



Nr. 30 / 2020

Verfahrensordnung

G-BA konkretisiert Verfahren zu anwendungsbegleitender Datenerhebung – Gentherapie Zolgensma erster Fall

Berlin, 16. Juli 2020 – Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat die Grundzüge des Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und Auswertung für die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit bedingter Zulassung, mit Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen und von Arzneimitteln für seltene Leiden, den sogenannten Orphan Drugs, festgelegt. Eine entsprechende Ergänzung seiner Verfahrensordnung, die zunächst vom Bundesministerium für Gesundheit zu genehmigen ist, beschloss der G-BA am Donnerstag in Berlin.

Bei diesen Arzneimitteln liegen zum Zeitpunkt der Zulassung zum Teil noch keine vollständigen klinischen Daten zur Beurteilung des Zusatznutzens vor. Ziel der anwendungsbegleitenden Datenerhebung ist es deshalb, vorhandene Wissenslücken zu schließen und gleichzeitig Patientinnen und Patienten in der gesetzlichen Krankenversicherung die betreffenden Arzneimittel schnell zur Verfügung zu stellen, damit möglichst früh eine bessere Datenbasis zur Bewertung des Zusatznutzens geschaffen werden kann.

„Aus Gründen der Patientensicherheit ist es gerade bei Arzneimitteln, die trotz schwacher Studienlage unter atypischen Umständen zugelassen worden sind, von immenser Bedeutung, dass eine Datenerhebung zur weiteren Beurteilung des Nutzens oder Schadens möglichst früh beginnt und die Anwendung der Therapie auch an die Behandlungseinrichtungen gebunden wird, die an der Datenerhebung mitwirken. Für Zolgensma, eine erst kürzlich zugelassene Gentherapie gegen spinale Muskelatrophie, hat der G-BA heute erstmals die Erforderlichkeit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung festgestellt, da bislang keine aussagekräftigen Daten für die Beurteilung des langfristigen Nutzens oder Schadens der Behandlung vorliegen und vergleichende Daten zu Therapiealternativen fehlen. Der G-BA hat in diesem Fall das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen mit den Vorbereitungen für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung beauftragt“, so Prof. Josef Hecken, unparteiischer Vorsitzender des G-BA und Vorsitzender des Unterausschusses Arzneimittel.

Die anwendungsbegleitenden Datenerhebungen oder Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung auf Kosten des pharmazeutischen Herstellers kann der G-BA frühestens zum Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens des entsprechenden Arzneimittels verlangen.

Seite 1 von 4

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:**

Kristine Reis (Ltg.)

Gudrun Köster

Annette Steger



Ablauf des neuen Verfahrens

Seite 2 von 4

Pressemitteilung Nr. 30 / 2020
vom 16. Juli 2020

Das Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung gliedert sich in folgende Schritte:

- **Beurteilung der Erforderlichkeit einer Datenerhebung und Verfahrenseinleitung**

Für die Beurteilung, ob eine Datenerhebung erforderlich ist, werden neben Informationen aus Studienberichten unter anderem Informationen über die möglichen Evidenzlücken aus dem Zulassungsverfahren des Arzneimittels herangezogen, die der G-BA im fachlichen Austausch mit dem Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) und dem Paul-Ehrlich-Institut (PEI) erhält. Dieser Austausch dient auch dazu abzugleichen, ob bereits laufende und geplante Datenerhebungen zu dem Arzneimittel zu berücksichtigen sind, insbesondere solche, die sich aus Auflagen oder sonstigen Nebenbestimmungen der Zulassungsbehörden ergeben, um doppelte Datenerhebungen zu vermeiden.

Stellt das Beschlussgremium des G-BA, das Plenum, fest, dass eine anwendungsbegleitende Datenerhebung erforderlich ist, wird der Unterausschuss Arzneimittel mit der Vorbereitung eines Konzeptentwurfs beauftragt. Die Konzeptvorbereitung soll grundsätzlich innerhalb von 6 Monaten abgeschlossen sein.

Mit der Bekanntgabe der geplanten Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung erstellt der G-BA oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) im Auftrag des G-BA die wissenschaftliche Ausarbeitung des Konzeptentwurfs. Folgende Punkte sollen darin enthalten sein: die Anforderungen an Art, Dauer und Umfang der Datenerhebung, die Fragestellung, die Gegenstand der Datenerhebung und Auswertungen sein soll, einschließlich der zu erfassenden patientenrelevanten Endpunkte, die Methodik der Datenerhebung sowie der Auswertung durch den pharmazeutischen Unternehmer.

- **Einleitung eines Beteiligungsverfahrens und Vorbereitung des Konzepts für die Anforderungen an eine anwendungsbegleitende Datenerhebung unter Beteiligung sachverständiger Stellen**

Der Konzeptentwurf wird den zu beteiligenden Stellen, darunter den Bundesoberbehörden BfArM und PEI, den wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften, der Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft, dem betroffenen pharmazeutischen Unternehmer sowie, falls erforderlich, weiteren einzubindenden sachverständigen Personen und Organisationen, beispielsweise Registerbetreibern zugeleitet. Ihre schriftliche Äußerung zum Konzeptentwurf sollen die zu beteiligenden Stellen innerhalb von vier Wochen an den G-BA übersenden. Die sachverständigen Stellen können auch in Form eines Fachaustauschs an den Beratungen des Unterausschusses zur Erstellung eines Konzepts



beteiligt werden. Alle Äußerungen werden in die Konzepterstellung einbezogen.

Seite 3 von 4

Pressemitteilung Nr. 30 / 2020
vom 16. Juli 2020

- **Beschluss über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung**

Per Plenumsbeschluss legt der G-BA fest, ob er vom pharmazeutischen Unternehmer eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und Auswertungen fordert. Er legt darin die Vorgaben an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und die Auswertungen anhand des zuvor erstellten Konzepts fest. Darüber hinaus bestimmt er die Zeitpunkte für die Überprüfung der Datenerhebung und für die Abgabe der Auswertungen in Form eines Dossiers, die für die Durchführung einer erneuten Nutzenbewertung benötigt werden.

Um vollständige und valide Daten aus der Versorgung von Versicherten mit dem entsprechenden Arzneimittel zu erhalten, kann der G-BA die Versorgung mit diesen Arzneimitteln auf Leistungserbringer beschränken, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken.

In regelmäßigen Abständen, mindestens jedoch alle 18 Monate, überprüft der G-BA, ob die Datenerhebung durchgeführt wird oder nicht mehr durchgeführt werden kann, ob sie hinreichende Belege für eine erneute Nutzenbewertung erbringen wird oder ob Bedarf für Anpassungen an den Vorgaben des Beschlusses besteht.

Hintergrund

Die Verfahrensordnung regelt die Entscheidungsverfahren des G-BA in allgemeiner Form sowie die für bestimmte Entscheidungen geltenden speziellen Regelungen. Der G-BA wurde in § 35a Abs. 3b SGB V beauftragt, das Nähere zum Verfahren der Anforderung von anwendungsbegleitenden Datenerhebungen und Auswertungen in seiner Verfahrensordnung festzulegen. Der Auftrag geht zurück auf eine Änderung des SGB V durch das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) sowie das Gesetz für einen fairen Kassenwettbewerb in der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV-FKG).



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.