

# 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)  
Risdiplam (spinale Muskelatrophie); Forderung einer  
anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von  
Auswertungen – Änderung

Vom 19. September 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>Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V .</b>	<b>3</b>
<b>4.</b>	<b>Bürokratiekostenermittlung .....</b>	<b>3</b>
<b>5.</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 21. Juli 2022 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Risdiplam gemäß § 35a SGB V beschlossen.

Im Forderungsbeschluss wurde festgelegt, dass die vom pharmazeutischen Unternehmer erstellten finalen Entwürfe für ein Studienprotokoll sowie für einen statistischen Analyseplan (SAP) dem G-BA zur Abstimmung bis spätestens 4 Wochen nach Positive Opinion für die Anwendungsgebietserweiterung von Risdiplam für Patientinnen und Patienten im Alter von 0 bis 2 Monaten, frühestens jedoch 5 Monate ab Inkrafttreten des vorliegenden Beschlusses zu übermitteln sind.

Zur Prüfung, ob die Anforderungen des G-BA an die anwendungsgleitende Datenerhebung und die Auswertungen umgesetzt worden sind, hat der pharmazeutische Unternehmer dem G-BA mit Schreiben vom 15. August 2023 fristgerecht nach Positive Opinion für die Anwendungsgebietserweiterung von Risdiplam Entwürfe für ein Studienprotokoll sowie einen 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 4. April 2024 wurden dem pharmazeutischen Unternehmer die für erforderlich erachteten Anpassungen an dem Studienprotokoll und dem SAP mitgeteilt.

Der pharmazeutische Unternehmer hat fristgerecht zum 2. Mai 2024 die überarbeiteten Entwürfe für ein Studienprotokoll und einen SAP an den G-BA übermittelt.

Mit Feststellungsbeschluss vom 19. September 2024 ist der G-BA zu dem Ergebnis gelangt, dass die Umsetzung der Anforderungen an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und die Auswertungen in dem vom pharmazeutischen Unternehmer erstellten und dem G-BA zur Überprüfung übermittelten Studienprotokoll und SAP unter der Auflage als erfüllt anzusehen ist, dass weitere für erforderlich erachtete Anpassungen an den Studienunterlagen

vorgenommen werden. Der Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung wurde auf den 30. Oktober 2024 festgelegt.

Im Forderungsbeschluss vom 21. Juli 2022 wurde bezogen auf die Dauer und den Umfang der Datenerhebung für Risdiplom eine Beobachtung der motorischen Entwicklung unter Therapie bis Monat 36 gefordert, sowie die Vorlage der Auswertungen der mit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung erhobenen Daten für eine erneute Nutzenbewertung bis spätestens bis zum 1. August 2026.

Da der Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung aufgrund des Startzeitpunktes und der Dauer der Überprüfung erst zum 30. Oktober 2024 festgelegt werden konnte, ergibt sich Anpassungsbedarf an der Frist für die Vorlage von Auswertungen der mit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung erhobenen Daten. Die Frist für die Vorlage von Auswertungen der mit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung erhobenen Daten wird mit dem vorliegenden Änderungsbeschluss daher unter Berücksichtigung des Beginns und der geforderten Dauer bzw. des Umfangs der anwendungsbegleitenden Datenerhebung für Risdiplom auf den 1. April 2028 festgelegt.

### **3. Beteiligung 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 21. Juli 2022 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 21. Juli 2022 über eine Änderung der AM-RL Anlage XII - Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Risdiplom ist aufgrund des Beginns und der geforderten Dauer bzw. des Umfangs der anwendungsbegleitenden Datenerhebung 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

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	19. August 2024 5. September 2024	Beratung über den Sachverhalt
Unterausschuss Arzneimittel	10. September 2024	Beratung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Juli 2022
Plenum	19. September 2024	Beschlussfassung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Juli 2022

Berlin, den 19. September 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken