

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)

Exagamglogen Autotemcel (Sichelzellkrankheit); Forderung
einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von
Auswertungen – Änderung

Vom 7. November 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 21. Dezember 2023 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Exagamglogen Autotemcel gemäß § 35a SGB V beschlossen.

Im Nachgang zur Beschlussfassung hat die EU-Kommission entschieden, die Zulassung von Voxelotor temporär auszusetzen.

Hierdurch ergeben sich Änderungen bezüglich der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für Exagamglogen Autotemcel (Sichelzellerkrankheit) durch den G-BA.

Zu den Änderungen im Einzelnen

Der Wirkstoff Voxelotor wurde am 14. Februar 2022 in der Europäischen Union zugelassen. Am 4. Oktober 2024 hat die EU-Kommission beschlossen, die Genehmigung für das Inverkehrbringen von Voxelotor auszusetzen bis eine endgültige Entscheidung im Rahmen des laufenden Verfahrens gemäß Artikel 20 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 getroffen wird. Hintergrund hierfür ist eine Empfehlung des Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) vom 26. September 2024 aufgrund von neuen Erkenntnissen über die Sicherheit von Voxelotor. Es kam während der Therapie mit Voxelotor zu einer Zunahme von vasookklusiven Krisen und zu einem vermehrten Auftreten von Todesfällen, welche gemäß Einschätzung des CHMP dazu führen, dass das Nutzen-Risiko-Verhältnis von Voxelotor derzeit nicht als positiv erachtet wird. Auf Basis der Empfehlung des CHMP hat die EU-Kommission mit Durchführungsbeschluss vom 4. Oktober 2024 entschieden, dass das Inverkehrbringen

und die Lieferung des Arzneimittels Oxbritya mit dem Wirkstoff Voxelotor in allen betroffenen EU-Mitgliedsstaaten ausgesetzt und alle auf dem EU-Markt befindlichen Chargen bis hin zu den Apotheken und Krankenhäusern zurückgerufen werden.

Aufgrund der Sicherheitsbedenken, die zur Aussetzung der Zulassung geführt haben, sind die Voraussetzungen für die Bestimmung von Voxelotor als AbD-Komparator nicht erfüllt. Darüber hinaus ist davon auszugehen, dass Voxelotor in der klinischen Versorgungspraxis in Deutschland nicht mehr eingesetzt wird.

Aus diesem Grund wird Voxelotor aus der Liste der Komparatoren im Rahmen der patientenindividuellen Therapie für die anwendungsbegleitende Datenerhebung zu Exagamglogen Autotemcel gestrichen.

Die Streichung von Voxelotor aus der patientenindividuellen Therapie des Komparator-Arms hat keinen Einfluss auf die orientierende Fallzahlschätzung zu der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung, da die Fallzahlschätzung vorrangig auf Effektgrößen von Hydroxycarbamid beruht und Voxelotor hierbei nicht berücksichtigt wurde.

3. Beteiligung nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V

Ein erneutes Beteiligungsverfahren ist nicht durchzuführen, da die Einbeziehung des Komparators Voxelotor im Rahmen der Beschlussfassung über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen vom 21. Dezember 2023 bereits Gegenstand des Beteiligungsverfahrens war und die Streichung des Komparators zu keiner wesentlichen Änderung der Tatsachengrundlage führt, die eine unmittelbare Betroffenheit der Stellungnahmeberechtigten und damit ein erneutes Stellungnahmerecht auslösen würden, 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. Dezember 2023 über eine Änderung der AM-RL Anlage XII - Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Exagamglogen Autotemcel ist aufgrund des Aussetzens der Zulassung von Voxelotor eine Änderung des Beschlusses erforderlich.

Der Sachverhalt wurde in der Arbeitsgruppe Anwendungsbegleitende Datenerhebung (AG AbD) und im Unterausschuss Arzneimittel beraten.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 7. November 2024 die Änderung der AM-RL einvernehmlich beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	21. Oktober 2024	Beratung über den Sachverhalt
Unterausschuss Arzneimittel	29. Oktober 2024	Beratung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Dezember 2023
Plenum	7. November 2024	Beschlussfassung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Dezember 2023

Berlin, den 7. November 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken