

# Beschluss

## des Gemeinsamen Bundesausschusses über die vorläufige Aussetzung von Verfahren der Nutzenbewertung von Arzneimittel nach § 35a Absatz 1 Satz 13 SGB V „Orphan Drugs über 30 Millionen Euro“

Vom 2. Februar 2023

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 2. Februar 2023 betreffend die Aussetzung von Verfahren der Nutzenbewertung von Arzneimitteln nach § 35a Absatz 1 Satz 13 SGB V Folgendes beschlossen:

- I. In Verfahren der Nutzenbewertung folgender Arzneimittel, die zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden (ABl. L 18 vom 22.1.2000, S. 1) zugelassen sind und die am 1. Dezember 2022 die Umsatzschwelle nach § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V überschritten haben und noch nicht unter Vorlage der Nachweise nach § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 SGB V bewertet wurden, wird die Pflicht zur Übermittlung des Dossiers nach 5. Kapitel § 11 der Verfahrensordnung (VerfO) zu dem nach 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nr. 6 VerfO maßgeblichen Zeitpunkt zeitlich befristet ausgesetzt.
  
- II. Die zeitlich befristete Aussetzung der Verfahren endet nach Ablauf einer gestaffelten Frist nachdem der G-BA die jeweiligen pharmazeutischen Unternehmer gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V zur Vorlage der Nachweise nach § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 und zum Nachweis des Zusatznutzens gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie abweichend von § 35a Absatz 1 Satz 11 aufgefordert hat. Daraus ergeben sich folgende gestaffelte Daten für die Pflicht zur Übermittlung der Dossiers in den einzelnen Verfahren:

Handelsname	Wirkstoff	Anwendungsgebiet(e)	Datum der Pflicht zur Übermittlung des Dossiers
Yescarta	Axicabtagen-Ciloleucel	<ul style="list-style-type: none"> <li>Behandlung von erwachsenen Patienten mit rezidiviertem oder refraktärem diffus großzelligem B-Zell-Lymphom (DLBCL) und</li> <li>primär mediastinalem großzelligem B-Zell-Lymphom (PMBCL) nach zwei oder mehr systemischen Therapien.</li> </ul>	1. Juli 2023
Alprolix	Eftrenonacog alfa	<ul style="list-style-type: none"> <li>Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie B</li> </ul>	1. August 2023
Galafold	Migalastat	<ul style="list-style-type: none"> <li>Morbus Fabry ab 12 Jahre (<math>\alpha</math>-Galaktosidase A-Mangel)</li> </ul>	15. August 2023
Voxzogo	Vosoritid	<ul style="list-style-type: none"> <li>Achondroplasie bei Patienten ab 2 Jahren</li> </ul>	1. September 2023
Reblozyl	Luspatercept	<ul style="list-style-type: none"> <li>transfusionsabhängige Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen mit Ringsideroblasten,</li> <li>transfusionsabhängige Anämie, die mit einer Beta-Thalassämie verbunden ist</li> </ul>	16. Oktober 2023
Rydapt	Midostaurin	<ul style="list-style-type: none"> <li>akuter myeloischer Leukämie zur Induktion, zur Konsolidierung und zur Erhaltungstherapie bei Patienten in kompletter Remission</li> <li>aggressive systemische Mastozytose (ASM), systemische Mastozytose mit assoziierter hämatologischer Neoplasie oder Mastzelleukämie</li> </ul>	15. November 2023
Onpattro	Patisiran	<ul style="list-style-type: none"> <li>hereditäre Transthyretin-Amyloidose mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2</li> </ul>	1. Dezember 2023
Prevymis	Letermovir	<ul style="list-style-type: none"> <li>Prophylaxe einer Cytomegalievirus (CMV)-Reaktivierung und -Erkrankung bei erwachsenen CMV - seropositiven Empfängern [R+] einer allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation</li> </ul>	15. Dezember 2023
Polivy	Polatumab vedotin	<ul style="list-style-type: none"> <li>unbehandeltes diffuses großzelliges B-Zell-Lymphom (DLBCL)</li> <li>rezidivierendes oder refraktäres DLBCL, nicht für eine hämatopoetische Stammzelltransplantation in Frage kommend</li> </ul>	2. Januar 2024

- III. Die Aussetzung lässt die an die Überschreitung der Umsatzschwelle anknüpfenden Rechtswirkungen unberührt.

Berlin, den 2. Februar 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken