

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Feststellung im Verfahren der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V):

Valoctocogen Roxaparvovec (schwere Hämophilie A) – Überprüfung von Studienprotokoll und Statistischem Analyseplan und von Zwischenanalysen

Vom 2. April 2026

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	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.

Nach § 35a Absatz 3b Satz 10 SGB V in Verbindung mit 5. Kapitel § 60 Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) überprüft der G-BA die gewonnenen Daten und die Verpflichtung zur Datenerhebung in regelmäßigen Abständen, mindestens jedoch alle achtzehn Monate.

2. Eckpunkte der Entscheidung

In seiner Sitzung am 2. Februar 2023 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Valoctocogen Roxaparvovec gemäß § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V beschlossen. Mit diesem Beschluss wurde dem pharmazeutischen Unternehmer aufgegeben, dem G-BA 18 Monate nach Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung Angaben zum Verlauf der Datenerhebung und Zwischenanalysen vorzulegen.

Mit Feststellungsbeschluss vom 18. Juli 2024 wurde der Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung auf den 30. August 2024 festgelegt. Zudem wurde mit diesem Beschluss festgestellt, dass die Umsetzung der Anforderungen an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen in dem vom pharmazeutischen Unternehmer erstellten und dem G-BA zur Überprüfung übermittelten Studienprotokoll und statistischen Analyseplan nur unter Auflagen als erfüllt angesehen wird. Der pharmazeutische Unternehmer wurde daher verpflichtet, weitere für erforderlich erachtete Anpassungen an dem Studienprotokoll und dem Statistischen Analyseplan vorzunehmen und dem G-BA bis spätestens zum 2. März 2026, zum Zeitpunkt der Überprüfung 18 Monate nach Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung, zu übermitteln.

Der pharmazeutische Unternehmer hat zum 2. März 2026 keine überarbeiteten Versionen des Studienprotokolls und des statistischen Analyseplans, sowie keine Angaben zum Verlauf der Datenerhebung und keine Zwischenanalysen beim G-BA vorgelegt.

Dieses Ergebnis wird dem Spitzenverband Bund der Krankenkassen zu dem Zweck einer Entscheidung nach § 130b Absatz 3 Satz 9 SGB V mitgeteilt.

3. **Verfahrensablauf**

Gemäß den Beschlüssen vom 2. Februar 2023 und 18. Juli 2024 zur Forderung und Feststellung im Verfahren einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Valoctocogen Roxaparvovec hat der pharmazeutische Unternehmer dem G-BA überarbeitete Versionen des Studienprotokolls und des statistischen Analyseplans, sowie Angaben zum Verlauf der Datenerhebung und Zwischenanalysen bis spätestens zum 2. März 2026, zum Zeitpunkt der Überprüfung 18 Monate nach Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung, zu übermitteln.

Der pharmazeutische Unternehmer hat keine überarbeiteten Versionen des Studienprotokolls und des statistischen Analyseplans, sowie keine Angaben zum Verlauf der Datenerhebung und keine Zwischenanalysen beim G-BA eingereicht.

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

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 2. April 2026 beschlossen, dass die seit 18 Monaten laufende anwendungsbegleitende Datenerhebung nicht weiter durchgeführt werden wird.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	16. März 2026	Beratung zur Überprüfung der Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Überarbeitung von Studienprotokoll und SAP, sowie zur Vorlage von Angaben zum Verlauf der Datenerhebung und Zwischenanalysen
Unterausschuss Arzneimittel	24. März 2026	Beratung zum Ergebnis der Überprüfung der Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Überarbeitung von Studienprotokoll und SAP, sowie zur Vorlage von Angaben zum Verlauf der Datenerhebung und Zwischenanalysen
Plenum	2. April 2026	Beschlussfassung zur Überprüfung der Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Überarbeitung von Studienprotokoll und SAP, sowie zur Vorlage von Angaben zum Verlauf der Datenerhebung und Zwischenanalysen

Berlin, den 2. April 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken