



**Gemeinsamer
Bundesausschuss**

Die frühe Nutzenbewertung und ihre rechtlichen Herausforderungen

Rechtssymposium

Die frühe Nutzenbewertung von Arzneimitteln nach AMNOG

G-BA, Berlin

Referent: Dr. jur. Rainer Hess, G-BA

§ 35a AMNOG:

- Der Gemeinsame Bundesausschuss bewertet den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Hierzu gehört insbesondere die **Bewertung des Zusatznutzens gegenüber der Vergleichstherapie**, des Ausmaßes des Zusatznutzens und seiner therapeutischen Bedeutung. Die Nutzenbewertung erfolgt auf Grund von Nachweisen des pharmazeutischen Unternehmers.
- Legt der pharmazeutische Unternehmer die erforderlichen Nachweise trotz Aufforderung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss nicht rechtzeitig oder nicht vollständig vor, gilt ein **Zusatznutzen** als nicht belegt.

Bewertungsverfahren/ Entscheidungsalternativen:

1. Festbetragsfähiges Arzneimittel: Prüfung auf therapeutische Verbesserung für Patientengruppen oder Indikationsgebiete gegenüber der Festbetragsgruppe
 - 1.1 keine Verbesserung: Einordnung in die FB-Gruppe
 - 1.2 Verbesserung: Preisverhandlung mit GKV-SV
(für die Patientengruppe oder das Indikationsgebiet !?)
 2. Nicht festbetragsfähiges Arzneimittel:
 - 2.1 „Solist“ : Gegenüber der Vergleichstherapie nachgewiesener relevanter Zusatznutzen - Preisverhandlung mit dem GKV-SV
 - 2.2 kein Zusatznutzen: Festsetzung einer Vergleichstherapie als Obergrenze der Jahrestherapiekosten für Preisverhandlung mit dem GKV-SV
- Evidenzstufe der zweckmäßigen Vergleichstherapie maßgebend?

Entwurf Rechtsverordnung

§ 2

- (3) Der **Nutzen** eines Arzneimittels im Sinne dieser Verordnung ist der **patientenrelevante therapeutische Effekt** insbesondere hinsichtlich der Verbesserung des Gesundheitszustandes etc.
- (4) Der **Zusatznutzen** eines Arzneimittels im Sinne dieser Verordnung ist ein **quantitativ oder qualitativ höherer Nutzen** nach Absatz 3 für Patienten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie

§ 5 Abs. 5 Zusatznutzen: = Verbesserung der Beeinflussung patientenrelevanter Endpunkte zum Nutzen gemäß § 2 Abs. 3

BSG Urt. v. 31.05.2006 – B 6 KA 13/05 R (RdNr. 71):

„Im Rahmen der Bewertung von Arzneimitteln an Hand der in der GKV geltenden Maßstäbe ist allerdings - im Unterschied zur Methodenanerkennung - die arzneimittelrechtliche Zulassung eines Wirkstoffs zu beachten, bei der gemäß § 21 Abs 2 AMG Qualität, **Wirksamkeit** und medizinische Unbedenklichkeit des Wirkstoffs für die vorgesehenen Indikationen geprüft und **abschließend** bewertet werden. Diese Kriterien darf der GBA unter dem Aspekt des "medizinischen Nutzens" eines Arzneimittels oder Wirkstoffs **nicht abweichend** von der Beurteilung der für die Zulassung nach dem AMG zuständigen Behörde bewerten. Dem Kriterium der "medizinischen Notwendigkeit" kommt bei der Bewertung von zugelassenen Wirkstoffen und Fertigarzneimitteln regelmäßig ebenfalls keine eigenständige Bedeutung zu.“

- Die Zulassung darf nach **§ 25 Abs. 2 Satz 1 Nr. 4 AMG (Nachweis der Wirksamkeit)** nicht deshalb versagt werden, weil therapeutische Ergebnisse (*Effekte*) nur in einer beschränkten Zahl von Fällen erzielt worden sind. Die therapeutische Wirksamkeit fehlt, wenn der Antragsteller nicht entsprechend dem jeweils gesicherten Stand der wissenschaftlichen Erkenntnisse nachweist, dass sich mit dem Arzneimittel **therapeutische Ergebnisse (*Effekte*)** erzielen lassen. Die medizinischen Erfahrungen der jeweiligen Therapierichtung sind zu berücksichtigen.

Entwurf Rechtsverordnung

§ 5 Abs. 7 Quantifizierung des Zusatznutzens

1. Erheblicher Zusatznutzen
2. Bedeutsamer Zusatznutzen
3. Geringer Zusatznutzen
4. Nicht quantifizierbarer Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage es nicht zulässt
5. Kein Zusatznutzen belegbar
6. Geringerer Nutzen als der der zweckmäßigen Vergleichstherapie

Entwurf Rechtsverordnung

§ 7 Abs. 2 Nutzenbewertung

Bei der Nutzenbewertung wird geprüft, ob für das Arzneimittel ein Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie belegt ist, welcher Zusatznutzen für welche Patientengruppen in welchem Ausmaß belegt ist, wie die vorliegende Evidenz zu bewerten ist und mit welcher Wahrscheinlichkeit der Beleg jeweils erbracht wird.

Der Beschluss ist Grundlage für Vereinbarungen nach § 130b über Erstattungsbeträge und für die Bestimmung von Anforderungen an die Zweckmäßigkeit, Qualität und Wirtschaftlichkeit der Verordnung sowie für die Anerkennung als Praxisbesonderheit oder für die Zuordnung von Arzneimitteln ohne Zusatznutzen zu einer Festbetragsgruppe nach § 35.

Normsetzungskompetenz des G-BA (§§ 92, 135, 137c):

- Gewähr für eine ausreichende, zweckmäßige und wirtschaftliche Versorgung
- Erbringung und Verordnung von Leistungen oder Maßnahmen („*einschließlich Arzneimittel*“) einschränken / ausschließen
- wenn nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse der diagnostische oder therapeutische Nutzen, die medizinische Notwendigkeit oder die Wirtschaftlichkeit nicht nachgewiesen sind,
- („*sowie wenn insbesondere ein Arzneimittel unzweckmäßig*“) oder eine andere wirtschaftlichere Behandlungsmöglichkeit mit vergleichbarem Nutzen verfügbar ist.

1. Änderungsantrag der Koalitionsfraktionen:

- In **§ 92 Absatz 1 Satz 1 SGB V** werden die Wörter „einschließlich Arzneimitteln“ gestrichen, wird nach den Wörtern „nachgewiesen sind“ ein Semikolon eingefügt und werden die Wörter „sowie wenn insbesondere ein Arzneimittel unzweckmäßig“ durch die Wörter „**er kann die Verordnung von Arzneimitteln einschränken oder ausschließen, wenn die Unzweckmäßigkeit erwiesen**“ ersetzt.

Kap 4 § 6 Verfo G-BA:

- (1) Die Bewertung des therapeutischen Nutzens eines Arzneimittels erfolgt auf der Grundlage von Unterlagen entweder zum **Ausmaß des therapeutischen Nutzens** des Arzneimittels bei einer bestimmten Indikation oder durch Vergleich mit anderen Arzneimitteln oder Behandlungsformen unter **Berücksichtigung des therapeutischen Zusatznutzens** für die Patientinnen oder Patienten.
- (2) Maßgeblich für die Beurteilung des therapeutischen Nutzens ist **das Ausmaß der Beeinflussung patientenrelevanter Endpunkte**, insbesondere Morbidität, Mortalität und Lebensqualität.

2. Änderungsantrag der Koalitionsfraktionen:

- Der Gemeinsame Bundesausschuss kann im Einzelfall mit Wirkung für die Zukunft vom pharmazeutischen Unternehmer im Benehmen mit der Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft und dem Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte oder dem Paul-Ehrlich-Institut innerhalb einer angemessenen Frist **ergänzende versorgungsrelevante Studien zur Bewertung der Zweckmäßigkeit** eines Arzneimittels fordern. Absatz 3a gilt für die Forderung nach Satz 1 entsprechend. ...Werden die Studien nach Satz 1 nicht oder nicht rechtzeitig vorgelegt, kann der Gemeinsame Bundesausschuss das Arzneimittel abweichend von Absatz 1 Satz 1 von der Verordnungsfähigkeit ausschließen.

1. Änderungsantrag der Koalitionsfraktionen:

- Für Arzneimittel, die zur **Behandlung eines seltenen Leidens** nach der Verordnung(EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden zugelassen sind, ist der **medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung belegt**; Nachweise nach Satz 3 Nummer 2 und 3 müssen nicht vorgelegt werden.
- Wird für ein Arzneimittel ein Wirksamkeitsnachweis für die Behandlung einer seltenen Erkrankung durch die arzneimittelrechtliche Zulassung erbracht, ist dies als Zusatznutzen in diesem Anwendungsgebiet anzuerkennen. Es ist regelmäßig davon auszugehen, dass es für die Behandlung dieser Erkrankung keine therapeutisch gleichwertige Alternative gibt. Der pharmazeutische Unternehmer erbringt daher **keine Nachweise zum Nutzen und zum Zusatznutzen im Dossier**.

2. Änderungsantrag der Koalitionsfraktion

- „Übersteigt der Umsatz des Arzneimittels (orphan drug) mit der GKV zu Apothekenverkaufspreisen einschließlich Umsatzsteuer in den letzten 12 Kalendermonaten einen **Betrag von 50 Millionen EURO**, hat der pharmazeutische Unternehmer innerhalb von drei Monaten nach der Aufforderung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss Nachweise nach Satz 3 (Nutzen/Zusatznutzen-Dossier) zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie ...nachzuweisen.“

Voraussetzung eines Verordnungsausschlusses

1. „Lässt sich nicht nachweisen, dass ein Arzneimittel einen Zusatznutzen hat, es jedoch höhere Kosten verursacht, kann der Gemeinsame Bundesausschuss die Verordnungsfähigkeit einschränken oder ausschließen. Das gilt auch, wenn der Gemeinsame Bundesausschuss nachweisen kann, dass ein Arzneimittel unzweckmäßig ist.“ (AusBer AMNOG zu § 92)
2. Verordnungseinschränkungen oder –Ausschlüsse nur, wenn die Wirtschaftlichkeit nicht durch einen Festbetrag oder durch Vereinbarung eines Erstattungsbetrages hergestellt werden kann (§ 92 Abs. 2 S. 11).
3. Verordnungseinschränkungen oder – Ausschlüsse wegen Unzweckmäßigkeit dürfen den Feststellungen der Zulassungsbehörde über Qualität, Wirksamkeit und Unbedenklichkeit eines Arzneimittels nicht widersprechen (§ 92 Abs. 2 S. 12).



**Gemeinsamer
Bundesausschuss**