

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
die vorläufige Aussetzung des Verfahrens der
Nutzenbewertung nach § 35a Abs. 2 SGB V zu Ciltacabtagen
autoleucel (Multiples Myelom)

Vom 18. Juli 2024

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung	4
4.	Verfahrensablauf	4

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen.

Für Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens (Orphan Drugs) die nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlamentes und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen sind, gilt gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 Halbsatz 1 SGB V der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Nachweise zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen müssen nicht vorgelegt werden (§ 35a Absatz 1 Satz 11, Halbsatz 2 SGB V). § 35a Absatz 1 Satz 11, Halbsatz 1 SGB V fingiert somit einen Zusatznutzen für ein zugelassenes Orphan Drug, obschon eine den in § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 SGB V i.V.m. 5. Kapitel, §§ 5 ff G-BA VerfO niedergelegten Grundsätzen entsprechende Bewertung des Orphan Drugs nicht durchgeführt worden ist. Lediglich das Ausmaß des Zusatznutzens ist nachzuweisen.

Die aus der gesetzlich angeordneten Bindung an die Zulassung resultierenden Beschränkungen bei der Nutzenbewertung von Orphan Drugs entfallen jedoch, wenn der Umsatz des Arzneimittels mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apothekenverkaufspreisen einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten einen Betrag von 30 Millionen Euro übersteigt.

Dann hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V innerhalb von drei Monaten nach Aufforderung durch den G-BA Nachweise gemäß 5. Kapitel § 5 Absatz 1 bis 6 VerfO, insbesondere zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zu der vom G-BA entsprechend 5. Kapitel § 6 G-BA VerfO festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie, zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

Gemäß § 35a Absatz 1 Satz 13 SGB V kann der G-BA für Orphan Drugs, die am 1. Dezember 2022 die Umsatzschwelle von 30 Millionen Euro überschritten haben und noch nicht unter Vorlage der Nachweise zum medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie bewertet wurden, das Nutzenbewertungsverfahren zeitlich befristet aussetzen. Die Aussetzung lässt die an die Überschreitung der Umsatzschwelle anknüpfenden Rechtswirkungen unberührt.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Ciltacabtagen autoleucel ist als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens (Orphan Drugs) nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlamentes und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen.

Am 19. April 2024 hat Ciltacabtagen autoleucel die Zulassung für ein neues Anwendungsgebiet erhalten, das als größere Änderung des Typs 2 nach Anhang 2 Nummer 2 Buchstabe a der Verordnung (EG) Nummer 1234/2008 der Kommission vom 24. November 2008 über die

Prüfung von Änderungen der Zulassungen von Human- und Tierarzneimitteln (ABl. L 334 vom 12.12.2008, Satz 7) eingestuft wird. Das Anwendungsgebiet lautet seither „indiziert für die Behandlung erwachsener Patienten mit rezidiviertem und refraktärem multiplen Myelom, die zuvor bereits mindestens eine Therapie erhalten haben, darunter einen Immunmodulator und einen Proteasom-Inhibitor, und die während der letzten Therapie eine Krankheitsprogression zeigten und gegenüber Lenalidomid refraktär sind.“

Nach § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V müssen für Arzneimittel, die zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen sind [...], Nachweise nach § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 nicht vorgelegt werden. Das heißt bei diesen Arzneimitteln muss das vom pharmazeutischen Unternehmer zu erstellende Dossier – solange die Privilegierung von Gesetzes wegen greift – keine Angaben zum medizinischen Nutzen bzw. dem medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie enthalten. Mit fristgerechter Einreichung eines Dokuments im Einklang mit § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V durch den pharmazeutischen Unternehmer wurde das Nutzenbewertungsverfahren zum neuen Anwendungsgebiet am 1. Juni 2024 eingeleitet.

Überschreitet der Umsatz des Orphan Drug mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apothekenverkaufspreisen sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten in einem anhängigen Verfahren der Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 SGB V einen Betrag von 30 Millionen Euro, ist der G-BA dazu berechtigt, den pharmazeutischen Unternehmer aufzufordern, ein Dossier für die Einleitung eines Nutzenbewertungsverfahrens nach § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V i.V.m. 5. Kapitel § 12 Nr. 2 VerfO analog mit vollständigen Nachweisen nach Maßgabe des § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V vorzulegen. Das Verfahrensprivileg der nur eingeschränkten Prüftiefe bei der Nutzenbewertung entfällt.

Mit seinem Schreiben vom 13. Juni 2024 meldete der pharmazeutische Unternehmer, dass die Umsätze mit Carvykti® im ersten Quartal dieses Jahres die 30 Millionen Euro Umsatzgrenze überschritten hätten. Danach ist die Umsatzschwelle i. S. v. § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V spätestens am 31. März 2024 überschritten.

Carvykti® wurde bisher nicht unter Vorlage der Nachweise zum medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie bewertet. Das vom pharmazeutischen Unternehmer vorgelegte Dossier auf Basis der für die Zulassung verwendeten Studien ohne Zusatznutzennachweis im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie ist für die vom G-BA nunmehr, nach Wegfall der Verfahrenserleichterungen infolge der Umsatzschwellenüberschreitung, durchzuführende Nutzenbewertung ungeeignet. Gemäß § 35a Absatz 1 Satz 13 SGB V setzt der G-BA daher mit dem vorliegenden Beschluss das Nutzenbewertungsverfahren zu Ciltacabtagen autoleucel für das Anwendungsgebiet „indiziert für die Behandlung erwachsener Patienten mit rezidiviertem und refraktärem multiplen Myelom, die zuvor bereits mindestens eine Therapie erhalten haben, darunter einen Immunmodulator und einen Proteasom-Inhibitor, und die während der letzten Therapie eine Krankheitsprogression zeigten und gegenüber Lenalidomid refraktär

sind.“ zeitlich befristet aus. Der G-BA hat den pharmazeutischen Unternehmer gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V mit Schreiben vom 21. Juni 2024 ergänzend dazu aufgefordert, Nachweise nach Satz 3 Nummer 2 und 3 zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie abweichend von § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V nachzuweisen.

Die zeitlich befristete Aussetzung des zum 1. Juni 2024 begonnenen Verfahrens der Nutzenbewertung endet spätestens 8 Monate nach dieser Aufforderung des G-BA gegenüber dem pharmazeutischen Unternehmer.

3. Bürokratiekostenermittlung

Durch den vorgesehenen Beschluss entstehen keine neuen bzw. geänderten Informationspflichten für Leistungserbringer im Sinne von Anlage II zum 1. Kapitel VerfO und dementsprechend keine Bürokratiekosten.

4. Verfahrensablauf

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 9. Juli 2024 über das weitere Vorgehen des am 1. Juni 2024 begonnenen Nutzenbewertungsverfahrens beraten.

Berlin, den 18. Juli 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken