

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL):
Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen
Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch
(SGB V)
Exagamglogen Autotemcel (Sichelzellkrankheit); Forderung
einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von
Auswertungen – Änderung

Vom 18. September 2025

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V .	3
4.	Bürokratiekostenermittlung	3
5.	Verfahrensablauf.....	3

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V kann der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) bei den folgenden Arzneimitteln vom pharmazeutischen Unternehmer innerhalb einer angemessenen Frist die Vorlage anwendungsbegleitender Datenerhebungen und Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung fordern:

1. bei Arzneimitteln, deren Inverkehrbringen nach dem Verfahren des Artikels 14 Absatz 8 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 31. März 2004 zur Festlegung von Gemeinschaftsverfahren für die Genehmigung und Überwachung von Human- und Tierarzneimitteln und zur Errichtung einer Europäischen Arzneimittel-Agentur (ABl. L 136 vom 30.4.2004, S. 1), die zuletzt durch die Verordnung 162 Verfahrensordnung Stand: 16. Dezember 2020 (EU) 2019/5 (ABl. L 4 vom 7.1.2019, S. 24) geändert worden ist, genehmigt wurde oder für die nach Artikel 14-a der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 eine Zulassung erteilt wurde, sowie
2. bei Arzneimitteln, die zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung Nr. 141/2000 zugelassen sind.

2. Eckpunkte der Entscheidung

In seiner Sitzung am 21. Dezember 2023 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Exagamglogen Autotemcel gemäß § 35a SGB V beschlossen und mit Beschluss vom 7. November 2024 geändert.

Die Zulassung von Exagamglogen Autotemcel wurde am 9. Februar 2024 von der EU-Kommission erteilt.

Durch die Zulassung sowie im Zuge der Prüfung der Studienunterlagen für die AbD ergeben sich Änderungen bezüglich der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für Exagamglogen Autotemcel (Sichelzellerkrankheit) durch den G-BA.

Zu den Änderungen im Einzelnen

Das geplante Anwendungsgebiet von Exagamglogen Autotemcel für die Sichelzellerkrankheit lautete während des Zulassungsverfahrens folgt: „Exagamglogen Autotemcel ist indiziert zur Behandlung der schweren Sichelzellerkrankheit bei Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit rezidivierenden vasookklusiven Krisen, die den Genotyp $\beta S/\beta S$, $\beta S/\beta O$ oder $\beta S/\beta +$ aufweisen, für die eine hämatopoetische Stammzelltransplantation in Frage kommt und für die kein HLA-kompatibler, verwandter hämatopoetischer Stammzellspender verfügbar ist.“

Der Beschluss über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen ist am 21. Dezember 2023 gefasst worden.

Am 9. Februar 2024 hat die EU-Kommission die Zulassung für Exagamglogen Autotemcel erteilt. Gemäß Zulassung lautet das Anwendungsgebiet für die Sichelzellerkrankheit wie folgt:

„Casgevy wird angewendet zur Behandlung von schwerer Sichelzellerkrankheit (SCD) bei Patienten ab 12 Jahren mit rezidivierenden vasookklusiven Krisen (VOC), die für eine Transplantation von hämatopoetischen Stammzellen (HSZ) geeignet sind und für die kein humaner Leukozyten-Antigen (HLA)-kompatibler, verwandter HSZ-Spender zur Verfügung steht“.

Es ergeben sich folgende Änderungen:

Im Anwendungsgebiet laut Zulassung entfallen unter anderem die Angaben von spezifischen Genotypen. Zudem sind redaktionelle Anpassungen an den Wortlaut des Zulassungstextes erforderlich.

Bei der anwendungsbegleitenden Datenerhebung ist die Zulassung zu berücksichtigen. Demnach wird im Beschluss über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen das Anwendungsgebiet und die Patientenpopulation im PICO-Schema gemäß der Zulassung angepasst.

Die Anpassung der Patientenpopulation und des Anwendungsgebietes hat keinen Einfluss auf die orientierende Fallzahlschätzung zu der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung, da die Änderungen des Zulassungstextes auf die der Fallzahlschätzung zugrunde gelegten Annahmen keinen bzw. keinen relevanten Einfluss haben. Unabhängig davon ist nicht davon auszugehen, dass durch den Wegfall der Genotyp-Definition im Zulassungstext eine Verkleinerung der Patientenzahl resultiert.

3. Beteiligung nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V

Ein erneutes Beteiligungsverfahren ist nicht durchzuführen, da das Anwendungsgebiet und die Patientenpopulation im Rahmen der Beschlussfassung über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen vom 21. Dezember 2023 bereits Gegenstand des Beteiligungsverfahrens, zu dem auch die Bundesoberbehörden eingebunden sind, war und die Anpassung zu keiner wesentlichen Änderung der Tatsachengrundlage führt, die eine unmittelbare Betroffenheit der Stellungnahmeberechtigten und damit ein erneutes Stellungnahmerecht auslösen würden, vgl. 1. Kapitel § 14 Absatz 1 Verfahrensordnung des G-BA.

4. 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.

5. Verfahrensablauf

Im Nachgang zur Beschlussfassung vom 21. Dezember 2023 über eine Änderung der AM-RL Anlage XII - Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Exagamglogen Autotemcel ist aufgrund der Erteilung der Zulassung eine Änderung des Beschlusses erforderlich.

Der Sachverhalt wurde in der Arbeitsgruppe AG AbD und im Unterausschuss Arzneimittel beraten.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 18. September 2025 die Änderung der AM-RL einvernehmlich beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	18. August 2025 4. September	Beratung über den Sachverhalt
Unterausschuss Arzneimittel	9. September 2025	Beratung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Dezember 2023
Plenum	18. September 2025	Beschlussfassung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Dezember 2023

Berlin, den 18. September 2025

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken