

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie
Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen
Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch
(SGB V)
Valoctocogen Roxaparvovec (schwere Hämophilie A);
Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung
und von Auswertungen - Änderung

Vom 21. September 2023

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V .	2
4.	Bürokratiekostenermittlung	3
5.	Verfahrensablauf.....	3

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V kann der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) bei den folgenden Arzneimitteln vom pharmazeutischen Unternehmer innerhalb einer angemessenen Frist die Vorlage anwendungsbegleitender Datenerhebungen und Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung fordern:

1. bei Arzneimitteln, deren Inverkehrbringen nach dem Verfahren des Artikels 14 Absatz 8 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 31. März 2004 zur Festlegung von Gemeinschaftsverfahren für die Genehmigung und Überwachung von Human- und Tierarzneimitteln und zur Errichtung einer Europäischen Arzneimittel-Agentur (ABl. L 136 vom 30.4.2004, S. 1), die zuletzt durch die Verordnung 162 Verfahrensordnung Stand: 16. Dezember 2020 (EU) 2019/5 (ABl. L 4 vom 7.1.2019, S. 24) geändert worden ist, genehmigt wurde oder für die nach Artikel 14-a der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 eine Zulassung erteilt wurde, sowie
2. bei Arzneimitteln, die zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung Nr. 141/2000 zugelassen sind.

2. Eckpunkte der Entscheidung

In seiner Sitzung am 2. Februar 2023 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Valoctocogen Roxaparvovec gemäß § 35a SGB V beschlossen.

Im Nachgang zu der Veröffentlichung des Beschlusses auf den Internetseiten des G-BA haben sich in Folge der Abstimmung des Studienprotokolls und statistischen Analyseplans mit dem pharmazeutischen Unternehmer Änderungen an den Anforderungen des G-BA hinsichtlich der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen ergeben.

Zu den Änderungen im Einzelnen

Zu 1)

Die Angaben zu den erforderlichen Endpunkten in der Endpunktkategorie Morbidität werden ergänzt. Es sollen zusätzlich behandelte Blutungen erhoben werden, die noch nicht im Rahmen der schweren Blutungen, lebensbedrohlichen Blutungen und Gelenkblutungen erfasst wurden.

Zu 2)

Bei dieser Änderung handelt es sich um eine Klarstellung der Angaben zum Zeitpunkt der einzureichenden Zwischenanalysen. Die Zwischenanalysen sind 18, 36 und 54 Monate nach dem mittels Feststellungsbeschluss zu definierendem Zeitpunkt des Beginns der anwendungsbegleitenden Datenerhebung vorzulegen.

3. Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V

Ein erneutes Beteiligungsverfahren ist nicht durchzuführen, da die vorliegenden Änderungen zumindest keine wesentlichen Änderungen im Vergleich zum Beschluss zur Forderung einer

anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen vom 2. Februar 2023 darstellen, vgl. 1. Kapitel § 14 Absatz 1 Verfahrensordnung des G-BA.

4. 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.

5. Verfahrensablauf

Im Nachgang zur Beschlussfassung vom 2. Februar 2023 über eine Änderung der AM-RL Anlage XII - Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Valoctocogen Roxaparvovec ist aufgrund der Abstimmung des Studienprotokolls und statistischen Analyseplans mit dem pharmazeutischen Unternehmer eine Änderung des Beschlusses erforderlich.

Der Sachverhalt wurde in der Arbeitsgruppe AG AbD und im Unterausschuss Arzneimittel beraten.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 21. September 2023 die Änderung der AM-RL einvernehmlich beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	21. August 2023 7. September 2023	Beratung über den Sachverhalt
Unterausschuss Arzneimittel	12. September 2023	Beratung über die Änderung des Beschlusses vom 2. Februar 2023
Plenum	21. September 2023	Beschlussfassung über die Änderung des Beschlusses vom 2. Februar 2023

Berlin, den 21. September 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken