

# 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 - Obeticholsäure

Vom 6. Juli 2017

### Inhalt

<b>1. Rechtsgrundlage</b> .....	<b>2</b>
<b>2. Eckpunkte der Entscheidung</b> .....	<b>3</b>
2.1 Zusatznutzen des Arzneimittels.....	3
2.1.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet von Obeticholsäure (Ocaliva®) gemäß Fachinformation .....	3
2.1.2 Ausmaß des Zusatznutzens.....	4
2.1.3 Befristung.....	6
2.2 Anzahl der Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen .....	7
2.3 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....	7
2.4 Therapiekosten .....	7
<b>3. Bürokratiekosten</b> .....	<b>9</b>
<b>4. Verfahrensablauf</b> .....	<b>9</b>

## 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 1. Halbs. 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 2. Halbs. SGB V). § 35a Absatz 1 Satz 10 1. Halbs. 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 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) für das erstmalige Inverkehrbringen des Wirkstoffs Obeticholsäure ist der 15. Januar 2017. 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 9. Januar 2017 das abschließende Dossier beim G-BA eingereicht.

Obeticholsäure zur Behandlung der primären biliären Cholangitis 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 1. Halbs. 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 18. April 2017 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 G17-01) 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 Obeticholsäure 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**

#### **2.1.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet von Obeticholsäure (Ocaliva®) gemäß Fachinformation**

OCALIVA wird angewendet für die Behandlung der primären biliären Cholangitis (auch unter der Bezeichnung primäre biliäre Zirrhose bekannt) in Verbindung mit Ursodesoxycholsäure

---

<sup>1</sup> Allgemeine Methoden, Version 4.2 vom 22.04.2015. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, Köln.

(UDCA) bei Erwachsenen, die unzureichend auf UDCA ansprechen, oder als Monotherapie bei Erwachsenen, die UDCA nicht tolerieren können.

### 2.1.2 Ausmaß des Zusatznutzens

Nicht quantifizierbar

#### Begründung

Die Ergebnisse, die für die Nutzenbewertung herangezogen wurden, stammen aus der 3-armigen randomisierten, multizentrischen, kontrollierten POISE-Studie. In der doppelblinden Studienphase wurden zwei Dosierungsschemata (10 mg; Titration von 5 mg auf 10 mg) von OCA jeweils zusätzlich zur Basistherapie mit Ursodesoxycholsäure (UDCA), gegenüber Placebo verglichen (Arm 1: 5 bis max. 10 mg, Arm 2: durchgängig 10 mg). Bei UDCA Unverträglichkeit erfolgte der Vergleich der OCA Monotherapie mit Placebo. Da die Patientenzahl in der Monotherapie (N =10) sehr gering war, werden die entsprechenden Ergebnisse aufgrund der Aussageunsicherheit im Rahmen dieser Nutzenbewertung nicht weiter berücksichtigt. An die 12-monatige doppelblinde, Placebo-kontrollierte Behandlungsphase (DB) schloss sich eine bis zu 5 Jahre dauernde Langzeitbeobachtungsstudie (LTSE) an. Aus der doppelblinden Phase konnte nur der zulassungsgerechte Titrations-Arm mit einem Beginn der OCA Therapie mit 5 mg und einer, nicht durch Nebenwirkungen limitierten, schrittweisen Dosiserhöhung bis zur Ziel-Dosierung von 10 mg (N=70) und der Placebo-Arm (N=73) herangezogen werden. Bei der LTSE-Phase handelt es sich um eine nicht-vergleichende einarmige Studie. Aufgrund der fehlenden Kontrollgruppe lassen die Ergebnisse aus dieser Studienphase keine verlässlichen Aussagen zu. Zusammenfassend ist für die 12-monatige Doppelblindphase das Verzerrungspotenzial auf Studienebene niedrig; für die LTSE-Phase ist das Verzerrungspotenzial hoch, da es sich um eine Studie ohne Kontrollgruppe handelt. Vor diesem Hintergrund werden nachfolgend nur die Ergebnisse der 12-monatigen DB-Phase für die Bewertung herangezogen.

#### Mortalität

In der Studie trat nur ein Todesfall in der OCA Gruppe auf. Dieses Ergebnis lässt sich aufgrund der minimalen Fallzahl nicht als Evidenz für Nutzen oder Schaden von OCA heranziehen.

Für eine valide Aussage hinreichende Ergebnisse zur Mortalität sind aufgrund des langen Krankheitsverlaufs der primären biliären Cholangitis (PBC) erst nach einem langen Beobachtungszeitraum zu erwarten.

Zusammengefasst lässt sich aus den Ergebnissen zur Mortalität keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens ableiten.

#### Morbidität

Der primäre Endpunkt der POISE-Studie, sowohl in der 12-monatigen DB-Phase als auch in der LTSE-Phase, ist aus drei Einzelkomponenten zusammengesetzt: Anteil von Patienten mit jeweils alkalischer Phosphatase (ALP)  $< 1,67 \times$  der oberen Grenze des Normalbereichs (ULN) und Gesamt-Bilirubin  $\leq$  ULN und ALP-Reduktion  $\geq 15 \%$ . Die Laborparameter wurden für die vorliegende Nutzenbewertung als nicht patientenrelevant eingestuft. Die vom Patienten wahrnehmbare Symptomatik bleibt unberücksichtigt und es lassen sich keine direkten Auswirkungen auf den Patienten ableiten. Die Surrogatvalidierung für die patienten-

relevanten Endpunkte Mortalität bzw. Lebertransplantation ist durch ausschließliche Herleitung aus Registerdaten nicht ausreichend.

Auf Basis der wenigen vorgelegten Daten zu patientenrelevanten Endpunkten, konnten ausschließlich die Ergebnisse zum Pruritus zur Analyse der Wirksamkeit von OCA herangezogen werden.

Die Ergebnisse der 12-monatigen doppelblinden Phase zeigen, dass für das Symptom Pruritus bei Erwachsenen mit PBC, entweder erhoben mittels des 5-D-Pruritus Fragebogens oder der visuellen Analogskala (VAS) Pruritus sowohl bezogen auf den Gesamtscore als auch auf die einzelnen Domänen des 5-D-Fragebogens keine statistisch signifikanten Unterschiede in den beiden Behandlungsarmen zu beobachten waren. Die klinische Relevanz dieser Unterschiede ist darüber hinaus aufgrund einer fehlenden „minimal important Difference“ (MID) für einen Gruppenunterschied unklar. Die im Dossier vorgelegte Validierungsstudie<sup>2</sup> umfasst ein zu heterogenes Patientenkollektiv für eine Übertragbarkeit auf die Zielpopulation.

Zusammengefasst lässt sich aus den Ergebnissen zur Morbidität keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens ableiten.

### Lebensqualität

Für die Erfassung der Lebensqualität wurde der PBC-40-Fragebogen mit den Domänen Generelle Symptome, Jucken, Fatigue, kognitive Funktionen, soziale Domäne und emotionale Domäne verwendet. Es handelt sich um ein weitestgehend validiertes und krankheitsspezifisches Instrument zur Messung der Lebensqualität bei Patienten mit PBC.

Während der 12-monatigen DB-Phase zeigte sich für den PBC-40-Fragebogen nach Monat 6 und Monat 12 in keiner der Domänen ein statistisch signifikanter Unterschied zwischen OCA-Titrationsgruppe und Placebogruppe.

Eine Einschätzung zum Ausmaß des Zusatznutzens hinsichtlich der Lebensqualität ist aufgrund der vorliegenden Daten schwierig. Anhand der Ergebnisse kann lediglich geschlussfolgert werden, dass die Lebensqualität in den einzelnen Domänen zu Baseline eher mit niedrigen Punktwerten angegeben wurde. Dies spricht für eine weniger eingeschränkte Lebensqualität, die sich über den 12-monatigen Behandlungszeitraum nur marginal verändert. Die klinische Relevanz dieser Unterschiede ist allerdings aufgrund einer fehlenden MID für einen Gruppenunterschied unklar.

Zusammengefasst lässt sich aus den Ergebnissen zur Lebensqualität keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens ableiten.

### Nebenwirkungen

Das am häufigsten aufgetretene unerwünschte Ereignis (UE) in der OCA-Titrationsgruppe war Pruritus. Es trat statistisch signifikant häufiger in der OCA-Gruppe auf.

UE, die zum Abbruch der Studienmedikation führten, umfassten in der OCA-Titrationsgruppe 5 Patienten (7 %), wovon bei einem Patienten ein Abbruch aufgrund von Pruritus erfolgte. Dieses Ergebnis ist nicht statistisch signifikant. In der Placebogruppe brachen 2 Patienten (3 %) die 12-monatige doppelblinde Phase ab, jedoch nicht aufgrund von Pruritus. Da das

---

<sup>2</sup> Elman S, Hynan LS, Gabriel V, Mayo MJ. The 5-D itch scale: a new measure of pruritus. Br J Dermatol 2010;162:587-593

UE Pruritus häufig auch als Symptom der Erkrankung auftritt oder als Komorbidität bekannt ist, ist die Bewertung insgesamt schwierig.

Insgesamt traten bei statistisch signifikant mehr Patienten in der OCA-Titrationsgruppe schwere UE (22 Patienten [31 %]) als in der Placebogruppe (9 Patienten [14 %]) auf.

Am häufigsten wurde Pruritus als schweres UE angegeben (OCA-Titration: 13 Patienten [19 %]; Placebo: 5 Patienten [7 %]), was ein statistisch signifikantes Ergebnis zuungunsten von OCA ist.

Auch wenn keine SUE aufgrund von Pruritus erfasst wurden gilt: Für 11 Patienten (16 %) der OCA-Titrationsgruppe wurde ein SUE berichtet, statistisch signifikant häufiger als in der Placebogruppe (N= 3 (4 %)). In der LTSE-Phase sind die Veränderungen im Auftreten unerwünschter Ereignisse durch OCA aufgrund fehlender paralleler Kontrollgruppen nicht abschätzbar.

### Gesamtbewertung / Fazit

Aussagekräftige Ergebnisse für patientenrelevante Endpunkte sind aufgrund des langen Krankheitsverlaufs der primären biliären Cholangitis (PBC) erst nach einem langen Beobachtungszeitraum zu erwarten.

Zur Bewertung des Zusatznutzens wurde der zulassungskonform therapierte Arm der doppelblinden Studienphase der randomisierten kontrollierten POISE–Studie herangezogen, in der 2 Dosierungen von OCA mit Placebo, jeweils zusätzlich zur Basistherapie mit Ursodesoxycholsäure (UDCA), verglichen wurden. Bei UDCA Unverträglichkeit erfolgte der Vergleich der OCA Monotherapie mit Placebo.

Es zeigten sich in den Kategorien Mortalität, Morbidität, Lebensqualität keine signifikanten Unterschiede für patientenrelevante Endpunkte. Bezüglich der Nebenwirkungen zeigten sich signifikante Unterschiede zuungunsten von OCA in den Endpunktkategorien schwere UE, SUE und Pruritus. Die Beurteilung der Unterschiede beim UE Pruritus zuungunsten von OCA ist dadurch erschwert, dass es häufig auch als Symptom der Erkrankung auftritt oder als Komorbidität bekannt ist. Bei den Laborparametern ALP- und Bilirubinkonzentration zeigte sich ein Unterschied zugunsten von Obeticholsäure, jedoch liegt für diese Endpunkte keine Validierung in Hinblick auf patientenrelevante Endpunkte vor. Im Rahmen der kurzen Studiendauer von 1 Jahr lassen sich vor dem Hintergrund des chronischen Verlaufs der Erkrankung keine Ergebnisse zu patientenrelevanten Endpunkten wie Mortalität oder Lebensqualität erwarten, diese sind erst innerhalb einer längeren Beobachtungszeit zu erfassen.

Im Ergebnis stuft der G-BA das Ausmaß des Zusatznutzens von Obeticholsäure auf der 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.

#### 2.1.3 Befristung

Die Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses zur Nutzenbewertung von Obeticholsäure findet ihre Rechtsgrundlage in § 35a Absatz 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 Absatz 1 SGB V in Einklang stehende sachliche Gründe gerechtfertigt:

Aussagekräftige Ergebnisse zu patientenrelevanten Endpunkten erfordern eine deutlich längere Beobachtungszeit als in der Studie und der folgenden LTSE Phase realisiert. Die Ergebnisse der kontrollierten Studie COBALT (747-302), welche patientenrelevanten Endpunkte misst, werden im Oktober 2023 erwartet<sup>3</sup>. Der Termin für die Befristung ist der nach Angaben der EMA und des pharmazeutischen Unternehmers im Dossier erwartete Zeitpunkt der Publikation der Studienresultate.

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

Die Angaben zu den Patientenzahlen stammen aus den im Stellungnahmeverfahren vom pharmazeutischen Unternehmer vorgelegten Berechnungen.

Die über 5 Jahre beobachtete Anzahl von Patienten mit einer Diagnose der PCB in wenigstens 2 Quartalen im Beobachtungszeitraum von 5 Jahren (M2Q) wurde als Basis der Berechnung der Häufigkeit der PCB in Deutschland herangezogen, unter Hinzunahme von aus der Literatur ermittelten Angaben zur Prävalenz der Behandlung mit UDCA und des unzureichendem Ansprechens oder der UDCA Unverträglichkeit wurde nach Berücksichtigung des Anteils der GKV Versicherten die Spanne 1050 bis 7.350 Patienten ermittelt. Kritik an dieser Berechnung betrifft den potentiellen Einschluss von stationär behandelten Patienten und die nicht hinreichende Evidenz für die Bestimmung des Anteils von Patienten, die eine UDCA Unverträglichkeit aufwiesen.

## 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 Ocaliva® (Wirkstoff: Obeticholsäure) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 10. April 2017):

[http://www.ema.europa.eu/docs/de\\_DE/document\\_library/EPAR\\_-\\_Product\\_Information/human/004093/WC500218418.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/de_DE/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/004093/WC500218418.pdf)

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Obeticholsäure soll nur durch in der Therapie von Patienten mit PBC erfahrene Fachärzte erfolgen.

## 2.4 Therapiekosten

Die Therapiekosten basieren auf den Angaben der Fachinformationen sowie den Angaben der Lauer-Taxe (Stand: 1. Juni 2017).

Die Arzneimittelkosten wurden zur besseren Vergleichbarkeit näherungsweise sowohl auf der Basis der Apothekenverkaufspreisebene als auch abzüglich der gesetzlich vorgeschriebenen Rabatte nach § 130 und § 130 a SGB V erhoben. Für die Berechnung der Jahresthe-

---

<sup>3</sup> European Medicines Agency (EMA). Ocaliva (Obeticholsäure): EPAR Produktinformation, Anhänge 1, 2, 3, 4; EMEA/H/C/004093 [online]. London (GBR): EMA; 2016.

rapiekosten wurde zunächst anhand des Verbrauchs die benötigte Anzahl an Packungen nach Wirkstärke ermittelt. Mit der Anzahl an Packungen nach Wirkstärke wurden dann die Arzneimittelkosten auf Basis der Kosten pro Packung, nach Abzug der gesetzlich vorgeschriebenen Rabatte, berechnet.

#### Behandlungsdauer:

Die Anfangsdosis beträgt 5 mg einmal täglich. Auf der Grundlage der Verträglichkeit sollte die Dosis nach 6 Monaten auf 10 mg einmal täglich erhöht werden, um ein optimales Ansprechen zu erzielen.

Bezeichnung der Therapie	Behandlungsmodus	Anzahl Behandlungen pro Patient pro Jahr	Behandlungsdauer je Behandlung (Tage)	Behandlungstage pro Patient pro Jahr
Obeticholsäure	1 x täglich	kontinuierlich	365	365

#### Verbrauch:

Bezeichnung der Therapie	Wirkstärke (mg)	Menge pro Packung (Tabletten)	Jahresdurchschnittsverbrauch (Tabletten)
Obeticholsäure	5 mg	100 Tabletten	365
Obeticholsäure	10 mg	100 Tabletten	365

#### Kosten:

##### **Kosten der Arzneimittel:**

Bezeichnung der Therapie	Kosten (Apothekenabgabepreis nach Wirkstärke und Packungsgröße)	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte
Obeticholsäure 5 oder 10 mg	14157,41 €	13350,38 € [1,77€ <sup>4</sup> ; 805,26 € <sup>5</sup> ]

Stand Lauer-Steuer: 1. Juni 2017

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

Da bei der Anwendung des zu bewertenden Arzneimittels entsprechend der Fach- oder Gebrauchsinformation keine regelhaften Unterschiede bei der notwendigen Inanspruchnahme

<sup>4</sup> Rabatt nach § 130 SGB V

<sup>5</sup> Rabatt nach § 130a SGB V



me ärztlicher Behandlung oder bei der Verordnung sonstiger Leistungen bestehen, waren 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

Am 9. Januar 2017 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel § 8 Nummer 1 Satz 2 VerfO fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Obeticholsäure beim G-BA eingereicht.

Die Nutzenbewertung des G-BA wurde am 18. April 2017 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 9. Mai 2017.

Die mündliche Anhörung fand am 22. Mai 2017 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 20. Juni 2017 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 6. Juli 2017 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

#### Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
Unterausschuss Arzneimittel	11. April 2017	Kenntnisnahme der Nutzenbewertung des G-BA
AG § 35a	16. Mai 2017	Information über eingegangene Stellungnahmen, Vorbereitung der mündlichen Anhörung
Unterausschuss Arzneimittel	22. Mai 2017	Durchführung der mündlichen Anhörung
AG § 35a	30. Mai 2017 13. Juni 2017	Beratung über die Dossierbewertung des G-BA, die Bewertung des IQWiG zu Therapiekosten und Patientenzahlen sowie die Auswertung des Stellungnahmeverfahrens

Unterausschuss Arzneimittel	20. Juni 2017	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	6. Juli 2017	Beschlussfassung über die Änderung der Anlage XII AM-RL

Berlin, den 6. Juli 2017

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken