

**Stellungnahme der hauptamtlichen unparteiischen
Mitglieder des Gemeinsamen Bundesausschusses
vom 17.01.2025**

**zum Referentenentwurf des Bundesministeriums für
Gesundheit**

**Erste Verordnung zur Änderung der Arzneimittel-
Nutzenbewertungs-Verordnung**

1. Allgemeines

Mit dem Referentenentwurf der ersten Verordnung zur Änderung der Arzneimittel-Nutzenbewertungs-Verordnung (AMNutzenv) sollen Anpassungen vorgenommen werden, um eine Verzahnung der europäischen Bewertung von Gesundheitstechnologien entsprechend der Verordnung (EU) 2021/2282 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 15. Dezember 2021 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien und zur Änderung der Richtlinie 2011/24/EU (ABl. L 458 vom 22. 12. 2021, S. 1) und der nationalen Nutzenbewertung von Arzneimitteln nach § 35a SGB V sicherzustellen.

Die hauptamtlichen unparteiischen Mitglieder des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) begrüßen ausdrücklich, dass mit der Einführung der gemeinsamen klinischen Bewertungen auf EU-Ebene Anpassungen der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung vorgeschlagen werden und die prozessualen und inhaltlichen Vorgaben des sogenannten AMNOG-Verfahrens dem Grunde nach bestehen bleiben sollen. Die hohe Qualität und die Kontinuität des nationalen Nutzenbewertungsverfahrens nach § 35a SGB V muss gewährleistet bleiben und der damit verbundene schnelle Zugang der Versicherten zu neuen Arzneimitteln in Deutschland auch weiterhin sichergestellt werden. Auch darf die Integration des europäischen Verfahrens zur Bewertung von Gesundheitstechnologien (Health Technology Assessment, kurz HTA) keine negativen Folgen für die Wirtschaftlichkeit der Arzneimittelversorgung in Deutschland etwa in Form genereller Preissteigerungen nach sich ziehen. In diesem Zusammenhang kommt der aus Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a Satz 2 Verordnung (EU) 2021/2282 abzuleitenden Gewährleistung, dass Schlussfolgerungen zum gesamten, klinischen Zusatznutzen im Kontext des deutschen Gesundheitssystems auch künftig vollständig in der Zuständigkeit des G-BA verbleiben, eine stabilisierende Rolle zu.

Des Weiteren muss der Gleichbehandlungsgrundsatz für Arzneimittel, die der gemeinsamen klinischen Bewertung auf EU-Ebene unterliegen, und Arzneimittel, die weiterhin allein im nationalen AMNOG-Verfahren bewertet werden, gelten und in gleicher Weise die Transparenz in Bezug auf die Veröffentlichung von Studienergebnissen und -methodik gewährleistet sein.

Aus Sicht der hauptamtlichen unparteiischen Mitglieder des G-BA ist für die Verzahnung zwischen europäischer und nationaler Nutzenbewertung wesentlich zu beachten, dass mindestens bis in das Jahr 2030 eine Parallelität zwischen nationalen Nutzenbewertungen mit vorgeschalteter gemeinsamer klinischer Bewertung auf EU-Ebene sowie rein nationalen Nutzenbewertungen bestehen wird. Es darf für die Verfahren mit vorgeschalteter EU-Bewertung aufgrund des Gleichbehandlungsgrundsatzes (Artikel 3 Absatz 1 Grundgesetz) mit Blick auf die Eingriffsintensität entsprechender Beschlüsse des G-BA mit nachfolgender Erstattungs-betragsvereinbarung keine Änderung der Bewertungsmaßstäbe der deutschen Nutzenbewertung verbunden sein. Dies sichert die nach der Verordnung (EU) 2021/2282 vorgesehene nationale Bewertungskompetenz, insbesondere die Kompetenz, Schlussfolgerungen aus der auf europäischer Ebene ermittelten Datenbasis zu ziehen.

Es muss daher auch für Verfahren mit vorgeschalteter europäischer Bewertung klargestellt werden, dass die Mindestinhalte des Dossiers in § 4 AM-Nutzenv näher bestimmt und durch die nationalen Dossievorlagen als Anlagen zur Verfahrensordnung des G-BA operationalisiert

werden. Die Berichte über eine gemeinsame klinische Bewertung (JCA-Berichte) nach Artikel 9 Absatz 1 Satz 2 Verordnung (EU) 2021/2282 enthalten keine Werturteile oder Schlussfolgerungen zum gesamten klinischen Zusatznutzen der bewerteten Gesundheitstechnologien und beschränken sich auf die Beschreibung der wissenschaftlichen Analyse der relativen Effekte des Arzneimittels und der Aussagesicherheit dieser Effekte. Gleichzeitig ist es den Mitgliedstaaten unbenommen – worauf die Verordnungsbegründung zutreffend verweist –, für die Zwecke des nationalen HTA-Verfahrens erforderliche ergänzende klinische Analysen durchzuführen und hierfür gegebenenfalls zusätzliche Informationen, Daten, Analysen und sonstige Nachweise anzufordern (Erwägungsgrund 15 Verordnung (EU) 2021/2282). Zur Gewährleistung einer dem Gleichbehandlungsgrundsatz entsprechenden konsistenten Bewertung des Zusatznutzens ist daher über die einheitliche Geltung der Dossierunterlagen Sorge dafür zu tragen, dass für Arzneimittel mit und ohne vorgeschaltetes EU-HTA-Verfahren dieselben Mindestanforderungen gelten.

Während die rein national eingereichten Dossiers regulär nach § 9 Absatz 1 Satz 1 AMNutzenV auf der Internetseite des G-BA veröffentlicht werden, wird das europäische Dossier auf der öffentlich zugänglichen Internetseite der IT-Plattform des EU-HTA-Systems bekannt gemacht. Der pharmazeutische Unternehmer muss bei der Europäischen Kommission anzeigen, dass konkrete Inhalte des europäischen Dossiers Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse darstellen beziehungsweise aufgrund des Schutzes personenbezogener Daten als vertraulich zu handhaben sind. Die Entscheidung über die Veröffentlichung solcher Informationen oder ihre etwaige Unkenntlichmachung beziehungsweise Schwärzung liegt nach Artikel 20 Durchführungsverordnung (EU) 2024/1381 in der Zuständigkeit der Europäischen Kommission, bezieht aber die Sichtweise der JCA Subgruppe mit ein.

Es muss definiert werden, welche Kriterien für die Entscheidung über die Vertraulichkeit von Unterlagen herangezogen werden, um eine einheitliche Einordnung der Angaben zu ermöglichen. An dieser Stelle muss gewährleistet werden, dass die Grundlagen im Dossier, auf die sich die gemeinsame klinische Bewertung stützt, frei von Betriebs- und Geschäftsgeheimnissen und vollständig für die Veröffentlichung geeignet sind. Insbesondere dürfen aus Sicht der hauptamtlichen unparteiischen Mitglieder alle Angaben zu Studienmethodik und -ergebnissen auch auf EU-Ebene nicht als vertraulich eingestuft werden. Eine Bezugnahme auf geschwärzte Inhalte des europäischen Dossiers widerspräche dem Transparenzansatz in Deutschland und würde insbesondere das auf nationaler Ebene durchzuführende Stellungnahmeverfahren massiv beeinträchtigen.

Zudem wird darauf hingewiesen, dass es unbenommen des nach der Verordnung (EU) 2021/2282 geltenden **Gebots**, dass Entwickler von Gesundheitstechnologien „auf nationaler Ebene keine Informationen, Daten, Analysen oder sonstigen Nachweise vor[legen], die bereits auf Unionsebene vorgelegt wurden“, in der alleinigen Hoheit des pharmazeutischen Unternehmers verbleibt, zu entscheiden, inwieweit er auf Angaben aus dem europäischen Dossier für die Nutzenbewertung nach § 35a SGB V verweist und welche Daten er in seinem nationalen Dossier ergänzend vorlegt.

Die vorgesehene Beibehaltung des Zeitpunktes für die Übermittlung des AMNOG-Dossiers und der Fristen für das Bewertungsverfahren dienen der Planungssicherheit aller am Verfahren Beteiligten. Die vorsorglich gesehene Befugnis, das nationale Verfahren im Falle einer

Verzögerung auf europäischer Ebene für bis zu drei Monate nach Zulassung auszusetzen, wird dabei als notwendig und sachgerecht bewertet.

Über diese Erwägungen hinaus nehmen die hauptamtlichen unparteiischen Mitglieder entsprechend der Betroffenheit des G-BA zu dem zugrundeliegenden Referentenentwurf des Bundesministeriums für Gesundheit (BMG) im nachfolgenden Umfang Stellung und unterbreiten des Weiteren einen Vorschlag zur Klarstellung der Begriffsbestimmung des Unterlagentextes.

2. Einzelbemerkungen

Zu Nummer 2

„2. § 4 wird wie folgt geändert:

a) Absatz 1 Satz 1 wird wie folgt geändert:

aa) In Nummer 6 wird der Punkt am Ende durch ein Komma ersetzt.

bb) Folgende Nummer 7 wird angefügt:

7. „die Anzahl der Prüfungsteilnehmer an den vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen des Arzneimittels, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des Fünften Buches Sozialgesetzbuch teilgenommen haben, und die Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer.“

b) Nach Absatz 2 wird folgender Absatz 2a eingefügt:

„(2a) Wurde für das Arzneimittel nach Artikel 10 Absatz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282 ein Dossier zur Durchführung einer gemeinsamen klinischen Bewertung vorgelegt und wurde die Bewertung nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, sind die im vorgelegten Dossier enthaltenen sowie die gemäß Artikel 10 Absatz 5 Satz 2 oder Artikel 11 Absatz 2 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 nachgereichten Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise (europäisches Dossier) nicht an den Gemeinsamen Bundesausschuss zu übermitteln. Der pharmazeutische Unternehmer bestimmt im Dossier, inwieweit das europäische Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein soll, indem er auf die dortigen Informationen, Daten, Analysen oder sonstigen Nachweise Bezug nimmt.“

Bewertung:

zu 2a):

Die vorgesehene Ergänzung der Nummer 7 zur Anzahl der Prüfungsteilnehmer an den vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen seines Arzneimittels entsprechend § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V ist folgerichtig. Ergänzend wird angeregt, die mit dem Medizinforschungsgesetz vom 23. Oktober 2024 (BGBl. I Nr. 324) in § 35a Absatz 3 Satz 5 und 6 eingeführte, damit korrespondierende Feststellung auf Beschlussebene auch in § 7 Absatz 4 der Verordnung zu ergänzen (siehe unter III.).

zu 2b):

Der vorgelegte Entwurf der Regelung in § 4 Absatz 2a AM-NutzenV zum Verhältnis eines bereits auf europäischer Ebene vorgelegten europäischen Dossiers zu dem auf nationaler Ebene nach § 4 AM-NutzenV einzureichenden Dossier ist insofern zu begrüßen, als sie eine Verweisungsmöglichkeit auf bereits vorgelegte Daten, Analysen oder sonstigen Nachweise enthält. Damit wird der Regelung in Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe d) Verordnung (EU) 2021/2282 Rechnung getragen, wonach die Mitgliedsstaaten bei der Durchführung einer nationalen HTA-Bewertung, für die eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet wurde, Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise, die der Entwickler der Gesundheitstechnologie gemäß Artikel 10 Absatz 1 oder 5 bereits auf Unionsebene eingereicht hat, nicht auf nationaler Ebene anfordern. Zudem ist es begrüßenswert, dass die Regelung laut Verordnungsbegründung dazu dienen soll, dass das bekannte Verfahren der Dossiereinreichung beim G-BA einschließlich der vorgegebenen Übermittlungszeitpunkte bestehen bleiben kann.

Mit Blick auf die reibungslose Verzahnung sollte die Rechtsklarheit noch stärker in den Vordergrund gerückt werden, um so die Planungssicherheit aller am Verfahren Beteiligter zu gewährleisten. Demzufolge regt der G-BA an, auf Basis der bislang lediglich in der Verordnungsbegründung niedergelegten Vorgaben zu den Auswirkungen der Regelung in den verschiedenen Verfahrensschritten, Anpassungen am Wortlaut der vorgeschlagenen Regelung vorzunehmen.

Zu Absatz 2a Satz 1 – Gefahr der Missinterpretation:

Hinsichtlich der Formulierung in § 4 Absatz 2a Satz 1 des Entwurfs, dass die im europäischen Dossier vorgelegten Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise im Falle eines eingeleiteten Verfahrens der gemeinsamen klinischen Bewertung auf europäischer Ebene „nicht an den Gemeinsamen Bundesausschuss zu übermitteln sind“, bestehen Bedenken, ob diese sachgerecht die zu begrüßende Intention des Ordnungsgebers widerspiegelt.

Der Wortlaut impliziert als „**Verbots**formulierung“ eine unabänderliche Bindung des pharmazeutischen Unternehmers an die im EU-Verfahren bereits

vorgelegten Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise auch im nachfolgenden nationalen Verfahren. Der intendierten Wahlmöglichkeit des pharmazeutischen Unternehmers, auf nationaler Ebene von der Verweismöglichkeit für solche Informationen, Daten, Analysen und sonstige Nachweise Gebrauch zu machen, die bereits auf Unionsebene verfügbar sind, oder in dem nachfolgenden nationalen Verfahren gegebenenfalls auch aktualisierte Nachweise vorzulegen, wird im Wortlaut nicht hinreichend Rechnung getragen.

In der Verordnungsbegründung wird dazu sowohl auf die oben bereits genannte Regelung des Artikels 13 Absatz 1 Buchstabe d Verordnung (EU) 2021/2282 als auch auf die spiegelbildliche Regelung in Artikel 10 Absatz 3 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 verwiesen. Danach soll der Entwickler der Gesundheitstechnologie auf nationaler Ebene nicht verpflichtet werden, Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise vorzulegen, die bereits auf Unionsebene vorgelegt wurden. Zudem wird in Erwägungsgrund 34 Verordnung (EU) 2021/2282 dazu ausgeführt:

„Entwickler von Gesundheitstechnologien **sollten** auf nationaler Ebene keine Informationen, Daten, Analysen oder sonstigen Nachweise vorlegen, die bereits auf Unionsebene vorgelegt wurden. So wird sichergestellt, dass die Mitgliedstaaten vom Entwickler der Gesundheitstechnologie auf Ebene der Mitgliedstaaten nur Informationen, Daten, Analysen und sonstige Nachweise anfordern können, die auf Unionsebene noch nicht verfügbar sind.“

Seitens des Ordnungsgebers werden sowohl die Regelung in Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe d Verordnung (EU) 2021/2282 als auch die spiegelbildliche Regelung in Artikel 10 Absatz 3 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 herangezogen, um zunächst zutreffend die Vermeidung der erneuten inhaltsgleichen Vorlage derselben Informationen, Daten, Analysen oder sonstigen Nachweise auf nationaler Ebene sicherzustellen. Weitergehend wird jedoch unter Heranziehung der Verordnungsbegründung (Seite 13 und 14, letzter Absatz) der Eindruck erweckt, es sei dem pharmazeutischen Unternehmer absolut verboten, die Unterlagen (gegebenenfalls auch aktualisiert) erneut vorzulegen, während diese „Doppelvorlage“ lediglich nicht gefordert werden darf. Damit birgt der Wortlaut die Gefahr der Missinterpretation.

Aufgrund der Ausgestaltung der Regelungen sowie der Ausführungen in Erwägungsgrund 34 Verordnung (EU) 2021/2282 bestehen Zweifel, ob eine Interpretation des Artikels 10 Absatz 3 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 im Sinne eines absoluten Vorlageverbotes mit Blick auf die Grundrechtsrelevanz zulasten der pharmazeutischen Unternehmer haltbar ist. Dass die Regelungen in Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe d und Artikel 10 Absatz 3 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 keinen Verbotscharakter haben, macht die Verordnung auch in der Regelung in Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe e Verordnung (EU) 2021/2282 deutlich, der den Mitgliedsstaaten die Verpflichtung auferlegt, Informationen, Daten, Analysen und sonstige Nachweise, die sie erhalten haben und **die**

bereits Teil der Einreichungsaufforderung gemäß Artikel 10 der Verordnung **waren**, unmittelbar an die Koordinierungsgruppe weiterzuleiten. Ausgehend von der Logik eines Vorlageverbots würde es diese Einreichungen nicht geben und die Regelung wäre obsolet.

Dieses Verständnis widerspricht auch den Ausführungen des Verordnungsgebers auf Seite 15, zweiter Absatz der Verordnungsbegründung, wonach es bei dem Grundsatz bleiben soll, dass Darlegung und Nachweis des Zusatznutzens dem pharmazeutischen Unternehmer obliegen soll (vergleiche dazu § 5 Absatz 1 AM-NutzenV sowie die entsprechende Rechtsprechung des Bundessozialgerichts [BSG], zuletzt Urteil vom 12. August 2021, B 3 KR 3/20 R - Dimethylfumarat, Rn. 30). Der Wille des Verordnungsgebers, dass dem pharmazeutischen Unternehmen die Möglichkeit offen bleibt, zu prüfen, inwieweit die Inhalte des europäischen Dossiers für die Zwecke der Durchführung der deutschen Nutzenbewertung ausreichen, sowie die bereits auf EU-Ebene vorgelegten Daten bei Bedarf zu aktualisieren oder zu ergänzen, wird durch den vorgeschlagenen Wortlaut nicht hinreichend deutlich und kann in der Folge zu verfahrenerschwerenden Missinterpretationen führen.

Daher sollte der im Wortlaut des Entwurfs vom § 4 Absatz 2a Satz 1 AM-NutzenV im Sinne eines Vorlageverbot (miss-)interpretierbare Terminus „nicht an den Gemeinsamen Bundesausschuss zu übermitteln“ gestrichen und der Wortlaut an die intendierte Form der Verzahnung durch Verweise angepasst werden. Durch Bezugnahme auf die Formulierung im § 4 Absatz 2a Satz 2 AM-NutzenV des Entwurfs könnte die eigentliche Intention des Verordnungsgebers umgesetzt werden, es den pharmazeutischen Unternehmern zu ermöglichen, ausgehend von der Regel in Artikel 10 Absatz 3 Verordnung (EU) 2021/2282, auf bereits im europäischen Dossier vorhandene Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise zu verweisen und direkt zum Nachweis des Zusatznutzens gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie heranzuziehen und diese gegebenenfalls in aktualisierter oder ergänzter Form im nationalen Dossier abzubilden.

Da aus Gleichbehandlungsgründen keine Änderung der Bewertungsmaßstäbe erfolgen soll, dürfen dem pharmazeutischen Unternehmer keine Einschränkungen auferlegt werden, die den im nationalen Verfahren fortbestehenden umfänglichen Beibringungsgrundsatz tangieren (vergleiche auch § 5 Absatz 1 AM-NutzenV).

Zu Absatz 2a Satz 1: Voraussetzungen für das Eingreifen der Verweismöglichkeit

Zutreffend verweist der Verordnungsgeber darauf, dass die Möglichkeit der Verweisung auf die bereits im europäischen Dossier vorgelegten Informationen Daten, Analysen und sonstigen Nachweise davon abhängig ist, dass ein Verfahren für eine gemeinsame klinische Bewertung durch Vorlage eines europäischen Dossiers eingeleitet wurde und dass dieses Verfahren nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt wurde. In letzterem Fall regelt § 10 Absatz 6 Satz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282, dass

Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe d der Verordnung (EU) 2021/2282 keine Anwendung findet. Das heißt, es können die im europäischen Dossier eingereichten Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise auf nationaler Ebene angefordert werden und die pharmazeutischen Unternehmer haben dem G-BA das nationale Dossier ohne Verweise auf das europäische Dossier vorzulegen.

Ergänzend ist in diesem Zusammenhang im Wortlaut klarzustellen, dass die Verweismöglichkeit sich für den Fall einer Änderung der therapeutischen Indikation im parallel laufenden Zulassungsverfahren mit Auswirkung auf den Bewertungsumfang der europäischen Nutzenbewertung jeweils nur auf dasjenige europäische Dossier beziehen kann, das für das letztendlich zugelassene Anwendungsgebiet auf europäischer Ebene vorgelegt wurde. Andernfalls würde der Bezug des nationalen Nutzenbewertungsverfahrens zum zugelassenen Anwendungsgebiet untergabeln.

Da keine Änderung der Bewertungsmaßstäbe aus Gleichbehandlungsgesichtspunkten erfolgen soll und Unterschiede in den Bewertungsverfahren einer sachlichen Rechtfertigung bedürfen, muss die Privilegierung der pharmazeutischen Unternehmer mit vorgeschalteten EU-HTA-Verfahren mit Blick auf die Verweismöglichkeit an die Bedingung geknüpft werden, dass das vorgelegte europäische Dossier auch tatsächlich Grundlage für die Erstellung des JCA-Berichts werden wird, der wiederum im nationalen Verfahren zu berücksichtigen ist. Sofern aufgrund von Aktualisierungsbedarfen abseits der Fallkonstellationen des Artikels 10 Absatz 5 Satz 2 Verordnung (EU) 2021/2282 (Nachreichung von Daten im Rahmen der sogenannten zweiten Aufforderung der Kommission nach festgestellter Unvollständigkeit oder Verfristung des EU-Dossiers) oder des Artikels 11 Absatz 2 Verordnung (EU) 2021/2282 (Nachforderungen von Daten im europäischen Verfahren auf Anforderung der Gutachter und Mitgutachter bei Erstellung der Berichtsentwürfe) das zum maßgeblichen Zeitpunkt vorliegende europäische Dossier nicht die maßgebliche Grundlage für den JCA-Bericht bilden wird, besteht kein sachlicher Grund, die pharmazeutischen Unternehmer mit vorgeschaltetem EU-HTA Verfahren gegenüber denen ohne EU-HTA-Verfahren ungleich zu behandeln.

Dementsprechend ist in Konstellationen des Artikels 16 der Durchführungsverordnung (EU) 2024/1381 der Kommission vom 23. Mai 2024¹ sicherzustellen, dass eine Verweisung auf ursprünglich zwar vorgelegte, allerdings nicht mehr in einen JCA-Bericht mündende Dossiers unterbleibt. Bei einer gegebenenfalls erforderlichen Aktualisierung des europäischen Dossiers würde die entsprechende Verweismöglichkeit aus zeitlichen Gründen nicht greifen können, da das aktualisierte europäische Dossier regelmäßig erst nach dem für

¹ [DURCHFÜHRUNGSVERORDNUNG \(EU\) 2024/1381 DER KOMMISSION vom 23. Mai 2024 zur Festlegung von Verfahrensvorschriften für das Zusammenspiel im Zuge der Erstellung und Aktualisierung gemeinsamer klinischer Bewertungen von Humanarzneimitteln auf Unionsebene, den Informationsaustausch darüber und die Beteiligung daran sowie zur Festlegung von Mustern für diese gemeinsamen klinischen Bewertungen gemäß der Verordnung \(EU\) 2021/2282 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien](#)

den Start des AMNOG-Verfahrens relevanten maßgeblichen Zeitpunkt vorgelegt werden könnte. Zu berücksichtigen ist in diesem Zusammenhang auch, dass die geplante Aussetzungsregelung in § 7 Absatz 3 Satz 2 AM-NutzenV in dieser Fallgestaltung nicht angewendet werden kann, da es hier zu Beginn des Verfahrens bereits an der Dossiereinreichung mangelt und die Verzögerung sich nicht in dem fehlenden JCA-Bericht begründet.

In diesem Sinn sollte auch klargestellt werden, dass das im Hinblick auf das zugelassene Anwendungsgebiet initial vorgelegte beziehungsweise aktualisierte europäische Dossier spätestens zu den in § 4 Absatz 3 AM-NutzenV für den Start des AMNOG-Verfahrens maßgeblichen Zeitpunkten vorliegen muss. Der Ordnungsgeber hat in der Begründung darauf hingewiesen, dass für die Einhaltung der Fristen nach § 4 Absatz 3 AM-NutzenV darauf abzustellen ist, dass die Inhalte aus dem europäischen Dossier, auf die der pharmazeutische Unternehmer Bezug nimmt, zu dem betreffenden Zeitpunkt übermittelt waren. Diese zutreffende Vorgabe muss allerdings auch im Wortlaut der Regelung ihren Niederschlag finden.

An dieser Stelle ist auf die letzten Entscheidungen des BSG zu verweisen, die noch einmal das ständige Rechtsprechung entsprechende Erfordernis der Abbildung des Willens des Ordnungsgebers im Verordnungstext statt in der Verordnungsbegründung deutlich herausgestellt hat (BSG, Urteil vom 5. September 2024 zum Az.: B 3 KR 5/23 R; BSG, Urteil vom 9. August 2018 zum Az.: B 14 AS 1/18 R Rn. 21 f.).

Zu Absatz 2a Satz 2: Wortlautverankerung der nach dem Willen des Ordnungsgebers von der Verweismöglichkeit erfassten Inhalte des Dossiers

Auf Seite 15 im dritten Absatz der Verordnungsbegründung geht der Ordnungsgeber davon aus, dass die nach Absatz 1 Satz 1 Nummer 4 bis 7 AM-NutzenV enthaltenen Angaben weiterhin regelhaft an den G-BA zu übermitteln sind, das heißt die Angaben zur Anzahl der Patienten und Patientengruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht, zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung, zur Anforderung an eine qualitätsgesicherte Anwendung sowie zur Anzahl der Teilnehmer an den klinischen Prüfungen, die für die Feststellung nach § 35a Absatz 3 Satz 5 und 6 SGB V benötigt werden. Diese Informationen betreffen ausschließlich den nationalen Versorgungskontext und können daher im europäischen Dossier nicht enthalten sein, so dass auch nicht darauf verwiesen werden kann.

Aufgrund der generellen Erfordernis der Verankerung im Verordnungstext, wird auch insoweit angeregt, in der Regelung durch Einfügung der Passage „in Bezug auf die Angaben nach Absatz 1 Satz 1 Nummer 1 bis 3“ klarzustellen, dass die Verweisung sich nur auf die Angaben über zugelassene Anwendungsgebiete (Nummer 1), den medizinischen Nutzen (Nummer 2) und den medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie (Nummer 3) im europäischen Dossier beziehen kann.

Zudem sollte in § 4 Absatz 2a ein Satz 3 angefügt werden, wonach die Anforderungen an das Dossier nach den Bestimmungen dieser Verordnung unverändert fortgelten, soweit nicht Ausnahmen vor allem im Sinne von Nachweiserleichterungen zur besseren Verzahnung mit dem europäischen Verfahren geregelt werden. Damit würde der Wille des Verordnungsgebers im Verordnungstext umgesetzt, dass die nach Absatz 1 Satz 1 Nummer 4 bis 7 AM-NutzenV vorzulegenden Angaben in der bekannten Form an den G-BA übermittelt werden und es bei dem Grundsatz bleiben soll, dass Darlegung und Nachweis des Zusatznutzens dem pharmazeutischen Unternehmer obliegen. Dieser hat entsprechend zu prüfen, ob und inwieweit die Inhalte des europäischen Dossiers für die Zwecke der Durchführung der deutschen Nutzenbewertung ausreichen, um sie bei Bedarf zu aktualisieren oder zu ergänzen.

Zutreffend wird insoweit auf Seite 9 im ersten Absatz der Verordnungsbegründung unter Verweis auf Erwägungsgrund 15 Verordnung (EU) 2021/2282 darauf hingewiesen, dass es den Mitgliedsstaaten unbenommen bleibt, für die Zwecke des nationalen HTA-Verfahrens erforderliche ergänzende klinische Analysen durchzuführen und hierfür gegebenenfalls zusätzliche Informationen, Daten, Analysen und sonstige Nachweise anzufordern. Nach Erwägungsgrund 15 Verordnung (EU) 2021/2282 können die Mitgliedstaaten auch ergänzende klinische Analysen unter anderem für Patientengruppen, Komparatoren oder gesundheitsbezogene Endpunkte, die nicht bereits Bestandteil des Berichts über die gemeinsame klinische Bewertung sind, durchführen oder eine andere Methode anwenden, wenn diese für den allgemeinen nationalen HTA-Prozess durch den betreffenden Mitgliedstaat erforderlich ist.

Um den G-BA in die Lage zu versetzen, dass er ergänzende klinische Analysen zu nicht bereits im europäischen Dossier enthaltenen Daten durchführen kann, muss es den pharmazeutischen Unternehmern spiegelbildlich auf der ersten Stufe gestattet sein, diesbezüglich ergänzende Informationen im nationalen Verfahren vorzulegen. Durch die bloße Formulierung, dass der pharmazeutische Unternehmer bestimme, „inwieweit“ das europäische Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein soll, kommt im Wortlaut nicht hinreichend zum Ausdruck, dass der pharmazeutische Unternehmer einerseits berechtigt und andererseits auch verpflichtet ist, ergänzende, nicht bereits im europäischen Dossier eingereichte Informationen, Daten, Analysen oder sonstigen Nachweise vorzulegen beziehungsweise einzureichen.

Mit Blick auf die notwendige Abbildung der in der Verordnungsbegründung adressierten Intention des Verordnungsgebers wird daher angeregt, am Ende des neu eingefügten § 4 Absatz 2a im Verordnungstext klarzustellen, dass die Anforderungen an das Dossier nach den Bestimmungen der AM-NutzenV im Übrigen genau so gelten wie in einem rein nationalen Nutzenbewertungsverfahren ohne vorgeschaltetes EU-HTA-Verfahren.

Wie in der Verordnungsbegründung auf Seite 14 im letzten Absatz vorausgesetzt, sollte zur Förderung der Rechtsklarheit im Verordnungstext zudem

verortet werden, dass der G-BA die Einzelheiten der Umsetzung der Verweislösung in seiner Verfahrensordnung, insbesondere in den Dossievorlagen nach Absatz 2 Satz 3, festlegen kann.

Änderungsvorschlag:

„2. § 4 wird wie folgt geändert:

a) Absatz 1 Satz 1 wird wie folgt geändert:

aa) In Nummer 6 wird der Punkt am Ende durch ein Komma ersetzt.

bb) Folgende Nummer 7 wird angefügt:

7. „die Anzahl der Prüfungsteilnehmer an den vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen des Arzneimittels, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des Fünften Buches Sozialgesetzbuch teilgenommen haben, und die Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer.“

b) Nach Absatz 2 wird folgender Absatz 2a eingefügt:

„2a ¹Wurde für das Arzneimittel nach Artikel 10 Absatz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282 ein Dossier zur Durchführung einer gemeinsamen klinischen Bewertung sowie die gemäß Artikel 10 Absatz 5 Satz 2 oder Artikel 11 Absatz 2 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 nachgereichten Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise (europäisches Dossier) spätestens zu den in Absatz 3 genannten Zeitpunkten für das zugelassene Anwendungsgebiet vorgelegt und wurde die Bewertung nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, bestimmt der pharmazeutische Unternehmer im Dossier in Bezug auf die Angaben nach Absatz 1 Satz 1 Nummer 1 bis 3, inwieweit das europäische Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein soll, indem er auf die dortigen Informationen, Daten, Analysen oder sonstigen Nachweise Bezug nimmt.²Einzelheiten zur Umsetzung kann der G-BA in seiner Verfahrensordnung insbesondere in den Dossievorlagen nach Absatz 2 Satz 3 festlegen. ³Im Übrigen gelten die Anforderungen an das Dossier nach den Bestimmungen dieser Verordnung.“

Änderungsmodus im Vergleich zum Verordnungsentwurf:

„2. § 4 wird wie folgt geändert:

a) Absatz 1 Satz 1 wird wie folgt geändert:

aa) In Nummer 6 wird der Punkt am Ende durch ein Komma ersetzt.

bb) Folgende Nummer 7 wird angefügt:

7. „ die Anzahl der Prüfungsteilnehmer an den vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen des Arzneimittels, die an Prüfstellen

im Geltungsbereich des Fünften Buches Sozialgesetzbuch teilgenommen haben, und die Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer.“

b) Nach Absatz 2 wird folgender Absatz 2a eingefügt:

„2a) ¹Wurde für das Arzneimittel nach Artikel 10 Absatz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282 ein Dossier zur Durchführung einer gemeinsamen klinischen Bewertung sowie die gemäß Artikel 10 Absatz 5 Satz 2 oder Artikel 11 Absatz 2 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 nachgereichten Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise (europäisches Dossier) spätestens zu den in Absatz 3 genannten Zeitpunkten für das zugelassene Anwendungsgebiet vorgelegt und wurde die Bewertung nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, ~~sind die im vorgelegten Dossier enthaltenen sowie die gemäß Artikel 10 Absatz 5 Satz 2 oder Artikel 11 Absatz 2 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 nachgereichten Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise (europäisches Dossier) nicht an den Gemeinsamen Bundesausschuss zu übermitteln. Der pharmazeutische Unternehmer bestimmt im Dossier bestimmt der pharmazeutische Unternehmer im Dossier in Bezug auf die Angaben nach Absatz 1 Satz 1 Nummer 1 bis 3, inwieweit das europäische Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein soll, indem er auf die dortigen Informationen, Daten, Analysen oder sonstigen Nachweise Bezug nimmt.²Einzelheiten zur Umsetzung kann der G-BA in seiner Verfahrensordnung insbesondere in den Dossievorlagen nach Absatz 2 Satz 3 festlegen.Im Übrigen gelten die Anforderungen an das Dossier nach den Bestimmungen dieser Verordnung.~~

Zu Nummer 3

„3. § 7 wird wie folgt geändert:

a) Nach Absatz 1 Satz 2 wird folgender Satz eingefügt:

„Wurde für das Arzneimittel eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, sind zusätzlich

- 1. das europäische Dossier im nach § 4 Absatz 2a Satz 2 bestimmten Umfang,*
- 2. die nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 vor Beginn der Nutzenbewertung veröffentlichten Berichte und*
- 3. alle anderen auf der IT-Plattform gemäß Artikel 30 der Verordnung (EU) 2021/2282 verfügbaren Informationen*

Grundlage für die Nutzenbewertung.“

b) Absatz 3 wird wie folgt geändert:

aa) Nach Satz 1 wird folgender Satz eingefügt:

„Wurde für das Arzneimittel eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt oder nach Artikel 12 Absatz 5 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 abgeschlossen, soll der Gemeinsame Bundesausschuss, sofern zu dem Zeitpunkt, der für die Einreichung der Nachweise nach § 4 Absatz 3 maßgeblich ist, noch keine Berichte nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht wurden, das Verfahren bis zu deren Veröffentlichung aussetzen, längstens jedoch bis zum Ablauf von drei Monaten ab der Zulassung des Arzneimittels oder seines neuen Anwendungsgebiets.“

bb) In dem neuen Satz 3 wird das Wort „Sie“ durch die Wörter „Die Nutzenbewertung“ ersetzt.

c) Absatz 4 wird wie folgt geändert:

aa) Nach Satz 1 wird folgender Satz eingefügt:

„Wurden nach dem Beginn, aber vor der Veröffentlichung der Nutzenbewertung zu dem Arzneimittel Berichte über eine gemeinsame klinische Bewertung nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht, stellt der Gemeinsame Bundesausschuss diese neben der Nutzenbewertung zur Anhörung.“

bb) Der bisherige Satz 5 wird Absatz 5.

d) In dem neuen Absatz 5 werden nach den Wörtern. Der Beschluss die Wörter „über die Nutzenbewertung nach Absatz 4“ eingefügt.

4. Nach § 9 Absatz 2 wird folgender Absatz 2a eingefügt:

„(2a) In den Fällen des § 4 Absatz 2a wird das europäische Dossier durch Verweis auf die öffentlich zugängliche Internetseite der IT-Plattform gemäß Artikel 30 Absatz 3 Buchstabe d der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht. Ist das europäische Dossier im Zeitpunkt nach Absatz 1 Satz 1 dort nicht verfügbar, stellt der pharmazeutische Unternehmer dem Gemeinsamen Bundesausschuss innerhalb eines Tages eine Fassung des europäischen Dossiers zur Verfügung, mit deren Veröffentlichung er einverstanden ist. Der Gemeinsame Bundesausschuss veröffentlicht diese unverzüglich auf seiner Internetseite.“

Bewertung:

Die vorgesehenen Änderungen in § 7 werden von den hauptamtlichen unparteiischen Mitgliedern des G-BA grundsätzlich begrüßt. Die Umsetzung der Aussetzungsmöglichkeit nach § 7 Absatz 3 AM-NutzenV als „Soll“-Bestimmung wird als zielführend erachtet, da eine Entscheidung über die Aussetzung zur Sicherstellung der erforderliche Planungssicherheit aller am Verfahren Beteiligter an klare zeitliche Vorgaben und Kriterien gebunden werden sollte. Um dem Berücksichtigungsgebot in Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a hinreichend Rechnung zu tragen, ermöglicht die Soll-Bestimmung, im Regelfall den JCA-Bericht bereits in die Nutzenbewertung des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) einzubeziehen und hierdurch eine übersichtliche Aufarbeitung der für die Nutzenbewertung relevanten Inhalte des JCA-Berichtes für das darauf folgende Stellungnahmeverfahren zu erreichen. Die „Soll“-Bestimmung gestattet gleichzeitig, wie auch in der Begründung zur Änderung der AMNutzenV klargestellt, in atypischen Ausnahmefällen von einer Aussetzung abzusehen. Es wird als sinnvoll erachtet, dem G-BA die Handlungsmöglichkeit zu eröffnen, in spezifischen Fallkonstellationen von einer Aussetzung des Verfahrens abzusehen. Unter Berücksichtigung der zu § 4 Absatz 2a vorgeschlagenen Änderungen, ist in Absatz 1 Satz 3 Nummer 1 auf Absatz 2 Satz 1 zu verweisen.

Änderungsvorschlag:

„3. § 7 wird wie folgt geändert:

a) Nach Absatz 1 Satz 2 wird folgender Satz eingefügt:

„Wurde für das Arzneimittel eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, sind zusätzlich

1. das europäische Dossier im nach § 4 Absatz 2a Satz 1 bestimmten Umfang,
2. [...]“

Änderungsmodus im Vergleich zum Verordnungsentwurf:

„3. § 7 wird wie folgt geändert:

a) Nach Absatz 1 Satz 2 wird folgender Satz eingefügt:

„Wurde für das Arzneimittel eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, sind zusätzlich

1. das europäische Dossier im nach § 4 Absatz 2a ~~Satz 2~~ Satz 1 bestimmten Umfang,
2. [...]“

3. Darüber hinausgehende Änderungsvorschläge

3.1 Es wird folgende Nummer 1a) eingefügt:

„1a) In § 2 Absatz 1 Satz 2 werden nach dem Wort „erstmalig“ die Wörter „im Geltungsbereich des Fünften Buches Sozialgesetzbuch“ eingefügt.“

Begründung:

Nach § 2 Absatz 1 Satz 2 in seiner bisherigen Fassung gilt ein Arzneimittel mit einem neuen Wirkstoff im Sinne der AM-NutzenV solange als ein Arzneimittel mit einem neuen Wirkstoff, wie für das erstmalig zugelassene Arzneimittel mit dem Wirkstoff Unterlagenschutz besteht. Das Bundessozialgericht (BSG) hat dies dahingehend ausgelegt, dass auf die erstmalige Zulassung eines Arzneimittels mit dem betreffenden Wirkstoff zumindest in einem Mitgliedsstaat der EU abzustellen sei, nicht auf die erstmalige Zulassung in oder für Deutschland. Für ein Erfordernis der krankensicherungsrechtlichen Erstattungsfähigkeit des erstmalig zugelassenen Arzneimittels mit dem Wirkstoff in Deutschland böten die Begriffsbestimmungen in § 2 Absatz 1 AM-NutzenV keinen genügenden normativen Anknüpfungspunkt (BSG, Urteil vom 5. September 2024 - B 3 KR 22/22 R).

Aus Sicht der Unparteiischen Mitglieder sollte diese von der Rechtsprechung aufgezeigte Regelungslücke bereinigt und die intendierte Reichweite der Nutzenbewertung im nationalen Kontext im Wortlaut widerspiegelt werden.

Sinn und Zweck der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V, die Einbettung in die Arzneimittelversorgung zulasten der gesetzlichen Krankenversicherung sowie Aspekte der Praktikabilität sprechen dafür, für das erstmalig zugelassene Arzneimittel auf den nationalen Kontext Bezug zu nehmen. Die Dauer des Unterlagenschutzes eines in Deutschland eingeführten Arzneimittels hat Auswirkungen auf die Neuheit eines Wirkstoffs im Geltungsbereich des AMNOG-Verfahrens. Dies kann nicht gleichermaßen angenommen werden für Arzneimittelzulassungen, die keine Verkehrsfähigkeit im nationalen Kontext begründen. Die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen knüpft an deren Inverkehrbringen auf dem deutschen Markt an und erfolgt zur Vorbereitung der Erstattungsbeitragsvereinbarungen nach § 130b SGBV, deren Wirkung sich unmittelbar auf die gesetzliche Krankenversicherung in Deutschland beziehungsweise über §§ 78 Absatz 3a des Arzneimittelgesetzes (AMG) und § 1a des Gesetzes über Rabatte für Arzneimittel auf das deutsche Gesundheitswesen beschränkt. Die rein nationale, dezentrale Zulassung eines Arzneimittels mit einem neuen Wirkstoff in einem anderen EU-Mitgliedstaat hat für die Versorgung in Deutschland keine Relevanz, da sie keine Rechtswirkung für Deutschland entfaltet, und eignet sich daher nicht als Anknüpfungspunkt für die Bestimmung des Anwendungsbereichs des deutschen Nutzenbewertungsverfahrens. Nicht in Deutschland zugelassene Arzneimittel sind vom Leistungsumfang der gesetzlichen Krankenversicherung nicht umfasst. Da der Gesetzgeber mit dem AMNOG und dessen System der frühen Nutzenbewertung ein Instrument zur Sicherung der Wirtschaftlichkeit der Vergütung für diese Arzneimittel in der GKV geschaffen hat, wäre es fernliegend und systemwidrig, wenn das den Unterlagenschutz vermittelnde erste Arzneimittel auch ein nicht in oder für Deutschland zugelassenes Arzneimittel und damit nicht der Versorgung zulasten der Krankenkassen unterliegendes Arzneimittel sein könnte mit der Folge, dass zu einem wesentlich späteren Zeitpunkt erstmalig in Deutschland eingeführte Arzneimittel nicht der einheitlichen Preisgestaltung unterfielen. Diese Ungleichbehandlung gegenüber bereits erstmalig im nationalen Kontext zugelassenen Arzneimitteln rechtfertigt sich nicht durch Bezüge auf den rechtlichen Status eines Arzneimittels, welcher für Deutschland generell keine Rechtswirkungen entfaltet. Die Grenzen der Wirkung einer Genehmigung zum Inverkehrbringen sind insoweit bindend.

Insofern können Unterlagenschutz im Regelungszusammenhang des § 2 Absatz 1 Satz 2 AM-NutzenV nur im Geltungsbereich des Fünften Buches Sozialgesetzbuch zugelassene Arzneimittel vermitteln (so im Ergebnis auch: LSG Berlin-Brandenburg, Urteil vom 9. November 2022, Az: L 1 KR 438/20 KL ZVW).

Informationen über Zulassungen in anderen Mitgliedstaaten sind zudem für den G-BA, der das Inverkehrbringen als Anknüpfungspunkt für die Nutzenbewertung überwacht und gegebenenfalls den pharmazeutischen Unternehmer zur Vorlage der

erforderlichen Nachweise auffordert, nicht zuverlässig und mit vertretbarem Aufwand zu ermitteln, da kein EU-weites zentrales Register für rein nationale Zulassungen existiert und dementsprechend die im Ergebnis der höchstrichterlichen Rechtsprechung zu fordernde Negativabgrenzung (keine Zulassung in einem anderen EU-Mitgliedstaat unter Berücksichtigung des sog. „Brexit-Abkommen“) nicht verlässlich erfolgen kann.

§ 2 Absatz 1 Satz 2 sollte daher dahingehend präzisiert werden, dass auf die Dauer des Unterlagenschutzes für das erstmalig im oder für den Geltungsbereich des SGB V zugelassene Arzneimittel mit dem betreffenden Wirkstoff abzustellen ist. Mit der Formulierung „im Geltungsbereich des Fünften Buches Sozialgesetzbuch“ sollen sowohl die zentrale Genehmigung für das Inverkehrbringen auf EU-Ebene als auch die Zulassung durch deutsche Bundesoberbehörden sowie die Anerkennung der Zulassung eines anderen EU-Mitgliedstaats im Verfahren der gegenseitigen Anerkennung oder im dezentralisierten Verfahren gemäß § 25b AMG erfasst werden. Diese haben gemeinsam, dass sie Wirkung für das deutsche Staatsgebiet entfalten. Nicht maßgeblich sind hingegen rein nationale Zulassungen in anderen Mitgliedstaaten sowie sonstige Zulassungen ohne Rechtswirkungen im Geltungsbereich des SGB V, die keine Relevanz für die Versorgung zulasten der gesetzlichen Krankenversicherung mit den entsprechenden Arzneimitteln in Deutschland haben.

3.2 Es wird folgende Nummer 1b) eingefügt:

- „1b) *Dem § 2 wird in Absatz 1 folgender Satz angefügt: „Unterlagenschutz im Sinne von Satz 2 ist*
- 1. der Schutz vor Bezugnahme auf die Unterlagen des Arzneimittels nach § 24b Absatz 1 Satz 1 des Arzneimittelgesetzes beziehungsweise der Datenschutz nach Artikel 14 Absatz 11 Verordnung (EG) Nr. 726/2004 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 31. März 2004 zur Festlegung der Verfahren der Union für die Genehmigung und Überwachung von Humanarzneimitteln und zur Errichtung einer Europäischen Arzneimittel-Agentur (ABl. L 136 vom 30.4.2004, S. 1) sowie der Schutz vor dem Inverkehrbringen eines mittels einer solchen Bezugnahme zugelassenen Generikums nach § 24b Absatz 1 Satz 2 und 3 des Arzneimittelgesetzes beziehungsweise der Vermarktungsschutz nach Artikel 14 Absatz 11 Verordnung (EG) Nr. 726/2004 und*
 - 2. das Marktexklusivitätsrecht nach Artikel 8 Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden (ABl. L 18 vom 22.1.2000, S. 1).““*

Begründung:

Der neue § 2 Absatz 1 Satz 3 enthält eine Begriffsbestimmung des Unterlagenschutzes nach Satz 2. Die Formulierung „Unterlagenschutz“ wird in der AM-NutzenV bisher dort jedoch nicht legaldefiniert, so dass in der praktischen Rechtsanwendung Unsicherheiten hinsichtlich der Frage bestehen können, welche arzneimittelrechtlichen Schutzrechte hiervon im Einzelnen umfasst sind.

Nach dem bisherigen Begriffsverständnis dient der Terminus des Unterlagenschutzes zur Bestimmung der Arzneimittel mit „neuen Wirkstoffen“, die dem Geltungsbereich der frühen Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 SGB V unterfallen. Neue Wirkstoffe im Sinne dieser Vorschrift sind Wirkstoffe, die erstmals als Arzneimittel zugelassen wurden und deren Wirkungen bei der erstmaligen Zulassung durch die zuständige Bundesoberbehörde oder der Genehmigung durch die Europäische Kommission in der medizinischen Wissenschaft nicht allgemein bekannt sind und die daher der Verschreibungspflicht unterliegen (§ 48 Absatz 1 Satz 1 Nummer 3 Arzneimittelgesetz [AMG] sowie die Verordnung EG 726/2004). Nicht erfasst werden sollen Generika oder sonstige Arzneimittel mit Wirkstoffen, deren Wirkung der medizinischen Wissenschaft allgemein bekannt ist.

Um für die allgemeine Bekanntheit eines Wirkstoffes zur Gewährleistung von Rechtssicherheit ein von der tatsächlichen allgemeinen medizinischen Verwendung abgekoppeltes Kriterium zu haben, wurde die Grundsatzentscheidung getroffen, auf den Unterlagenschutz abzustellen. Arzneimittel mit Wirkstoffen, die nicht mehr unter den Unterlagenschutz fallen, können damit nicht mehr Gegenstand einer Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1, sondern gegebenenfalls nur nach Absatz 6 SGB V sein. Nach dem Sinn und Zweck des mit dem AMNOG eingeführten Systems der Nutzenbewertung und Preisbildung für neue Arzneimittel soll solange eine Bewertung durch den G-BA durchgeführt werden, wie im Rahmen des arzneimittelrechtlichen Zulassungsverfahrens die wirtschaftliche Verwertung vorliegender Unterlagen zugunsten Dritter gesperrt ist und damit kein generischer Zulassungsantrag gestellt oder kein generisches Arzneimittel vermarktet werden kann.

Nach den europarechtlichen Vorgaben vermittelt sowohl der Datenschutz nach Artikel 14 Absatz 11 Verordnung (EG) Nr. 726/2004 im Zusammenspiel mit dem Vermarktungsschutz nach Artikel 14 Absatz 11 Verordnung (EG) Nr. 726/2004 (sogenannte 8+2+1-Regelung) als auch das Marktexklusivitätsrecht nach Artikel 8 Verordnung (EG) Nr. 141/2000 dem pharmazeutischen Unternehmer als Erstantragsteller (Originator) ein Schutzniveau, das eine Zulassung von Generika für den Schutzzeitraum verhindert. Innerhalb des Laufs der Datenschutzfrist nach Artikel 14 Absatz 11 Verordnung (EG) Nr. 726/2004 bzw. § 24b Absatz 1 Satz 1 AMG von acht Jahren ist es Generika-Herstellern untersagt, in ihrem Zulassungsantrag auf die Zulassungsunterlagen des Originators Bezug nehmen zu können. Innerhalb der Vermarktungsschutzfrist nach Artikel 14 Absatz 11 Verordnung (EG) Nr. 726/2004 beziehungsweise § 24b Absatz 1 Satz 2 und 3 AMG von 2 weiteren Jahren ist es einem Generika-Hersteller zudem untersagt, das Generikum in den Verkehr zu bringen. Das Marktexklusivitätsrecht schützt Arzneimittel für seltene Leiden grundsätzlich für zehn Jahre ab ihrer Zulassung

vor der Zulassung eines ähnlichen Arzneimittels für dasselbe therapeutische Anwendungsgebiet. Daher vermittelt auch das Marktexklusivitätsrecht für „Orphan Drugs“ eine wettbewerbsausschließende Wirkung.

Während der Verordnungsgeber ursprünglich davon ausging, dass die Datenschutzfrist nach Artikel 14 Absatz 11 Verordnung (EG) Nr. 726/2004 im Gleichklang mit dem Marktexklusivitätsrecht nach Artikel 8 Verordnung (EG) Nr. 141/2000 in jedem Fall auch für „Orphan Drugs“ zu berücksichtigen ist, zeigt die Praxis, dass Datenschutzfrist und Marktexklusivitätsrecht entgegen dieser Annahme nicht gleichzeitig zur Anwendung gebracht werden und dementsprechend ein Klarstellungsbedarf für das Begriffsverständnis des Unterlagenschutzes besteht.

Insofern ist ausgehend von dem Ansatz, den Unterlagenschutz zur Bestimmung der Neuheit eines Wirkstoffes heranzuziehen, auf die europarechtlich geprägten Schutzrechte des Daten- und Vermarktungsschutzes nach Artikel 14 Absatz 11 Verordnung (EG) Nr. 726/2004 sowie das Marktexklusivitätsrecht nach Artikel 8 Verordnung (EG) Nr. 141/2000 abzustellen. Dass der Gesetzgeber ein solches Begriffsverständnis des Unterlagenschutzes den Regelungen des AMNOG-Verfahrens zugrunde legen wollte, hat er auch bereits in der Gesetzesbegründung zu dem durch das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz vom 7. November 2022 (BGBl. I S. 1990) neugefassten § 130b Absatz 3 SGB V ausgeführt. Danach ist der Begriff des Unterlagenschutzes dort „weit zu verstehen“ und umfasse „auch das Marktexklusivitätsrecht für Arzneimittel, die zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 zugelassen sind“ (BT-Drs. 20/3448, S. 42).

3.3 Es wird folgende Nummer 1c) eingefügt:

- „1c) Dem § 3 wird in Absatz 2 folgender Satz angefügt: „Neben den in § 2 Absatz 1 Satz 3 benannten Schutzrechten gilt als Unterlagenschutz nach § 35a Absatz 6 des Fünften Buches Sozialgesetzbuch auch
1. der einjährige Unterlagenschutz gemäß § 24b Absatz 6 des Arzneimittelgesetzes beziehungsweise Artikel 10 Absatz 5 der Richtlinie 2001/83/EG, der für die Gewinnung von Daten durch bedeutende vorklinische oder klinische Studien im Zusammenhang mit einem neuen Anwendungsgebiet eines bekannten Wirkstoffes erteilt wird sowie
 2. der nach Genehmigung für die pädiatrische Verwendung nach den Artikeln 5 bis 15 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 gemäß Artikel 38 Absatz 1 Verordnung (EG) 1901/2006 oder der nach Genehmigung für die pädiatrische Verwendung nach den Verfahren der Richtlinie 2001/83/EG gemäß Artikel 38 Absatz 2 der Verordnung (EG) 1901/2006 geltende Unterlagenschutz.““

Begründung:

Bei dem arzneimittelrechtlichen Schutzrecht gemäß § 24b Absatz 6 AMG beziehungsweise Artikel 10 Absatz 5 der Richtlinie 2001/83/EG handelt es sich um eine nicht kumulierbare Ausschließlichkeitsfrist von einem Jahr, die aufgrund von gewonnenen Daten aus bedeutenden vorklinischen oder klinischen Studien für ein neues Anwendungsgebiet eines bereits bekannten Wirkstoffes erteilt wird. Bei Erteilung dieses einjährigen Verwertungsschutzes werden ausschließlich die neu gewonnenen Daten für das neue Anwendungsgebiet geschützt, nicht jedoch die Daten, die bei Erstzulassung des Arzneimittels gewonnen wurden. Das Arzneimittel erhält dadurch bezogen auf das neue Anwendungsgebiet eine mindestens einjährige exklusive Stellung im Markt, da Generika-Hersteller erst nach frühestens einem Jahr Bezug auf die Zulassungsunterlagen für das neue Anwendungsgebiet nehmen können. Da es sich um ein Schutzrecht handelt, das allein für Arzneimittel mit bekannten Wirkstoffen erteilt werden kann, ist es von den die Neuheit begründenden Schutzrechten nach § 2 Absatz 1 Satz 3 (neu) abzugrenzen. Mit der Vorschrift soll klargestellt werden, dass der einjährige Unterlagenschutz bei normgerechtem Verständnis des § 35a Absatz 6 zu berücksichtigen ist.

Ebenfalls mit separaten Schutzrechten ausgestattet werden können Arzneimittel, die nach Maßgabe der Regelungen in Artikel 30 und 31 Verordnung (EG) 1901/2006 eine Genehmigung für die pädiatrische Verwendung (Paediatric-Use Marketing Authorisation, kurz PUMA) beantragen. Nach der Regelung in Artikel 2 Absatz 4 Verordnung (EG) 1901/2006 handelt es sich bei der Genehmigung für die pädiatrische Verwendung um eine Genehmigung für das Inverkehrbringen, die für ein Humanarzneimittel erteilt wird, das **nicht** durch ein ergänzendes Schutzzertifikat nach der Verordnung (EWG) Nr. 1768/92 oder durch ein Patent, das für ein ergänzendes Schutzzertifikat in Frage kommt, geschützt ist und das ausschließlich therapeutische

Indikationen abdeckt, die für die pädiatrische Bevölkerungsgruppe oder deren Untergruppen von Bedeutung sind, wobei Stärke, Darreichungsform oder Verabreichungsweg dieses Mittels adäquat sein müssen. Aufgrund der spezifischen Anforderungen der abgelaufenen allgemeinen Schutzrechte, wird eine PUMA regelhaft Arzneimitteln erteilt, die keine neuen Wirkstoffe im Sinne des § 2 Absatz 1 AM-NutzenV enthalten, weil die vorgängige Genehmigung eines Arzneimittels mit diesem Wirkstoff im Geltungsbereich der EU grundsätzlich vorausgesetzt wird.

Allerdings können dennoch die gesetzlichen Voraussetzungen des § 35a Absatz 6 SGB V vorliegen, da diesen Arzneimitteln eine neue Zulassung mit neuem Unterlagenschutz (mit möglicher Dauer entsprechend der 8+2+1-Regel) erteilt wird. Die Verortung der Unterlagenschutzfristen unterscheidet sich nach den Regelungen in Artikel 38 Absatz 1 und Absatz 2 Verordnung (EG) 1901/2006 lediglich danach, ob die PUMA im zentralen Zulassungsverfahren oder national, auf Basis des Verfahrens der gegenseitigen Anerkennung nach § 25b Absatz 2 AMG (engl. „Mutual Recognition Procedure“ – MRP) oder auf Basis des dezentralen Zulassungsverfahrens nach § 25b Absatz 3 AMG (engl. „Decentralised Procedure“ – DCP) erteilt wird. Wird eine Genehmigung für die pädiatrische Verwendung nach den Artikeln 5 bis 15 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 (d.h. im zentralen Zulassungsverfahren) erteilt, so gelten gemäß Artikel 38 Absatz 1 Verordnung (EG) 1901/2006 für die Daten und das Inverkehrbringen die Unterlagenschutzfristen nach Artikel 14 Absatz 11 Verordnung (EG) Nr. 726/2004. Wird eine Genehmigung für die pädiatrische Verwendung nach den Verfahren der Richtlinie 2001/83/EG (d.h. national, MRP oder DCP) erteilt, so gelten gemäß Artikel 38 Absatz 2 Verordnung (EG) 1901/2006 für die Daten und das Inverkehrbringen die Unterlagenschutzfristen nach Artikel 10 Absatz 1 der Richtlinie 2001/83/EG.

3.4. Es wird folgende Nummer 2a) eingefügt:

„2a) § 6 wird wie folgt geändert:

Dem § 6 wird folgender Absatz 4 angefügt: „(4) Die Absätze 1 bis 3 gelten auch, wenn für das Arzneimittel eine gemeinsame klinische Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2822 eingeleitet wurde.“

Begründung

Die hauptamtlichen unparteiischen Mitglieder des G-BA begrüßen den vom Verordnungsgeber zu § 4 Absatz 2a beschriebenen Sachverhalt, dass das Wahlrecht des pharmazeutischen Unternehmers zwischen mehreren gleichermaßen zweckmäßigen Vergleichstherapien erhalten bleiben soll. Zur Sicherstellung der erforderlichen Rechtsklarheit sollte jedoch eine Ergänzung des Regelungstextes in § 6 Absatz 4 entsprechend der vom Verordnungsgeber intendierten Ausgestaltung erfolgen.

§ 6 Absatz 2a AM-NutzenV bestimmt für den Fall, dass mehrere Alternativen der Vergleichstherapie gleichermaßen zweckmäßig sind, dass der Zusatznutzen gegenüber jeder dieser Therapien nachgewiesen werden kann. Bei einem rein nationalen Nutzenbewertungsverfahren kann der pharmazeutische Unternehmer hier wählen, welche Vergleichstherapie(n) er für den Nachweis des Zusatznutzens im Dossier heranzieht und welche nicht. Im JCA-Verfahren ist er hingegen verpflichtet, soweit möglich sämtliche Fragestellungen zu den relativen Effekten des Arzneimittels, die sich aus dem Bewertungsumfang (PICO) ergeben, zu beantworten, so dass ein vergleichbares Wahlrecht nicht besteht.

Durch die alleinige Verankerung in § 4 Absatz 2a AM-NutzenV besteht die Gefahr, dass die in der Verordnungsbegründung niedergelegte Intention wiederum nicht hinreichend deutlich im Wortlaut zum Ausdruck kommt. Aus systematischen Gründen ist die Klarstellung, dass das Wahlrecht bei „oder“-Verknüpfungen bestehen bleibt, in § 6 AM-NutzenV zu verorten, da dieses Wahlrecht nach der systematischen Entscheidung des Verordnungsgebers dort in Absatz 2a geregelt ist. Sofern die Klarstellung in § 4 Absatz 2a AM-NutzenV verortet wird, entsteht die Frage, ob hier ein von der Regelung in § 6 Absatz 2a AM-NutzenV trennendes, neues Wahlrecht statuiert werden soll. Auch aus dem allgemeinen, in § 5 Absatz 1 Satz 1 AM-NutzenV niedergelegten Grundsatz, dass der Zusatznutzen vom pharmazeutischen Unternehmer im Dossier nach § 4 AM-NutzenV nachzuweisen ist, ergibt sich nicht das spezifisch in § 6 Absatz 2a AM-NutzenV geregelte Wahlrecht in Bezug auf mehrere gleichermaßen zweckmäßige Vergleichstherapien.

Zudem dient die Klarstellung in § 6 Absatz 4 AM-NutzenV der unter Gleichbehandlungsgründen mit rein nationalen Verfahren erforderlichen Sicherstellung der Einheitlichkeit der Bewertungsmaßstäbe.

3.5 Es wird folgende Nummer 3c) bb) eingefügt:

„bb) Der neue Satz 4 wie folgt geändert:

Nach dem Wort „Nutzenbewertung“ werden die Wörter „sowie die Feststellung, ob die klinischen Prüfungen des Arzneimittels zu einem relevanten Anteil im Geltungsbereich des SGB V durchgeführt wurden,“ eingefügt.“

Begründung:

Hierbei handelt es sich um eine Folgeänderung aufgrund der entsprechenden Änderung in § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V durch das Medizinforschungsgesetz vom 23. Oktober 2024 (BGBl. I Nr. 324) ab. Die Ergänzung ist deklaratorischer Natur.

Prof. Josef Hecken
(Unparteiischer Vorsitzender)

Karin Maag
(Unparteiisches Mitglied)

Dr. Bernhard van Treeck
(Unparteiisches Mitglied)