

# Tragende Gründe

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

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

Valoctocogen Roxaparvovec (schwere Hämophilie A);

Außerkraftsetzung der Forderung einer  
anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von  
Auswertungen;

Aufhebung der Beschränkung der Versorgungsbefugnis

Vom 2. April 2026

## Inhalt

1.	Rechtsgrundlage .....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung .....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung.....	3
4.	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 2 SGB V kann der Gemeinsame Bundesausschuss zu einem Arzneimittel, welches Gegenstand eines Beschlusses nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V ist, beschließen, dass die Befugnis zur Versorgung der Versicherten mit einem solchen Arzneimittel zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung auf solche Leistungserbringer beschränkt wird, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V mitwirken (Beschränkung der Versorgungsbefugnis von Leistungserbringern). Der Beschluss ist im Internet zu veröffentlichen und ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL).

## **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 und mit Beschluss vom 18. Juli 2024 zur Feststellung im Verfahren einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Valoctocogen Roxaparvovec wurde dem pharmazeutischen Unternehmer aufgegeben, 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.

Da der pharmazeutische Unternehmer damit seiner Verpflichtung zur Vorlage eines überarbeiteten statistischen Analyseplans und Studienprotokolls und zur Vorlage von Angaben zum Verlauf der Datenerhebung und von Zwischenanalysen 18 Monate nach Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung nicht nachgekommen ist, wird die seit 18 Monaten laufende anwendungsbegleitende Datenerhebung nicht weiter durchgeführt werden.

Da die anwendungsbegleitende Datenerhebung nicht weiter durchgeführt werden wird, wird der Beschluss zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von

Auswertungen für den Wirkstoff Valoctocogen Roxaparvovec mit dem vorliegenden Änderungsbeschluss außer Kraft gesetzt. Damit sind auch die im Beschluss enthaltenen Fristen für die Vorlage von weiteren Zwischenanalysen bzw. Statusberichten sowie die Frist für die Vorlage von Auswertungen der mit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung erhobenen Daten für eine erneute Nutzenbewertung nicht mehr maßgeblich.

Daraus resultierend hat der G-BA in seiner Sitzung am 2. April 2026 zudem beschlossen, die mit dem „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) Valoctocogen Roxaparvovec (schwere Hämophilie A); Beschränkung der Versorgungsbefugnis“ vom 2. Februar 2023 der Anlage XII der AM-RL nach Nummer 3 eingefügten Angaben zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V aufzuheben.

Die Beschränkung der Versorgungsbefugnis auf solche Leistungserbringer, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V mitwirken, hat das Ziel, vollständige und valide Daten aus der Versorgung von Versicherten mit dem Arzneimittel zu erhalten und eine nur fragmentarische Datenerfassung zu verhindern, um damit aussagekräftige, geeignete Daten für die Zwecke der Nutzenbewertung zu erlangen. Da nach der Außerkraftsetzung des Beschlusses zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen im vorliegenden Fall die anwendungsbegleitende Datenerhebung nicht weiter durchgeführt werden wird, kann die Zielsetzung der am 2. Februar 2023 beschlossenen Beschränkung der Versorgungsbefugnis für Valoctocogen Roxaparvovec nicht erfüllt werden. Der Beschluss zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis wird daher aufgehoben.

### **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**

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 und dass der Beschluss über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung

und von Auswertungen daher außerkraftzusetzen und der Beschluss über die Beschränkung der Versorgungsbefugnis aufzuheben sind.

### 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 zur Überprüfung der Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Überarbeitung von Studienprotokoll und SAP, sowie zur Vorlage von Angaben zum Verlauf der Datenerhebung und Zwischenanalysen; Beratung über die Änderung der Anlage XII der AM-RL
Plenum	2. April 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; Beschlussfassung über die Änderung der Anlage XII AM-RL

Berlin, den 2. April 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken