

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie:

Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen
Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch
(SGB V)

Ataluren (Aufhebung des Beschlusses vom 1. Dezember 2016)

Vom 20. November 2025

Inhalt

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

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 Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen sind, gilt gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbs. SGB V der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Nachweise zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie müssen nicht vorgelegt werden (§ 35a Absatz 1 Satz 11 2. Halbs. SGB V). § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbs. SGB V fingiert somit einen Zusatznutzen für ein zugelassenes Orphan Drug, obschon eine den in § 35a Absatz 1 Satz 3 Nr. 2 und 3 SGB V i.V.m. 5. Kapitel §§ 5 ff. der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) niedergelegten Grundsätzen entsprechende Bewertung des Orphan Drugs nicht durchgeführt worden ist. Unter Angabe der Aussagekraft der Nachweise ist gemäß § 5 Absatz 8 AM-NutzenV nur das Ausmaß des Zusatznutzens zu quantifizieren.

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 sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung 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 VerfO festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie, zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

Gemäß § 35a Absatz 2 SGB V entscheidet der G-BA, ob er die Nutzenbewertung selbst durchführt oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) beauftragt. Ausgehend von der gesetzlichen Vorgabe in § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V, dass der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt gilt, hat der G-BA in seiner Sitzung vom 15. März 2012 das Verfahren der Nutzenbewertung von Orphan Drugs dahingehend modifiziert, dass bei Orphan Drugs zunächst keine eigenständige Festlegung einer zweckmäßigen Vergleichstherapie mehr durch den G-BA als Grundlage der insoweit allein rechtlich zulässigen Bewertung des Ausmaßes eines gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens erfolgt. Vielmehr wird ausschließlich auf der Grundlage der Zulassungsstudien das Ausmaß des Zusatznutzens unter Angabe der Aussagekraft der Nachweise durch den G-BA bewertet.

Dementsprechend hat der G-BA in seiner Sitzung am 15. März 2012 den mit Beschluss vom 1. August 2011 erteilten Auftrag an das IQWiG zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 2 SGB V in der Weise abgeändert, dass bei Orphan Drugs eine Beauftragung des IQWiG mit der Durchführung einer Nutzenbewertung bei zuvor festgelegter Vergleichstherapie erst dann erfolgt, wenn der Umsatz des betreffenden Arzneimittels die Umsatzschwelle gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V überschritten hat und damit einer uneingeschränkten Nutzenbewertung unterliegt. Die Bewertung des G-BA ist nach § 35a Absatz 2 SGB V innerhalb von drei Monaten nach dem maßgeblichen Zeitpunkt für die Einreichung der Nachweise abzuschließen und im Internet zu veröffentlichen.

Nach § 35a Absatz 3 SGB V beschließt der G-BA über die Nutzenbewertung innerhalb von drei Monaten nach ihrer Veröffentlichung. Der Beschluss ist im Internet zu veröffentlichen und ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Der Wirkstoff Ataluren wurde am 31. Juli 2014 erstmals als Arzneimittel zugelassen (Translarna). Die Zulassung erfolgte für das Anwendungsgebiet: „Translarna wird angewendet für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie infolge einer Nonsense-Mutation im Dystrophin-Gen bei gehfähigen Patienten im Alter ab 5 Jahren (siehe Abschnitt 5.1). Bei nicht gehfähigen Patienten wurde keine Wirksamkeit nachgewiesen. Das Vorliegen einer Nonsense-Mutation im Dystrophin-Gen ist durch Gentest nachzuweisen (siehe Abschnitt 4.4).“ Bei dieser Zulassung handelte es sich um eine Zulassung unter „Besonderen Bedingungen“ für ein Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens.

Nachdem der Wirkstoff Ataluren erstmalig zum 1. Dezember 2014 in Verkehr gebracht worden ist, hat der G-BA eine Nutzenbewertung nach § 35a SGB V durchgeführt und die Arzneimittel-Richtlinie in Anlage XII mit Beschluss vom 21. Mai 2015 um den Wirkstoff Ataluren ergänzt.

Die Nutzenbewertung basierte auf den Ergebnissen der Studie PTC124-GD-007-DMD, einer randomisierten, placebo-kontrollierten, verblindeten Phase-2b-Dosisfindungsstudie. Vor dem Hintergrund, dass das Arzneimittel Translarna unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen wurde, forderte die europäische Zulassungsbehörde EMA bezüglich der vom pharmazeutischen Unternehmer zu erbringenden Nachweise, dass die Ergebnisse der zum damaligen Zeitpunkt noch laufenden Phase III Studie im Anwendungsgebiet (Studie PTC124-GD-020- DMD) vorzulegen sind.

Der G-BA hatte die Geltungsdauer seines Beschlusses über die Nutzenbewertung von Ataluren bis zum 1. Juni 2016 befristet und mit der Auflage versehen, dass für die erneute Nutzenbewertung nach Fristablauf die erwarteten Ergebnisse aus der Studie PTC124-GD-020-DMD vorzulegen sind.

Am 1. Juni 2016 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel, § 8 Nummer 5 VerfO, wonach die erforderlichen Nachweise spätestens am Tag des Fristablaufs vorzulegen sind, fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Ataluren beim G-BA eingereicht. Der G-BA hat eine erneute Nutzenbewertung nach Fristablauf nach § 35a SGB V durchgeführt und mit Beschluss vom 1. Dezember 2016 die Angaben zu Ataluren in der Fassung des Beschlusses vom 21. Mai 2015 aufgehoben und die Arzneimittel-Richtlinie um den Wirkstoff Ataluren ergänzt.

Im September 2023 hat die EMA erstmalig empfohlen, die bedingte Zulassung von Ataluren nicht zu verlängern, weil auf Basis einer vollständigen Neubewertung des Arzneimittels im Rahmen der Verlängerung der Zulassung, einschließlich der Ergebnisse einer neuen Studie, die Wirksamkeit von Translarna nicht bestätigt werden konnte.

Der pharmazeutische Unternehmer beantragte eine Überprüfung der wissenschaftlichen Bewertung der EMA, welche im Januar 2024 in eine erneute Empfehlung der EMA für eine Nicht-Verlängerung der bestehenden bedingten Zulassung von Ataluren resultierte. Auf Anfrage der Europäischen Kommission erfolgte eine erneute Überprüfung der Stellungnahme unter Berücksichtigung zusätzlicher Daten aus der Versorgungspraxis, welche im Juni 2024 zu einer weiteren Empfehlung der EMA für eine Nicht-Verlängerung der bestehenden bedingten Zulassung führte. Nach erneutem Antrag des pharmazeutischen Unternehmers wurde seitens

der EMA im Oktober 2024 eine weitere Empfehlung zu einer Nicht-Verlängerung der bestehenden bedingten Zulassung von Ataluren ausgesprochen.

Am 23. März 2025 wurde die Verlängerung der bedingten Zulassung für Ataluren aufgrund des oben beschriebenen Sachverhaltes durch die Europäische Kommission versagt, da ein positives Nutzen-Risiko-Verhältnis nicht bestätigt werden konnte. Mit dem Versagen der Verlängerung der Zulassung und dem dadurch bedingten Ablauf der Zulassung entfällt die Grundlage für die Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 SGB V durch den G-BA. Folglich ist der Beschluss zu Ataluren vom 1. Dezember 2016 (BANz AT 22.12.2016 B4) aufzuheben.

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

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG § 35a	4. November 2025	Beratung über die Beschlussvorlage
Unterausschuss Arzneimittel	11. November 2025	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage zur Aufhebung des Beschlusses
Plenum	20. November 2025	Beschlussfassung über die Aufhebung des Beschlusses

Berlin, den 20. November 2025

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken