

# 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)  
Onasemnogen-Abeparvovec (spinale Muskelatrophie);  
Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung  
und von Auswertungen – Änderung

Vom 6. Juni 2024

## Inhalt

<b>1.</b>	<b>Rechtsgrundlage.....</b>	<b>2</b>
<b>2.</b>	<b>Eckpunkte der Entscheidung.....</b>	<b>2</b>
<b>3.</b>	<b>Bürokratiekostenermittlung .....</b>	<b>3</b>
<b>4.</b>	<b>Verfahrensablauf.....</b>	<b>3</b>

## **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 4. Februar 2021 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Onasemnogen-Abeparvovec gemäß § 35a SGB V beschlossen.

Gemäß den Angaben des Beschlusses vom 4. Februar 2021 in Form des Änderungsbeschlusses vom 20. Januar 2022 ist 36 Monate nach Beschlussdatum eine erste Zwischenanalyse entsprechend der Vorgaben im Studienprotokoll und statistischen Analyseplan durchzuführen und dem G-BA vorzulegen. Dabei ist zu jeder Zwischenanalyse auch eine Prüfung auf Abbruch wegen Vergeblichkeit vorzunehmen. Zur 1. Zwischenanalyse 36 Monate nach Beschlussdatum soll zudem anhand der dann möglichen, genaueren Effektannahmen eine endgültige Fallzahlschätzung vorgenommen werden.

Der pharmazeutische Unternehmer hat dem G-BA am 31. Januar 2024 fristgerecht die erste Zwischenanalyse 36 Monate nach Beschlussdatum, sowie eine aktualisierte Fallzahlschätzung vorgelegt. Der pharmazeutische Unternehmer weist jedoch gleichzeitig auf relevante Unsicherheiten in Bezug auf eine aktualisierte Fallzahlschätzung hin, unter anderem aufgrund der Einführung des Neugeborenen-screensings auf SMA in Deutschland, aufgrund derer eine endgültige Fallzahlschätzung zur ersten Zwischenanalyse nicht sinnvoll machbar sei.

Die seitens des pharmazeutischen Unternehmers angegebenen Gründe mit Bezug auf die Unsicherheit der Entwicklung der Patientenzahlen im weiteren Verlauf der anwendungsbegleitenden Datenerhebung sind nachvollziehbar.

Die Vorlage der endgültigen Fallzahlschätzung soll daher zur 2. Zwischenanalyse 54 Monate nach Beschluss des G-BA vom 4. Februar 2021 erfolgen.

### **3. Beteiligung nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V**

Ein erneutes Beteiligungsverfahren war nicht durchzuführen.

Die Anpassung des Zeitpunktes der Vorlage der endgültigen Fallzahlschätzung stellt keine wesentliche Änderung im Vergleich zum Beschluss zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen vom 4. Februar 2021 dar, vgl. 1. Kapitel § 14 Absatz 1 Satz 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 4. Februar 2021 hat der pharmazeutische Unternehmer dem G-BA mit Einreichung der ersten Zwischenanalyse 36 Monate nach Beschlussdatum auf relevante Unsicherheiten hingewiesen, aufgrund derer eine endgültige Fallzahlschätzung zum Zeitpunkt der ersten Zwischenanalyse nicht sinnvoll machbar seien. Hierdurch ergeben sich Änderungen an den Anforderungen des G-BA hinsichtlich der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen.

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

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 6. Juni 2024 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie einvernehmlich beschlossen.

#### **Zeitlicher Beratungsverlauf**

<b>Sitzung</b>	<b>Datum</b>	<b>Beratungsgegenstand</b>
AG AbD	15. April 2024 2. Mai 2024 13. Mai 2024	Beratung über den Sachverhalt
Unterausschuss Arzneimittel	28. Mai 2024	Beratung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Juli 2022
Plenum	6. Juni 2024	Beschlussfassung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Juli 2022

Berlin, den 6. Juni 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken