

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
die Einstellung eines Beratungsverfahrens nach § 35a Absatz
3b des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V)
Marstacimab (Hämophilie A und B); Forderung einer
anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von
Auswertungen

Vom 5. Dezember 2024

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung	4
4.	Verfahrensablauf	4

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

Das zentrale Zulassungsverfahren der europäischen Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA) für den Wirkstoff Marstacimab ist im Oktober 2023 gestartet.

Mit Beschluss vom 4. April 2024 hat der G-BA ein Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V zu dem Wirkstoff Marstacimab im Anwendungsgebiet Hämophilie A und B eingeleitet.

Der Einleitung des Verfahrens lag die zum Zeitpunkt des Beschlusses vorliegende Orphan Designation der EMA für den Wirkstoff Marstacimab vom 14. Oktober 2016 für Hämophilie A (EU/3/16/1752) und vom 13. Dezember 2023 für Hämophilie B (EU/3/23/2866) zugrunde.

Zur Vorbereitung des Beschlusses über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen wurde ein Konzept erstellt. Das Konzept enthält insbesondere Anforderungen an

1. die Art, die Dauer und den Umfang der Datenerhebung,
2. die Fragestellung (PICO-Schema), die Gegenstand der Datenerhebung und von Auswertungen sein soll, einschließlich der zu erfassenden patientenrelevanten Endpunkte,
3. die Methodik der Datenerhebung,
4. die Auswertungen nach § 50 Absatz 2 der Verfo durch den pharmazeutischen Unternehmer.

Der G-BA entscheidet, ob er das Konzept selbst erstellt oder hiermit das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) beauftragt. Im vorliegenden Fall hat der

G-BA das IQWiG mit der Erstellung des Konzepts beauftragt. Die sachverständigen Stellen nach § 35a Absatz 3b Sätze 7 und 8 SGB V wurden an der Konzepterstellung schriftlich beteiligt. Die Beteiligung erfolgte in der Weise, dass den sachverständigen Stellen schriftlich Gelegenheit gegeben wurde, sich zu den Anforderungen an eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen gemäß dem erstellten Konzept zu äußern. Es wurde darüber hinaus ein Fachaustausch durchgeführt.

Die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen ist maßgeblich bedingt durch die Voraussetzungen nach § 35a Absatz 3b Satz 1 Nummer 1 und 2 SGB V, dass es sich um ein Arzneimittel handelt, dessen 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 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), die zuletzt durch die Verordnung (EU) 5/2019 (ABl. L 4 vom 7.1.2019, S. 24) geändert worden ist, genehmigt wurde oder für das nach Artikel 14-a der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 eine Zulassung erteilt wurde oder es sich um ein Arzneimittel handelt, das zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 zugelassen ist.

Mit Schreiben vom 17. Oktober 2024 hat der pharmazeutische Unternehmer den G-BA darüber informiert, dass die Orphan Designation zur Behandlung der Hämophilie A (EU/3/16/1752) und die Orphan Designation zur Behandlung der Hämophilie B (EU/3/23/2866) für den Wirkstoff Marstacimab zurückgenommen wurden. Die Streichung des Wirkstoffes Marstacimab zur Behandlung der Hämophilie A und B aus dem Gemeinschaftsregister für Arzneimittel für seltene Leiden ist auf der Internetseite der Europäischen Kommission („Community Register of not active orphan medicinal products“) am 11. Oktober 2024 veröffentlicht worden. Damit schied eine Zulassung als Arzneimittel für seltene Leiden (Orphan Drug) aus.

Am 18. November 2024 wurde eine Zulassung für Marstacimab für die Routineprophylaxe von Blutungsepisoden bei Patienten ab einem Alter von 12 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 35 kg mit schwerer Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel, FVIII < 1 %) ohne Faktor-VIII-Inhibitoren oder schwerer Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel, FIX < 1 %) ohne Faktor-IX-Inhibitoren erteilt. Diese erfolgte weder als bedingte Zulassung, noch als Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen.

Die gesetzlichen Voraussetzungen für die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 Nummer 1 und 2 SGB V für den Wirkstoff Marstacimab sind somit zum Zeitpunkt der vorliegenden Beschlussfassung nicht erfüllt.

Daher stellt der G-BA die Beratung zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Marstacimab in der Behandlung von „Erwachsenen und Jugendlichen ab einem Alter von 12 Jahren mit schwerer Hämophilie A ohne Faktor-VIII-Inhibitoren oder mit mittelschwerer bis schwerer Hämophilie B ohne Faktor-IX-Inhibitoren“ ein.

3. 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.

4. Verfahrensablauf

Zur Vorbereitung einer Beschlussempfehlung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung (Änderung der Anlage XII der AM-RL) gemäß § 35a Absatz 3b SGB V hat der Unterausschuss Arzneimittel eine Arbeitsgruppe (AG Anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD)) beauftragt, die sich aus den von den Spitzenorganisationen der Leistungserbringer benannten Mitgliedern, den vom GKV-Spitzenverband benannten Mitgliedern sowie Vertreter(innen) der Patientenorganisationen zusammensetzt. Darüber hinaus nehmen auch Vertreter(innen) des IQWiG an den Sitzungen teil. Zudem wurde zur Beurteilung der Erforderlichkeit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V die zuständige Bundesoberbehörde, das Paul-Ehrlich-Institut, an der Beratung beteiligt.

Die Beschlussempfehlung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 26. März 2024 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 4. April 2024 die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung beschlossen.

Der G-BA hat das IQWiG, in Verbindung mit dem Beschluss vom 4. April 2024 hinsichtlich der Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung, mit der wissenschaftlichen Ausarbeitung eines Konzeptes für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und Auswertung zum Zwecke der Vorbereitung eines Beschlusses beauftragt.

Das Konzept des IQWiG wurde dem G-BA am 31. Juli 2024 übermittelt. Am 2. August 2024 wurde die schriftliche Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V eingeleitet. Die Frist zur Abgabe der schriftlichen Beteiligung war der 30. August 2024.

Der Fachaustausch im Rahmen der Beteiligung der sachverständigen Stellen fand am 23. September 2024 statt.

Über die Einstellung des Verfahrens wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 26. November 2024 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 5. Dezember 2024 über die Einstellung der Beratungen zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	5. Januar 2024 1. Februar 2024 7. März 2024	Beratung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung (Änderung der Anlage XII der AM-RL), Einbindung der Bundesoberbehörde
Unterausschuss Arzneimittel	26. März 2024	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	4. April 2024	Beschlussfassung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung (Änderung der Anlage XII der AM-RL)
AG AbD	5. September 2024	Information über eingegangene schriftliche Beteiligungen, Vorbereitung des Fachaustausches
Unterausschuss Arzneimittel	23. September 2024	Durchführung des Fachaustausches
AG AbD	2. Oktober 2024 21. Oktober 2024 18. November 2024	Beratung über das Konzept des IQWiG sowie über die Vorgaben für die Überprüfung der Verpflichtung zur Durchführung und Vorlage von Auswertungen, Auswertung des Beteiligungsverfahrens bzw. über die Einstellung des Verfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	26. November 2024	Beratung der Beschlussvorlage zur Einstellung des Verfahrens
Plenum	5. Dezember 2024	Beschlussfassung über die Einstellung des Beratungsverfahrens über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung

Berlin, den 5. Dezember 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken