

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM RL):
Anlage XII –Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen
Wirkstoffen nach § 35a SGB V

Somapacitan (Wachstumsstörung durch Wachstumshormon-
mangel, ≥ 3 bis < 18 Jahre; Wachstumshormonmangel bei
Erwachsenen)

(Therapiekosten)

Vom 11. Juni 2024

Inhalt

| | | |
|-----------|---|----------|
| 1. | Rechtsgrundlage..... | 2 |
| 2. | Eckpunkte der Entscheidung..... | 2 |
| 3. | Bürokratiekostenermittlung | 4 |
| 4. | Verfahrensablauf..... | 5 |

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen.

Für Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens (Orphan Drugs), die nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen sind, gilt gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbs. SGB V der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Nachweise zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie müssen nicht vorgelegt werden (§ 35a Absatz 1 Satz 11 2. Halbs. SGB V). § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbs. SGB V fingiert somit einen Zusatznutzen für ein zugelassenes Orphan Drug, obschon eine den in § 35a Absatz 1 Satz 3 Nr. 2 und 3 SGB V i.V.m. 5. Kapitel §§ 5 ff. der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) niedergelegten Grundsätzen entsprechende Bewertung des Orphan Drugs nicht durchgeführt worden ist. Unter Angabe der Aussagekraft der Nachweise ist gemäß § 5 Absatz 8 AM-NutzenV nur das Ausmaß des Zusatznutzens zu quantifizieren.

Die aus der gesetzlich angeordneten Bindung an die Zulassung resultierenden Beschränkungen bei der Nutzenbewertung von Orphan Drugs entfallen jedoch, wenn der Umsatz des Arzneimittels mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apothekenverkaufspreisen sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten einen Betrag von 30 Millionen Euro übersteigt. Dann hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V innerhalb von drei Monaten nach Aufforderung durch den G-BA Nachweise gemäß 5. Kapitel § 5 Absatz 1 bis 6 VerfO, insbesondere zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zu der vom G-BA entsprechend 5. Kapitel § 6 VerfO festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie, zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

Gemäß § 35a Absatz 2 SGB V entscheidet der G-BA, ob er die Nutzenbewertung selbst durchführt oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) beauftragt. Ausgehend von der gesetzlichen Vorgabe in § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V, dass der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt gilt, hat der G-BA in seiner Sitzung vom 15. März 2012 das Verfahren der Nutzenbewertung von Orphan Drugs dahingehend modifiziert, dass bei Orphan Drugs zunächst keine eigenständige Festlegung einer zweckmäßigen Vergleichstherapie mehr durch den G-BA als Grundlage der insoweit allein rechtlich zulässigen Bewertung des Ausmaßes eines gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens erfolgt. Vielmehr wird ausschließlich auf der Grundlage der Zulassungsstudien das Ausmaß des Zusatznutzens unter Angabe der Aussagekraft der Nachweise durch den G-BA bewertet.

Dementsprechend hat der G-BA in seiner Sitzung am 15. März 2012 den mit Beschluss vom 1. August 2011 erteilten Auftrag an das IQWiG zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 2 SGB V in der Weise abgeändert, dass bei Orphan Drugs eine Beauftragung des IQWiG mit der Durchführung einer Nutzenbewertung bei zuvor festgelegter Vergleichstherapie erst dann erfolgt, wenn der Umsatz des betreffenden Arzneimittels die Umsatzschwelle gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V überschritten hat und damit einer uneingeschränkten Nutzenbewertung unterliegt. Die Bewertung des G-BA 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

In seiner Sitzung am 2. Mai 2024 hat der G-BA über die Nutzenbewertung von Somapacitan gemäß § 35a SGB V beschlossen. Im Nachgang zu der Veröffentlichung des Beschlusses auf der Internetseite des G-BA ist der G-BA zu dem Ergebnis gelangt, dass Bedarf für eine Anpassung der Angaben zu den im Beschluss dargestellten Therapiekosten besteht.

Im Beschluss vom 02. Mai 2024 wurden die Jahrestherapiekosten für die Somapacitan-Therapie nicht korrekt beziffert. Es wurde bei der Berechnung des Verbrauchs und der damit verbundenen Jahrestherapiekosten nicht berücksichtigt, dass es sich bei der Darreichungsform von Somapacitan um Multidosis-Pens handelt welche bei Anbruch eine 6-wöchige Haltbarkeit aufweisen. Weiterhin ist für Erwachsene Patientinnen und Patienten hinsichtlich der Verbrauchspanne neben der genannten Obergrenze von 8mg/Woche eine Untergrenze von 1,5 mg/Woche zu berücksichtigen.

Die Jahrestherapiekosten zu Somapacitan werden unter Verwendung der nachstehenden Angaben angepasst.

Verbrauch:

Für die Kostendarstellung werden nur die Dosierungen des Regelfalls betrachtet. Patientenindividuelle Dosisanpassungen, z.B. aufgrund von Nebenwirkungen oder Komorbiditäten, werden bei der rechnerischen Darstellung der Jahrestherapiekosten nicht berücksichtigt. Bei Dosierungen in Abhängigkeit von Körpergewicht (KG) oder Körperoberfläche (KOF) wurden die durchschnittlichen Körpermaße zugrunde gelegt (durchschnittliches Körpergewicht eines Kindes mit 3 Jahren: 16,2 kg. durchschnittliches Körpergewicht eines Jugendlichen mit 17 Jahren: 67,2 kg)¹.

| Bezeichnung der Therapie | Dosierung/Anwendung | Dosis/Patientin bzw. Patient/Behandlungstage | Verbrauch nach Wirkstärke/Behandlungstag | Behandlungstage/Patientin bzw. Patient/Jahr | Jahresdurchschnittsverbrauch nach Wirkstärke |
|-----------------------------|--|--|--|---|--|
| Zu bewertendes Arzneimittel | | | | | |
| Somapacitan | Patientinnen und Patienten ≥ 3 – unter 4 Jahre | | | | |
| | 0,16 mg/kg | 2,6 mg | 2,6 mg | 52,1 | 52,1 x 2,6 mg |
| | Patientinnen und Patienten ≥ 17 – unter 18 Jahre | | | | |
| | 0,16 mg/kg | 10,8 mg | 10,8 mg | 52,1 | 52,1 x 10,8 mg |
| | Erwachsene Patientinnen und Patienten | | | | |
| | 1,5 mg – | 1,5 mg – | 1,5 mg – | 52,1 | 52,1 x 1,5 mg – |

1 Statistisches Bundesamt, Wiesbaden 2021: <http://www.gbe-bund.de>

| Bezeichnung der Therapie | Dosierung/Anwendung | Dosis/Patientin bzw. Patient/Behandlungstage | Verbrauch nach Wirkstärke/Behandlungstag | Behandlungstage/Patientin bzw. Patient/Jahr | Jahresdurchschnittsverbrauch nach Wirkstärke |
|--------------------------|---------------------|--|--|---|--|
| | 8 mg | 8 mg | 8 mg | | 52,1 x 8 mg |

Kosten

[...]

- a) Kinder ab 3 Jahren und Jugendliche mit Wachstumsstörung aufgrund eines Wachstumshormonmangels
und
- b) Erwachsene mit Wachstumshormonmangel (AGHD), bei denen eine Substitution mit einem endogenen Wachstumshormon angezeigt ist

| Bezeichnung der Therapie | Packungsgröße | Kosten (Apotheken abgabepreis) | Rabatt § 130 SGB V | Rabatt § 130a SGB V | Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte |
|-----------------------------|---------------|--------------------------------|--------------------|---------------------|---|
| Zu bewertendes Arzneimittel | | | | | |
| Somapacitan 15 mg | 5 PEN | 8 323,37 € | 2,00 € | 472,06 € | 7 849,31 € |
| Abkürzungen: PEN = Fertipen | | | | | |

Stand Lauer-Taxe: 15. April 2024

3. Stellungnahmeverfahren nach § 92 Abs. 3a SGB V

Für die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie bedarf es nicht der Durchführung eines Stellungnahmeverfahrens nach § 92 Abs. 3a SGB V. Pharmazeutische Unternehmen werden durch die Berichtigung der Angaben zu den Kosten des Wirkstoffes Somapacitan nicht beschwert; mit der Änderung wird lediglich eine sachlich-rechnerische Richtigstellung der Kostendarstellung vorgenommen.

4. Bürokratiekosten

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**

Nach der Beschlussfassung ist die Notwendigkeit der Anpassung der Angaben im Beschluss hinsichtlich der Berechnung der Jahrestherapiekosten von Somapacitan im Beschluss vom 02. Mai 2024 über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie Anlage XII – Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Somapacitan aufgefallen.

Der Sachverhalt wurde in der Arbeitsgruppe AG § 35a und im Unterausschuss Arzneimittel beraten.

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 11. Juni 2024 die Änderung der AM-RL hinsichtlich einer sachlichen Richtigstellung der Kostendarstellung im Beschluss vom 2. Mai 2024 einvernehmlich beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

| Sitzung | Datum | Beratungsgegenstand |
|--------------------------------|---------------|---|
| AG § 35a | 5. Juni 2024 | Beratung über den Sachverhalt |
| Unterausschuss Arzneimittel | 11. Juni 2024 | Beratung über einen Änderungsbeschluss hinsichtlich der Kostendarstellung des Beschlusses vom 2. Mai 2024 |

Berlin, den 11. Juni 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken