

Tragende Gründe



Gemeinsamer
Bundesausschuss

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

Vom 16. Mai 2019

Inhalt

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

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 21. Dezember 2017 hat der G-BA über die Nutzenbewertung von Nusinersen gemäß § 35a SGB V beschlossen. Die Geltungsdauer dieses Beschlusses wurde bis zum 1. Januar 2020 befristet.

Gemäß den Tragenden Gründen zu diesem Beschluss fand die Befristung ihren Grund darin, dass weitere Daten zu patientenrelevanten Endpunkten für Patienten mit 5q-SMA, insbesondere zu den später einsetzenden Formen der 5q-SMA sowie hinsichtlich der Langzeitanwendung von Nusinersen, zur Bewertung des Zusatznutzens als erforderlich angesehen werden. Seitens der EMA werden verschiedene Daten erwartet: Im April 2019 aus der Phase-II-Studie EMBRACE hinsichtlich der Sicherheit, Wirksamkeit und Pharmakokinetik von Nusinersen; Sicherheitsdaten aus prospektiven Registereinträgen zu bislang nicht untersuchten Patienten (z.B. Typ 0 und Typ 4 SMA, Erwachsene); Ergebnisse der offenen Phase-II Studie NURTURE zur Beurteilung der Langzeitwirksamkeit und -sicherheit von Nusinersen bei präsymptomatischen Patienten sowie Ergebnisse der offenen Extensionsstudie SHINE im Jahr 2023.

Der pharmazeutische Unternehmer hat den G-BA darüber informiert, dass die Ergebnisse der abgeschlossenen Studie EMBRACE aufgrund der geringen Patientenzahl bei hoher Heterogenität der Patienten keine Aussagen zulassen, die über die Aussagen im Beschluss

zu Nusinersen vom 21. Dezember 2017 hinausgehen. Ergebnisse zur Langzeitsicherheit und -wirksamkeit von Nusinersen werden bei diesen Patienten erst nach weiterer Beobachtung in der Studie SHINE vorliegen. Gleichfalls liegen zum Zeitpunkt des Fristablaufes nur Interimsdaten der Studien NURTURE und SHINE, mit insgesamt wenigen Daten über eine mindestens 2-jährige Behandlungsdauer mit Nusinersen, vor. Finale Daten werden für beide Studien voraussichtlich im Jahr 2023 vorliegen. Darüber hinaus ist die Datenerhebung in dem kürzlich gestarteten prospektiven Register für Patienten mit SMA (SMARtCARE) erst seit Anfang 2019 möglich, so dass hier ebenfalls noch keine Langzeitdaten vorliegen.

Um eine Einbeziehung der Daten zur längerfristigen Wirksamkeit und Sicherheit in die Nutzenbewertung von Nusinersen nach Fristablauf zu ermöglichen, wird die ursprünglich bis zum 1. Januar 2020 befristete Geltungsdauer des Beschlusses verlängert. Hierfür wird eine Fristverlängerung bis zum 1. Juli 2024 als angemessen erachtet.

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

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

Die Möglichkeit, dass eine Nutzenbewertung zu Nusinersen aus anderen Gründen (vgl. 5. Kapitel § 1 Abs. 2 Nr. 2, 3, 5 und 6 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 16. Mai 2019 die Änderung der Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses beschlossen.

Berlin, den 16. Mai 2019

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken