



Nr. 65 / 2020

Arzneimittel

G-BA setzt Bewertung von Zolgensma® aus – Hersteller muss nun vollständige Daten vor- legen

Berlin, 3. Dezember 2020 – Zolgensma® kann in Deutschland seit dem 1. Juli 2020 bei der Behandlung der spinalen Muskelatrophie eingesetzt werden. Es handelt sich um ein Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens (Orphan Drug). Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) musste heute das Orphan-Drug-Bewertungsverfahren zum Zusatznutzen von Zolgensma® aussetzen. Dieser Schritt ist rechtlich notwendig gewesen, da der Umsatz des Orphan Drugs vom Markteintritt in Deutschland bis heute bereits mehr als 50 Mio. Euro beträgt. Der G-BA wird nun in der regulären frühen Nutzenbewertung anhand von Vergleichsdaten bewerten, ob und in welchem Ausmaß ein medizinischer Zusatznutzen von Zolgensma® vorliegt. Der Hersteller ist bereits aufgefordert, dem G-BA Nachweise zum Zusatznutzen von Zolgensma® gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie vorzulegen. Über das Ergebnis des Bewertungsverfahrens wird der G-BA voraussichtlich im November 2021 entscheiden.

„Ursprünglich sollte in diesem Monat das Bewertungsverfahren zu Zolgensma® abgeschlossen werden. Das ist nun nicht möglich, da aufgrund des sehr hohen Umsatzes in Deutschland seit Markteintritt im Juli 2020 das Orphan-Drug-Privileg wegfällt und eine tiefergehende Bewertung notwendig ist. Dieser Mechanismus ist gesetzlich festgelegt. Wir werden jetzt anhand der vorhandenen Studienlage – und nicht nur auf Basis der Zulassungsunterlagen – prüfen, was wir derzeit zum medizinischen Nutzen und Zusatznutzen gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie bereits wissen und wo es noch Lücken gibt. Daten zu Langzeitriskien und zur Nachhaltigkeit der Therapieeffekte wird es auch in der anstehenden regulären Nutzenbewertung noch nicht geben können, jedoch muss der Unternehmer vergleichende Daten gegenüber den vorhandenen Therapiealternativen darlegen. Es geht auch um die Frage, ob beispielsweise bestimmte Altersgruppen besonders von einer Therapie mit Zolgensma® profitieren. Allein die einarmigen Zulassungsstudien werden hierfür nicht ausreichen. Mit der vorläufigen Verschiebung des Beschlusses sind selbstverständlich keine Einschränkungen für die derzeitige Anwendung von Zolgensma® bei erkrankten Kindern verbunden. Zolgensma® kann im Rahmen seiner Zulassung und unter Einhaltung der qualitätssichernden Standards weiterhin verordnet und eingesetzt werden. Unbenommen der Verschiebung werden wir im Februar auch die anwendungsbegleitende Datenerhebung beschließen“, so Prof. Josef Hecken, unparteiischer Vorsitzender des G-BA und Vorsitzender des Unterausschusses Arzneimittel. „Den Erstattungsbetrag für Zolgensma® kann der pharmazeutische Unternehmer bis 30. Juni 2021 weiterhin frei festlegen und damit die generelle gesetzliche Regelung für jedes neue Arzneimittel im ersten Jahr nach Markteintritt nutzen. Der ab

Seite 1 von 3

**Stabsabteilung Öffentlichkeits-
arbeit 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



dem 13. Monat nach Markteintritt geltende Erstattungsbetrag wird zwischen dem GKV-Spitzenverband und dem Hersteller vereinbart. Da das Bewertungsergebnis des G-BA – das die Basis für diese Verhandlungen bildet – voraussichtlich erst im November 2021 vorliegen wird, wird der anschließend vereinbarte Preis rückwirkend zum 1. Juli 2021 gelten.“

Seite 2 von 3

Pressemitteilung Nr. 65 / 2020
vom 3. Dezember 2020

Umfassende Bewertung von Orphan Drugs ab 50 Mio. Euro Umsatz

Nach dem Willen des Gesetzgebers gilt der Zusatznutzen bei Orphan Drugs generell als belegt. Der G-BA darf nur bewerten, wie groß das Ausmaß des Zusatznutzens ist: gering, beträchtlich, erheblich oder nicht quantifizierbar. Als Grundlage für die Entscheidung muss der Hersteller dem G-BA zudem kein vollständiges Dossier – das heißt mit Nachweisen des medizinischen (Zusatz-)Nutzens im Verhältnis zur Vergleichstherapie – zur Verfügung stellen. Das Ausmaß des Zusatznutzens kann lediglich anhand der Zulassungsunterlagen nachgewiesen werden.

Übersteigt ein Orphan Drug jedoch die gesetzlich festgelegte Umsatzschwelle mit der gesetzlichen Krankenversicherung von 50 Mio. Euro in den letzten zwölf Monaten, greift auch hier das reguläre Verfahren der frühen Nutzenbewertung. Der pharmazeutische Unternehmer ist dann aufgefordert, ein vollständiges Dossier zur medizinischen (Zusatz-)Nutzenbewertung im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie vorzulegen. Das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) wertet im Auftrag des G-BA das Dossier aus. Auf der Basis des IQWiG-Berichts berät der G-BA abschließend über das Bewertungsergebnis.

Zolgensma® zur Behandlung der spinalen Muskelatrophie (SMA)

Die SMA ist eine seltene, genetisch bedingte neuromuskuläre Erkrankung. Sie geht einher mit Muskelschwäche und Skelettverformungen und führt in der schwersten Form unbehandelt zum Tod. Jährlich werden in Deutschland ca. 80 bis 120 Kinder (davon mindestens die Hälfte mit SMA Typ 1, der schwersten Form der SMA) mit dieser genetischen Krankheit geboren. Die wenigen Behandlungsmöglichkeiten beschränken sich derzeit (neben der Therapie mit Zolgensma®) je nach Krankheitsbild auf eine dauerhafte Gabe des Antisense-Oligonukleotids Spinraza® (Nusinersen) oder auf eine patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung, um Symptome zu lindern und die Lebensqualität zu verbessern.

Zolgensma® kann in Deutschland seit dem 1. Juli 2020 bei der Behandlung der SMA eingesetzt werden. Es handelt sich um eine Gentherapie, die bei bestimmten Formen der SMA eine Kopie des fehlenden Gens liefern und entsprechend frühzeitig in den Krankheitsverlauf eingreifen soll, um das Fortschreiten der Muskelschwäche aufzuhalten. Zolgensma® wird einmalig angewendet.



Hintergrund – Frühe (Zusatz-)Nutzenbewertung von Zolgensma®

Seite 3 von 3

Pressemitteilung Nr. 65 / 2020
vom 3. Dezember 2020

Apothekenpflichtige verschreibungspflichtige Arzneimittel sind in Deutschland grundsätzlich unmittelbar nach der Zulassung für alle Patientinnen und Patienten in der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) verfügbar. Der pharmazeutische Unternehmer kann den Preis für neue patentgeschützte Arzneimittel bei Markteintritt frei bestimmen. In den ersten 12 Monaten beläuft sich die Erstattung auf diesen vom pharmazeutischen Unternehmer festgelegten Betrag.

Aufgabe des G-BA ist es, den Zusatznutzen neu zugelassener Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen oder einem neuen Anwendungsgebiet gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie zu bewerten. Hierbei prüft der G-BA, mit welcher Sicherheit Aussagen zum Zusatznutzen gemacht werden können – gibt es „keinen Nachweis“, einen „Anhaltspunkt“, einen „Hinweis“ oder einen „Beleg“. Beim Ausmaß des Zusatznutzens unterscheidet der G-BA die Kategorien „gering“, „beträchtlich“ und „erheblich“ sowie „nicht quantifizierbar“.

Das nun ausgesetzte [Bewertungsverfahren](#) zum Ausmaß des Zusatznutzens von Zolgensma® sollte ursprünglich im Dezember 2020 abgeschlossen werden.

Weitere Information finden Sie auf der Website des G-BA unter [Nutzenbewertung von Arzneimitteln](#).

Alle Dokumente zu laufenden und abgeschlossenen Nutzenbewertungsverfahren finden Sie unter [Verfahren der Nutzenbewertung](#).

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.