



Pressemitteilung

Gemeinsamer Bundesausschuss gemäß § 91 SGB V

Nr. 05 / 2022

Arzneimittel

Registerstudie zur Genterapie mit Zolgensma® startet

Berlin, 1. Februar 2022 – Erfahrungswerte aus der klinischen Praxis mit Zolgensma®, einer Genterapie gegen bestimmte Formen der spinalen Muskelatrophie (SMA) bei Kindern, müssen ab sofort in Registern dokumentiert werden. Ein solches Behandlungsregister für Patientinnen und Patienten mit SMA ist beispielsweise das [SMARtCARE-Register](#). Der pharmazeutische Unternehmer wertet die anonym erfassten Daten regelmäßig aus und übermittelt die Abschlussergebnisse spätestens 2027 an den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA). Mit der Registerstudie startet erstmals eine vom G-BA veranlasste anwendungsbegleitende Datenerhebung. Ziel ist es, für eine erneute Bewertung des Zusatznutzens von Zolgensma® gegenüber der Vergleichstherapie Spinraza® gute Daten zu erhalten.

Prof. Josef Hecken, unparteiischer Vorsitzender des G-BA und Vorsitzender des Unterausschusses Arzneimittel: „Der G-BA kann erst seit 2020 pharmazeutische Unternehmen dazu verpflichten, zu ihrem neuen Arzneimittel systematisch Daten aus der Versorgungspraxis zu erheben und auszuwerten. Dabei geht es um Arzneimittel, die mit einer Sonderzulassung auf den Markt gekommen sind, weil sie beispielsweise eine dringend benötigte Alternative für die Behandlung einer lebensbedrohlichen oder seltenen Krankheit sind. Zolgensma® gegen spinale Muskelatrophie ist ein solches Arzneimittel, das zudem als einmalig anzuwendende Genterapie einen neuen Ansatz der Krankheitsbekämpfung verfolgt. Wir wissen bislang zu wenig darüber, wie der weitere Verlauf ist – lernen die behandelten Kinder beispielsweise sitzen und laufen und wenn ja, wie lange hält der Therapieerfolg an? Wie häufig treten Komplikationen auf, wie schwer sind die Nebenwirkungen? Über die nun startende Registerstudie wird Wissen zu genau diesen Fragestellungen zusammengetragen. Das passiert auf Basis eines Studienprotokolls, das wir sehr sorgfältig mit dem pharmazeutischen Unternehmer abgestimmt haben. Zudem wurde die Versorgungsbefugnis auf solche Leistungserbringer beschränkt, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken. Auf diesem Weg stellen wir sicher, dass wir die Behandlungserfolge für die betroffenen Kinder dann auch wirklich einschätzen können.“

Datenerhebung aus dem Behandlungsalltag

Im Februar 2021 hat der G-BA vom pharmazeutischen Unternehmer eine anwendungsbegleitende Datenerhebung gefordert. Zuvor wurde

Seite 1 von 3

Stabsabteilung Öffentlichkeitsarbeit und Kommunikation

Gutenbergstraße 13, 10587 Berlin
Postfach 120606, 10596 Berlin

Telefon: 030 275838-811

Fax: 030 275838-805

E-Mail: presse@g-ba.de

www.g-ba.de

www.g-ba.de/presse-rss

Ansprechpartnerinnen
für die Presse:

Ann Marini (Ltg.)

Gudrun Köster

Annette Steger



das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) beauftragt, im Rahmen einer Konzepterstellung Empfehlungen zu Art, Dauer und Umfang der Erhebung, zur Methodik und zur Auswertung der erhobenen Daten zu geben. Ausgehend vom vorgelegten [Konzept](#) des IQWiG und unter Berücksichtigung der Äußerungen im Beteiligungsverfahren – wie z. B. von den Bundesoberbehörden, den wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften, der Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft und vom betroffenen pharmazeutischen Unternehmer – definierte der G-BA die verbindlichen Details der Datenerhebung.

Nachdem der G-BA nun das vom pharmazeutischen Unternehmer vorgelegte Studienprotokoll und den statistischen Analyseplan unter Auflagen bestätigt hat, kann die Datenerhebung starten. Mit dem Start der Registerstudie darf Zolgensma® nur dann eingesetzt werden, wenn die behandelnden Ärztinnen und Ärzte die geforderten Daten in einem Register für Patientinnen und Patienten mit SMA dokumentieren. Aufgrund der sehr kleinen Patientengruppe sollen möglichst alle Behandlungen erfasst werden.

Zolgensma® bei spinaler Muskelatrophie

Jährlich werden in Deutschland ca. 80 bis 120 Kinder mit dieser genetisch bedingten Krankheit geboren. Die SMA geht einher mit Muskelschwäche und Skelettverformungen. Sie führt in der schwersten Form unbehandelt zum Tod. Die wenigen Behandlungsmöglichkeiten beschränken sich derzeit (neben der Therapie mit Zolgensma®) auf eine dauerhafte Gabe des Arzneimittels Spinraza® oder auf eine patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung, um Symptome zu lindern und die Lebensqualität zu verbessern.

Aufgrund der Neuartigkeit des Therapieansatzes von Zolgensma®, bei dem eine Kopie des fehlenden Gens geliefert wird, hat der G-BA hohe Anforderungen an die fachlichen Erfahrungen der Einrichtungen definiert, um im Sinne der Patientensicherheit die Therapie auf besonders spezialisierte Behandlungseinrichtungen zu konzentrieren. Diese [Qualitätsanforderungen](#) gelten bereits seit April 2021.

Hintergrund: Anwendungsbegleitende Datenerhebung bei neuen Arzneimitteln mit Sonderzulassungen

Einige Arzneimittel, für die zum Zeitpunkt der Zulassung nur begrenzt aussagekräftige Daten zur Verfügung stehen, erhalten von den Zulassungsbehörden dennoch grünes Licht. In diesen Fällen liegen besondere Umstände vor, die eine Sonderzulassung ermöglichen. Für diese Arzneimittel kann der G-BA eine anwendungsbegleitende Datenerhebung fordern. Das hat er auch bei Zolgensma® – einem Arzneimittel gegen



seltene Erkrankungen – getan. Die vorhandene Studienlage und die vom pharmazeutischen Unternehmer übermittelten Daten haben für Zolgensma® bislang keinen Zusatznutzen gegenüber Spinraza® belegen können: Zu diesem Ergebnis kam der G-BA mit [Beschluss](#) vom 4. November 2021.

Nähere Informationen sind auf Website des G-BA zu finden unter: [Anwendungsbegleitende Datenerhebung bei neuen Arzneimitteln](#)

Der **Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA)** ist das oberste Beschlussgremium der gemeinsamen Selbstverwaltung der Ärztinnen und Ärzte, Zahnärztinnen und Zahnärzte, Psychotherapeutinnen und Psychotherapeuten, Krankenhäuser und Krankenkassen in Deutschland. Er bestimmt in Form von Richtlinien den Leistungskatalog der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) für etwa 73 Millionen Versicherte. Der G-BA legt fest, welche Leistungen der medizinischen Versorgung von der GKV übernommen werden. Rechtsgrundlage für die Arbeit des G-BA ist das Fünfte Buch des Sozialgesetzbuches (SGB V). Entsprechend der Patientenbeteiligungsverordnung nehmen Patientenvertreterinnen und Patientenvertreter an den Beratungen des G-BA mitberatend teil und haben ein Antragsrecht.

Den gesundheitspolitischen Rahmen der medizinischen Versorgung in Deutschland gibt das Parlament durch Gesetze vor. Aufgabe des G-BA ist es, innerhalb dieses Rahmens einheitliche Vorgaben für die konkrete Umsetzung in der Praxis zu beschließen. Die von ihm beschlossenen Richtlinien haben den Charakter untergesetzlicher Normen und sind für alle Akteure der GKV bindend.

Bei seinen Entscheidungen berücksichtigt der G-BA den allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse und untersucht den diagnostischen oder therapeutischen Nutzen, die medizinische Notwendigkeit und die Wirtschaftlichkeit einer Leistung aus dem Pflichtkatalog der Krankenkassen. Zudem hat der G-BA weitere wichtige Aufgaben im Bereich des Qualitätsmanagements und der Qualitätssicherung in der ambulanten und stationären Versorgung.

Weitere Informationen finden Sie unter www.g-ba.de.