

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
eine Änderung der Verfahrensordnung:

Änderung zum 5. Kapitels – Änderung aus Anlass der
Verordnung (EU) 2021/2282 EU-HTA sowie der Ersten
Verordnung zur Änderung der Arzneimittel-
Nutzenbewertungsverordnung

Vom 17. Juli 2025

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung	20
4.	Verfahrensablauf	20

1. Rechtsgrundlage

Der Gemeinsame Bundesausschuss hat gemäß § 91 Absatz 4 Satz 1 Nummer 1 des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) eine Verfahrensordnung zu beschließen, in der insbesondere methodische Anforderungen an die wissenschaftliche sektorenübergreifende Bewertung des Nutzens, der Notwendigkeit und der Wirtschaftlichkeit von Maßnahmen als Grundlage für Beschlüsse sowie die Anforderungen an den Nachweis der fachlichen Unabhängigkeit von Sachverständigen und anzuhörenden Stellen, die Art und Weise der Anhörung und deren Auswertung geregelt werden. Die Verfahrensordnung bedarf gemäß § 91 Absatz 4 Satz 2 SGB V der Genehmigung des Bundesministeriums für Gesundheit.

Mit dem am 1. Januar 2011 in Kraft getretenen Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarkts wurde in § 35a SGB V eine Nutzenbewertung für Arzneimittel als Grundlage für Vereinbarungen von Erstattungsbeträgen nach § 130b SGB V eingeführt. Danach bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss den Nutzen von allen erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Hierzu gehört insbesondere die Bewertung des Zusatznutzens des Arzneimittels gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie, des Ausmaßes des Zusatznutzens und seiner therapeutischen Bedeutung.

Auf Grundlage des § 35a Absatz 1 Satz 6 und 9 SGB V ist der Gemeinsame Bundesausschuss ermächtigt, in seiner Verfahrensordnung (VerfO) zu bestimmen, wann die Voraussetzungen nach § 35a Absatz 1 Satz 5 SGB V vorliegen, sowie weitere Einzelheiten des Verfahrens der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V zu regeln. Mit Beschluss vom 20. Januar 2011 hat der Gemeinsame Bundesausschuss ein 5. Kapitel in die Verfahrensordnung eingefügt, in dem weitere Einzelheiten zum Verfahren über die Bewertung des Zusatznutzens von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35 a SGB V geregelt sind.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Mit dem vorliegenden Beschluss werden Anpassungen des 5. Kapitels der Verfahrensordnung sowie der diesem zugehörigen Anlagen II.1 (Erstellung und Einreichung eines Dossiers zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V), II.2 (Modul 1 – Zusammenfassung der Aussagen im Dossier), II.3 (Modul 1 Anhang – Checkliste zur Prüfung der formalen Vollständigkeit), II.4 (Modul 2 – Allgemeine Angaben zum Arzneimittel, zugelassene Anwendungsgebiete), II.5 (Modul 3 – Zweckmäßige Vergleichstherapie, Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen, Kosten der Therapie für die GKV, Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung, Prüfungsteilnehmer im Geltungsbereich des SGB V) und II.6 (Modul 4 – Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen) vorgenommen, die aus Anlass der Verordnung (EU) 2021/2282 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 15. Dezember 2021 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien und zur Änderung der Richtlinie 2011/24/EU (ABl. L 458 vom 22.12.2021, S. 1; L, 2024/90313, 28.5.2024) (nachfolgend: Verordnung (EU) 2021/2282) und der damit verbundenen Ersten Verordnung zur Änderung der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) vom 4. März 2025, BGBl. 2025 I Nr. 75 (nachfolgend: 1. AM-NutzenVÄndV) erforderlich geworden sind.

Mit der Verordnung (EU) 2021/2282, die am 11. Januar 2022 in Kraft getreten ist, wurde eine rechtliche Grundlage für die gemeinsame Bewertung von Gesundheitstechnologien („Health Technology Assessment“, HTA) auf Ebene der Europäischen Union geschaffen. Nach dieser Verordnung unterliegen ab dem 12. Januar 2025 Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen zur Behandlung von Krebs sowie Arzneimittel für neuartige Therapien, ab dem 13. Januar 2028 zusätzlich (sonstige) Arzneimittel für seltene Leiden und ab dem 13. Januar 2030 schließlich sämtliche Arzneimittel, für die eine zentrale Zulassung durch die Europäische Kommission auf Unionsebene beantragt wurde, der gemeinsamen klinischen Bewertung. Diese Verordnung hat nach Artikel 288 des Vertrages über die Arbeitsweise der Europäischen Union (AEU-Vertrag) allgemeine Geltung. Sie ist in allen ihren Teilen verbindlich und gilt unmittelbar in jedem Mitgliedsstaat.

Vor dem Hintergrund der Verzahnung der gemeinsamen klinischen Bewertung auf Unionsebene mit dem weiterhin national durchzuführenden Verfahren der frühen Nutzenbewertung von Arzneimitteln nach § 35a SGB V hat es der Verordnungsgeber mit der 1. AM-NutzenVÄndV als geboten erachtet, die Einbringung der Inhalte des auf EU-Ebene eingereichten Dossiers ins nationale Verfahren klar zu regeln und die Zeitabläufe zur Berücksichtigung der europäischen Bewertungsberichte im deutschen Nutzenbewertungsverfahren zu präzisieren.

Aufgrund des sowohl auf europäischer als auch auf nationaler Ebene geänderten Rechtsrahmens ergeben sich erforderliche Anpassungen im 5. Kapitel der Verfahrensordnung sowie den Modulvorlagen, insbesondere hinsichtlich der Anforderungen an

- den Umgang mit dem europäischen Dossier bei Einreichung des nationalen Dossiers,
- die Veröffentlichung von Nachweisen aus einem europäischen Dossier, sofern dieses Grundlage der Nutzenbewertung werden soll,
- die Prüfung des nationalen Dossiers auf formale und inhaltliche Vollständigkeit,
- die Berücksichtigung der auf europäischer Ebene verfügbaren Informationen, insbesondere des Berichtes über die gemeinsame klinische Bewertung und
- das gesetzliche Stellungnahmeverfahren.

Darüber hinaus werden unter anderem Angleichungen von Vorgaben an die Dossiererstellung zu den Empfehlungen der von der Koordinierungsgruppe beschlossenen Leitfäden für die gemeinsame klinische Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 sowie Präzisierungen der Vorgaben als auch redaktionelle Überarbeitungen vorgenommen.

Weiterhin werden Anpassungen in der Anlage I des 5. Kapitels der Verfahrensordnung (Anforderungsformular für eine Beratung) vorgenommen, die eine strukturierte Abfrage relevanter Informationen für den Beratungsprozesses ermöglichen.

Zu den Änderungen im 5. Kapitel der Verfahrensordnung im Einzelnen:

(Bei Paragraphenbezeichnungen handelt es sich um solche des 5. Kapitels, außer es wird ein anderes Kapitel explizit genannt)

Zu Nummer 1 § 1b Gemeinsame klinische Bewertung und europäisches Dossier

Im 5. Kapitel 1. Abschnitt VerfO werden unter dem Titel „Geltungsbereich und Begriffsdefinitionen“ mit dem neuen § 1b Begriffsdefinitionen eingefügt, die ihren Ursprung in der Verordnung (EU) 2021/2282 haben und durch die 1. AM-NutzenVÄndV in § 2 Absatz 6 und 7 AM-NutzenV erstmals auf nationaler Ebene eingeführt wurden.

§ 1b Absatz 1 VerfO enthält die Definition des Begriffes der „gemeinsamen klinischen Bewertung“ entsprechend der Definition in § 2 Absatz 6 AM-NutzenV, der die Begriffsbestimmung durch Verweis auf Artikel 2 Nummer 6 der Verordnung (EU) 2021/2282 und unter Bezugnahme auf die Regelung der Vorgaben zur gemeinsamen klinischen Bewertung in der Verordnung (EU) 2021/2282 vornimmt. Nach Artikel 2 Nummer 6 der Verordnung (EU) 2021/2282 ist die „gemeinsame klinische Bewertung“ einer Gesundheitstechnologie die wissenschaftliche Zusammenstellung und Beschreibung einer vergleichenden Analyse der verfügbaren klinischen Nachweise über eine Gesundheitstechnologie im Vergleich zu einer oder mehreren anderen Gesundheitstechnologien oder einem oder mehreren anderen bestehenden Verfahren im Einklang mit einem im Rahmen der Verordnung (EU) 2021/2282 vereinbarten Bewertungsumfang sowie auf der Grundlage der wissenschaftlichen Aspekte der klinischen Bereiche der HTA: Beschreibung des gesundheitlichen Problems, bei dem die Gesundheitstechnologie angewandt wird, sowie anderer Gesundheitstechnologien, die derzeit bei diesem Gesundheitsproblem angewandt werden, Beschreibung und technische Charakterisierung der Gesundheitstechnologie, relative klinische Wirksamkeit sowie relative Sicherheit der Gesundheitstechnologie. Im Rahmen der Regelung im 5. Kapitel der Verfahrensordnung wird die Begriffsdefinition der gemeinsamen klinischen Bewertung auf Arzneimittel im Sinne von Artikel 2 Absatz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282, das heißt auf Arzneimittel im Sinne des Artikels 1 Nummer 2 der Richtlinie 2001/83/EG des Europäischen Parlaments und des Rates, begrenzt.

§ 1b Absatz 2 VerfO definiert den Begriff des „europäischen Dossiers“ entsprechend der Regelung in § 2 Absatz 7 AM-NutzenV. Dieser erstreckt sich sowohl auf die Informationen, die im ursprünglichen Dossier enthalten sind, das der Entwickler der Gesundheitstechnologie nach erster Aufforderung durch die Europäische Kommission gemäß Artikel 10 Absatz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282 vorlegt, als auch auf Informationen, die nach einer zweiten Aufforderung durch die Europäische Kommission nach Artikel 10 Absatz 5 Satz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282 vom Entwickler der Gesundheitstechnologie nachgereicht werden. Ebenfalls zum europäischen Dossier gehören Informationen, die die Europäische Kommission zu einem späteren Zeitpunkt angefordert hat, weil die Gutachterinnen und Gutachter bei der Erstellung der Berichtsentwürfe festgestellt haben, dass für die Durchführung der Bewertung weitere Spezifikationen, Klarstellungen oder zusätzliche Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise benötigt werden, oder die in Folge einer proaktiven Information der Koordinierungsgruppe über die Verfügbarkeit neuer Daten vom Entwickler der Gesundheitstechnologie vorgelegt werden (Artikel 11 Absatz 2 Satz 1 und 3 der Verordnung (EU) 2021/2282 in Verbindung mit Artikel 12 Absatz 5 und 7 der Durchführungsverordnung (EU) 2024/1381 und Artikel 16 Absatz 4 der Durchführungsverordnung (EU) 2024/1381).

Zu Nummer 2 § 4 Zuständigkeit für die Durchführung der Nutzenbewertung und Zusammenfassende Dokumentation

Buchstabe a)

In der Überschrift wird neben der vorhandenen Angabe „Zuständigkeit für die Durchführung der Nutzenbewertung“ ergänzend die Angabe „und Zusammenfassende Dokumentation“ eingefügt, da die Regelungen zur Zusammenfassenden Dokumentation in Absatz 2 gebündelt und neben die Regelungen zur Zuständigkeit für die Durchführung der Nutzenbewertung gestellt werden.

Buchstabe b)

Bei der Verschiebung des ursprünglich als Absatz 2 Satz 3 bezeichneten Satzes zum Teilnahmerecht von Vertretern des Robert Koch-Institutes und des Bundesinstitutes für Arzneimittel und Medizinprodukte an den Sitzungen des Unterausschusses und der Arbeitsgruppen in den Absatz 1 Satz 2 handelt es sich um eine redaktionelle Anpassung.

Darüber hinaus werden durch den in Absatz 2 Satz 3 neu eingefügten Satz Anpassungen bezüglich der Erstellung der Zusammenfassenden Dokumentation geregelt, sofern für das zu bewertende Arzneimittel eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt wurde. In diesem Fall enthält die Zusammenfassende Dokumentation neben den bisher bereits nach Absatz 2 Satz 2 erforderlichen Inhalten - zu denen im Falle des § 9 Absatz 2a auch die vom pharmazeutischen Unternehmer im nationalen Dossier angegebenen Nachweisen aus dem europäischen Dossier zählen - zusätzlich einen Verweis auf die öffentlich zugängliche Internetseite der IT-Plattform gemäß Artikel 30 Absatz 1 Buchstabe a in Verbindung mit Absatz 3 der Verordnung (EU) 2021/2282, einschließlich der dort vor der Veröffentlichung der Nutzenbewertung nach § 18 Absatz 5 nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlichten Berichte über die gemeinsame klinische Bewertung des Arzneimittels.

Diese Ergänzung ergibt sich aufgrund der Regelung in Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a) bis c) der Verordnung (EU) 2021/2282, die national durch § 7 Absatz 1 Satz 3 AM-NutzenV ausgestaltet wurde. Die dort geregelten, zusätzlich als Grundlage für die Nutzenbewertung heranzuziehenden Informationen, sind entsprechend auch in der Zusammenfassenden Dokumentation abzubilden.

Zu Nummer 3 § 7 Beratung

§ 7 Absatz 1a Satz 3 und 4 VerfO werden gestrichen, da sie spezifische Hinweise zur Einreichung der Beratungsanforderung mittels DVD enthalten, die in der Regel nicht mehr stattfindet. Es verbleibt, dass die Beratungsanforderung in elektronischer Form einzureichen ist und mit einem Anschreiben in Schriftform oder elektronischer Form unter Verwendung einer fortgeschrittenen oder qualifizierten elektronischen Signatur zu erfolgen hat. In der Regel sind Dateneinreichungen über das hierfür eingerichtete Portal vorzunehmen, wobei eine Einreichung mittels Datenträger grundsätzlich weiterhin möglich ist.

Für alle einzureichenden Daten wird der Grundsatz, dass diese nicht geschützt sein dürfen, zudem durch eine Einfügung im neuen Absatz 1a Satz 2 dahingehend weiterentwickelt, dass

diese ohne Kennworteingabe nicht nur lesbar, speicherbar und druckbar, sondern auch kopierbar sein müssen. Die bisher nur für Datenträger geltende Anforderung des fehlenden Kopierschutzes gilt daher für alle Formen elektronischer Dateneinreichung, ungeachtet des Speichermediums oder des Übertragungsweges.

Zu Nummer 4 § 9 Anforderungen an das Dossier

Buchstabe a)

Die Änderungen in § 9 Absatz 1 Verfo hinsichtlich der Hinweise zur Einreichung des Dossiers mittels DVD werden analog zur Regelung in § 7 Verfo für die Beratungsanforderung angepasst (vergleiche dazu die Begründung zu Nummer 3 § 7 Beratung).

Buchstabe b)

Der neu eingefügte § 9 Absatz 2a Verfo entspricht der durch die 1. AM-NutzenVÄndV in § 4 Absatz 2a AM-NutzenV eingefügten Regelung zum Verhältnis eines bereits auf europäischer Ebene vorgelegten europäischen Dossiers zu dem auf nationaler Ebene einzureichenden Dossier. Sofern für ein Arzneimittel ein europäisches Dossier vorgelegt und die gemeinsame klinische Bewertung des Arzneimittels nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt wurde, hat der pharmazeutische Unternehmer im Dossier anzugeben, ob und welche Nachweise aus dem europäischen Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein sollen, indem er auf diese Nachweise Bezug nimmt.

Damit wird der Regelung in Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe d) Verordnung (EU) 2021/2282 Rechnung getragen, wonach die Mitgliedsstaaten bei der Durchführung einer nationalen HTA-Bewertung, für die eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet wurde, Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise, die der Entwickler der Gesundheitstechnologie gemäß Artikel 10 Absatz 1 oder 5 bereits auf Unionsebene eingereicht hat, nicht auf nationaler Ebene anfordern. Gleichzeitig soll der Entwickler der Gesundheitstechnologie gemäß Artikel 10 Absatz 3 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 seinerseits auf nationaler Ebene keine Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise einreichen, die bereits auf Unionsebene vorgelegt wurden.

Um diesen unionsrechtlichen Vorgaben Rechnung zu tragen, regelt § 9 Absatz 2a Verfo, entsprechend der Regelung in § 4 Absatz 2a AM-NutzenV, dass der pharmazeutische Unternehmer im nationalen Dossier anzugeben hat, ob und welche Nachweise, die bereits im europäischen Dossier bereitgestellt wurden, Grundlage der Nutzenbewertung sein sollen; hierzu nimmt er auf die entsprechenden Nachweise im europäischen Dossier Bezug (Verweislösung).

Durch die Verweislösung wird zudem dem in § 5 Absatz 1 Satz 1 AM-NutzenV geregelten Grundsatz, dass die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen allein aufgrund von Nachweisen des pharmazeutischen Unternehmers erfolgt, die dieser durch die im Dossier übermittelten Angaben beizubringen hat (vergleiche dazu zuletzt BSG, Urteil vom 12. August 2021, B 3 KR 3/20 R - Dimethylfumarat), Rechnung getragen. Da den Gemeinsamen Bundesausschuss keine Amtsermittlungspflicht trifft, hat der pharmazeutische

Unternehmer zu bestimmen, ob und welche Nachweise aus dem europäischen Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein sollen. Dem pharmazeutischen Unternehmer obliegt es aufgrund des Beibringungsgrundsatzes zudem auch zu prüfen, ob und inwieweit die Inhalte des europäischen Dossiers für die Zwecke der Durchführung der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V relevant und ausreichend sind, und erforderlichenfalls im nationalen Dossier aktualisierte oder ergänzende Nachweise zu übermitteln.

Dies gilt unter der Bedingung, dass die gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt wurde. Wurde das europäische Dossier trotz zweiter Aufforderung durch die Kommission nicht fristgerecht oder unvollständig eingereicht und hat die Kommission daraufhin die gemeinsame klinische Bewertung gemäß Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, sieht Artikel 10 Absatz 6 Satz 3 der Verordnung (EU) 2021/2282 vor, dass das in Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe d Verordnung (EU) 2021/2282 geregelte Gebot, im nationalen Verfahren keine Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise anzufordern, die bereits auf EU-Ebene eingereicht wurden, keine Anwendung findet. In diesen Fällen ist entsprechend beim Gemeinsamen Bundesausschuss ein vollständiges Nutzenbewertungsdossier ohne Verweise auf ein europäisches Dossier einzureichen.

Durch die Voraussetzung, dass ein europäisches Dossier vorgelegt und die gemeinsame klinische Bewertung auch nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt wurde, wird zudem verdeutlicht, dass nur auf Inhalte Bezug genommen werden kann, die zu den nach § 8 VerfO maßgeblichen Zeitpunkten auf der EU-Ebene bereits vorliegen. Eine „dynamische“ Verweisung auf künftige Nachweise, die erst zu einem späteren Zeitpunkt im Verfahren der gemeinsamen klinischen Bewertung des Arzneimittels nachgereicht werden, ist nicht möglich (vergleiche dazu auch die Verordnungsbegründung zur 1. AM-NutzenVÄndV zu § 4 Absatz 2a AM-NutzenV).

Die Verweismöglichkeit gilt für alle Nachweise, die zum europäischen Dossier im Sinne von § 1b Absatz 2 VerfO gehören (siehe dazu die Begründung zu Nummer 1 § 1b Gemeinsame klinische Bewertung und europäisches Dossier).

Die Verweismöglichkeit beschränkt sich auf die Angaben nach § 9 Absatz 1 Satz 6 (neu) Nummer 1 bis 3 VerfO über zugelassene Anwendungsgebiete, den medizinischen Nutzen und den medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie. Weiterhin sind im Dossier für die Nutzenbewertung nach § 35a SGB V regelhaft Angaben nach § 9 Absatz 1 Satz 6 (neu) Nummer 4 bis 7 VerfO zur Anzahl der Patienten und Patientengruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht, zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung, zur Anforderung an eine qualitätsgesicherte Anwendung sowie die Angaben nach § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 7 SGB V zur Anzahl der Teilnehmer an den klinischen Prüfungen, die für die Feststellung nach § 35a Absatz 3 Satz 5 und 6 SGB V benötigt werden, zu übermitteln. Diese Informationen betreffen ausschließlich den nationalen Versorgungskontext und können daher im europäischen Dossier nicht enthalten sein, sodass auch nicht darauf verwiesen werden kann. Sofern allerdings für diese Angaben relevante Informationen zu einzelnen spezifischen Abschnitten des nationalen Dossiers im europäischen Dossier enthalten sind (siehe auch Anlage II.5 Abschnitte 3.2.1, 3.2.2, 3.2.6, 3.2.7, 3.4.2, 3.4.3, 3.4.4, 3.4.5, 3.4.6 und 3.4.7), kann auch auf diese Bezug genommen werden. Für konkrete Angaben zur Verweismöglichkeit wird

auf die Ausführungen in den Modulvorlagen in Anlage II verwiesen (siehe Nummern 13 bis 18).

Sind in den Fällen einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 Angaben zum Nachweis des Zusatznutzens gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie bisher teilweise oder vollständig nicht im europäischen Dossier vorgelegt worden, so sind diese Angaben im Dossier auf Grundlage der unverändert fortbestehenden Pflicht zum Nachweis des Zusatznutzens des Arzneimittels gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie vorzulegen (vergleiche § 35a Absatz 1 Satz 2 SGB V in Verbindung mit § 5 Absatz 1 Satz 1 AM-NutzenV, § 9 Absatz 1 Satz 5 Verfo). Die gesetzlichen Privilegierungen in § 35a Absatz 1 Satz 4, Satz 11, Absatz 1a, und Absatz 1c Satz 1 in Verbindung mit Satz 7 SGB V bleiben unberührt.

Durch den gewählten Ansatz, dass der pharmazeutische Unternehmer anzugeben hat, ob und welche Nachweise aus dem europäischen Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein sollen, bleibt zudem das in § 6 Absatz 2a AM-NutzenV beziehungsweise § 6 Absatz 4 Verfo geregelte Wahlrecht des pharmazeutischen Unternehmers unberührt, dass er den Zusatznutzen bei mehreren gleichermaßen zweckmäßigen Vergleichstherapien gegenüber jeder dieser Therapien nachweisen kann. Bei einem nationalen Nutzenbewertungsverfahren kann der pharmazeutische Unternehmer bei gleichermaßen zweckmäßigen Vergleichstherapien wählen, welche Vergleichstherapie(n) er für den Nachweis des Zusatznutzens im Dossier heranzieht und welche nicht. Im Rahmen einer gemeinsamen klinischen Bewertung ist er hingegen verpflichtet, soweit möglich, sämtliche Fragestellungen zu den relativen Effekten des Arzneimittels, die sich aus dem Bewertungsumfang (PICOs) für die gemeinsame klinische Bewertung ergeben, zu beantworten, so dass ein vergleichbares Wahlrecht nicht besteht. Durch den gewählten Ansatz steht dem pharmazeutischen Unternehmer national weiterhin das Wahlrecht offen, gegenüber welcher von mehreren gleichermaßen zweckmäßigen Vergleichstherapien die deutsche Nutzenbewertung erfolgen soll.

Buchstabe c)

Die Ergänzung in § 9 Absatz 4 Satz 4 (neu) Verfo erfasst eine Ausprägung des in § 9 Absatz 2a Verfo gewählten Ansatzes in Bezug auf die Aktualität der Literatur- und Studienregisterrecherche sowie den Studienstatus im Dossier. Für nationale Nutzenbewertungsverfahren regeln § 9 Absatz 4 Satz 1 und 2 Verfo, welche Dokumente und Informationen zu den mit dem Arzneimittel durchgeführten Studien im Dossier vorgelegt werden müssen. Das Datum der erforderlichen Literatur- und Studienregisterrecherche sowie des Studienstatus soll gemäß § 9 Absatz 4 Satz 3 Verfo nicht mehr als drei Monate vor dem für die Einreichung des Dossiers maßgeblichen Zeitpunkt liegen.

Mit der Ergänzung in § 9 Absatz 4 Satz 4 Verfo wird klargestellt, dass dies auch gilt, wenn ein europäisches Dossier vorgelegt und die gemeinsame klinische Bewertung des Arzneimittels nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt wurde. Mit Blick auf den in § 4 Absatz 2a AM-NutzenV beziehungsweise § 9 Absatz 2a Verfo gewählten Ansatz sowie unter Berücksichtigung des Gleichbehandlungsgrundsatzes aus Artikel 3 Absatz 1 GG wird damit sichergestellt, dass bezüglich der Aktualität der Recherche die

gleichen Anforderungen an das Dossier gelten, ungeachtet dessen, ob eine gemeinsame klinische Bewertung vorangegangen ist. Der pharmazeutische Unternehmer hat bei Bezugnahme auf die Nachweise im europäischen Dossier daher in Bezug auf die Literatur- und Studienregisterrecherche sowie den Studienstatus auch zu prüfen, ob die Aktualität der Angaben den nationalen Anforderungen entspricht und ob somit eine Bezugnahme auf das europäische Dossier möglich ist. Liegen die Literatur- und Studienregisterrecherche oder der Studienstatus im europäischen Dossier mehr als drei Monate vor dem für die Einreichung des Dossiers nach § 8 Verfo maßgeblichen Zeitpunkt, ist die Recherche zu aktualisieren. Die aktualisierte Recherche ist im Dossier darzustellen, wobei das Datum der aktualisierten Literatur- und Studienregisterrecherche sowie des Studienstatus nicht mehr als drei Monate vor dem für die Einreichung des Dossiers maßgeblichen Zeitpunkt liegen soll. Sofern durch die Recherche keine neueren Quellen oder Daten gegenüber den Angaben im europäischen Dossier identifiziert werden, kann in Bezug auf die Literatur- und Studienregisterrecherche auf das Rechercheergebnis im europäischen Dossier verwiesen werden. Weitere diesbezügliche Vorgaben sind der Anlage II.6 (Modul 4 - Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen) zu entnehmen.

Zu Nummer 5 § 10 Offenlegung

Buchstabe a)

Die Änderung in § 10 Absatz 2 Satz 1 Verfo durch die Aufnahme der Angabe „2a“ ist eine Folgeänderung, die durch die Einfügung in § 9 Absatz 2a Verfo bedingt ist. Nach den bisher durch Verweisung in Bezug genommenen Regelungen § 9 Absatz 2 und 3 Verfo, die ihre Rechtsgrundlage in § 35a Absatz 1 Satz 8 Nr. 1 und Nr. 5 SGB V in Verbindung mit § 9 AM-NutzenV haben, sind pharmazeutische Unternehmer berechtigt, Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse zu kennzeichnen, haben aber gleichzeitig zu gewährleisten, dass die allgemeinen Anforderungen an die Verwendung der Dossievorgaben gemäß § 9 Absatz 2 Verfo erfüllt werden und – trotz Widerspruchs gegen eine Veröffentlichung von Dokumenten in Modul 5 – alle Angaben zu Studienmethodik und -ergebnissen vollständig zur Veröffentlichung im Dossier in Modul 1 bis 4 nach Maßgabe des § 9 Absatz 2 Satz 2 Verfo zur Verfügung gestellt werden. Hintergrund dieser Regelungen sind die durch die 1. AM-NutzenVÄndV unverändert gebliebenen Grundsätze, dass die Veröffentlichung des Dossiers die Grundlagen zu enthalten hat, auf die sich die Bewertung stützt (vergleiche § 9 Absatz 1 Satz 2 AM-NutzenV) und dass die Kennzeichnung von Betriebs- und Geschäftsgeheimnissen im Dossier der Pflicht zur Offenlegung der Studienergebnisse nicht entgegenstehen darf (vergleiche § 9 Absatz 2 Absatz 2 AM-NutzenV). Unter Berücksichtigung dieser Grundsätze ist für die Dossiereinreichung in Fällen einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 klarzustellen, dass die Kennzeichnung von Betriebs- und Geschäftsgeheimnissen im Dossier die Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers nach § 9 Absatz 2a Verfo, im Dossier anzugeben, ob und welche Nachweise aus dem europäischen Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein sollen, ebenfalls unberührt lässt.

Buchstabe b)

Die Einfügung in § 10 Absatz 3 (neu) Verfo regelt Besonderheiten der Veröffentlichung von Nachweisen aus dem europäischen Dossier, die aufgrund der Bezugnahme im nationalen Dossier nach § 9 Absatz 2a Verfo Grundlage der Nutzenbewertung nach § 18 Absatz 1 Satz 4 (neu) Nummer 2 Verfo sind und aus Transparenzgründen zusätzlich zum nationalen Dossier öffentlich verfügbar sein müssen. Sie entspricht der durch die 1. AM-NutzenVÄndV neu in § 9 Absatz 3 AM-NutzenV eingefügten Regelung.

Mit § 10 Absatz 3 (neu) Verfo wird klargestellt, dass gleichzeitig mit der Veröffentlichung des Dossiers nach § 10 Absatz 1 Satz 1 Verfo auf der Internetseite des Gemeinsamen Bundesausschusses auch ein Verweis auf die öffentlich zugängliche Internetseite der IT-Plattform veröffentlicht wird, auf der die Nachweise nach Artikel 30 Absatz 3 Buchstabe d der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht sind.

Da nach Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe b) der Verordnung (EU) 2021/2282 das europäische Dossier den nationalen Unterlagen für das Nutzenbewertungsverfahren beizulegen ist, sind diesbezüglich auch die nach § 9 Absatz 1 und 2 AM-NutzenV geltenden nationalen Transparenzanforderungen zu beachten.

In Fällen, in denen das europäische Dossier zum Zeitpunkt der Veröffentlichung nach § 10 Absatz 1 Satz 1 Verfo auf der öffentlich zugänglichen Internetseite der IT-Plattform noch nicht nach Artikel 30 Absatz 3 Buchstabe d der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht ist, wird entsprechend der Vorgaben der in § 9 Absatz 3 AM-NutzenV neu eingefügten Regelung bestimmt, dass der pharmazeutische Unternehmer dem Gemeinsamen Bundesausschuss innerhalb von drei Werktagen nach dem Zeitpunkt der Veröffentlichung nach § 10 Absatz 1 Satz 1 Verfo eine Fassung des europäischen Dossiers zur Verfügung zu stellen hat, die mindestens die Nachweise umfasst, die Grundlage der Nutzenbewertung sind, und in der alle aus seiner Sicht vertraulichen Informationen unkenntlich gemacht wurden. Diese Fassung des europäischen Dossiers wird unverzüglich auf der Internetseite des Gemeinsamen Bundesausschusses veröffentlicht.

Sobald das europäische Dossier auf der öffentlich zugänglichen Internetseite der IT-Plattform nach § 30 Absatz 3 Buchstabe d der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht ist, wird das europäische Dossier von der Internetseite des Gemeinsamen Bundesausschusses entfernt und stattdessen der in § 10 Absatz 3 Satz 1 Verfo genannte Verweis veröffentlicht.

Zu Nummer 6 § 11 Vorlage des Dossiers

Buchstabe a)

Die Ergänzung in § 11 Absatz 1 Satz 2 Verfo erfolgt zur Klarstellung, dass die Verpflichtung zur Übermittlung des Dossiers zu den in § 8 Verfo bestimmten maßgeblichen Zeitpunkten auch in den Fällen unverändert bestehen bleibt, in denen der pharmazeutische Unternehmer nach § 9 Absatz 2a Verfo beziehungsweise § 4 Absatz 2a AM-NutzenV auf die Nachweise aus dem europäischen Dossier Bezug nehmen will. Nach dem Wortlaut der Regelung in § 4 Absatz 2a AM-NutzenV ist die Verweismöglichkeit auf das europäische Dossier an die Voraussetzung geknüpft, dass für das Arzneimittel ein europäisches Dossier vorgelegt wurde und die gemeinsame klinische Bewertung des Arzneimittels nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der

Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt wurde. Gleichzeitig sind die Regelungen in § 4 Absatz 3 AM-NutzenV hinsichtlich der maßgeblichen Zeitpunkte, zu denen das nationale Dossier vorzulegen ist, nicht geändert worden. Verzögerungen im Hinblick auf die Vorlage des europäischen Dossiers führen daher nicht zu Änderungen der maßgeblichen Zeitpunkte nach § 8 VerFO in Verbindung mit § 4 Absatz 3 AM-NutzenV.

Buchstabe b)

Die Ergänzung in § 11 Absatz 2 Satz 3 VerFO dient zum einen der Klarstellung, dass die formale Vorprüfung in Fällen, in denen der pharmazeutische Unternehmer nach § 9 Absatz 2a VerFO auf Nachweise aus dem europäischen Dossier Bezug nehmen will, auch die Prüfung auf formale Vollständigkeit der eingefügten Verweise umfasst.

Zum anderen wird der Umfang der formalen Vorprüfung bei Verweisen auf ein europäisches Dossier nach § 9 Absatz 2a VerFO konkretisiert. Wird im nationalen Dossier auf Nachweise aus dem europäischen Dossier nach § 9 Absatz 2a VerFO Bezug genommen, umfasst die formale Vorprüfung auch die Prüfung auf formale Vollständigkeit der eingefügten Verweise, insbesondere dahingehend, ob die Nachweise im europäischen Dossier durch den Verweis so konkret bezeichnet werden, dass eine eindeutige Zuordnung dieser sowohl auf Gliederungs- als auch auf Abschnittsebene zum Dossier möglich ist.

Durch den in § 4 Absatz 2a AM-NutzenV beziehungsweise § 9 Absatz 2a VerFO gewählten Ansatz, dass der pharmazeutische Unternehmer anzugeben hat, ob und welche Nachweise aus dem europäischen Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein sollen, sowie unter Berücksichtigung des Gleichbehandlungsgrundsatzes nach Artikel 3 Absatz 1 GG sind im Hinblick auf die Anforderungen an die formale Vollständigkeit des Dossiers die gleichen Anforderungen an pharmazeutische Unternehmer zu stellen, ungeachtet dessen, ob deren früher Nutzenbewertung nach § 35a SGB V ein Verfahren einer gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 vorausgeht oder nicht. Insofern ist zu fordern, dass sich die Bezugnahme auf das europäische Dossier auf konkret zu bezeichnende Stellen des europäischen Dossiers beziehen muss, sodass eine eindeutige Zuordnung sowohl auf Gliederungs- als auch auf Abschnittsebene mit dem Dossier möglich ist. Eine pauschale Verweisung, die dem Gemeinsamen Bundesausschuss die Auswahl der relevanten Nachweise überlassen würde, ist nicht ausreichend und mit dem Beibringungsgebot nicht vereinbar (vergleiche dazu auch Verordnungsbegründung zur 1. AM-NutzenVÄndV zu § 4 Absatz 2a AM-NutzenV).

Eine inhaltliche Prüfung der Verweise in Bezug auf die Eignung der zugehörigen Nachweise für die Bewertung des Zusatznutzens wird im Rahmen der formalen Vorprüfung nicht vorgenommen.

Zu Nummer 7 § 14 Aufforderung zur Vorlage eines Dossiers aufgrund eines Antrags des pharmazeutischen Unternehmers auf erneute Nutzenbewertung wegen Vorliegen neuer wissenschaftlicher Erkenntnisse

Es wird auf die Ausführungen zu Nummer 4 Buchstabe a) verwiesen.

Zu Nummer 8 § 17 Entscheidung über die Durchführung der Nutzenbewertung

Buchstabe a)

Die Ergänzung in § 17 Absatz 1 Satz 2 Verfo dient der Klarstellung, dass die formale Prüfung auf Vollständigkeit der vom pharmazeutischen Unternehmer nach § 9 Verfo vorzulegenden Unterlagen im Falle einer Bezugnahme auf Nachweise aus dem europäischen Dossier gemäß § 9 Absatz 2a Verfo auch die eingefügten Verweise umfasst. Dadurch wird sichergestellt, dass die Prüfung auf formale Vollständigkeit der Verweise sowohl im Rahmen der formalen Vorprüfung nach § 11 Absatz 2 Verfo als auch im Rahmen der formalen Prüfung auf Vollständigkeit nach § 17 Absatz 1 Verfo erfolgt.

Buchstabe b)

§ 17 Absatz 1 Satz 2 letzter Halbsatz Verfo nimmt Bezug auf die neue Ergänzung im § 11 Absatz 2 Satz 3 (neu) Verfo. Hierdurch wird sichergestellt, dass der Umfang der formalen Prüfung auf Vollständigkeit auch die Prüfung auf formale Vollständigkeit der eingefügten Nachweise umfasst. Entsprechend erfolgt die Prüfung insbesondere dahingehend, ob die Nachweise im europäischen Dossier durch den Verweis so konkret bezeichnet werden, dass eine eindeutige Zuordnung dieser sowohl auf Gliederungs- als auch auf Abschnittsebene zum Dossier möglich ist.

Die übrige Änderung des Verweises auf § 11 Absatz 2 Satz 5 (neu) statt auf Satz 4 (alt) Verfo ist redaktioneller Natur und durch die Einfügung eines zusätzlichen Satzes in § 11 Absatz 2 Verfo bedingt. Eine inhaltliche Prüfung der Verweise wird im Rahmen der formalen Prüfung auf Vollständigkeit nicht vorgenommen.

Zu Nummer 9 § 18 Nutzenbewertung

Buchstabe a)

Die Ergänzung in § 18 Absatz 1 Satz 4 Verfo entspricht der in § 7 Absatz 1 Satz 3 AM-NutzenV durch die 1. AM-NutzenVÄndV eingefügten Neuregelung. Sie legt fest, was zusätzlich zu dem nationalen Dossier Grundlage für die Nutzenbewertung ist, wenn für das Arzneimittel eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt wurde. Der Gemeinsame Bundesausschuss hat in diesem Fall neben dem Dossier des pharmazeutischen Unternehmers die vom pharmazeutischen Unternehmer nach § 9 Absatz 2a Verfo angegebenen Nachweise aus dem europäischen Dossier als Grundlage für die Nutzenbewertung zu machen. Dies umfasst die vor dem für die Einreichung der Nachweise nach § 8 Verfo nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlichten Berichte über die gemeinsame klinische Bewertung des Arzneimittels und alle anderen auf der IT-Plattform nach Artikel 30 der Verordnung (EU) 2021/2282 verfügbaren Informationen, die die gemeinsame klinische Bewertung des Arzneimittels betreffen.

Mit dieser Ergänzung wird insbesondere dem Berücksichtigungsgebot nach Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a) der Verordnung (EU) 2021/2282 Rechnung getragen.

Gleichzeitig wird dadurch klargestellt, dass die Berichte über die gemeinsame klinische Bewertung des Arzneimittels nur dann Grundlage für die Nutzenbewertung nach § 18 VerfO sein können, wenn sie vor dem Zeitpunkt, der für die Einreichung der Nachweise nach § 8 VerfO maßgeblich ist, veröffentlicht wurden. Später veröffentlichte Berichte über die gemeinsame klinische Bewertung finden zwar keinen Eingang in den vorbereitenden Nutzenbewertungsbericht, können jedoch, sofern sie vor der Veröffentlichung der Nutzenbewertung nach § 18 Absatz 5 VerfO nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht werden, noch im Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Nutzenbewertung berücksichtigt werden (vergleiche dazu die entsprechende Neuregelung in § 19 Absatz 1a VerfO).

Buchstabe b)

Die Ergänzung in § 18 Absatz 1 Satz 6 (neu) VerfO dient der Konkretisierung, dass eine inhaltliche Prüfung der Angaben im Dossier nach § 18 Absatz 1 Satz 5 (neu) VerfO im Rahmen der Nutzenbewertung sich auch auf die Nachweise aus dem europäischen Dossier bezieht, wenn diese Grundlage der Nutzenbewertung sein sollen, indem der pharmazeutische Unternehmer nach § 9 Absatz 2a VerfO auf diese Nachweise Bezug nimmt. Die Regelungsebene betrifft, sofern der pharmazeutische Unternehmer Nachweise aus dem europäischen Dossier durch Bezugnahme mittels Verweis nach § 9 Absatz 2a VerfO zur Grundlage machen will, die Ebene der Schlussfolgerungen über den gesamten klinischen Zusatznutzen eines Arzneimittels, die nach Artikel 1 Absatz 2 sowie Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a) Satz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282 der Zuständigkeit der Mitgliedsstaaten obliegt und durch die Regelungen der Verordnung (EU) 2021/2282 unberührt bleibt. Der Gemeinsame Bundesausschuss bleibt daher berechtigt, im Rahmen der Beschlussfassung über die Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 3 SGB V seine eigenen Schlussfolgerungen über den gesamten klinischen Zusatznutzen eines Arzneimittels im Kontext des spezifischen deutschen Gesundheitssystems zu ziehen und die Teile des Berichts über die gemeinsame klinische Bewertung des Arzneimittels zu berücksichtigen, die in diesem Zusammenhang relevant sind (vergleiche Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a) Satz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282).

Zudem ist aufgrund des zu beachtenden Gleichbehandlungsgrundsatzes Artikel 3 Absatz 1 GG sicherzustellen, dass die Anforderungen an die Aufbereitung der Unterlagen im Dossier nach § 9 VerfO mit Blick auf die Ermöglichung einer sachgerechten Bewertung des Zusatznutzens gleichermaßen für alle Nutzenbewertungsverfahren gelten, ungeachtet dessen, ob diesen gemeinsame klinische Bewertungen nach der Verordnung (EU) 2021/2282 vorausgegangen sind. Der Gemeinsame Bundesausschuss kann somit einheitlich in allen Nutzenbewertungsverfahren die Feststellung treffen, dass der Zusatznutzen nicht belegt ist, wenn die Aufbereitung der Unterlagen im Dossier in einem Ausmaß von den in § 9 VerfO festgelegten Anforderungen abweicht, welches einer sachgerechten Bewertung des Zusatznutzens entgegensteht.

Zu Nummer 10 § 19 Gesetzliches Stellungnahmeverfahren

Buchstabe a) und b)

Die Ergänzungen in § 19 Absatz 1a (neu) sowie in Absatz 2 Satz 1 Verfo entsprechen der ebenfalls durch die 1. AM-NutzenVÄndV eingeführten Regelung in § 7 Absatz 4 Satz 2 AM-NutzenV zum Umfang des gesetzlichen Stellungnahmeverfahrens nach § 19 Verfo.

Die Regelungen betreffen den Fall, dass die Berichte über eine gemeinsame klinische Bewertung des Arzneimittels erst nach den in § 8 Verfo bestimmten Zeitpunkten, aber vor der Veröffentlichung der Nutzenbewertung nach § 18 Absatz 5 Verfo veröffentlicht werden. In diesem Fall wird dem unionsrechtlichen Berücksichtigungsgebot nach Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a der Verordnung (EU) 2021/2282 in der Weise Genüge getan, dass der Gemeinsame Bundesausschuss die Berichte über die gemeinsame klinische Bewertung neben der Nutzenbewertung zur Stellungnahme gibt. Auf diese Weise erhalten der pharmazeutische Unternehmer und die Fachöffentlichkeit Gelegenheit, zu beiden Berichten einschließlich etwaiger Unterschiede Stellung zu beziehen. Die Stellungnahmen sind in die Entscheidung des Gemeinsamen Bundesausschuss einzubeziehen (§ 35a Absatz 3 Satz 2 in Verbindung mit § 92 Absatz 3a Satz 2 SGB V). Im Anschluss an das schriftliche Stellungnahmeverfahren haben die Stellungnahmeberechtigten die Gelegenheit auch mündlich zu diesen Berichten Stellung zu nehmen.

Sofern ein Bericht über die gemeinsame klinische Bewertung bereits vor den in § 8 Verfo bestimmten Zeitpunkten vorliegt, wird er – in Abgrenzung zur hier geregelten Fallgestaltung – bereits über § 18 Absatz 1 Satz 4 (neu) Verfo zusätzlich Grundlage für die Nutzenbewertung und mit dieser nach § 19 Absatz 1 Verfo zur Stellungnahme gegeben.

Sofern ein Bericht über die gemeinsame klinische Bewertung erst nach der Veröffentlichung der Nutzenbewertung nach § 18 Absatz 5 Verfo nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht wird, ist er nicht mehr ins gesetzliche Stellungnahmeverfahren zu geben und kann aufgrund der verfahrenstechnischen Grundsatzentscheidung des Verordnungsgebers in § 7 Absatz 4 Satz 2 AM-NutzenV in dem bereits laufenden Nutzenbewertungsverfahren nicht mehr berücksichtigt werden.

Zu Nummer 11 § 29 Entscheidung über die Durchführung der Kosten-Nutzen-Bewertung

Hierbei handelt es sich um eine Folgeänderung aufgrund der Einfügung eines Satzes in § 11 Absatz 2 Satz 3 (neu) Verfo.

Zu Nummer 12 Anlage I Anforderungsformular für eine Beratung

Die Anlage I zum 5. Kapitel Verfo enthält das Anforderungsformular für eine Beratung. Mit dem vorliegenden Beschluss wird eine Anpassung der Anlage I vorgenommen.

In dem Anforderungsformular für eine Beratung werden vor dem Hintergrund der bisherigen Erfahrungen des Gemeinsamen Bundesausschuss mit Beratungsanforderungen und der Zusammenarbeit mit den Zulassungsbehörden zusätzliche Informationen abgefragt. Diese

weiteren Informationen dienen insbesondere dem besseren Verständnis über den Wirkstoff beziehungsweise die Wirkweise des Wirkstoffes. Um Einheitlichkeit und eine bessere Übersichtlichkeit bei dem Abschnitt „Fragen, die im Beratungsgespräch erörtert werden sollen“ zu erlangen, wurde in diesem Abschnitt die Vorgabe für die Ausführungen des pharmazeutischen Unternehmers angepasst. Darüber hinaus kann die Niederschrift zu dem Beratungsgespräch im Folgenden auch per E-Mail versandt werden; dazu wird in dem Anforderungsformular das Einverständnis zur digitalen Übermittlung der Niederschrift abgefragt.

Die bisherige Anlage I in der Fassung des Beschlusses vom 20. September 2018 wird mit Inkrafttreten der Änderungen durch den Beschluss vom 17. Juli 2025 ersetzt.

Zu Nummer 13 Anlage II.1 Erstellung und Einreichung eines Dossiers zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V

Die Anlage II.1 zum 5. Kapitel Verfo enthält erläuternde Hinweise zu Format und Gliederung des Dossiers, einzureichenden Unterlagen sowie Vorgaben für technische Standards.

Die Anpassungen in Anlage II. 1 korrespondieren mit den Neuregelungen nach § 4 Absatz 2a AM-NutzenV beziehungsweise § 9 Absatz 2a Verfo, wonach der pharmazeutische Unternehmer im Dossier anzugeben hat, ob und welche Nachweise aus dem europäischen Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein sollen, indem er auf diese Nachweise Bezug nimmt. In den betroffenen Abschnitten der Anlagen II.2 bis II.6 (Module 1 bis 4) sind entsprechende Verweise zu hinterlegen. Zudem wird den Regelungen aus Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe d) Verordnung (EU) 2021/2282 und Artikel 10 Absatz 3 Satz 1 der Verordnung 2021/2282 Rechnung getragen (vergleiche dazu die Begründung zu Nummer 4 § 9 Anforderungen an das Dossier, Buchstabe b)).

Wie durch die Konkretisierung in § 11 Absatz 2 Satz 3 Verfo in Übereinstimmung mit der Verordnungsbegründung zur 1. AM-NutzenVÄndV zu § 4 Absatz 2a ausgeführt wurde, muss sich die Bezugnahme auf das europäische Dossier dabei auf konkret zu bezeichnende Stellen des europäischen Dossiers beziehen, sodass eine eindeutige Zuordnung sowohl auf Gliederungs- als auch auf Abschnittsebene anhand des Dossier möglich ist. Eine pauschale Verweisung die dem Gemeinsamen Bundesausschuss die Auswahl der relevanten Nachweise überlassen würde, ist nicht ausreichend und mit dem Beibringungsgebot nicht vereinbar.

Der ergänzte neue Abschnitt 1.3 „Gemeinsame klinische Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282“ in Anlage II.1 enthält erläuternde Hinweise zur Verweismöglichkeit im Falle einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282, insbesondere in Bezug auf die Erstellung der Dokumente für die Module 1 bis 4. Darüber hinaus wurden Erläuterungen zur Einreichung von Unterlagen zu den Modulen 1 bis 4 in Modul 5 ergänzt. Bezüglich der Vorgaben zur Aktualität der Recherche im Falle von vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertungen und des Verweises auf eine Recherche im europäischen Dossier wird auf die Ergänzung in § 9 Absatz 4 Satz 4 (neu) Verfo verwiesen (vergleiche dazu die Begründung zu Nummer 4 § 9 Anforderungen an das Dossier, Buchstabe c). Zudem wird klargestellt, dass die Angaben zum Nachweis des Zusatznutzens des Arzneimittels gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie im Dossier

vorzulegen sind, wenn diese in den Fällen einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 bisher teilweise oder vollständig nicht im europäischen Dossier vorgelegt wurden (vergleiche dazu die Begründung zu Nummer 4 § 9 Anforderungen an das Dossier, Buchstabe b)).

In Abschnitt 1.4 „Orphan Drugs“ wird die Angabe „50“ durch „30“ ersetzt. Hierbei handelt es sich um eine Änderung, die aufgrund der Änderung der Umsatzschwelle für Orphan Drugs in § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V durch das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz erforderlich ist. Zudem wird ein klarstellender Hinweis in Bezug auf die Verweismöglichkeit im Falle einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 bei Orphan Drugs ergänzt. Die gesetzliche Privilegierung gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V bleibt davon unberührt.

Die Änderungen im 4. Abschnitt hinsichtlich der Hinweise zur Einreichung des Dossiers mittels DVD werden analog zur Regelung in § 7 VerFO für die Beratungsanforderung angepasst (vergleiche dazu die Begründung zu Nummer 3 § 7 Beratung). In Abschnitt 4.1 Struktur der einzureichenden Dateien werden unter der Überschrift „Studienberichte“ klarstellende Angaben bezüglich der Einreichung von Dokumenten als Appendizes, welche patientenindividuellen Daten enthalten, ergänzt. Diese Klarstellungen stellen Präzisierungen der Anforderungen dar und dienen der besseren Verständlichkeit.

Die Angabe „bibliografische Literaturrecherche“ wird geändert in „bibliografische Recherche“. Hierbei handelt es sich um eine redaktionelle Anpassung.

Zu Nummer 14 Anlage II.2 Modul 1 - Zusammenfassung der Aussagen im Dossier

In der Anlage II.2 (Modul 1) werden erläuternde Hinweise bezüglich einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 ergänzt. Die in Modul 1 darzulegenden Informationen beziehen sich auf den nationalen Versorgungskontext. Alle erforderlichen Angaben des Modul 1 sind daher unabhängig von einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 ohne Verweise auszufüllen.

Zudem werden klarstellende Angaben zum Bezug auf den nationalen Versorgungskontext im Text ergänzt. Diese Klarstellungen stellen Präzisierungen der Anforderungen dar.

Zu Nummer 15 Anlage II.3 Modul 1 Anhang – Checkliste zur Prüfung der formalen Vollständigkeit des Dossiers

Die Anlage II.3 zum 5. Kapitel VerFO enthält eine Checkliste zur Prüfung der formalen Vollständigkeit des Dossiers. Die Checkliste wird um erläuternde Hinweise zur Möglichkeit, im Falle einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 auf Nachweise aus dem europäischen Dossier § 9 Absatz 2a VerFO zu verweisen, ergänzt.

Zudem wird die Angabe „bibliografische Literaturrecherche“ redaktionell geändert in „bibliografische Recherche“.

Zu Nummer 16 Anlage II.4 Modul 2 - Allgemeine Angaben zum Arzneimittel, zugelassene Anwendungsgebiete

Die Anlage II.4 (Modul 2) wird um erläuternde Hinweise zur Möglichkeit, im Falle einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 auf Nachweise aus dem europäischen Dossier gemäß § 9 Absatz 2a VerfO zu verweisen, ergänzt.

Zudem werden klarstellende Angaben zum Bezug auf den nationalen Versorgungskontext im Text ergänzt. Diese Klarstellungen stellen Präzisierungen der Anforderungen dar.

Zu Nummer 17 Anlage II.5 Modul 3 - Zweckmäßige Vergleichstherapie, Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen, Kosten der Therapie für die GKV, Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung, Prüfungsteilnehmer im Geltungsbereich des SGB V

In der Anlage II.5 (Modul 3) werden erläuternde Hinweise zur Möglichkeit, im Falle einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) 2021/2282 auf Nachweise aus dem europäischen Dossier § 9 Absatz 2a VerfO zu verweisen, ergänzt. Zudem wurden klarstellende Angaben zum Bezug auf den nationalen Versorgungskontext im Text angefügt. Diese Klarstellungen stellen Präzisierungen der Anforderungen dar.

Ferner wird die Angabe „bibliografische Literaturrecherche“ redaktionell geändert in „bibliografische Recherche“.

Zu Nummer 18 Anlage II.6 Modul 4 - Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen

In der Anlage II.6 (Modul 4) werden erläuternde Hinweise zur Möglichkeit, im Falle einer vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertung nach der Verordnung (EU) Nr. 2021/2282 auf Nachweise aus dem europäischen Dossier gemäß § 9 Absatz 2a VerfO zu verweisen, ergänzt.

Die Angabe „bibliografische Literaturrecherche“ wird redaktionell geändert in „bibliografische Recherche“. Bezüglich der Vorgaben zur Aktualität der Recherche im Falle von vorangegangenen gemeinsamen klinischen Bewertungen und des Verweises auf eine Recherche im europäischen Dossier wird auf die Ausführungen zu Nummer 4 Buchstabe c) verwiesen. Hinsichtlich der Durchführung der bibliografischen Recherche werden die zu verwendenden Datenbanken in Abschnitt 4.2.3.2 sowie die zu verwendenden Datenbanken bezüglich der Suche in Studienregistern/Studienergebnisdatenbanken in Abschnitt 4.2.3.3 aktualisiert. Mit diesen Aktualisierungen wird der Tatsache Rechnung getragen, dass relevante neue Datenbanken/Studienregister bisher nicht berücksichtigt wurden (zum Beispiel CTIS), andere bislang aufgeführten Datenbanken/Studienregister keinen Mehrwert bei der Recherche für die frühe Nutzenbewertung bieten (zum Beispiel EMBASE) oder in der

Fragestellung der frühen Nutzenbewertung regelhaft keine Rolle spielen (zum Beispiel CINAHL, AMIS). Die Anpassung führt zu einer Präzisierung der Anforderungen und damit zu einer Aufwandsreduktion für den pharmazeutischen Unternehmer.

Die Angabe „Meta-Analyse“ wird in „Metaanalyse“ geändert. Hierbei handelt es sich um eine redaktionelle Anpassung.

In Abschnitt 4.2.5.3 „Metaanalysen“ wurde das Beta-Binomialmodell inklusive Referenzen als alternatives Verfahren neben den Bayes'sche Verfahren oder Methoden aus dem Bereich der generalisierten linearen Modelle ergänzt, welche für die Durchführung von Metaanalysen in Erwägung gezogen werden können.

Bezüglich der Subgruppenanalysen werden die erforderlichen Analysen (Abschnitt 4.2.5.5 „Subgruppenmerkmale und andere Effektmodifikatoren“) angepasst. In Bezug auf den Faktor Krankheitsschwere soll bei Vorliegen von mehreren Definitionen beziehungsweise Operationalisierungen die gewählte Definition beziehungsweise Operationalisierung begründet werden. Dies ist erforderlich, um die Interpretierbarkeit der vorgelegten Subgruppenanalysen sicherzustellen.

Die Verpflichtung zur Darstellung von Ergebnissen von Subgruppenanalysen wird zudem auf die im Studienprotokoll festgelegten Stratifikationsfaktoren reduziert. Sollten sich aus den verfügbaren Informationen Anzeichen für weitere mögliche Effektmodifikatoren ergeben, sollten diese ebenfalls begründet einbezogen werden. Die Anpassungen führen zu einer Aufwandsreduktion für den pharmazeutischen Unternehmer.

Ferner wird bezüglich der Subgruppenanalysen ergänzt, dass grundsätzlich für die Definition beziehungsweise Operationalisierung der Subgruppen einschließlich der Trennwerte auf a priori geplante und in Studienunterlagen festgelegte Subgruppenanalysen zurückgegriffen werden soll. Diese Ergänzung stellt lediglich eine Präzisierung der Anforderung dar.

In Abschnitt 4.2.5.6 „Indirekte Vergleiche“ werden erläuternde Hinweise inklusive einer Referenz zur Durchführung von indirekten Vergleichen ergänzt. In Tabelle 4-3 werden die dargestellten Ausfüllbeispiele sowie die zugehörige Legende aktualisiert. Zudem wird das Ausfüllbeispiel in Tabelle 4-4 aktualisiert. Diese Anpassungen stellen lediglich eine Präzisierung und Aktualisierung der Vorgaben dar.

In Abschnitt 4.3.1.2.1 „Studiendesign und Studienpopulation“ wird die Anforderung ergänzt, dass Angaben zu verabreichten Folgetherapien nach Abbruch der Studienmedikation (bei onkologischen Fragestellungen zusätzlich auch separate Angaben zur ersten Folgetherapie) im Dossier angegeben werden sollen. Die Darstellung der Folgetherapie entspricht den Standards der Berichterstattung für klinische Studien und wird in der Regel bereits durch die pharmazeutischen Unternehmer im Dossier durchgeführt. Mit dieser Ergänzung wird diesem Standard der Berichterstattung im Rahmen der Modulvorlagen Rechnung getragen und eine vollständige Informationsgrundlage für die Nutzenbewertung zur Beurteilung der Studienergebnisse sichergestellt. Diese Anforderung entspricht auch der in der „Guidance on filling in the joint clinical assessment (JCA) dossier template – Medicinal products“ (v1.0, 8.10.2024) dargelegten Anforderung an die Aufbereitung des europäischen Dossiers.

In Abschnitt 4.3.1.3.1 „<Endpunkt xxx> – RCT“ wird die Anforderung ergänzt, dass bei Überlebenszeitanalysen neben der Kaplan-Meier-Kurve einschließlich Angaben zu den

Patientinnen und Patienten unter Risiko der Anteil der zensierten Patientinnen und Patienten im Zeitverlauf abgebildet werden soll. Auch diese Angaben zum Anteil der zensierten Patientinnen und Patienten im Zeitverlauf, die den Standards der Berichterstattung für klinische Studien entsprechen, werden in der Regel bereits im Dossier aufbereitet und sind in der oben genannten Guidance als Anforderung an die Aufbereitung des europäischen Dossiers abgebildet.

Zudem werden in diesem Abschnitt erläuternde Hinweise zu MMRM-Analysen ergänzt, welche als Hilfestellung für die pharmazeutischen Unternehmen dienen sollen und keine neuen Anforderungen an die Auswertung darstellen.

Ferner werden in diesem Abschnitt die vorzulegenden Auswertungen bezüglich der unerwünschten Ereignisse (UE) geändert. Die Gesamtraten von UE differenziert nach Schweregrad, sofern dies in der/den relevante/n Studie/n erhoben wurde (zum Beispiel gemäß Common Terminology Criteria for Adverse Events [CTCAE] und/oder einer anderen etablierten beziehungsweise validierten indikationsspezifischen Klassifikation) einschließlich einer Abgrenzung schwerer und nicht schwerer UE, sind nicht mehr vorzulegen. Stattdessen ist lediglich die Auswertung der Gesamtrate schwerer UE, sofern dies in der/den relevante/n Studie/n erhoben wurde (zum Beispiel gemäß CTCAE ≥ 3 und/oder einer anderen etablierten beziehungsweise validierten indikationsspezifischen Klassifikation) darzustellen. A priori definierte UE von besonderem Interesse [AESI]) sowie prädefinierte SOC-übergreifende UE-Auswertungen sind nicht mehr darzustellen (siehe auch Abschnitt 4.3.1.3.2 „Subgruppenanalysen – RCT“). Diese Anpassungen führen zu einer Präzisierung der Anforderungen und zu einer Aufwandsreduktion für den pharmazeutischen Unternehmer.

Zudem wird ergänzt, dass bei der Berechnung der Häufigkeiten für die System Organ Class (SOC) nach dem Medical Dictionary for Regulatory Activities (MedDRA) alle Preferred Terms (PT), also auch solche mit einer Häufigkeit unterhalb der vorzulegenden Grenzen, berücksichtigt werden. Hierbei handelt es sich lediglich um eine Präzisierung der bereits im Modul 4 hinterlegten Anforderungen.

Darüber hinaus erfolgt eine Richtigstellung, dass, sofern bei der Erhebung von UE erkrankungsbezogenen Ereignisse berücksichtigt werden, auch für die Gesamtrate der Abbrüche wegen UE zusätzliche UE-Analysen durchgeführt werden sollen, bei denen diese Ereignisse unberücksichtigt bleiben.

Die Abschnitte 4.3.1.4, 4.3.2.1.4, 4.3.2.2.4 und 4.3.2.3.4 „Liste der eingeschlossenen Studien“ werden gestrichen. Bei Vorlage des gesamten Studienpools sind diese zusätzlichen Angaben verzichtbar.

In Abschnitt 4.6 „Referenzliste“ werden beispielhafte Zitierempfehlungen ergänzt sowie der Wortlaut der Aufforderung zur Quellenangabe geändert. Diese Anpassungen stellen lediglich Hilfestellungen für die Dossiererstellung dar.

Für Anhang 4-A „Suchstrategien - bibliografische Recherche“ wird das dargestellte Beispiel der Suchstrategie sowie die zu verwendenden Datenbanken aktualisiert. Ferner wird für Anhang 4-B „Suchstrategien – Suche in Studienregister/Studienergebnisdatenbanken“ das dargestellte Beispiel der Suchstrategie aktualisiert. Diese Anpassungen stellen ebenfalls lediglich eine Aktualisierung der Hilfestellungen für die Dossiererstellung dar.

3. Bürokratiekostenermittlung

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

4. Verfahrensablauf

Der Unterausschuss Arzneimittel hat zur Vorbereitung der Änderung im 5. Kapitel Verfo die Arbeitsgruppe Entscheidungsgrundlagen beauftragt.

Die Beschlussvorlage wurde abschließend im Unterausschuss Arzneimittel in der Sitzung am 27. Mai 2025 beraten und konsentiert. Der Beschlussentwurf mit den Tragenden Gründen wurde der Arbeitsgruppe Geschäftsordnung-Verfahrensordnung übersandt.

Die Arbeitsgruppe Geschäftsordnung-Verfahrensordnung hat schriftlich über die Beschlussunterlagen abgestimmt und diese an das Plenum des Gemeinsamen Bundesausschusses zur Beschlussfassung weitergeleitet.

Das Plenum des Gemeinsamen Bundesausschusses hat am 17. Juli 2025 die Änderungen im 5. Kapitel der Verfahrensordnung beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG Entscheidungsgrundlagen	13. März 2025 10. April 2025 20. Mai 2025	Beratung der Änderungen im 5. Kapitel der Verfahrensordnung
Unterausschuss Arzneimittel	27. Mai 2025	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage
AG Geschäftsordnung-Verfahrensordnung	Schriftliche Beschlussfassung 16.-20. Juni 2025	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage
Plenum	17. Juli 2025	Beschlussfassung

Berlin, den 17. Juli 2025

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken