

# Tragende Gründe



**Gemeinsamer  
Bundesausschuss**

## **zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über die vorläufige Einstellung der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V von Ivacaftor**

Vom 22. März 2019

### **Inhalt**

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

## 2. Eckpunkte der Entscheidung

Ivacaftor (Kalydeco®) 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.

Überschreitet der Umsatz eines Orphan drug-Arzneimittels einschließlich Umsatzsteuer in den letzten 12 Kalendermonaten einen Betrag von 50 Millionen Euro und koinzidiert dieses Ereignis mit einem anhängigen Nutzenbewertungsverfahren zu diesem Arzneimittel nach § 35a Abs.1 Satz 10 SGB V i.V.m. 5.Kapitel § 12 Nr.1 VerfO, ist der G-BA berechtigt, dieses Verfahren einzustellen und den pharmazeutischen Unternehmer aufzufordern, ein Dossier für die Einleitung eines Nutzenbewertungsverfahrens nach § 35a Abs.1 Satz 11 SGB V i.V.m. 5.Kapitel § 12 Nr.2 VerfO mit vollständigen Nachweisen nach Maßgabe des § 35a Abs.1 Satz 3 SGB V vorzulegen. Die Berechtigung zur Einstellung anhängiger Nutzenbewertungsverfahren nach § 35a Abs.1 Satz 10 SGB V i.V.m. 5.Kapitel § 12 Nr.1 VerfO hat seinen Grund darin, dass das Erreichen der Umsatzgrenze von 50 Millionen Euro einen gesetzlich zwingenden Geltungsbeendigungsgrund für das Fortbestehen der in § 35a Abs.1 Satz 10 SGB V geregelten verfahrensrechtlichen Beweiserleichterung zum Nachweis eines Zusatznutzens darstellt. Denn die Geltungswirkung der verfahrensrechtlichen Beweiserleichterung zum Nachweis eines Zusatznutzens für Orphan Drugs ist nach dem Wortlaut der Regelung in § 35a Abs.1 Satz 11 SGB V auflösend bedingt durch das Erreichen eines Umsatzes in Höhe von 50 Millionen € mit dem Arzneimittel als Ganzes („Übersteigt der Umsatz des Arzneimittels...“). Schließlich ist zu berücksichtigen, dass im Falle einer Fortsetzung des anhängigen Nutzenbewertungsverfahrens spätestens im Zeitpunkt einer das Verfahren abschließenden Beschlussfassung ein rechtswirksamer Beschluss nach § 35a Abs.3

SGB V zum Ausmaß des Zusatznutzens von Ivacaftor nach § 35a Abs.1 Satz 10 SGB V i.V.m. 5.Kapitel § 12 Nr.1 VerfO nicht mehr gefasst werden könnte, da durch das Erreichen der 50 Millionen-Euro-Umsatzgrenze die tatbestandlichen Voraussetzungen dieser Ermächtigungsgrundlage nicht mehr erfüllt sind. Zusammengenommen ist der G-BA daher berechtigt, das anhängige Nutzenbewertungsverfahren zu Ivacaftor (Kalydeco®) mit den beiden Anwendungsgebieten „im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Tezacaftor/Ivacaftor zur Behandlung von Patienten mit zystischer Fibrose ab 12 Jahren, die homozygot für die F508del-Mutation sind oder heterozygot für die F508del- Mutation und eine der folgenden Mutationen im CFTR-Gen aufweisen: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3AG, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5GA, 3272-26AG und 3849+10kbCT“ zum Zeitpunkt des Erreichens der Umsatzgrenze in Höhe von 50 Millionen € einzustellen und eine Nutzenbewertung in diesen Indikationen in das neu einzuleitende Nutzenbewertungsverfahren nach § 35a Abs.1 Satz 11 SGB V i.V.m. 5.Kapitel § 12 Nr.2 VerfO einzubeziehen.

### **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 Unterausschuss Arzneimittel hat sich in seiner Sitzung am 12. März 2019 über das Vorgehen beraten.

Berlin, den 22. März 2019

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken