

Tragende Gründe

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

Deutivacaftor/Tezacaftor/Vanzacaftor (Zystische Fibrose, mindestens eine Nicht-Klasse-I-Mutation, ≥ 6 Jahre)

Vom 22. Januar 2026

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

Alyftrek 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.

Nach § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V i.V.m. 5. Kapitel § 12 Nr. 1 SGB V müssen für Arzneimittel, die zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen sind, Nachweise nach § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 SGB V 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. Zudem gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Übersteigt der Umsatz des Orphan Drug mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apothekenverkaufspreisen sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung einschließlich

Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten einen Betrag von 30 Millionen Euro, fordert der G-BA den pharmazeutischen Unternehmer auf, ein Dossier für die Einleitung eines Nutzenbewertungsverfahrens nach § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V i.V.m. 5. Kapitel § 12 Nr. 2 VerfO mit vollständigen Nachweisen nach Maßgabe des § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V vorzulegen. Die Verfahrensprivilgien des § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V i.V.m. 5. Kapitel § 12 Nr. 1 SGB V entfallen.

Maßgeblicher Zeitpunkt für den Beginn des Nutzenbewertungsverfahrens ist gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) das erstmalige Inverkehrbringen der Wirkstoffkombination Deutivacaftor/Tezacaftor/Vanzacaftor am 1. August 2025 gewesen. Der pharmazeutische Unternehmer hat gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 1 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) i.V.m. 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 VerfO am 28. Juli 2025 das abschließende Dossier beim G-BA eingereicht.

Deutivacaftor/Tezacaftor/Vanzacaftor hat spätestens am 30. November 2025 die Umsatzschwelle von 30 Millionen Euro überschritten und wurde bisher nicht unter Vorlage der Nachweise zum medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie nach § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V i.V.m. 5. Kapitel § 12 Nr. 2 VerfO bewertet. Der G-BA stellt mit dem vorliegenden Beschluss das laufende Nutzenbewertungsverfahren nach § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V i.V.m. 5. Kapitel § 12 Nr. 1 VerfO zu Deutivacaftor/Tezacaftor/Vanzacaftor für das Anwendungsgebiet „zur Behandlung der zystischen Fibrose (CF) bei Patienten ab 6 Jahren, die mindestens eine Nicht-Klasse-I-Mutation im CFTR-Gen (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator) aufweisen“, ein.

Der G-BA wird den pharmazeutischen Unternehmer gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V zudem dazu auffordern, 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.

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 13. Januar 2026 über die Einstellung des am 1. August 2025 begonnenen Nutzenbewertungsverfahrens beraten.

Berlin, den 22. Januar 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken