

# Tragende Gründe



Gemeinsamer  
Bundesausschuss

## **zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL): Anlage XII – Verlängerung der Befristung der Geltungsdauer eines Beschlusses über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Sebelipase alfa**

Vom 1. November 2018

### **Inhalt**

<b>1.</b>	<b>Rechtsgrundlage .....</b>	<b>2</b>
<b>2.</b>	<b>Eckpunkte der Entscheidung.....</b>	<b>2</b>
<b>3.</b>	<b>Bürokratiekosten .....</b>	<b>3</b>
<b>4.</b>	<b>Verfahrensablauf .....</b>	<b>4</b>

## **1. Rechtsgrundlage**

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Hierzu gehört insbesondere die Bewertung des Zusatznutzens und seiner therapeutischen Bedeutung. Die Nutzenbewertung erfolgt aufgrund von Nachweisen des pharmazeutischen Unternehmers, die er einschließlich aller von ihm durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen spätestens zum Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens als auch der Zulassung neuer Anwendungsgebiete des Arzneimittels an den G-BA elektronisch zu übermitteln hat, und die insbesondere folgenden Angaben enthalten müssen:

1. zugelassene Anwendungsgebiete,
2. medizinischer Nutzen,
3. medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie,
4. Anzahl der Patienten und Patientengruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht,
5. Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung,
6. Anforderung an eine qualitätsgesicherte Anwendung.

Der G-BA kann das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Nutzenbewertung beauftragen. Die Bewertung 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**

In seiner Sitzung am 17. März 2016 hat der G-BA über die Nutzenbewertung von Sebelipase alfa (Kanuma®) gemäß § 35a SGB V beschlossen. Die Geltungsdauer dieses Beschlusses wurde bis zum 01. Dezember 2018 befristet.

Die Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses zur Nutzenbewertung von Sebelipase alfa findet ihre Rechtsgrundlage in § 35a Abs. 3 Satz 4 SGB V und ergibt sich, wie auch in den Tragenden Gründen zu dem Beschluss vom 17. März 2016 ausgeführt, zum einen aus den mit der Zulassung von Sebelipase alfa verbundenen Auflagen. Zum anderen hält es der G-BA aufgrund der unzureichenden Datenlage aus unkontrollierten Studien an einem sehr kleinen Patientenkollektiv für die Bewertung des Arzneimittels im Regelungskontext des § 35a SGB V für erforderlich, über die zulassungsbezogenen Auflagen hinausgehende Maßnahmen zu treffen, die eine sachgerechte Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens ermöglichen sollen.

Die Zulassung von Sebelipase alfa ist mit der Auflage verbunden, dass der pharmazeutische Unternehmer der Zulassungsbehörde weitere umfassende klinische Daten zur Wirksamkeit und Unbedenklichkeit des Arzneimittels Sebelipase alfa zur Prüfung vorlegt. Die EMA hat entsprechend die Studie LAL-CL08 sowie ein prospektives Register beauftragt, um u.a. Daten zur Langzeitwirksamkeit (Normalisierung der Leberfunktion), und -sicherheit (insbesondere Überempfindlichkeitsreaktionen, Antikörperbildung u.a.) zu erfassen. Zusätzlich wurde durch den G-BA gefordert, dass der pharmazeutische Unternehmer die Einrichtung eines klinischen Registers veranlasst, in dem ergänzend zu den Anforderungen der EMA

zusätzliche Daten für die in Deutschland mit Sebelipase alfa behandelten Patienten erfasst werden.

Diese neuen klinischen Daten zu Sebelipase alfa sind für die Bewertung des Nutzens des Arzneimittels gemäß § 35a SGB V relevant.

Der G-BA forderte den pharmazeutischen Unternehmer entsprechend auf zum Ablauf der Befristung die von der EMA nachgeforderten Daten aus dem Register unter Einbeziehung deutscher Patienten sowie Daten aus der Studie LAL-CL08 vorzulegen, die eine sicherere Bewertung zum Ausmaß des Zusatznutzens hinsichtlich patientenrelevanter Endpunkte (Mortalität, Morbidität, Lebensqualität und Nebenwirkungen) einer langfristigen Therapie mit Sebelipase alfa ermöglichen und geeignet sind, den in den Tragenden Gründen zum Beschluss vom 17. März 2016 beschriebenen Unsicherheiten im Hinblick auf die Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens abzuhelpfen.

Der pharmazeutische Unternehmer hat dem G-BA dargelegt, dass derzeit aufgrund verzögerter Teilnehmerrekrutierung und Einschluss in das Register in sehr begrenztem Umfang Langzeitsicherheitsdaten und Wirksamkeitsdaten, vor allem für die in Deutschland mit Sebelipase alfa behandelten Patienten, vorliegen. Teilnehmerrekrutierung und Einschluss in die o.g. von der EMA beauftragte Studie LAL-CL08 sind ebenfalls verzögert, wobei keine vergleichenden Daten erhoben werden.

Vor diesem Hintergrund und um eine Einbeziehung aussagekräftiger Daten aus dem durch die EMA beauftragten Register, mit zusätzlicher Beauftragung durch den G-BA hinsichtlich der Erfassung der Daten für die in Deutschland mit Sebelipase alfa behandelten Patienten, zum Fristablauf zu ermöglichen, wird eine Verlängerung der Frist als sinnvoll erachtet und die ursprünglich bis zum 01. Dezember 2018 befristete Geltungsdauer des Beschlusses bis zum 01. Dezember 2020 verlängert.

Die der Befristung zugrundeliegenden Fragestellungen hinsichtlich der Bewertung des Zusatznutzens bleiben hiervon unberührt.

Gemäß § 3 Nr. 7 AM-NutzenV i.V.m. 5. Kapitel § 1 Abs. 2 Nr. 6 VerfO beginnt das Verfahren der Nutzenbewertung für den Wirkstoff Sebelipase alfa erneut, wenn die Frist abgelaufen ist. Hierzu hat der pharmazeutische Unternehmer spätestens am Tag des Fristablaufs beim G-BA ein Dossier für Sebelipase alfa einzureichen (§ 4 Abs. 3 Nr. 5 AM-NutzenV i.V.m. 5. Kapitel § 8 Nr. 5 VerfO).

Die Möglichkeit, dass eine Nutzenbewertung für Sebelipase alfa aus anderen Gründen (vgl. 5. Kapitel § 1 Abs. 2 Nr. 2 bis 4 VerfO) zu einem früheren Zeitpunkt durchgeführt werden kann, bleibt hiervon unberührt.

### **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 Sachverhalt wurde im Unterausschuss Arzneimittel beraten und ein Änderungsbeschluss konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 1. November 2018 die Änderung der Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses vom 17. März 2016 beschlossen.

Berlin, den 1. November 2018

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken