

# Tragende Gründe



**Gemeinsamer  
Bundesausschuss**

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

**Anlage XII - Beschlüsse über die  
Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen  
Wirkstoffen nach § 35a SGB V - Idebenon**

Vom 17. März 2016

## Inhalt

1. Rechtsgrundlage .....	2
2. Eckpunkte der Entscheidung .....	3
3. Bürokratiekosten .....	7
4. Verfahrensablauf .....	9

## 1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen.

Für Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens (Orphan Drugs), die nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen sind, gilt gemäß § 35a Absatz 1 Satz 10 Halbs. 1 SGB V der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Nachweise zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie müssen nicht vorgelegt werden (§ 35a Absatz 1 Satz 10 Halbs. 2 SGB V). § 35a Absatz 1 Satz 10 Halbs. 1 SGB V fingiert somit einen Zusatznutzen für ein zugelassenes Orphan Drug, obschon eine den in § 35a Absatz 1 Satz 3 Nr. 2 und 3 SGB V i.V.m. 5. Kapitel §§ 5 ff. der Verfahrensordnung des 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 50 Millionen Euro übersteigt. Dann hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 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 VerfO festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie, zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

Gemäß § 35a Absatz 2 SGB V entscheidet der G-BA, ob er die Nutzenbewertung selbst durchführt oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) beauftragt. Ausgehend von der gesetzlichen Vorgabe in § 35a Absatz 1 Satz 10 SGB V, dass der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt gilt, hat der G-BA in seiner Sitzung vom 15. März 2012 das Verfahren der Nutzenbewertung von Orphan Drugs dahingehend modifiziert, dass bei Orphan Drugs zunächst keine eigenständige Festlegung einer zweckmäßigen Vergleichstherapie mehr durch den G-BA als Grundlage der insoweit allein rechtlich zulässigen Bewertung des Ausmaßes eines gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens erfolgt. Vielmehr wird ausschließlich auf der Grundlage der Zulassungsstudien das Ausmaß des Zusatznutzens durch den G-BA bewertet.

Dementsprechend hat der G-BA in seiner Sitzung am 15. März 2012 den mit Beschluss vom 1. August 2011 erteilten Auftrag an das IQWiG zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 2 SGB V in der Weise abgeändert, dass bei Orphan Drugs eine Beauftragung des IQWiG mit der Durchführung einer Nutzenbewertung bei zuvor festgelegter Vergleichstherapie erst dann erfolgt, wenn der Umsatz des betreffenden Arzneimittels die gesetzliche Grenze von 50 Millionen Euro überschritten hat und damit einer uneingeschränkten Nutzenbewertung unterliegt (vgl. § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V). Die Bewertung des G-BA ist nach § 35a Absatz 2 SGB V innerhalb von drei Monaten nach dem maßgeblichen Zeitpunkt für die Einreichung der Nachweise abzuschließen und im Internet zu veröffentlichen.

Nach § 35a Absatz 3 SGB V beschließt der G-BA über die Nutzenbewertung innerhalb von drei Monaten nach ihrer Veröffentlichung. Der Beschluss ist im Internet zu veröffentlichen und ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie.

## 2. Eckpunkte der Entscheidung

Maßgeblicher Zeitpunkt gemäß 5. Kapitel § 8 Nummer 1 Satz 2 VerfO für das erstmalige Inverkehrbringen des Wirkstoffs Idebenon ist der 1. Oktober 2015. Der pharmazeutische Unternehmer hat gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 1 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) i.V.m. 5. Kapitel § 8 Nummer 1 VerfO am 30. September 2015 das abschließende Dossier beim G-BA eingereicht.

Idebenon zur Behandlung von Sehstörungen bei jugendlichen und erwachsenen Patienten mit Leberscher Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) ist als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen.

Gemäß § 35a Absatz 1 Satz 10 Halbs. 1 SGB V gilt der Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird auf der Grundlage der Zulassungsstudien durch den G-BA bewertet.

Der G-BA hat die Nutzenbewertung durchgeführt und das IQWiG mit der Bewertung der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers in Modul 3 des Dossiers zu Therapiekosten und Patientenzahlen beauftragt. Die Nutzenbewertung wurde am 4. Januar 2016 zusammen mit der Bewertung des IQWiG auf den Internetseiten des G-BA ([www.g-ba.de](http://www.g-ba.de)) veröffentlicht und damit das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Es wurde darüber hinaus eine mündliche Anhörung durchgeführt.

Der G-BA hat seinen Beschluss auf der Basis des Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers, der vom G-BA durchgeführten Dossierbewertung, der vom IQWiG erstellten Bewertung der Therapiekosten und Patientenzahlen (IQWiG G15-11) und der im schriftlichen und mündlichen Anhörungsverfahren vorgetragenen Stellungnahmen getroffen.

Um das Ausmaß des Zusatznutzens zu bestimmen, hat der G-BA die für die Zulassung relevanten Studien nach Maßgabe der in 5. Kapitel § 5 Absatz 7 Satz 1 Nummer 1 bis 4 VerfO festgelegten Kriterien in Hinblick auf ihre therapeutische Relevanz (qualitativ) bewertet. Auf die vom IQWiG vorgeschlagene Methodik gemäß den Allgemeinen Methoden<sup>1</sup> wurde in der Nutzenbewertung von Idebenon nicht abgestellt.

Ausgehend hiervon ist der G-BA, unter Berücksichtigung der eingegangenen Stellungnahmen sowie der mündlichen Anhörung, zu folgender Bewertung gelangt:

### 2.1 Zusatznutzen des Arzneimittels

#### Zugelassenes Anwendungsgebiet von Idebenon (Raxone®) gemäß Fachinformation:

Idebenon (Raxone®) wird zur Behandlung von Sehstörungen bei jugendlichen und erwachsenen Patienten mit Leberscher Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) angewendet.

#### Ausmaß des Zusatznutzens:

Zur Beantwortung der Fragestellung zum Ausmaß des Zusatznutzens von Idebenon wurde vom pharmazeutischen Unternehmer die pivotale RHODOS Studie vorgelegt. Weiterhin legte

---

<sup>1</sup> Allgemeine Methoden, Version 4.1 vom 28.11.2013. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, Köln.

der pharmazeutische Unternehmer die supportiven Untersuchungen RHODOS Observational Follow-Up (RHODOS-OFU), Expanded Access Program (EAP) und einen historischen Case Record Survey (CRS) vor. Der Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens wird die Studie RHODOS zugrunde gelegt. RHODOS-OFU, EAP und der CRS können nicht berücksichtigt werden, weil sie über die RHODOS-Studie hinaus keine Aussagen zulassen.

Bei der RHODOS Studie handelt es sich um eine multizentrische, doppelblinde, randomisierte Placebo-kontrollierte parallele Phase-II-Studie, in die insgesamt 85 Patienten im Alter von 14 bis 65 Jahren mit Leberscher Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) im Verhältnis 2:1 eingeschlossen wurden. In der Studie wurde die Wirksamkeit, Sicherheit und Verträglichkeit von Idebenon gegenüber Placebo untersucht. Die Patienten im Interventionsarm erhielten entsprechend der Fachinformation eine tägliche Dosierung von dreimal 300 mg Idebenon. Die Studiendauer betrug 24 Wochen.

Im Rahmen der RHODOS Studie erhobene Endpunkte waren u.a. die beste Verbesserung der Sehschärfe in jeweils einem Auge nach 24 Wochen (primärer Endpunkt), die Veränderung der besten Sehschärfe nach 24 Wochen Behandlungsdauer, die Veränderung der Sehschärfe des besten Auges zu Studienbeginn nach 24 Wochen sowie die Farbkontrastsensitivität. Weiterhin wurden unerwünschte Ereignisse sowie die Lebensqualität als Endpunkte erfasst.

Die Datenanalyse der die Sehschärfe betreffenden Endpunkte erfolgte zum Studienende nach 24 Wochen und basiert auf einer ITT-Population mit 82 Patienten.

Zusammenfassend wird das Ausmaß des Zusatznutzens von Idebenon wie folgt bewertet:

Es liegt ein nicht quantifizierbarer Zusatznutzen vor.

#### Begründung:

Der G-BA stuft das Ausmaß des Zusatznutzens von Idebenon auf Basis der Kriterien in § 5 Absatz 7 der AM NutzenV unter Berücksichtigung des Schweregrades der Erkrankung und des therapeutischen Ziels bei der Behandlung der Erkrankung als nicht quantifizierbar ein. Ein Zusatznutzen liegt vor, ist aber nicht quantifizierbar, weil die wissenschaftliche Datengrundlage dies nicht zulässt.

Entscheidungsrelevant ist in der vorliegenden Indikation, dass ein Vorteil hinsichtlich patientenrelevanter Endpunkte von Idebenon gegenüber Placebo nicht gezeigt werden konnte, so dass eine Quantifizierung des Zusatznutzens nicht möglich ist.

Der Ausschluss von drei Patienten mit fehlerhaften Messwerten<sup>2</sup> vor der Entblindung aus der Analyse stellt eine Abweichung vom ITT-Prinzip dar und wird kritisch beurteilt.

Weiterhin steht der post-hoc Ausschluss eines weiteren Patienten aus der ITT Analyse aufgrund einer Visusbesserung vor Behandlungsbeginn (Darstellung als modifizierte ITT, mITT) im Widerspruch zum ITT-Prinzip und ist aus methodischer Sicht als fragwürdig zu bewerten. Diese Analysen wurden in Analogie zur Sichtweise der EMA als methodisch nicht adäquat beurteilt und fanden demzufolge keine Beachtung.

Darüber hinaus werden die vom pharmazeutischen Unternehmer gewählten Responsekriterien für den Niedrigvisusbereich aufgrund fehlender Validierungsstudien und unklarer klinischer Relevanz als nicht angemessen erachtet und dementsprechend nicht berücksichtigt.

#### **Mortalität**

In der Studie RHODOS wurden keine Todesfälle beobachtet.

---

<sup>2</sup> Nach Angaben des pharmazeutischen Unternehmers im Stellungnahmeverfahren

Zusammengenommen kann hinsichtlich der Mortalität aufgrund der vorliegenden Ergebnisse keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens hergeleitet werden.

## **Morbidität**

### *Beste Verbesserung der Sehschärfe nach 24 Wochen*

Die „beste Verbesserung der Sehschärfe nach 24 Wochen“, primärer Endpunkt der Studie RHODOS, war definiert als die beste Verbesserung der Sehschärfe in jeweils einem Auge der Patienten, gemessen an der Veränderung in logMAR zwischen Studienbeginn und Woche 24.

Hinsichtlich des Endpunktes Beste Verbesserung der Sehschärfe nach 24 Wochen wurde kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Studienarmen festgestellt.

### *Veränderung der besten Sehschärfe nach 24 Wochen*

Die „Veränderung der besten Sehschärfe nach 24 Wochen“ war definiert die Sehschärfe des besten Auges zu Woche 24 im Vergleich zur Sehschärfe des besten Auges zu Studienbeginn. Hinsichtlich des Endpunktes Veränderung der besten Sehschärfe nach 24 Wochen wurde kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Studienarmen festgestellt.

### *Veränderung der Sehschärfe des besten Auges (zu Studienbeginn) nach 24 Wochen*

Die Veränderung der Sehschärfe des besten Auges nach 24 Wochen war definiert als die Veränderung desjenigen Auges, welches zu Studienbeginn die beste Sehschärfe aufwies, gemessen in Woche 24. Hinsichtlich des Endpunktes Veränderung der Sehschärfe des besten Auges nach 24 Wochen wurde kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Studienarmen festgestellt.

Insgesamt ist es bezogen auf die Sehschärfeendpunkte fraglich, inwieweit die Erfassung der Sehschärfe im Anwendungsgebiet die Symptome der Erkrankung umfassend abbildet.

### *Veränderung der Farbkontrastsensitivität nach 24 Wochen*

Bei diesem Endpunkt wurde die Farbkontrastsensitivität für die Farben Rot-Grün (Protan) und Gelb-Blau (Tritan) erfasst, jedoch nur in einem Studienzentrum, so dass lediglich Ergebnisse für eine Subgruppe vorliegen. Zudem basiert die Analyse auf der Anzahl an Augen. Der Anteil an Patienten mit einer Verbesserung der Farbkontrastsensitivität bleibt unklar.

Es zeigte sich kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Studienarmen hinsichtlich der Wahrnehmung von Rot-Grün. Bezüglich der Wahrnehmung der Farben Gelb-Blau zeigte sich im untersuchten Studienzentrum ein statistisch signifikant vorteiliger Effekt von Idebenon gegenüber Placebo.

Die geschätzte Differenz zwischen den Gruppen betrug  $-13,63 \pm 5,05$  (95 % KI: [-23,61;-3,66];  $p = 0,008$ ); diese war auf eine Abnahme der Farbkonfusion in der Idebenon- und auf eine entgegengesetzte Veränderung nach 24 Wochen in der Placebo- Gruppe zurückzuführen.

Zusammengenommen kann hinsichtlich der Morbidität aufgrund der vorliegenden Ergebnisse keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens hergeleitet werden.

## **Lebensqualität**

Bezüglich der Lebensqualität lagen keine verwertbaren Daten vor.

## **Nebenwirkungen**

Hinsichtlich der Nebenwirkungen wurden keine statistisch signifikanten Unterschiede zwischen der Idebenon- und Placebo-behandelten Patientengruppe festgestellt.

Zusammengenommen kann hinsichtlich der Nebenwirkungen aufgrund der vorliegenden Ergebnisse keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens hergeleitet werden.

## **Fazit**

In der Gesamtbetrachtung der vorliegenden Ergebnisse kommt der G-BA zu folgender Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens: ein Zusatznutzen liegt vor, ist aber nicht quantifizierbar, weil die wissenschaftliche Datenlage eine quantifizierbare Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens für patientenrelevante Endpunkte zum derzeitigen Zeitpunkt nicht zulässt.

## Befristung:

Die Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses zur Nutzenbewertung von Idebenon findet ihre Rechtsgrundlage in § 35a Abs. 3 Satz 4 SGB V. Danach kann der G-BA die Geltung des Beschlusses über die Nutzenbewertung eines Arzneimittels befristen. Vorliegend ist die Befristung durch mit dem Sinn und Zweck der Nutzenbewertung nach § 35a Abs.1 SGB V in Einklang stehende sachliche Gründe gerechtfertigt. Diese ergeben sich aus den mit der Zulassung von Idebenon verbundenen Auflagen.

Erfüllung der mit der Zulassung verbundenen Auflagen:

Das Arzneimittel Raxone® mit dem Wirkstoff Idebenon wurde von der zuständigen Zulassungsbehörde, der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA), unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen gemäß Art. 14 Abs. 8 Verordnung (EG) 726/2004 iVm Artikel 22 der Richtlinie 2001/83/EG .

Demnach kann in Ausnahmefällen und nach Konsultation des Antragstellers die Genehmigung für das Inverkehrbringen unter bestimmten Bedingungen, die insbesondere die Sicherheit des Arzneimittels, die Information der zuständigen Behörden über alle Zwischenfälle im Zusammenhang mit seiner Anwendung und die zu ergreifenden Maßnahmen betreffen, erteilt werden. Die Genehmigung für das Inverkehrbringen kann nur erteilt werden, wenn der Antragsteller nachweisen kann, dass er aus objektiven und nachprüfbaren Gründen keine vollständigen Daten über die Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels bei bestimmungsgemäßem Gebrauch zur Verfügung stellen kann, und muss auf einem der in Anhang I der Richtlinie 2001/83/EG genannten Gründe beruhen. Die Aufrechterhaltung der Genehmigung für das Inverkehrbringen ist von der jährlichen Neubeurteilung dieser Bedingungen abhängig.

Aus diesem Grund hat die EMA die Zulassung von Idebenon mit der Auflage verbunden, dass der pharmazeutische Unternehmer der Zulassungsbehörde weitere umfassende

klinische Daten zur Wirksamkeit und Unbedenklichkeit des Arzneimittels Idebenon zur Prüfung vorlegt. Hierzu soll er ein Register einrichten (s. EPAR zu Raxone®, Seite 80), um primär Daten zur Langzeitsicherheit zu erfassen.

Zum Ablauf der Befristung sind dem G-BA die von der EMA nachgeforderten Daten und weitere Evidenz vorzulegen, die eine sicherere Bewertung zum Ausmaß des Zusatznutzens hinsichtlich patientenrelevanter Endpunkte bei einer langfristigen Therapie mit Idebenon ermöglichen und geeignet sind, den in den vorstehenden Ausführungen beschriebenen Unsicherheiten im Hinblick auf die Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens abzuhelpen.

Hierfür wird insgesamt eine Frist von 2 Jahren als angemessen erachtet.

Zu konkreten Anforderungen seitens des G-BA an die zum Fristablauf vorzulegenden Daten kann der pharmazeutische Unternehmer eine Beratung nach 5. Kapitel § 7 VerFO des G-BA anfordern.

Gemäß § 3 Nr. 5 AM-NutzenV i.V.m. 5. Kapitel § 1 Abs. 2 Nr. 7 VerFO beginnt das Verfahren der Nutzenbewertung von Idebenon erneut, wenn die Frist abgelaufen ist. Hierzu hat der pharmazeutische Unternehmer spätestens am Tag des Fristablaufs beim G-BA ein Dossier für das Arzneimittel Idebenon einzureichen (§ 4 Abs. 3 Nr. 5 AM-NutzenV i.V.m. 5. Kapitel § 8 Nr. 5 VerFO).

Die Möglichkeit, dass eine Nutzenbewertung von Idebenon aus anderen Gründen zu einem früheren Zeitpunkt durchgeführt werden kann, bleibt hiervon unberührt.

## 2.2 Anzahl der Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen

Bei den Angaben zur Anzahl der Patienten handelt es sich um die Zielpopulation in der Gesetzlichen Krankenversicherung (GKV).

Der G-BA legt dem Beschluss die in der Bewertung des IQWiG angegebenen Patientenzahlen zugrunde. Dies entspricht ca. 1 500 - 3 000 Patienten, wobei der obere Wert der Spanne mit Unsicherheit behaftet ist.

## 2.3 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen. Die europäische Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA) stellt die Inhalte der Fachinformation zu Raxone® (Wirkstoff: Idebenon) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 18. Januar 2016): [http://www.ema.europa.eu/docs/de\\_DE/document\\_library/EPAR\\_-\\_Product\\_Information/human/003834/WC500193836.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/de_DE/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/003834/WC500193836.pdf)

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung sollte durch einen in der Therapie von Leberscher Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) erfahrenen Arzt erfolgen.

Es liegen keine Daten aus kontrollierten klinischen Studien über eine kontinuierliche Behandlung mit Idebenon über einen längeren Zeitraum als sechs Monate vor.

Dieses Arzneimittel wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über das Arzneimittel zu erlangen. Die EMA wird sämtliche neuen

Informationen prüfen, die verfügbar gemacht werden, und die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels gegebenenfalls aktualisieren.

#### 2.4 Therapiekosten

Die Therapiekosten basieren auf den Angaben der Fachinformationen sowie den Angaben der Lauer-Taxe (Stand: 1. Februar 2016).

##### Kosten der Arzneimittel:

Hinsichtlich des Verbrauchs wurde der Jahresdurchschnittsverbrauch an Filmtabletten ermittelt.

Es wurde die in der Fachinformation empfohlene tägliche Einnahme von sechsmal 150 mg Filmtabletten (gesamt 900 mg täglich) als Berechnungsgrundlage herangezogen.

##### Behandlungsdauer:

In der Fachinformation wird darauf hingewiesen, dass keine Daten aus kontrollierten klinischen Studien über eine kontinuierliche Behandlung mit Idebenon über einen längeren Zeitraum als sechs Monate vorliegen. Es wird jedoch keine maximale Therapiedauer angegeben. Ist in der Fachinformation keine maximale Therapiedauer angegeben, wird als Behandlungsdauer rechnerisch ein Jahr angenommen, auch wenn die tatsächliche Therapiedauer patientenindividuell unterschiedlich und/oder durchschnittlich kürzer ist.

Bezeichnung der Therapie	Behandlungsmodus	Anzahl Behandlungen pro Patient pro Jahr	Behandlungsdauer je Behandlung (Tage)	Behandlungstage pro Patient pro Jahr
Zu bewertendes Arzneimittel				
Idebenon	3 x täglich	kontinuierlich	365	365

##### Verbrauch:

Bezeichnung der Therapie	Wirkstärke (mg)	Verbrauch nach Wirkstärke/ Behandlungstag (mg)	Menge pro Packung (Filmtabletten)	Jahresdurchschnittsverbrauch (Filmtabletten)
Zu bewertendes Arzneimittel				
Idebenon	150	6 x 150	180	2 190

## Kosten:

### **Kosten der Arzneimittel:**

Bezeichnung der Therapie	Kosten (Apothekenabgabepreis)	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte
Zu bewertendes Arzneimittel		
Idebenon	8637,22 €	8142,75 € [1,77 €; 492,70 €]
Stand Lauer-Taxe: 1. Februar 2016		
<sup>1</sup> Rabatt nach 130 SGB V		
<sup>2</sup> Rabatt nach § 130a SGB V		

### **Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen:**

Es sind keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen zu berücksichtigen.

### **3. Bürokratiekosten**

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 pharmazeutische Unternehmer hat am 10. September 2015 ein Dossier eingereicht. Es wurde von der Geschäftsstelle des G-BA gemäß 5. Kapitel § 11 Absatz 2 VerFO eine formale Vorprüfung auf Vollständigkeit des Dokuments vorgenommen. Das abschließende Dossier wurde am 30. September 2015 eingereicht. Maßgeblicher Zeitpunkt für das erstmalige Inverkehrbringen gemäß 5. Kapitel § 8 Nummer 1 Satz 2 VerFO des Wirkstoffs Idebenon ist der 1. Oktober 2015.

Die Nutzenbewertung des G-BA wurde am 4. Januar 2016 zusammen mit der Bewertung der Therapiekosten und Patientenzahlen des IQWiG auf den Internetseiten des G-BA ([www.g-ba.de](http://www.g-ba.de)) veröffentlicht und damit das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Die Frist zur Abgabe von Stellungnahmen war der 25. Januar 2016.

Die mündliche Anhörung fand am 9. Februar 2016 statt.

Zur Vorbereitung einer Beschlussempfehlung hat der Unterausschuss Arzneimittel eine Arbeitsgruppe (AG § 35a) beauftragt, die sich aus den von den Spitzenorganisationen der Leistungserbringer benannten Mitgliedern, der vom GKV-Spitzenverband benannten Mitglieder sowie Vertreter(innen) der Patientenorganisationen zusammensetzt. Darüber hinaus nehmen auch Vertreter(innen) des IQWiG an den Sitzungen teil.

Die Auswertung der eingegangenen Stellungnahmen sowie der mündlichen Anhörung wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 8. März 2016 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 17. März 2016 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

### Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
Unterausschuss Arzneimittel	25. August 2015	Beratung zum Verfahren der Nutzenbewertung
Unterausschuss Arzneimittel	24. November 2015	Information über die Ergebnisse der Prüfung auf Vollständigkeit des Dossiers
Unterausschuss Arzneimittel	22. Dezember 2015	Kenntnisnahme der Nutzenbewertung des G-BA
AG § 35a	2. Februar 2016	Information über eingegangene Stellungnahmen, Vorbereitung der mündlichen Anhörung
Unterausschuss Arzneimittel	9. Februar 2016	Durchführung der mündlichen Anhörung
AG § 35a	16. Februar 2016 1. März 2016	Beratung über die Dossierbewertung des G-BA, die Bewertung des IQWiG zu Therapiekosten und Patientenzahlen sowie die Auswertung des Stellungnahmeverfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	8. März 2016	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage
Plenum	17. März 2016	Beschlussfassung über die Änderung der Anlage XII AM-RL

Berlin, den 17. März 2016

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken