



Pressemitteilung

Gemeinsamer Bundesausschuss gemäß § 91 SGB V

Nr. 04 / 2021

Arzneimittel

Premiere: Daten aus der Versorgung sollen Evidenzlücken bei neuem Arzneimittel schließen

Berlin, 4. Februar 2021 – Zum ersten Mal hat der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) heute einen pharmazeutischen Unternehmer verpflichtet, Daten zu seinem Arzneimittel in der klinischen Routine zu erheben und für eine Zusatznutzenbewertung auszuwerten. Mit der sogenannten anwendungsbegleitenden Datenerhebung sollen Informationen zu Nutzen- und Schadenspotential von Zolgensma[®], einer neuartigen Gentherapie gegen eine bestimmte Form der spinalen Muskelatrophie (SMA) bei Kindern, gesammelt werden. Zolgensma[®] war mit Auflagen seitens der europäischen Zulassungsbehörde auf den Markt gekommen. Aufgrund der begrenzten Aussagekraft der bisher vorhandenen klinischen Daten lässt sich der therapeutische Stand von Zolgensma[®] im Vergleich zu Behandlungsalternativen noch nicht abschließend bewerten. Der G-BA beschloss darum, dass der pharmazeutische Unternehmer eine entsprechende Registerstudie planen und umsetzen muss, um die Evidenzlücken zu schließen. Dafür werden alle Ärztinnen und Ärzte, die Zolgensma[®] einsetzen wollen, verpflichtet, an der Datenerhebung teilzunehmen. So sollen möglichst vollständige Daten gesammelt werden, die nach Auswertung durch den pharmazeutischen Unternehmer die Grundlage für eine erneute Zusatznutzenbewertung bilden. Möglich ist dieses Vorgehen durch eine gesetzliche Änderung im Jahr 2019.

„Wir bekommen immer früher zugelassene Arzneimittel mit immer schwächerer Evidenz in die Versorgung. Wir müssen versuchen – gerade bei Arzneimitteln gegen seltene Leiden –, die Balance zu halten zwischen dem Bedarf dringend benötigter Behandlungsalternativen und guter Evidenz zum langfristigen Zusatznutzen eines Arzneimittels. Da kommen die für die Zulassung und die initiale Bewertung verfügbaren Studien an ihre Grenzen. Zolgensma[®] soll bei einmaliger Gabe das Fortschreiten der Muskelschwäche bei bestimmten SMA-Formen aufhalten. Vergleichende langfristige klinische Daten dazu fehlen jedoch. Der in diesem Herbst anstehende Beschluss des G-BA zum Zusatznutzen von Zolgensma[®] kann entsprechend nur vorläufig sein. Bisher hatten wir in dieser Situation nur die Möglichkeit, Beschlüsse zum Zusatznutzen zu befristen und dem Hersteller Hinweise zu benötigten Daten zu geben. Seit einer Gesetzesänderung 2019 können wir die Anwendung des Arzneimittels nun zwingend mit einer von uns vorgegebenen Fragestellung zur Datenerhebung aus der Versorgungspraxis verbinden. Mit den aus dem Behandlungsalltag der Patientinnen und Patienten gewonnenen

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



Daten zum langfristigen Zusatznutzen wird der G-BA spätestens ab Sommer 2027 erneut über Zolgensma[®] beraten“, so Prof. Josef Hecken, unparteiischer Vorsitzender des G-BA.

Konzept für Datenerhebung aus dem Behandlungsalltag

Für die anwendungsbegleitende Datenerhebung bei Zolgensma[®] hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) im Auftrag des G-BA ein Konzept entwickelt. Darauf aufbauend und unter Einbeziehung von Experten – zum Beispiel der Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft – hat der G-BA Anforderungen an die Art, die Dauer und den Umfang der Datenerhebung; an die Fragestellung, die Gegenstand der Datenerhebung und von Auswertungen sein soll, einschließlich der zu erfassenden patientenrelevanten Endpunkte; an die Methodik der Datenerhebung sowie an die Auswertungen durch den pharmazeutischen Unternehmer definiert. Nach diesen Vorgaben wird der Hersteller das genaue Studienprotokoll inklusive Analyseplan erstellen und dem G-BA zur Prüfung vorlegen.

Auf der Basis von mehreren Zwischenanalysen des Herstellers überprüft der G-BA die Datenerhebung und passt die Anforderungen ggf. an. Vorgesehen ist, dass mit Hilfe von Indikationsregistern möglichst 500 Kinder mit präsymptomatischer SMA und mit SMA-Typ-1 und 2, die älter als 6 Monate resp. 6 Wochen sind, in die Datenerhebung eingeschlossen werden. Die Therapie mit Zolgensma[®] wird dabei gegenüber dem Einsatz von Spinraza[®] verglichen, einem ebenfalls zur SMA-Behandlung zugelassenen Arzneimittel. Ein besonderer Schwerpunkt bei der Datenauswertung soll auf Todesfälle, Krankheitsverläufe inklusive schwerer Komplikationen und Nebenwirkungen gelegt werden.

„Die anwendungsbegleitende Datenerhebung ist kein Allheilmittel und wird nur für wenige Wirkstoffe in Frage kommen. Vielversprechend scheint sie vor allem bei neuen Arzneimitteln gegen seltene Erkrankungen und bei beschleunigten Zulassungen. Zolgensma[®] ist so gesehen ein aussichtsreicher Kandidat, um Evidenzlücken durch aussagekräftige Versorgungsdaten zu füllen“, so Prof. Jürgen Windeler, Leiter des IQWiG.

Inkrafttreten

Der Beschluss tritt mit Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 4. Februar 2021 in Kraft.

Hintergrund

Aufgabe des G-BA ist es, den Zusatznutzen neu zugelassener Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie zu bewerten. Bei bestimmten neuen Arzneimitteln kann der



G-BA vom pharmazeutischen Unternehmer auch die Vorlage anwendungsbegleitender Datenerhebungen und Auswertungen einfordern (§ 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V). Diese Neuerung kam durch das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) 2019. 2020 hat der G-BA Details zum Verfahren der anwendungsbegleitenden Datenerhebung im 5. Kapitel der [Verfahrensordnung](#) festgelegt.

Zolgensma® (Wirkstoff Onasemnogen-Abeparvovec) gehört zu den Arzneimitteln für neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP). Für sie soll der G-BA in einer Richtlinie qualitätssichernde Anforderungen an die vertragsärztliche und stationäre Anwendung festlegen (gemäß § 136a Absatz 5 SGB V; ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie – ATMP-QS-RL). Hintergrund sind ebenfalls die Änderungen durch das GSAV. Bereits im November 2020 hatte der G-BA für alle Einrichtungen, die Zolgensma® bei Säuglingen mit SMA einsetzen wollen, im Interesse der Patientensicherheit hohe [Qualitätsstandards](#) definiert.

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.