

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)

Exagamglogen autotemcel (Sichelzellkrankheit);

Außerkraftsetzung der Forderung einer
anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von
Auswertungen;

Aufhebung der Beschränkung der Versorgungsbefugnis

Vom 3. September 2026

Inhalt

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

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 21. Dezember 2023 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Exagamglogen autotemcel gemäß § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V beschlossen. Die Forderung ist am 15. Januar 2025 in Kraft getreten und wurde mit den Beschlüssen vom 7. November 2024 und 18. September 2025 geändert.

Zur Prüfung, ob die Anforderungen des G-BA an die anwendungsleitende Datenerhebung und die Auswertungen umgesetzt worden sind, hat der pharmazeutische Unternehmer dem G-BA mit Schreiben vom 13. Juni 2025 fristgerecht Entwürfe für ein Studienprotokoll sowie einen statistischen Analyseplan (SAP) übermittelt (jeweils Version 1.0). Die Unterlagen wurden vom G-BA unter Einbindung des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) geprüft.

Mit Beschluss vom 18. September 2025 hat der G-BA festgestellt, dass die Anforderungen an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und die Auswertungen in dem vom pharmazeutischen Unternehmer erstellten und dem G-BA zur Überprüfung übermittelten Studienprotokoll und statistischen Analyseplan (Version 1.0) unzureichend umgesetzt und entsprechende Anpassungen vorzunehmen sind.

Der pharmazeutische Unternehmer hat fristgerecht am 16. Oktober 2025 die überarbeiteten Entwürfe für ein Studienprotokoll und einen SAP an den G-BA übermittelt. Die überarbeiteten Entwürfe für ein Studienprotokoll und einen SAP (Version: 2.0) wurden vom G-BA unter Einbindung des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) geprüft.

Auf Basis dieser Prüfung gelangte der G-BA zu dem Ergebnis, dass die Entscheidung, ob die anwendungsbegleitende Datenerhebung anhand des eingereichten Studienprotokolls und statistischen Analyseplans (Version 2.0) durchgeführt werden kann, zu diesem Zeitpunkt nicht sachgerecht getroffen werden konnte.

Der G-BA hat daher entschieden, den Zeitraum für die 2. Prüfung der Studienunterlagen zu verlängern, um dem pharmazeutischen Unternehmer letztmalig die Gelegenheit zu geben, eine mögliche Kooperation mit dem GPOH-Register Sichelzellerkrankheit unter Berücksichtigung der Vorschläge zur Aufwandsreduktion zu prüfen sowie die verbliebenen Mängel, die für den Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung zwingend zu beheben sind, nachzubessern. Als Frist für die Einreichung der überarbeiteten Studienunterlagen wurde in dem Schreiben vom 10. Februar 2026 der 21. Mai 2026 festgelegt.

Der pharmazeutische Unternehmer hat fristgerecht zum 21. Mai 2026 die überarbeiteten Entwürfe für ein Studienprotokoll und einen statistischen Analyseplan an den G-BA übermittelt (jeweils Version 3.0). Die überarbeiteten Entwürfe für ein Studienprotokoll und einen statistischen Analyseplan wurden vom G-BA unter Einbindung des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) geprüft.

Auf Basis dieser Prüfung ist der G-BA zu dem Ergebnis gelangt, dass die Anforderungen an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und die Auswertungen in dem vom pharmazeutischen Unternehmer erstellten und dem G-BA zur Überprüfung übermittelten Studienprotokoll und statistischen Analyseplan unzureichend umgesetzt sind.

Die weiterhin bestehenden Mängel in den Studienunterlagen betreffen zwingend erforderliche Anpassungen, die für den Start der anwendungsbegleitenden Datenerhebung als unerlässlich erachtet werden. Diese Mängel wurden durch den pharmazeutischen Unternehmer nicht behoben.

Da der pharmazeutische Unternehmer damit seiner Verpflichtung zur Erstellung eines statistischen Analyseplans und Studienprotokolls vorab der Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung nicht nachgekommen ist, wird die anwendungsbegleitende Datenerhebung nicht durchgeführt werden.

Daher wird der Beschluss zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Exagamglogene autotemcel mit dem vorliegenden Änderungsbeschluss außer Kraft gesetzt. Damit sind auch die im Beschluss enthaltenen Fristen für die Vorlage von 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 3. September 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) Exagamglogene autotemcel (Sichelzellerkrankheit); Beschränkung der Versorgungsbefugnis“ vom 21. Dezember 2023 der Anlage XII der AM-RL nach Nummer 3 angefügten 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 durchgeführt wird, kann die Zielsetzung der am 21. Dezember 2023 beschlossenen Beschränkung der Versorgungsbefugnis für Exagamglogen autotemcel nicht erfüllt werden. Daher wird der Beschluss zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis 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

Mit Beschluss vom 3. September 2026 hat der G-BA festgestellt, festgestellt, dass die Anforderungen an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und die Auswertungen in dem vom pharmazeutischen Unternehmer erstellten und dem G-BA zur Überprüfung übermittelten Studienprotokoll (SP) und statistischen Analyseplan (SAP) unzureichend umgesetzt sind, sodass die anwendungsbegleitende Datenerhebung, die mit Beschluss vom 21. Dezember 2023 vom pharmazeutischen Unternehmer gefordert wurde, nicht durchgeführt werden wird.

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

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 3. September 2026 beschlossen, dass die anwendungsbegleitende Datenerhebung nicht durchgeführt werden wird und dass daher der Beschluss über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen außerkraftzusetzen und der Beschluss über die Beschränkung der Versorgungsbefugnis aufzuheben sind.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	6. August 2026 17. August 2026	Beratung zur Überprüfung der Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Vorlage von Studienprotokoll und SAP, Beratung über die Änderung der Anlage XII der AM-RL
Unterausschuss Arzneimittel	25. August 2026	Beratung zum Ergebnis der Überprüfung der Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Vorlage von Studienprotokoll und SAP; Beratung über die Änderung der Anlage XII der AM-RL
Plenum	3. September 2026	Beschlussfassung zur Überprüfung der Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Vorlage von Studienprotokoll und SAP; Beschlussfassung über die Änderung der Anlage XII AM-RL

Berlin, den 3. September 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Die Vorsitzende

Dr. Optendrenk