

# Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über  
eine Änderung der Verfahrensordnung:

Änderung zum 5. Kapitel – Feststellung zum Anteil der  
Prüfungsteilnehmer im Geltungsbereich des Fünften Buches  
Sozialgesetzbuch (SGB V)

Vom 5. Dezember 2024

## Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung .....	6
4.	Verfahrensablauf .....	6

## **1. Rechtsgrundlage**

Der Gemeinsame Bundesausschuss hat gemäß § 91 Absatz 4 Satz 1 Nummer 1 SGB V eine Verfahrensordnung (VerfO) zu beschließen, in der insbesondere methodische Anforderungen an die wissenschaftliche sektorenübergreifende Bewertung des Nutzens, der Notwendigkeit und der Wirtschaftlichkeit von Maßnahmen als Grundlage für Beschlüsse sowie die Anforderungen an den Nachweis der fachlichen Unabhängigkeit von Sachverständigen und anzuhörenden Stellen, die Art und Weise der Anhörung und deren Auswertung regelt. Die Verfahrensordnung bedarf gemäß § 91 Absatz 4 Satz 2 SGB V der Genehmigung des Bundesministeriums für Gesundheit.

Mit dem am 1. Januar 2011 in Kraft getretenen Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarkts wurde in § 35a SGB V eine Nutzenbewertung für Arzneimittel als Grundlage für Vereinbarungen von Erstattungsbeträgen nach § 130b SGB V eingeführt. Danach bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Hierzu gehört insbesondere die Bewertung des Zusatznutzens des Arzneimittels gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie, des Ausmaßes des Zusatznutzens und seiner therapeutischen Bedeutung. § 35a Absatz 1 Satz 9 SGB V ermächtigt den Gemeinsamen Bundesausschuss, weitere Einzelheiten in seiner Verfahrensordnung zu regeln.

Mit Beschluss vom 20. Januar 2011 hat der Gemeinsame Bundesausschuss ein 5. Kapitel in die Verfahrensordnung eingefügt, in dem das Nähere zum Verfahren über die Bewertung des Zusatznutzens von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V geregelt ist.

## **2. Eckpunkte der Entscheidung**

Mit dem vorliegenden Beschluss werden Anpassungen des 5. Kapitels VerfO sowie der Anlagen II.1 (Erstellung und Einreichung eines Dossiers zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V), II.3 (Erstellung und Einreichung eines Dossiers zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V) und II.5 (Modul 3 – Zweckmäßige Vergleichstherapie, Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen, Kosten der Therapie für die GKV, Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung) vorgenommen, die aus Anlass des Medizinforschungsgesetzes (MFG) vom 23. Oktober 2024 (BGBl. I. Nr. 324) erforderlich geworden sind.

Vorliegend wurden Vorgaben zur Feststellung, ob die klinischen Prüfungen des Arzneimittels zu einem relevanten Anteil im Geltungsbereich des SGB V durchgeführt wurden, ergänzt.

### **Zu den Änderungen im Einzelnen:**

#### **Zu I. (Änderungen im 5. Kapitel der VerfO):**

##### **Zu Nummer 1**

In § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 7 SGB V wird vorgegeben, dass der pharmazeutische Unternehmer für die Nutzenbewertung Angaben zur Anzahl der Prüfungsteilnehmer an den vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen einzureichen hat. Um diesen Vorgaben Rechnung zu tragen, wurde in den Anforderungen an das Nutzenbewertungsdossier im 5. Kapitel § 9 Absatz 1 Satz 8 VerfO bei den einzureichenden Angaben eine weitere Nummer 7. „Anzahl der Prüfungsteilnehmer an

den klinischen Prüfungen, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, und Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer.“ ergänzt.

Auf eine Übernahme der Angabe „an den vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen“ aus § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 7 SGB V wurde verzichtet, weil sich diese Präzisierung hinsichtlich der klinischen Prüfungen bereits aus § 35a Absatz 1 Satz 3 1. Halbsatz SGB V ergibt, für alle im Dossier zu übermittelnden Angaben nach § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 1 bis 7 SGB V gleichermaßen gilt und in § 4 Absatz 6 AM-NutzenV und 5. Kapitel § 9 Absatz 4 Satz 1 und 2 VerfO bereits ermächtigungskonform konkretisiert wurde. Die Verpflichtung zur Angabe der Prüfungsteilnehmer an klinischen Prüfungen an deutschen Prüfstellen besteht grundsätzlich für alle klinischen Prüfungen, die im Dossier nach § 4 Absatz 6 AM-NutzenV, 5. Kapitel § 9 Absatz 4 Satz 1 und 2 VerfO einzureichen sind. Für die konkrete Ausgestaltung der für die Feststellung einzubeziehenden klinischen Prüfungen des Arzneimittels wurde der Abschnitt 3.6 in Anlage II.5 zum 5. Kapitel der VerfO ergänzt.

## **Zu Nummer 2**

Im 5. Kapitel § 18 Absatz 1 VerfO werden die Bewertungsgrundlagen für die Nutzenbewertung festgelegt. Durch die Ergänzung „sowie der Angaben zur Anzahl der Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V“ in Satz 2 wird die Nutzenbewertung hinsichtlich der Bewertung des Anteils der Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen erweitert.

Die zu treffende Feststellung zum Anteil der Prüfungsteilnehmer an den klinischen Prüfungen des zu bewertenden Arzneimittels, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, ist Bestandteil der Nutzenbewertung und wird mit der Veröffentlichung der Nutzenbewertung zur Stellungnahme nach 5. Kapitel § 19 Absatz 1 VerfO gestellt.

In die Berechnung sind diejenigen Studien einzuschließen, die nach § 35a Absatz 1 Satz 3 als Teil des Nutzenbewertungsdossiers übermittelt werden. Entsprechend werden für die Feststellung alle klinischen Prüfungen zu dem Arzneimittel berücksichtigt, die ganz oder teilweise innerhalb des im übermittelten Nutzenbewertungsdossier beschriebenen Anwendungsgebiets durchgeführt wurden beziehungsweise werden. Ebenso wie die weiteren Feststellungen im Rahmen der Nutzenbewertung, erfolgt auch die Feststellung des Anteils der Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen anwendungsgebietsbezogen. Diese Umsetzung ergibt sich aus der gesetzgeberischen Einflechtung des neuen Auftrages in § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 7 und Absatz 3 SGB V und somit in die für den Nutzenbewertungsbeschluss als Bestandteil der Arzneimittel-Richtlinie über § 92 Absatz 2 Satz 4 SGB V eröffnete anwendungsgebietsbezogene Betrachtung. Durch die Einbettung der Regelung in § 35a Absatz 1 Satz 3 entspricht die Vorlageverpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers für die Studienteilnahmefeststellung den für die Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V in Verbindung mit § 4 Absatz 6 AM-NutzenV in Verbindung mit 5. Kapitel § 9 Absatz 4 Satz 1 und 2 VerfO vorzulegenden Unterlagen. Der durch die Steigerung der Forschungsaktivität in Deutschland (intendierte) frühere Zugang zum Arzneimittel und die damit verbundene Erhöhung der praktischen Erfahrungen mit der Behandlung zur Verbesserung der Versorgung betrifft explizit die Patientinnen und Patienten, die in dem zugelassenen Anwendungsgebiet mit dem Arzneimittel behandelt werden sollen. Auch die gesetzgeberische Intention, die resultierenden Studiendaten nah am hiesigen Versorgungskontext und Patientenkontext zu generieren, so dass sie für die Nutzenbewertung nach § 35a SGB V potentiell besonders aussagekräftig sind, spiegelt sich im Anwendungsgebietsbezug wieder.

Entsprechend der Gesetzesbegründung zum MFG (BR-Drucks. 416/2024) sollen ausschließlich klinische Prüfungen, wie sie in Artikel 2 Absatz 2 Nummer 2 der Verordnung (EU) Nr. 536/2014

des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. April 2014 über klinische Prüfungen mit Humanarzneimitteln und zur Aufhebung der Richtlinie 2001/20/EG (ABl. L 158 vom 27.5.2014, Satz 1) definiert werden, in die Ermittlung einbezogen werden. Nichtinterventionelle klinische Studien gemäß Artikel 2 Absatz 2 Nummer 4 Verordnung (EU) 536/2014 wie etwa Anwendungsbeobachtungen finden keine Berücksichtigung.

In der Gesetzesbegründung zum MFG wird als Zielsetzung der Regelung beschrieben, dass ein früher Zugang zu dem betreffenden Arzneimittel und damit ein frühzeitiger Aufbau von Kompetenzen und praktischen Erfahrungen mit der Behandlung zur Förderung einer nahtlosen und hochwertigen Versorgung nach Zulassung des Arzneimittels gefördert werden soll. Für die Feststellung ist es daher unerheblich, ob die der Zulassungsbehörde übermittelten Studien und die weiteren im Nutzenbewertungsdossier vorgelegten Studien für die Bewertung des Zusatznutzens unter Berücksichtigung methodischer Gesichtspunkte tatsächlich herangezogen werden können. Daher werden für die Feststellung alle klinischen Prüfungen, die der Zulassungsbehörde im Zulassungsdossier für die Beurteilung der klinischen Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet übermittelt wurden, sowie die weiteren im Nutzenbewertungsdossier gemäß § 4 Absatz 6 AM-NutzenV, 5. Kapitel § 9 Absatz 4 Satz 1 und 2 VerfO vorgelegten klinischen Prüfungen, die ganz oder teilweise innerhalb des zu bewertenden Anwendungsgebietes durchgeführt wurden oder werden, einbezogen. Nach Maßgabe dieser Regelungen werden für die Feststellung somit auch klinische Prüfungen berücksichtigt, bei denen die Rekrutierung der Studienteilnehmer auf bestimmte Kontinente oder Länder durch den pharmazeutischen Unternehmer oder aufgrund behördlicher Vorgaben beschränkt war.

Bei der Feststellung ist die Anzahl der Teilnehmer an deutschen Prüfstellen und die Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer aller klinischen Studien über alle Prüfstellen hinweg ins Verhältnis zu setzen. Klinische Prüfungen mit laufender Rekrutierung werden bei der Feststellung nicht berücksichtigt, da in diese Studien noch weitere Prüfungsteilnehmer aufgenommen werden, welche sich auf das Verhältnis zwischen der Anzahl deutscher Prüfungsteilnehmer und der Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer aller klinischen Studien über alle Prüfstellen hinweg auswirken können.

Die Plausibilisierung der Angaben erfolgt zum einen durch die Prüfung der angegebenen Studien. Dies erfolgt in Synergie mit der Prüfung der Informationsbeschaffung in Anlage II.6: Modul 4 – Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen unter Berücksichtigung der angegebenen Studien in Modul 4 sowie vorzulegender Studien- und Zulassungsunterlagen (Abschnitt 2.5, 2.7.3 und 2.7.4 des Zulassungsdossiers nach CTD). Um eine hinreichende Plausibilisierung der Angaben zu ermöglichen, müssen die zu berücksichtigenden klinischen Prüfungen in einem Studienregister/ einer Studienergebnisdatenbank registriert worden sein. Hieraus ergibt sich jedoch keine Einschränkung gegenüber der nach § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 7 SGB V einzubeziehenden Studien, da gemäß den Vorgaben der Verordnung (EU) Nr. 536/2014 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. April 2014 über klinische Prüfungen mit Humanarzneimitteln und zur Aufhebung der Richtlinie 2001/20/EG (ABl. L 158 vom 27.5.2014, Seite 1) ohnehin eine entsprechende Verpflichtung zur Registrierung der klinischen Prüfungen für die pharmazeutischen Unternehmen hervorgeht.

Des Weiteren erfolgt die Plausibilisierung hinsichtlich der Anzahl der angegebenen Prüfungsteilnehmer. Hierfür sind in Modul 5 zugehörige SAS-Auszüge zur Zusammenfassung der Studienrekrutierung nach Land und Prüfstelle je Studie durch den pharmazeutischen Unternehmer einzureichen. Es wird auf die Ausführungen zur Nummer 4 und 5 verwiesen.

Die Prüfung in der Nutzenbewertung erfolgt bezogen auf das gesamte zu bewertende Anwendungsgebiet. Eine Unterscheidung nach Patientengruppen erfolgt nicht.

### **Zu Nummer 3**

Im 5. Kapitel § 20 Absatz 3 Verfo wird durch Ergänzung der Nummer 5 der Inhalt des Beschlusses über die Nutzenbewertung entsprechend der durch das MFG in § 35a Absatz 3 SGB V neu eingefügten Sätze erweitert. Es wird geregelt, dass der Gemeinsame Bundesausschuss in der Beschlussfassung für ab 1. Januar 2025 in Verkehr gebrachte Arzneimittel zusätzlich die Feststellung vornimmt, ob die klinischen Prüfungen des betreffenden Arzneimittels zu einem relevanten Anteil in Deutschland durchgeführt wurden. Gemäß § 35a Absatz 3 Satz 6 SGB V in der Fassung des MFG ist dies der Fall, wenn der Anteil der Prüfungsteilnehmer an den vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen des Arzneimittels, die an Prüfstellen in Deutschland teilgenommen haben, an der Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer mindestens fünf Prozent beträgt.

Die Feststellung im Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses wird bezogen auf das gesamte zu bewertende Anwendungsgebiet getroffen. Eine Unterscheidung nach Patientengruppen erfolgt nicht.

### **Zu Nummer 4**

Die Anlage II.1 zum 5. Kapitel der Verfo enthält erläuternde Hinweise zu Format und Gliederung des Dossiers, einzureichenden Unterlagen sowie Vorgaben für technische Standards. Es wurden Erläuterungen und Ausfüllhinweise zum neuen Abschnitt 3.6 in Anlage II.5 (Modul 3; siehe unten) ergänzt. Zudem wurden Hinweise bezüglich der in Modul 5 zu „Dateien in Modul 3“ neu einzureichenden SAS-Auszüge zur Zusammenfassung der Studienrekrutierung nach Land und Prüfstelle eingefügt.

### **Zu Nummer 5**

Die Anlage II.3 zum 5. Kapitel der Verfo enthält eine Checkliste zur Prüfung der formalen Vollständigkeit des Dossiers. Die Checkliste wurde um Angaben zum neuen Abschnitt 3.6 in Anlage II.5 (Modul 3; siehe unten.) ergänzt.

### **Zu Nummer 6**

Mit der Ergänzung des neuen Abschnitts 3.6 wird ermöglicht, in Modul 3 der Dossievorlagen Angaben zur Anzahl der Prüfungsteilnehmer an den klinischen Prüfungen zu dem Arzneimittel, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, vorzunehmen. Entsprechend der Vorgaben in § 35a Absatz 3 SGB V ist für ab 1. Januar 2025 in Verkehr gebrachte Arzneimittel die Anzahl der Prüfungsteilnehmer an klinischen Prüfungen zu dem zu bewertenden Arzneimittel in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, und die Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer anzugeben.

In dem neu eingefügten Abschnitt 3.6 sind entsprechend der obigen Ausführungen zu Nummer 2 alle klinischen Prüfungen, die im Rahmen des Nutzenbewertungsdossiers vorgelegt werden (Modul 4, Abschnitt 4.3.1.1.1, 4.3.2.1.1, 4.3.2.2.1, 4.3.2.3.1) sowie alle klinischen Prüfungen, welche der Zulassungsbehörde im Zulassungsdossier für die Beurteilung der klinischen Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet übermittelt wurden, aufzulisten. Dabei ist jede Studie nur einmal

einzu beziehen. Die Rekrutierung der Studien muss abgeschlossen und es muss ein entsprechender Eintrag in einem Studienregister/einer Studienergebnisdatenbank vorhanden sein. Für jede herangezogene Studie ist in Modul 5 ein entsprechender SAS-Auszug zur Zusammenfassung der Studienrekrutierung nach Land und Prüfstelle zu hinterlegen.

Durch den pharmazeutischen Unternehmer ist die Anzahl der Teilnehmer an deutschen Prüfstellen und die Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer in den klinischen Studien über alle Prüfstellen hinweg ins Verhältnis zu setzen.

### 3. Bürokratiekostenermittlung

Durch den vorgesehenen Beschluss entstehen keine neuen beziehungsweise geänderten Informationspflichten für Leistungserbringer im Sinne von Anlage II zu 1. Kapitel VerFO und dementsprechend keine Bürokratiekosten.

### 4. Verfahrensablauf

Der Unterausschuss Arzneimittel hat zur Vorbereitung der Änderung im 5. Kapitel VerFO die Arbeitsgruppe Entscheidungsgrundlagen beauftragt.

Die Beschlussvorlage wurde abschließend im Unterausschuss Arzneimittel in der Sitzung am 29. Oktober 2024 beraten und konsentiert. Der Beschlussentwurf mit Tragenden Gründen wurde der Arbeitsgruppe Geschäftsordnung-Verfahrensordnung übersandt.

Die Arbeitsgruppe Geschäftsordnung-Verfahrensordnung hat schriftlich über die Beschlussunterlagen abgestimmt und diese an das Plenum des Gemeinsamen Bundesausschusses zur Beschlussfassung weitergeleitet.

Das Plenum des Gemeinsamen Bundesausschusses hat am 5. Dezember 2024 die Änderungen im 5. Kapitel VerFO beschlossen.

#### Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG Entscheidungsgrundlagen	8. August 2024 20. August 2024 12. September 2024 10. Oktober 2024	Beratung der Änderungen im 5. Kapitel der Verfahrensordnung
Unterausschuss Arzneimittel	29. Oktober 2024	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage
AG Geschäftsordnung-Verfahrensordnung	Schriftliche Beschlussfassung	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage
Plenum	5. Dezember 2024	Beschlussfassung

Berlin, den 5. Dezember 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken