



Nr. 10 / 2016

Arzneimittel

Weitere Befristungen mit Auflagen bei Nutzenbewertung von Orphan Drugs

Berlin, 17. März 2016 – Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat am Donnerstag in Berlin drei Beschlüsse zu Arzneimitteln, die zur Behandlung seltener Leiden zugelassen sind (Orphan Drugs), befristet und mit Auflagen versehen. Das Ausmaß des gesetzlich unterstellten Zusatznutzens der Wirkstoffe Sebelipase alfa, Asfotase alfa und Idebnon wurde angesichts der sehr schwachen Evidenz – resultierend zum Beispiel aus nur wenigen in Studien untersuchten Patienten, einer kurzen Studiendauer, wenig aussagekräftigen Endpunkten und historischen Kontrollgruppen – als nicht quantifizierbar eingestuft. Die von den pharmazeutischen Unternehmen vorgelegten wissenschaftlichen Daten ließen nach der Bewertung des G-BA eine belastbare fachliche Aussage über das Ausmaß des Zusatznutzens nicht zu.

Angesichts dessen, dass auch Orphan Drugs, die ihre Zulassung aufgrund einer sehr schwachen Erkenntnislage zu Nutzen und Nebenwirkungen erhalten haben, den Patientinnen und Patienten zur Verfügung stehen, erklärt Professor Josef Hecken, unparteiischer Vorsitzende des G-BA und Vorsitzender des Unterausschusses Arzneimittel: „Der G-BA hat in enger Anbindung an die Evidenzforderungen der europäischen Arzneimittelagentur EMA die heute gefassten Beschlüsse zu drei Orphan Drugs befristet und zudem mit eigenen Auflagen versehen. Bei diesen Auflagen geht es um eine möglichst vollständige Erhebung von Behandlungsdaten von den in Deutschland behandelten Patientinnen und Patienten. Der G-BA hält die Evidenzforderungen für dringend erforderlich, um auf der Basis einer erneuten Nutzenbewertung die Anforderungen an eine zweckmäßige und wirtschaftliche Versorgung der Versicherten mit diesen Arzneimitteln bestimmen zu können. Der G-BA erwartet von den verantwortlichen Unternehmen, die von EMA und G-BA geforderten Daten in valider und vollständiger Weise fristgerecht vorzulegen. Generell sollte es zukünftig möglich sein, auch Orphan Drugs einer regulären Nutzenbewertung auf einen Zusatznutzen zu unterziehen, wenn Auflagen bis zum Ablauf einer Befristung nicht erfüllt werden. Dies ist derzeit aufgrund des gesetzlich unterstellten Zusatznutzens für Orphan Drugs nicht möglich.“

Für Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens (Orphan Drugs) gilt der Zusatznutzen bis zum Erreichen einer Umsatzgrenze von 50 Millionen Euro aufgrund einer gesetzlichen Regelung als belegt. Solange für das Arzneimittel rechtswirksam eine Zulassung vorliegt, ist demnach – unabhängig von der dem G-BA vorliegenden Daten- und Erkenntnislage – ein Zusatznutzen zu unterstellen. Der G-BA trifft seinen Beschluss auf Basis des Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers, der vom G-BA durchgeführten Dossierbewertung, der vom Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen ([IQWiG](http://www.iqwig.de)) erstellten Bewertung der Therapiekosten und Patientenzahlen und der im

Seite 1 von 2

Stabsabteilung Öffentlichkeitsarbeit und Kommunikation

Wegelystraße 8, 10623 Berlin
Postfach 120606, 10596 Berlin

Telefon: 030 275838-811
Fax: 030 275838-805

www.g-ba.de
www.g-ba.de/presse-rss

**Ansprechpartnerinnen
für die Presse:**

Kristine Reis (Ltg.)

Telefon: 030 275838-810
E-Mail: kristine.reis@g-ba.de

Gudrun Köster

Telefon: 030 275838-821
E-Mail: gudrun.koester@g-ba.de



schriftlichen und mündlichen Anhörungsverfahren vorgetragene Stellungnahmen. Im Ergebnis seiner Nutzenbewertung kann der G-BA lediglich über das Ausmaß des Zusatznutzens entscheiden. Erst wenn der Umsatz des Arzneimittels mit der gesetzlichen Krankenversicherung einen Umsatz von 50 Millionen Euro übersteigen würde, könnte überprüft werden, ob der rechtlich zu unterstellende Zusatznutzen tatsächlich besteht.

Seite 2 von 2

Pressemitteilung Nr. 10 / 2016
vom 17. März 2016

Der Wirkstoff Sebelipase alfa ist indiziert als langfristige Enzymersatztherapie bei Patienten mit einem Mangel an lysosomaler saurer Lipase (LAL-Mangel).

Asfotase alfa ist mit dem Anwendungsgebiet zur Langzeit-Enzymersatztherapie bei Patienten, bei denen Hypophosphatasie (HPP) im Kindes- und Jugendalter aufgetreten ist, um die Knochenmanifestationen der Krankheit zu behandeln, zugelassen. Die Hypophosphatasie ist eine Störung im Knochenstoffwechsel.

Idebenon ist zur Behandlung von Sehstörungen bei jugendlichen und erwachsenen Patienten mit Leberscher Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen. Die LHON ist eine neurodegenerative Erbkrankheit der Ganglienzellen des Sehnervs.

Die Beschlüsse treten mit Wirkung vom Tag ihrer Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 17. März 2016 in Kraft. Die Tragenden Gründe zu den Beschlüssen werden ebenfalls im Internet veröffentlicht.

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 70 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.