird.

Der pharmazeutische Unternehmer hat am 15. Dezember bei der europäischen Zulassungsbehörde EMA einen Antrag auf Zulassungsänderung vom Typ Ib gestellt, um diese Zulassungserweiterung rückgängig zu machen.

Der pharmazeutische Unternehmer hat fristgerecht am 11. Januar 2024, d.h. spätestens innerhalb von vier Wochen nach der Unterrichtung des pharmazeutischen Unternehmers über die Genehmigung für ein neues Anwendungsgebiet, ein Dossier gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 2 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) i.V.m. 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 2 der Verfahrensordnung (VerfO) des G-BA zum Wirkstoff Melphalanflufenamid für das neue bewertungsrelevante Anwendungsgebiet „Melphalanflufenamid ist indiziert in Kombination mit Dexamethason für die Behandlung erwachsener Patienten mit multiplem Myelom, die zwei Vortherapien erhalten haben und deren Erkrankung auf Lenalidomid und die letzte Therapielinie refraktär ist“ eingereicht. Der G-BA hat das IQWiG mit der Bewertung des Dossiers beauftragt.

Am 1. Februar 2024 hat die EMA dem Antrag des pharmazeutischen Unternehmers auf Rücknahme der Zulassungserweiterung zugestimmt. Am 1. März wurde die Zulassungserweiterung für Melphalanflufenamid aufgrund des oben beschriebenen Vorgehens durch die Europäische Kommission widerrufen. Mit diesem Widerruf der Zulassungserweiterung beschränkt sich das Anwendungsgebiet von Melphalanflufenamid auf das im G-BA Beschluss vom 16. März 2023 abschließend bewertete Anwendungsgebiet. Damit liegen die tatbestandlichen Voraussetzungen für die Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 SGB V durch den G-BA für das oben genannte bewertungsrelevante neue Anwendungsgebiet nicht mehr vor.

Das anhängige Nutzenbewertungsverfahren zu Melphalanflufenamid in dem oben genannten bewertungsrelevanten neuen Anwendungsgebiet ist daher einzustellen.

3. Bürokratiekostenermittlung

Durch den vorgesehenen Beschluss entstehen keine neuen bzw. geänderten Informationspflichten für Leistungserbringer im Sinne von Anlage II zum 1. Kapitel VerfO und dementsprechend keine Bürokratiekosten.

4. Verfahrensablauf

Am 11. Januar 2024 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 2 VerfO fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Melphalanflufenamid (neues Anwendungsgebiet: Multiples Myelom, refraktär, nach 2 Vortherapien, in Kombination mit Dexamethason) beim G-BA eingereicht.

Der G-BA hat das IQWiG mit Schreiben vom 15. Januar 2024 in Verbindung mit dem Beschluss des G-BA vom 1. August 2011 über die Beauftragung des IQWiG hinsichtlich der Bewertung des Nutzens von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a SGB V mit der Bewertung des Dossiers zum Wirkstoff Melphalanflufenamid (neues Anwendungsgebiet: Multiples Myelom, refraktär, nach 2 Vortherapien, in Kombination mit Dexamethason) beauftragt.

Die Beschlussvorlage wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 26. März 2024 beraten und konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 4. April 2024 die Einstellung der Nutzenbewertung von Melphalanflufenamid (neues Anwendungsgebiet: Multiples Myelom, refraktär, nach 2 Vortherapien, in Kombination mit Dexamethason) nach § 35a SGB V beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG § 35a	20. März 2024	Beratung über die Beschlussvorlage
Unterausschuss Arzneimittel	26. März 2024	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage zur Einstellung des Nutzenbewertungsverfahrens
Plenum	4. April 2024	Beschlussfassung über die Einstellung des Nutzenbewertungsverfahrens

Berlin, den 4. April 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken