

# 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 19. September 2024

## Inhalt

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

Zur Prüfung, ob die Anforderungen des G-BA an die anwendungsgleitende Datenerhebung und an die Auswertungen umgesetzt worden sind, hat der pharmazeutische Unternehmer dem G-BA mit Schreiben vom 30. Juni 2023 fristgerecht Entwürfe für ein Studienprotokoll sowie einen statistischen Analyseplan (SAP) übermittelt. Die Unterlagen wurden vom G-BA unter Einbindung des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) geprüft.

Mit Feststellungsbeschluss des G-BA vom 21. September 2023 wurden dem pharmazeutischen Unternehmer die für erforderlich erachteten Anpassungen an dem Studienprotokoll und dem SAP mitgeteilt. Der pharmazeutische Unternehmer hat fristgerecht zum 19. Oktober 2023 die überarbeiteten Entwürfe für ein Studienprotokoll und einen SAP an den G-BA übermittelt, welche vom G-BA unter Einbindung des IQWiG geprüft wurden. Auf Basis dieser Prüfung ist der G-BA zu dem Ergebnis gelangt, dass die Entscheidung, ob die anwendungsbegleitende Datenerhebung anhand des eingereichten Studienprotokolls und SAP durchgeführt werden kann, zu diesem Zeitpunkt nicht sachgerecht getroffen werden konnte. Der G-BA trug dabei dem Umstand Rechnung, dass die (bisherigen) Fristen für Änderungen am Datensatz des Deutschen Hämophilieregisters (DHR) im Paul-Ehrlich-Institut und die notwendige Umsetzungszeit mögliche limitierende Faktoren für die Sicherstellung der erforderlichen Anpassungen des Gesamtdatensatzes des DHR Registers darstellen können. Der G-BA hat daher entschieden, den Zeitraum für die 2. Prüfung der Studienunterlagen zu verlängern, um dem pharmazeutischen Unternehmer letztmalig die Gelegenheit zu geben, die Sicherstellung der erforderlichen Anpassungen des Gesamtdatensatzes des DHR Registers zu gewährleisten sowie die Behebung aller verbliebenen Mängel, die für den Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung maßgeblich sind, durchzuführen.

Der pharmazeutische Unternehmer hat fristgerecht zum 26. April 2024 die überarbeiteten Entwürfe für ein Studienprotokoll und einen SAP an den G-BA übermittelt. Diese wurden vom G-BA unter Einbindung des IQWiG geprüft. Auf Basis dieser Prüfung ist der G-BA zu dem Ergebnis gelangt, dass die Umsetzung der Anforderungen an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen in dem vom pharmazeutischen Unternehmer erstellten und dem G-BA zur Überprüfung übermittelten Studienprotokoll und SAP unter der Auflagen als erfüllt anzusehen ist, dass weitere für erforderlich erachtete Anpassungen an den Studienunterlagen vorgenommen werden. Der Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung für Valoctocogen Roxaparvec wurde auf den 30. August 2024 festgelegt.

Gemäß den Angaben im Forderungsbeschluss vom 2. Februar 2023 sind dem G-BA eine 3. Zwischenanalyse zum Zeitpunkt 54 Monate nach Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung (d.h. zum 2. März 2029) und die Auswertungen der mit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung erhobenen Daten für eine erneute Nutzenbewertung bis spätestens zum 1. Februar 2029 vorzulegen.

Da der Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung aufgrund der verlängerten Dauer der Überprüfung der Studienunterlagen erst am 30. August 2024 erfolgen konnte, ergibt sich Anpassungsbedarf an der Frist für die Vorlage von Auswertungen der mit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung erhobenen Daten. Die Frist wird daher mit dem vorliegenden Änderungsbeschluss unter Berücksichtigung des Zeitpunktes für die Einreichung der 3. Zwischenanalyse für Valoctocogen Roxaparvec auf den 2. November 2029 festgelegt.

### **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 Roxaparvec ist aufgrund der verlängerten Dauer der Überprüfung der Studienunterlagen 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 19. September 2024 die Änderung der AM-RL einvernehmlich beschlossen.

### **Zeitlicher Beratungsverlauf**

<b>Sitzung</b>	<b>Datum</b>	<b>Beratungsgegenstand</b>
AG AbD	1. August 2024 5. September 2024	Beratung über den Sachverhalt
Unterausschuss Arzneimittel	10. September 2024	Beratung über die Änderung des Beschlusses vom 2. Februar 2023
Plenum	19. September 2024	Beschlussfassung über die Änderung des Beschlusses vom 2. Februar 2023

Berlin, den 19. September 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken