

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
die Einstellung des Verfahrens zur Nutzenbewertung nach §
35a SGB V

Elosulfase alfa (Neubewertung eines Orphan Drugs nach
Überschreitung der 30 Millionen Euro-Grenze
(Mukopolysaccharidosen (Typ IVA))

Vom 16. Oktober 2025

Inhalt

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

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen aller erstattungsfähigen Arzneimittel 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.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Das Arzneimittel Vimizim zur Behandlung der Mucopolysaccharidose vom Typ IVA (Morquio A-Syndrom, MPS IVA) bei Patienten aller Altersklassen wurde als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nummer 141/2000 des Europäischen Parlamentes und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen.

Der Wirkstoff Elosulfase alfa (Vimizim) wurde am 1. Juni 2014 erstmals in der Großen Deutschen Spezialitäten-Steuer (Lauer-Steuer) gelistet. Der G-BA hat eine Nutzenbewertung nach § 35a durchgeführt und die Arzneimittel-Richtlinie in Anlage XII mit Beschluss vom 1. Juni 2014 (BANZ AT 09.12.2014 B5) um den Wirkstoff Elosulfase alfa ergänzt.

In seiner Sitzung am 16. März 2018 hat der G-BA anlässlich einer Neubewertung aufgrund neuer wissenschaftlicher Erkenntnisse unter Aufhebung des Erstbeschlusses erneut über die Nutzenbewertung von Elosulfase alfa im Anwendungsgebiet „Vimizim ist zur Behandlung der Mucopolysaccharidose vom Typ IVA (Morquio A-Syndrom, MPS IVA) bei Patienten aller Altersklassen indiziert“ gemäß § 35a Absatz 5 SGB V beschlossen (BANZ AT 18.04.2018 B2).

Übersteigt der Umsatz des Arzneimittels für seltene Leiden mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apothekenverkaufspreisen sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten einen Betrag von 30 Millionen Euro, hat der pharmazeutische Unternehmer innerhalb von drei Monaten nach Aufforderung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss Nachweise nach 5. Kapitel § 5

Absatz 1 bis 6 Verfahrensordnung (VerfO) zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

Der pharmazeutische Unternehmer wurde mit Schreiben vom 21. Januar 2025 aufgrund der Überschreitung der 30 Millionen Euro-Umsatzgrenze innerhalb des Zeitraums von November 2023 bis einschließlich Oktober 2024 zur Einreichung eines Dossiers zur Nutzenbewertung nach § 35a SGB V bis zum 1. Mai 2025 aufgefordert. Der pharmazeutische Unternehmer hat gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 4 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) i.V.m. 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 6 VerfO am 30. April 2025 das abschließende Dossier fristgerecht beim G-BA eingereicht.

Am 02. Oktober 2025 hat der pharmazeutische Unternehmer dem G-BA mitgeteilt, die Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden (Orphan Designation) (EU/3/09/657) für den Wirkstoff Elosulfase alfa sei zurückgegeben worden und mit Wirkung vom 02. Oktober 2025 sei der Wirkstoff nicht länger im Community Register of Orphan Medicinal Products der Europäischen Kommission aufgeführt. Die Streichung eines für seltene Leiden ausgewiesenen Arzneimittels aus dem Gemeinschaftsregister für seltene Leiden erfolgt gem. Art. 5 Absatz 12 lit a) VO (EG) 141/2000 auf Antrag des Investors. Die angekündigte Zurücknahme der Orphan Designation ist im Gemeinschaftsregister für seltene Arzneimittel zum 02. Oktober 2025 vollzogen worden.

Da zum Zeitpunkt der fristgerechten Beschlussfassung zum 16. Oktober 2025 die tatbestandlichen Voraussetzungen für eine Nutzenbewertung nach § 35a SGB V nicht mehr vorliegen, wird das Verfahren zur Nutzenbewertung nach § 35a SGB V von Elosulfase alfa eingestellt.

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

Am 30. April 2025 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 VerfO Nummer 6 fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Elosulfase alfa beim G-BA eingereicht.

Der G-BA hat das IQWiG mit Schreiben vom 30. Mai 2025 in Verbindung mit dem Beschluss des G-BA vom 1. August 2011 über die Beauftragung des IQWiG hinsichtlich der Bewertung des Nutzens von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a SGB V mit der Bewertung des Dossiers zum Wirkstoff Elosulfase alfa beauftragt.

Die Dossierbewertung des IQWiG wurde dem G-BA am 30. Juli 2025 übermittelt und mit der Veröffentlichung am 1. August 2025 auf den Internetseiten des G-BA das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Die Frist zur Abgabe von Stellungnahmen war der 22. August 2025.

Die mündliche Anhörung fand am 8. September 2025 statt.

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 7. Oktober 2025 über die Einstellung des am 1. Mai 2025 begonnenen Nutzenbewertungsverfahrens beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 16. Oktober 2025 die Einstellung des Nutzenbewertungsverfahrens nach § 35a SGB V beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
Unterausschuss Arzneimittel	5. November 2013	Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie
Unterausschuss Arzneimittel	8. April 2025	Neubestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie
AG § 35a	2. September 2025	Information über eingegangene Stellungnahmen, Vorbereitung der mündlichen Anhörung
Unterausschuss Arzneimittel	8. September 2025	Durchführung der mündlichen Anhörung
AG § 35a	16. September 2025 30. September 2025	Beratung über die Dossierbewertung des IQWiG, Auswertung des Stellungnahmeverfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	7. Oktober 2025	Beratung über die Einstellung des Verfahrens nach § 35a SGB V
Plenum	16. Oktober 2025	Beschlussfassung über die Einstellung des Verfahrens nach § 35a SGB V

Berlin, den 16. Oktober 2025

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken