

# news!etter

Nr. 9/ September 2010

## Inhalt:

Beschlüsse vom September 2010

**Seite 2**

In Kraft getretene Beschlüsse

**Seite 2**

Noch nicht in Kraft getretene Beschlüsse

**Seite 2**

Sitzungstermine

**Seite 3**

Kommentar des Unparteiischen Vorsitzenden

**Seite 3**

Anhang: Auszug aus der Stellungnahme des G-BA zum AMNOG

**Seite 6**

Impressum

**Seite 10**



**Gemeinsamer  
Bundesausschuss**

**Der Vorsitzende**

Mit diesem Newsletter informieren wir Sie über die Ergebnisse der Sitzung des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) am 16. September 2010. Eine Kommentierung der Beschlüsse durch den Unparteiischen Vorsitzenden des G-BA, Dr. Rainer Hess, finden Sie auf Seite 3.

## Beschlüsse der Sitzung am 16. September 2010

[Arzneimittel-Richtlinie / Anlage II \(Ergänzung: Azzalure\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie / Anlage III Nummer 44 \(Stimulantien\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie / Anlage III \(Reboxetin\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie / Anlage IX \(Tropiumchlorid, Gruppe 1, in Stufe 1\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie / Anlage IX \(Ibuprofen, Gruppe 1B, in Stufe 1\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie / Anlage IX \(Glucocorticoide, inhalativ, oral, Gruppe 1, in Stufe 2\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie / Anlage IX \(Antianämika, andere, Gruppe 1, in Stufe 2\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie / Anlage IX und X \(Benzodiazepin-verwandte Mittel, Gruppe 1, in Stufe 2\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie / Anlage V \(Änderung: HSO und HSO plus\)](#)

[Beauftragung IQWiG: Bewertung des Kosten-Nutzen-Verhältnisses](#)

[Arzneimittel-Richtlinie / Anlage VI \(Valproinsäure bei der Migräneprophylaxe im Erwachsenenalter\)](#)

[Schutzimpfungs-Richtlinie / Anlage 1 \(Umsetzung der STIKO-Empfehlungen zur Impfung gegen Influenza\)](#)

[Richtlinien über künstliche Befruchtung: Anspruch auf Leistungen gemäß § 27a SGB V bei HIV-betroffenen Paaren](#)

## In Kraft getretene Beschlüsse

[Arzneimittel-Richtlinie / Anlage V \(Änderung: HSO und HSO plus\)](#)

## Noch nicht in Kraft getretene Beschlüsse

[Richtlinie zur einrichtungs- und sektorenübergreifenden Qualitätssicherung \(Erstfassung\)](#)

[Richtlinie zur einrichtungs- und sektorenübergreifenden Qualitätssicherung \(Anlage Datenflussverfahren\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie/ Anlage III \(Glitazone zur Behandlung des Diabetes mellitus Typ 2\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie/ Anlage III \(Glinide zur Behandlung des Diabetes mellitus Typ 2\)](#)  
[Schutzimpfungs-Richtlinie/ Anlage 1 \(Überarbeitung der Spaltenzuordnung in Anlage 1\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie/ Anlage IV \(Therapiehinweis zu Erythropoese-stimulierenden Wirkstoffen \)](#)

[Qualitätsbeurteilungs-Richtlinie Radiologie \(Neufassung\)](#)

[Bedarfsplanungs-Richtlinie \(Einführung eines Demografiefaktors\)](#)

[Richtlinie Kinderherzchirurgie \(Korrektur der Anlage 1\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie/Anlage IX \(Trospiumchlorid, Gruppe 1, in Stufe 1\)](#)

[Arzneimittel-Richtlinie/ Anlage IV \(Aufhebung eines Therapiehinweises zu Epoetin\)](#)

[Qualitätssicherungs-Richtlinie Dialyse \(Änderung\)](#)

[Richtlinie nach § 116b SGB V \(Mindestmengen Verlängerung der Befristung § 6 Abs. 5\)](#)

## Sitzungstermine

21. Oktober 2010  
11. November 2010  
16. Dezember 2010  
20. Januar 2011  
17. Februar 2011  
17. März 2011  
14. April 2011  
19. Mai 2011  
23. Juni 2011

In der Regel tagt der G-BA an jedem dritten Donnerstag im Monat.

## Kommentar des Unparteiischen Vorsitzenden

Mit dem Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) kommen auf den G-BA und seine Prüfverfahren weitreichende Änderungen zu. Die Positionierung des G-BA auf einer für den 29. September 2010 anberaumten diesbezüglichen Anhörung im Gesundheitsausschuss des Deutschen Bundestages wurde im Plenum am 16. September 2010 diskutiert. Dabei zeigte sich eine teilweise unterschiedliche Auffassung der Bänke. Sie betrifft vor allem die Akzeptanz eines von den Koalitionsfraktionen eingebrachten Änderungsantrags, der im Gegensatz zum Regierungsent-

wurf die Kriterien der Nutzenbewertung für G-BA und IQWiG durch eine Rechtsverordnung vorgeben will, statt sie in der Verfahrensordnung des G-BA mit Genehmigung durch das BMG regeln zu lassen.

Die Anhörung hat nicht nur zur Klärung der Positionen zu diesem Punkt, sondern vor allem auch zu den strittigen Fragen des Inhaltes einer Nutzenbewertung wesentlich beigetragen:

Die Koalitionsfraktionen gehen im Gegensatz zum Regierungsentwurf jetzt davon aus, dass die Zulassung eines Arzneimittels durch die europäische Zulassungsbehörde EMA oder das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) verbindlich für den G-BA auch den therapeutischen Nutzen dieses Arzneimittels belegt. Folgerichtig sehen sie die Bewertungszuständigkeit des G-BA nicht nur bei der frühen Nutzenbewertung gemäß AMNOG, sondern auch danach jeweils auf die Prüfung eines gegebenenfalls bestehenden Zusatznutzens eines neu zugelassenen Arzneimittels gegenüber den bereits zugelassenen Arzneimitteln begrenzt. Diese Prüfung soll entsprechend dieser Ausgangslage ausschließlich preisrechtliche Konsequenzen haben. Je nachdem, ob ein solcher Zusatznutzen belegbar oder nicht belegbar ist, sind die Preis- (Rabatt-)Verhandlungen durch den GKV-Spitzenverband mit dem Hersteller auf höherem (EU-Level) oder niedrigerem Level (zweckmäßige Vergleichstherapie) zu führen, wenn nicht bei vergleichbaren Arzneimitteln – wie bisher – die Zuordnung in eine Festbetragsgruppe erfolgt. Alle Hersteller von Arzneimitteln hätten dann in Deutschland grundsätzlich wegen des durch die Zulassung belegten therapeutischen Nutzens eines Medikaments das Recht, dass dieses zu Lasten der GKV auf Dauer, gegebenenfalls bis zu einer Marktrücknahme, verordnungsfähig bleibt.

Für Orphan Drugs (Arzneimittel zur Behandlung seltener Krankheiten) soll die Zulassung darüber hinaus die Rechtswirkung eines belegten Zusatznutzens haben. Das hätte die Folge, dass G-BA und IQWiG keine Bewertungszuständigkeit haben und unabhängig von der Erweiterung des Anwendungsgebietes dieser Arzneimittel immer das höhere Preisniveau gilt. Verordnungseinschränkungen sollen als Folge des durch die Zulassung belegten Nutzens nur noch dann zulässig sein, wenn der G-BA dem Hersteller die „Unzweckmäßigkeit“ seines Arzneimittels nachweist.

Die Opposition fordert eine stringenterer Regelung der Nutzenbewertung neu zugelassener Arzneimittel („4. Hürde“); sie lehnt die Gleichsetzung von Zulassung nach dem Arzneimittelgesetz (AMG) und Nutzenbeleg als Verordnungsvoraussetzung nach dem SGB grundsätzlich ab und hält entsprechend dem geltenden Recht (§ 92 SGB V) grundsätzlich auch für Orphan Drugs an einem von der Industrie nach evidenzbasierten Kriterien zu belegenden therapeutischen Nutzen fest.

Der G-BA hat seine Position zu dieser grundsätzlichen Frage der mit einer Arzneimittelzulassung nach dem AMG verbundenen Rechtswirkung in einer ausführlichen Stellungnahme in die Beratungen eingebracht. Die insoweit relevanten Ausführungen sind diesem Kommentar als Anlage beigefügt.

Der G-BA macht in seiner Stellungnahme deutlich, dass er die durch das AMNOG vorgesehene frühe Nutzenbewertung neu zugelassener Arzneimittel ausdrücklich begrüßt und auch die zu diesem Zeitpunkt grundsätzlich nur mögliche preisregulierende Rechtswirkung seiner Bewertungsentscheidungen akzeptiert. Gerade deswegen muss der G-BA aber auf einer anschließend durchführbaren vergleichenden Nutzenbewertung der verordnungsfähigen Arzneimittel bestehen.

Die Begründung hierfür hat in der Anhörung die forschende Pharmaindustrie selbst geliefert, indem sie bezogen auf die zu liefernden Dossiers auf die zum Zeitpunkt der Zulassung „noch“ unzureichende Studienlage für einen Nutzenbeleg selbst hin-

gewiesen hat. Dieses Argument ist richtig und muss in der frühen Nutzenbewertung insbesondere bezogen auf zu diesem Zeitpunkt nicht mögliche Langzeitstudien berücksichtigt werden. Ein gegenüber dem geltenden Recht gesetzlich angeordneter Verzicht auf eine nachgehende Nutzenbewertung würde jedoch die Industrie von der Verpflichtung befreien, diese auch aus ihrer Sicht zum Zeitpunkt der Zulassung bestehende unzureichende Studienlage durch ergänzende Studien aufzubessern.

Die unzureichende Studienlage zum Zeitpunkt der Zulassung ergibt sich vor allem aus den häufig auf sogenannten Surrogatparametern (z.B. Blutdrucksenkung, Cholesterinspiegelsenkung) und nicht auf patientenrelevanten Endpunkten (Morbidity, Mortalität und Lebensqualität) basierenden „Nichtunterlegenheitsstudien“. Für die Verordnungsfähigkeit von Arzneimitteln zu Lasten der GKV muss jedoch, unabhängig von der Preisebene, verlangt werden, dass diese den gesetzlichen Kriterien der §§ 2, 12 SGB V gerecht werden (Notwendigkeit, Zweckmäßigkeit und Wirtschaftlichkeit nach dem anerkannten Stand medizinischer Erkenntnisse = Evidenzbasierte Medizin).

Die dem G-BA ausschließlich mögliche vergleichende Bewertung von Behandlungsalternativen schließt es dabei aus, dass eine alternativlose Behandlungsmethode wegen schlechter Studienlage aus der Verordnungsfähigkeit zu Lasten der GKV ausgeschlossen werden könnte. Bestehen jedoch Behandlungsalternativen, muss es möglich bleiben, auf Grund der ausschließlich vom jeweiligen Hersteller einforderbaren Nutzenbelege die Verordnungsfähigkeit eines Arzneimittels einzuschränken, wenn es im Verhältnis zum Vergleichsprodukt keinen nach patientenrelevanten Endpunkten belegten Nutzen oder sogar ein höheres Schadenspotential hat.

Die dem G-BA im Antrag der Regierungskoalition zgedachte Möglichkeit, den Nachweis der Unzweckmäßigkeit eines Arzneimittels als Voraussetzung für Verordnungseinschränkungen zu führen, ist keine Alternative zu dem vom Hersteller zu erbringenden Nutzenbeleg. Keine Ethikkommission würde eine klinische Studie billigen, die auf ein negatives Ergebnis gerichtet ist. Derartige Studien wären wegen ihres Aufwandes durch den G-BA auch nicht finanzierbar; er hätte wegen des für den Wirkstoff bestehenden Patentschutzes auch kein Zugriffsrecht auf die Wirkstoffdaten. Die klinische Forschung zu Arzneimitteln erfolgt international und liegt richtigerweise in der Verantwortung der Rechtsinhaber der Wirkstoffpatente, die auch bei Zulassung die Erträge für sich nutzen können.

Die Vertreter der Bundesärztekammer, des IQWiG, des GKV-Spitzenverbandes und des Deutschen Cochrane-Zentrums haben sich in vergleichbarer Weise wie der G-BA geäußert. Es sollte daher die Hoffnung bestehen, dass die Regierungskoalition ihre Änderungsanträge zum Regierungsentwurf des AMNOG noch einmal überdenkt.

Der G-BA hat sich auf seiner Sitzung am 16. September 2010 aber nicht nur mit dem AMNOG als künftiger Rechtsgrundlage einer frühen Nutzenbewertung neu zugelassener Arzneimittel befasst. Er hat auf der Basis des noch geltenden Rechts den zur Behandlung von Depression eingesetzten Wirkstoff Reboxetin von der Verordnungsfähigkeit zu Lasten der GKV ausgeschlossen. Nach der Bewertung durch das IQWiG ist in einer Vergleichsstudie gegen Placebo kein Nutzen – vielmehr sogar eine Unterlegenheit – belegt worden; gleichzeitig hat der Wirkstoff aber ein erhebliches Schadenspotential.

In derselben Sitzung ist auf der Grundlage der Empfehlung der Ständigen Impfkommission (STIKO) eine Aktualisierung der Gripeschutzimpfung rückwirkend zum 19. September 2010 (Tag der Herausgabe des neuen Impfstoffes) erfolgt. Zu den Anspruchsberechtigten gehören jetzt auch schwangere Frauen und Patientinnen und Patienten mit chronisch neurologischen Erkrankungen, die zu respiratorischen Einschränkungen führen können.

Der G-BA hat in dieser Sitzung in den Richtlinien zur künstlichen Befruchtung den Abschluss einer Kostenübernahme für von HIV betroffene Paare aufgehoben, da sich ein Sonderstatus der HIV-Infektion im Vergleich zu anderen schweren Erkrankungen in diesem Zusammenhang medizinisch nicht begründen lässt.

Schließlich hat der G-BA den Wirkstoff Valproinsäure im Off-Label-Use zur Vorbeugung der Migräne bei Erwachsenen für eine Verordnung zu Lasten der GKV freigegeben, wenn eine Behandlung mit anderen dafür zugelassenen Arzneimitteln nicht erfolgreich war oder nicht angewandt werden darf. Da mit der Einnahme von Valproinsäurehaltigen Arzneimitteln ein erhöhtes Missbildungsrisiko für ungeborene Kinder verbunden ist, sind Schwangere aber in jedem Fall von einer solchen Behandlung ausgenommen. Auch bei Frauen im gebärfähigen Alter sind Nutzen und Risiko einer Therapie mit Valproinsäure zur Migräneprophylaxe sehr sorgfältig abzuwägen. Aufgrund dieser mit der Behandlung verbundenen Risiken hat nur ein Teil der betreffenden Hersteller dem Off-Label-Use zugestimmt. Der verordnende Arzt bzw. die verordnende Ärztin muss daher sehr genau auf die Auflistung dieser Hersteller in der Arzneimittel-Richtlinie des G-BA achten, da die nicht genannten Unternehmen keine Produkthaftung für einen Off-Label-Use übernehmen. Zudem ist eine sorgfältige und umfassende Aufklärung über die in der Richtlinie und der Begründung genannten Risiken der Behandlung erforderlich.

## **Anhang: Auszug aus der Stellungnahme des G-BA zum AMNOG**

**Quelle:** [Stellungnahme des G-BA zum Fraktionsentwurf von CDU/CSU und FDP zu einem Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung](#)

ab Seite 2 ff:

*„Der G-BA muss aber gerade wegen dieser begrenzten – im Rahmen einer Schnellbewertung auch nicht anders erwartbaren – Rechtswirkung seiner Bewertungsentscheidung nach § 35a Abs. 1 S. 5 idF FraktE schon zur Gewährleistung der verfassungsrechtlich gebotenen Gleichbehandlung mit nicht medikamentösen Behandlungsverfahren darauf bestehen, dass von ihm vorgenommene Nutzenbewertungen von Arzneimitteln nicht nur die im AMNOG vorgesehene preisrechtliche Wirkung entfalten dürfen, sondern wie bisher auch zu Verordnungseinschränkungen und Verordnungsausschlüssen führen können müssen. Diese Notwendigkeit wird als solche durch den Gesetzentwurf auch nicht in Frage gestellt. Dies lässt sich aus einem Umkehrschluss der in § 92 Abs. 2 S. 10 idF FraktE vorgesehenen Einschränkung zu Therapiehinweisen entnehmen, ergibt sich aber auch aus der Begründung des Fraktions-Entwurfs (BT-Drucks 17/2413 zu Nr. 6 (§ 35b) b, aa). Aus einem Änderungsantrag der Fraktionen von CDU/CSU und FDP lässt sich jedoch entnehmen, dass die Regierungskoalition auch außerhalb des AMNOG den Nutzenbeleg eines Arzneimittels mit seiner Zulassung nach dem AMG als gegeben ansehen will und Verordnungseinschränkungen nur aufgrund eines vom G-BA zu führenden Nachweises der Unzweckmäßigkeit eines Arzneimittels akzeptieren will. Dem muss sowohl aus rechtlichen als auch aus inhaltlichen Gründen entschieden widersprochen werden.*

*3.1 Schon nach der Entscheidung des BVerfG vom 20. 9. 1991, 1 BVR 879/90, ist der für die sozialversicherungsrechtliche Bewertung der Verordnungsfähigkeit eines Arzneimittels zu Lasten der GKV maßgebliche „therapeutische Nutzen“ (§§ 35 Abs. 1b, 35b Abs. 1 Satz 4 SGB V)*

weder wortidentisch noch inhaltsgleich mit der durch die Arzneimittelzulassung nach dem AMG belegten „therapeutischen Wirksamkeit.“ (§ 25 Abs.2 Satz 1 Nr.4 AMG). Das Arzneimittelrecht und die Vorschriften des SGB V dienen nicht denselben Zwecken und machen demgemäß die Zulassung von Arzneimitteln zum Verkehr und die Verordnungsfähigkeit von Arzneimitteln zu Lasten der GKV von verschiedenen Voraussetzungen abhängig (vgl. BVerfG, NJW 1997, 3085). Das maßgebliche Leitkriterium der Prüfung nach den arzneimittelrechtlichen Zulassungsvoraussetzungen sowohl nach europäischem als auch nach deutschem Arzneimittelrecht ist die Arzneimittelsicherheit, die in den Dimensionen der pharmazeutischen Qualität, der (therapeutischen) Wirksamkeit und der Unbedenklichkeit geprüft wird (vgl. Ziff. 13 der Präambel der Verordnung 726/2004/EG sowie § 1 AMG). Die Vorschriften des SGB V sind hingegen auf die Gewährleistung einer therapeutischen und wirtschaftlich möglichst effizienten Verordnung von Arzneimitteln gerichtet. Das SGB V bestimmt mit dem Wirtschaftlichkeitsgebot nach § 12 Abs.1 SGB V, insbesondere mit den Leistungskriterien der Zweckmäßigkeit, des therapeutischen Nutzens sowie der Wirtschaftlichkeit im engeren Sinne einen Maßstab, der nicht nur für die arzneimittelrechtliche Zulassung, sondern auch für alle anderen GKV-Leistungsbereiche (z.B. Pflichtweiterbildung des approbierten Arztes zum Facharzt als Zulassungsvoraussetzung) nicht vorgreiflich ist. Die arzneimittelrechtliche Zulässigkeit einer Arzneimittelanwendung stellt in diesem Sinne für die GKV immer nur ein "Mindestsicherheits- und Qualitätserfordernis" dar und ist nur "negativ vorgreiflich", weil eine erforderliche, aber nicht vorhandene Zulassung auch die Verordnungsfähigkeit stets ausschließt (vgl. bereits BSG SozR 3-2500 § 31 Nr 3 S 10; BSGE 82, 233, 236 = SozR 3-2500 § 31 Nr 5 S 18; BSGE 85, 36, 51 f = SozR 3-2500 § 27 Nr 11 S 52 f mwN - SKAT; BSG SozR 3-2500 § 31 Nr 7 S 23).

- 3.2 Der Beleg der therapeutischen Wirksamkeit ist im Rahmen des Zulassungsverfahrens auch durch klinische Studien erbringbar, die für Surrogatparameter (Senkung des Blutdrucks, Cholesterinspiegels) eine Nichtunterlegenheit gegenüber der Standardtherapie belegen. Hierauf beruht eine Vielzahl von Zulassungsentscheidungen insbesondere für Arzneimittel zur Behandlung schwerwiegender Erkrankungen (z.B. Diabetes, Onkologie). Nach den wissenschaftlich anerkannten Kriterien der evidenzbasierten Medizin, wie sie als Grundlage der Nutzenbewertung nicht nur in der Verfahrensordnung des G-BA mit ausdrücklicher Zustimmung des BMG sondern auch nach der vom IQWiG nach § 139a Abs. 5 SGB V für die Nutzenbewertung festgelegten wissenschaftlichen Methodik definiert sind, ist der Nutzenbeleg demgegenüber für patientenrelevante Endpunkte (Morbidität, Mortalität, Lebensqualität) zu erbringen. Diese Anforderung hat der Gesetzgeber in § 35 Abs. 1b S. 5 SGB V für den vom Hersteller zu führenden Nachweis einer therapeutischen Verbesserung gegenüber den vom G-BA einer Festbetragsgruppe zugeordneten Arzneimitteln auch ausdrücklich eingeführt. Die Streichung des insbesondere für Arzneimittel in § 92 Abs. 1 S. 1 HS. 3 SGB V zu führenden Nutznachweises durch den Hersteller und deren Ersetzung durch einen vom G-BA zu führenden Nachweis einer Unzweckmäßigkeit des Arzneimittels (so der Änderungsantrag der Fraktionen der Regierungskoalition) würde die ausschließlich der Preisregulierung dienende Eingangsbewertung des AMNOG auf die Dauer der Patentlaufzeit des Arzneimittels perpetuieren. Da der G-BA den Nachweis der Unzweckmäßigkeit eines Arzneimittels aus eigenen Erkenntnissen nie führen könnte, hätte der Hersteller es selbst in der Hand, durch Unterlassen weiterer Studien Verordnungseinschränkungen

während der Patentlaufzeit auf dieser Grundlage zu verhindern. Ein Verweis auf vergleichbare Regelungen in anderen Ländern verbietet sich, da diese alle ein mehrstufiges Bewertungsverfahren mit steigenden Anforderungen an den Nachweis der Evidenz beinhalten.

- 3.3 An der bestehenden Fassung des § 92 Abs. 1 S. 1 HS 3 SGB V muss daher unbedingt festgehalten werden. Die Möglichkeit von Verordnungsbeschränkungen für Arzneimittel darf nicht auf einen durch den G-BA idR nicht führbaren Nachweis der Unzweckmäßigkeit eines Arzneimittels begrenzt werden, sondern muss im Interesse der Patienten wegen der mit jeder Medikamenteneinnahme verbundenen Gesundheitsrisiken und des von ihnen deswegen zu Recht eingeforderten therapeutischen Nutzenbeleges nach patientenrelevanten Endpunkten unabhängig von einer der Preisregulierung dienenden Schnellbewertung nach dem AMNOG uneingeschränkt erhalten bleiben. Dies gilt insbesondere auch deswegen, weil die Nutzenbewertung durch den G-BA, anders als im Zulassungsverfahren, nicht auf ein einzelnes Arzneimittel gerichtet ist, sondern immer auf einer vergleichenden Bewertung unter mindestens zwei in der Regel aber mehreren für dasselbe Anwendungsgebiet zugelassenen Arzneimitteln erfolgt. In diesem Vergleich geht es immer um eine Nutzen/Risiken-Abwägung, die schon vom Zeitpunkt her nicht mit der Zulassungsentscheidung vergleichbar ist, sondern die im jeweiligen Zeitpunkt der Bewertung bestehende Studienlage einschließlich derjenigen von Vergleichsprodukten und nach medizinischen Erfordernissen erwartbarer zusätzlicher Nutzenbelege aufgrund von Langzeitstudien zu berücksichtigen hat.
4. Auch soweit es die unter erleichterten Bedingungen erfolgte arzneimittelrechtliche Zulassung als „Orphan Drug“ betrifft, darf deswegen dem Antrag der Koalitionsfraktion auf Herausnahme aus der Nutzenbewertung nach Absatz 1 wegen eines aufgrund der Zulassung anzuerkennenden Zusatznutzens nicht stattgegeben werden. Diese im Sozialgesetzbuch vorgesehene rechtliche Anerkennung der arzneimittelrechtlichen Zulassung als Zusatznutzen widerspricht eindeutig dem begrenzten Wirksamkeitsnachweis der Arzneimittelzulassung des AMG. Nicht, wie die Begründung zum Gesetzentwurf fälschlicherweise betont, die Alternativlosigkeit einer Behandlung seltener Erkrankungen ist die Begründung für die erleichterten Zulassungsvoraussetzungen für Orphan Drugs, sondern allein die Seltenheit der Erkrankung als solche (fünf von zehntausend Personen). Deswegen erfolgt die Zulassung als Orphan Drug häufig für mehrere Arzneimittel ausschließlich auf der Basis von Surrogatparametern ohne Bezug zum patientenrelevanten Nutzen. Es gibt genügend Beispiele dafür, dass sich gerade die auf dieser Grundlage für seltene Erkrankungen zugelassenen Arzneimittel mit extrem hohen Preisen zu „Blockbustern“ oder „Niche-Bustern“ entwickelt haben. Gerade bei Orphan Drugs besteht häufig ein Missverhältnis zwischen hohen Jahrestherapiekosten mit finanzieller Belastung der GKV einerseits und fraglichem Nutzen sowie verringerten Aufwendungen der Industrie für diese Arzneimittel andererseits. Gerade hier ist die Regelungsabsicht des AMNOG, nämlich angemessene Preise von neuen Wirkstoffen in der GKV, besonders erforderlich.
- 4.1 Die ungeprüfte Anerkennung eines Zusatznutzens „qua Gesetz“ für Orphan Drugs bedeutet einen hohen Anreiz, Arzneimittel gezielt nur für kleine Patientengruppen zuzulassen. Diese Strategie wird bereits jetzt von der pharmazeutischen Industrie verfolgt, zum Beispiel durch künstliche Stratifizierungen von häufigen Erkrankungen in der Onkologie. Dieser Anreiz steht im Widerspruch zum ursprünglichen Ziel der Orphan-Drug-Regelung, wirtschaftlich weniger interessante Indikationen für die pharmazeutische Entwicklung attraktiver zu gestalten. Inzwischen ver-

*folgt die Industrie bei Orphan Drugs, wie publizierte Marketingstrategien belegen, bewusst das Ziel, durch Zulassung von Orphan Drugs hohe Preise in einem wenig kompetitiven Marktumfeld zu realisieren. Die Herausnahme von Orphan Drugs aus der Preisregulierung durch das AMNOG würde diese bereits jetzt vorherrschende Tendenz in Deutschland noch deutlich verstärken.*

- 4.2 *So ist z.B. der Wirkstoff Imatinib (Glivec®) als Orphan Drug im Jahr 2001 zugelassen worden. In den letzten Jahren wurde mehrfach die Zulassung auf weitere Indikationen erweitert. Im Arzneiverordnungsreport 2010 findet sich Glivec auf Platz 6 der umsatzstärksten Arzneimittel (für das Jahr 2009) mit einem Umsatz von 263 Millionen Euro (Zuwachs von 13, 8 %) und verursacht damit 40% der Kosten aus dieser Arzneimittelgruppe. Die mittleren Kosten pro definierter Tagesdosis (DDD) liegen bei 139 Euro, die mittleren Jahrestherapiekosten liegen bei ca. 40.000 Euro.*
- 4.3 *Als ein weiteres Arzneimittel im Bereich der Onkologie ist Sorafenib (Nexavar®) für die Behandlung des metastasierten Nierenzellkarzinoms als Orphan Drug zugelassen. Hier liegen die mittleren Jahrestherapiekosten bei 60.000 Euro; der Jahresumsatz in 2009 in der GKV lag bei 58 Millionen Euro. In Studien zeigte sich kein Vorteil bezogen auf das Gesamtüberleben im Vergleich zu einer Placebobehandlung. Am Beispiel des Nierenzellkarzinoms zeigt sich auch, dass eine Ausnahme der „Orphan Drugs“ von dem Verfahren zur frühen Nutzenbewertung zu wettbewerbsverzerrenden Situationen führen kann, wenn einige Arzneimittel in einer Indikation als „Orphan Drugs“ zugelassen werden und andere nicht. So sind in der Indikation des Nierenzellkarzinoms zwei Arzneimittel als „Orphan Drugs“ zugelassen und drei andere Arzneimittel nicht. Wie sollen derartige Unterschiede in der Zulassung in einer Nutzenbewertung durch den G-BA unter Wahrung des Gleichheitsgrundsatzes gehandhabt werden?*
- 4.4 *Für die Behandlung des Lungenhochdrucks sind derzeit mehrere Arzneimittel zugelassen: Ambrisentan (Volibris®), Bosentan (Tracleer®), Iloprost zur Inhalation (Ventavis), Sildenafil (Revatio) und Sitaxentan (Thelin). Alle Arzneimittel haben eine Zulassung als Orphan Drug und die Jahrestherapiekosten reichen von ca. 10.000 Euro bis 200.000 Euro. Der GKV-Umsatz für die aufgeführten Präparate lag im Jahr 2009 bei 145 Millionen Euro. Für keines der Arzneimittel konnte eine Verlängerung des Gesamtüberlebens im Vergleich zu Placebo gezeigt werden. Der untersuchte Endpunkt war jeweils die Verlängerung der Gehstrecke.*
5. *Der Beleg für den therapeutischen Nutzen muss daher für alle neu zugelassenen Arzneimittel und für neu zugelassene Anwendungsgebiete unabhängig von der Arzneimittelzulassung erbracht werden, wenn die Ziele des AMNOG erreicht und eine verfassungsrechtlich gebotene Gleichbehandlung der Industrie im Rahmen einer Schnellbewertung aber auch in einem nachgehenden mehrstufigem Verfahren der Nutzen/Risiko-Abwägung unter mehreren nicht nur medikamentösen Therapiemöglichkeiten gewährleistet werden sollen.*
6. *Im Unterschied zu den bestehenden Verfahren ist allerdings nach dem AMNOG diese Nutzenbewertung unmittelbar nach Inverkehrbringen eines neu zugelassenen Arzneimittels vorzunehmen. Die Anforderungen an den Nutzenbeleg müssen daher zunächst und insbesondere übergangsweise niedriger angesetzt werden; ein Verordnungsaußchluss in dieser Phase des Verfahrens kann daher nur eine seltene, aber unter Umständen notwendige Ausnahme sein (dazu Stellungnahme zu § 35a Abs. 1 idF FraktE). Die rechtlichen An-*

*forderungen an derartige Verordnungseinschränkungen und insbesondere an das dem Hersteller einzuräumende rechtliche Gehör ergeben sich nicht nur für Arzneimittel, sondern auch für nichtmedikamentöse Behandlungsverfahren aus der Rechtsprechung des BSG und der ihm folgenden Verfahrensordnung des G-BA. Sie lassen sich in einem auf sechs Monate nach Inverkehrbringen begrenzten Schnellbewertungsverfahren kaum umsetzen. Diese Vorschriften müssen aber wegen der auf preisrechtliche Konsequenzen begrenzten Regelung des AMNOG aus den vorgenannten Gründen unbedingt unberührt bleiben.“*

## Impressum

**Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA)**

**Ansprechpartnerin im Stabsbereich Öffentlichkeitsarbeit und  
Kommunikation:**

**Sybille Golkowski**

Telefon: +49-30-275838-172

Telefax: +49-30-275838-105

E-Mail: [Sybille.Golkowski@g-ba.de](mailto:Sybille.Golkowski@g-ba.de)