

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Feststellung im Verfahren der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V):

Risdiplom (spinale Muskelatrophie) – Überprüfung von Studienprotokoll und Statistischem Analyseplan und Start der AbD

Vom 20. Februar 2025

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	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.

Nach § 35a Absatz 3b Satz 10 SGB V in Verbindung mit 5. Kapitel § 60 Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) überprüft der G-BA die gewonnenen Daten und die Verpflichtung zur Datenerhebung in regelmäßigen Abständen, mindestens jedoch alle achtzehn Monate.

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.

Zur Prüfung, ob die Anforderungen des G-BA an die anwendungsbegleitende 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.

In dem Feststellungsbeschluss wurde darüber hinaus festgelegt, dass das überarbeitete Studienprotokoll und der überarbeitete SAP dem G-BA bis zum 30. März 2026 vorzulegen sind.

Gemäß § 62 Absatz 6 Satz 5 Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) erfolgt eine Überprüfung dieser Änderungen im Rahmen der Überprüfung der Zwischenanalysen. Der Zeitpunkt für die erste Zwischenanalyse wurde für Risdiplam auf 18 Monate nach Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung festgelegt. Das überarbeitete Studienprotokoll und der überarbeitete SAP sind dem G-BA somit nicht bis zum 30. März 2026, sondern bis zum 30. April 2026 einzureichen, weshalb eine entsprechende Anpassung des Datums im Feststellungsbeschluss erforderlich ist.

3. **Verfahrensablauf**

Im Nachgang zur Beschlussfassung vom 19. September 2024 über eine Feststellung im Verfahren der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) für den Wirkstoff Risdiplam (spinale Muskelatrophie) zur Überprüfung von Studienprotokoll und Statistischem Analyseplan und Start der AbD ist aufgefallen, dass aufgrund einer fehlerhaften Angabe bezüglich der Frist zur Vorlage des überarbeiteten Studienprotokolls und SAP eine Änderung dieser Angabe erforderlich ist.

Der Sachverhalt wurde in der Arbeitsgruppe AG AbD und im Unterausschuss Arzneimittel beraten.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 20. Februar 2025 die Änderung der AM-RL einvernehmlich beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	6. Februar 2025	Beratung über den Sachverhalt
Unterausschuss Arzneimittel	11. Februar 2025	Beratung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Juli 2022
Plenum	20. Februar 2025	Beschlussfassung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Juli 2022

Berlin, den 20. Februar 2025

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken