

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL):

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

Risdiplam (spinale Muskelatrophie); Forderung einer
anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von
Auswertungen – Änderung

Vom 17. September 2026

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V .	2
4.	Bürokratiekostenermittlung	3
5.	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 21. Juli 2022 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Risdiplam gemäß § 35a SGB V beschlossen.

Gemäß den Angaben des Beschlusses vom 21. Juli 2022 ist nach 18 Monaten eine erste Zwischenanalyse entsprechend der Vorgaben im Studienprotokoll und statistischen Analyseplan durchzuführen und dem G-BA vorzulegen. Dabei ist zu jeder Zwischenanalyse auch eine Prüfung auf Abbruch wegen Vergeblichkeit vorzunehmen. Zur 1. Zwischenanalyse 18 Monate nach Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung soll zudem anhand der dann möglichen, genaueren Effektannahmen eine endgültige Fallzahlschätzung vorgenommen werden.

Der pharmazeutische Unternehmer hat dem G-BA zum 30. April 2026 fristgerecht die erste Zwischenanalyse vorgelegt. Basierend auf den Ergebnissen der ersten Zwischenanalyse legt der pharmazeutische Unternehmer in den Studienunterlagen aktualisierte Fallzahlkalkulationen für alle Fragestellungen vor.

Die Daten der ersten Zwischenanalyse sind aus mehreren Gründen nicht plausibel. Als einen möglichen Erklärungsansatz gibt der pharmazeutische Unternehmer an, dass zum Zeitpunkt des Datenschnitts noch nicht alle teilnehmenden Zentren von einem Monitoring zur Verbesserung der Datenqualität und Datenvollständigkeit umfasst waren. Da die Daten der ersten Zwischenanalyse nicht plausibel sind, sind die daraus resultierenden Fallzahlschätzungen nicht aussagekräftig. Eine inhaltliche Prüfung der Daten konnte nicht erfolgen. Die Vorlage der endgültigen Fallzahlschätzung soll daher zur 2. Zwischenanalyse 30 Monate nach Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung erfolgen.

3. Beteiligung nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V

Ein erneutes Beteiligungsverfahren ist nicht durchzuführen.

Die Anpassung des Zeitpunktes der Vorlage der endgültigen Fallzahlschätzung stellt keine wesentliche Änderung im Vergleich zum Beschluss zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen vom 21. Juli 2022 dar, vgl. 1. Kapitel § 14 Absatz 1 Verfahrensordnung des G-BA.

4. 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.

5. Verfahrensablauf

Im Nachgang zur Beschlussfassung vom 21. Juli 2022 hat der G-BA mit Einreichung der ersten Zwischenanalyse 18 Monate nach Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung festgestellt, dass die Daten der ersten Zwischenanalyse nicht plausibel sind und die daraus resultierenden Fallzahlschätzungen daher nicht aussagekräftig. Hierdurch ergeben sich weitere Änderungen an den Anforderungen des G-BA hinsichtlich der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen.

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

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 17. September 2026 die Änderung der AM-RL einvernehmlich beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	17. August 2026 3. September 2026	Beratung über den Sachverhalt
Unterausschuss Arzneimittel	8. September 2026	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage über die Änderung des Forderungsbeschlusses
Plenum	17. September 2026	Beschlussfassung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Juli 2022

Berlin, den 17. September 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Die Vorsitzende

Dr. Optendrenk