

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)
Obeticholsäure (Aufhebung der Beschlüsse vom 6. Juli 2017
und 16. Februar 2023)

Vom 3. April 2025

Inhalt

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

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen aller erstattungsfähigen Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen.

Für Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens (Orphan Drugs), die nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen sind, gilt gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbsatz SGB V der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Nachweise zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie müssen nicht vorgelegt werden (§ 35a Absatz 1 Satz 11 2. Halbsatz SGB V). § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbsatz SGB V fingiert somit einen Zusatznutzen für ein zugelassenes Orphan Drug, obschon eine den in § 35a Absatz 1 Satz 3 Nr. 2 und 3 SGB V i.V.m. 5. Kapitel §§ 5 ff. der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) niedergelegten Grundsätzen entsprechende Bewertung des Orphan Drugs nicht durchgeführt worden ist. Unter Angabe der Aussagekraft der Nachweise ist gemäß § 5 Absatz 8 AM-NutzenV nur das Ausmaß des Zusatznutzens zu quantifizieren.

Die aus der gesetzlich angeordneten Bindung an die Zulassung resultierenden Beschränkungen bei der Nutzenbewertung von Orphan Drugs entfallen jedoch, wenn der Umsatz des Arzneimittels mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apothekenverkaufspreisen sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten einen Betrag von 30 Millionen Euro übersteigt. Dann hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V innerhalb von drei Monaten nach Aufforderung durch den G-BA Nachweise gemäß 5. Kapitel § 5 Absatz 1 bis 6 VerfO, insbesondere zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zu der vom G-BA entsprechend 5. Kapitel § 6 VerfO festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie, zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

Gemäß § 35a Absatz 2 SGB V entscheidet der G-BA, ob er die Nutzenbewertung selbst durchführt oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) beauftragt. Ausgehend von der gesetzlichen Vorgabe in § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V, dass der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt gilt, hat der G-BA in seiner Sitzung vom 15. März 2012 das Verfahren der Nutzenbewertung von Orphan Drugs dahingehend modifiziert, dass bei Orphan Drugs zunächst keine eigenständige Festlegung einer zweckmäßigen Vergleichstherapie mehr durch den G-BA als Grundlage der insoweit allein rechtlich zulässigen Bewertung des Ausmaßes eines gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens erfolgt. Vielmehr wird ausschließlich auf der Grundlage der Zulassungsstudien das Ausmaß des Zusatznutzens unter Angabe der Aussagekraft der Nachweise durch den G-BA bewertet.

Dementsprechend hat der G-BA in seiner Sitzung am 15. März 2012 den mit Beschluss vom 1. August 2011 erteilten Auftrag an das IQWiG zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 2 SGB V in der Weise abgeändert, dass bei Orphan Drugs eine Beauftragung des IQWiG mit der Durchführung einer Nutzenbewertung bei zuvor festgelegter Vergleichstherapie erst dann erfolgt, wenn der Umsatz des betreffenden Arzneimittels die Umsatzschwelle gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V überschritten hat und damit einer uneingeschränkten Nutzenbewertung unterliegt. Die Bewertung des G-BA ist nach § 35a Absatz 2 SGB V innerhalb von drei Monaten nach dem maßgeblichen Zeitpunkt für die Einreichung der Nachweise abzuschließen und im Internet zu veröffentlichen.

Nach § 35a Absatz 3 SGB V beschließt der G-BA über die Nutzenbewertung innerhalb von drei Monaten nach ihrer Veröffentlichung. Der Beschluss ist im Internet zu veröffentlichen und ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Der Wirkstoff Obeticholsäure wurde am 12. Dezember 2016 erstmals als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen (Handelsname: Ocaliva).

Die bedingte Zulassung erfolgte für das Anwendungsgebiet: „OCALIVA wird angewendet für die Behandlung der primären biliären Cholangitis (auch unter der Bezeichnung primäre biliäre Zirrhose bekannt) in Verbindung mit Ursodesoxycholsäure (UDCA) bei Erwachsenen, die unzureichend auf UDCA ansprechen, oder als Monotherapie bei Erwachsenen, die UDCA nicht tolerieren können.

Nachdem der Wirkstoff Obeticholsäure erstmalig zum 15. Januar 2017 mit dem vorliegenden Anwendungsgebiet in Verkehr gebracht worden ist, hat der G-BA eine Nutzenbewertung nach § 35a SGB V durchgeführt und die Arzneimittel-Richtlinie in Anlage XII mit Beschluss vom 6. Juli 2017 um den Wirkstoff Obeticholsäure ergänzt. Mit Beschlussfassung vom 16. Februar 2023 erfolgte zudem eine Anpassung der Geltungsdauer des Beschlusses (Aufhebung der Befristung).

Die Genehmigung für das Inverkehrbringen von Ocaliva wurde durch den Durchführungsbeschluss der Europäischen Kommission vom 30. August 2024 mit Wirkung zum 5. September 2024 widerrufen. Anlass waren insbesondere die Ergebnisse der im Rahmen der bedingten Zulassung beauftragten Studie 747-302 zur Bestätigung des klinischen Nutzens und der Sicherheit von Ocaliva. In der Studie konnte nicht nachgewiesen werden, dass Ocaliva in Bezug auf die Zahl der Patientinnen und Patienten, deren Krankheit sich verschlimmerte oder die starben, wirksamer war als Placebo. Darüber hinaus reichten auch unterstützende Studien und Daten aus der Praxis nicht aus, um den Nutzen gegenüber der negativen Ergebnisse der Studie 747-302 zu bestätigen, wodurch der Nutzen von Ocaliva seine Risiken nicht überwiegt.

Mit diesem Widerruf der Zulassung entfällt die Grundlage für die Nutzenbewertung nach §35a Absatz 1 SGB V durch den G-BA. Folglich sind die Feststellungen zur Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 SGB V von Obeticholsäure (Anwendungsgebiet: primär biliäre Cholangitis) in der Anlage XII der AM-RL in der Fassung der Beschlüsse vom 6. Juli 2017 (BANz AT 01.08.2017 B4) und vom 16. Februar 2023 (BANz AT 09.03.2023 B5) aufzuheben.

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**

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG § 35a	5. März 2025	Beratung der Beschlussvorlage
Unterausschuss Arzneimittel	25. März 2025	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage zur Aufhebung des Beschlüsse
Plenum	3. April 2025	Beschlussfassung über die Aufhebung der Beschlüsse und der Änderung der AM-RL

Berlin, den 3. April 2025

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken