

# 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 Ponatinib

Vom 17. Oktober 2019

### Inhalt

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

## 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 sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung 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**

In seiner Sitzung am 23. Januar 2014 hat der G-BA über die Nutzenbewertung von Ponatinib gemäß § 35a SGB V beschlossen. Die Geltungsdauer dieses Beschlusses wurde bis zum 1. Februar 2015 befristet. Die Geltungsdauer des Beschlusses wurde auf Antrag des pharmazeutischen Unternehmers mit Beschluss vom 22. Januar 2015 bis zum 1. Dezember 2017 verlängert. Eine weitere Verlängerung bis zum 1. Dezember 2019 erfolgte auf Antrag des pharmazeutischen Unternehmers mit Beschluss vom 18. Mai 2017.

Die ursprüngliche Befristung fand ihren Grund zum einen darin, dass die EMA gemäß Artikel 20 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 beauftragt wurde, die im Rahmen der Pharmakovigilanz zu Iclusig® gewonnenen Daten darauf hin zu überprüfen, welchen Einfluss sie auf die Bewertung des Nutzen-Risiko-Verhältnisses dieses Arzneimittels haben und ob sie eine Aufrechterhaltung, Einschränkung, Außerkraftsetzung oder Widerruf der Zulassung des Arzneimittels rechtfertigen. Zum anderen lagen zum Zeitpunkt der Erstbewertung keine Daten zu Wirksamkeits- und Sicherheitsendpunkten, sowie zur Mortalität, insbesondere bei Patienten mit T315I-Mutation vor.

Auch wenn das Verfahren zur Bewertung des Nutzen-Risiko-Verhältnisses auf der Grundlage der Pharmakovigilanzdaten bei der EMA abgeschlossen ist, wurden die entsprechenden Daten und Analysen im Rahmen der Nutzenbewertung bislang noch nicht vollständig bewertet.

Der vorliegende Beschluss über die erneute Verlängerung der Befristung basiert auf Antrag des pharmazeutischen Unternehmers, da Daten aus den zwei von der EMA als Auflage gemachten Studien AP24534-14-203 und AP24534-14-401 später als geplant vorliegen werden. Daten dieser Studien zur Transplantierbarkeit und Langzeitdaten bei der Behandlung mit Ponatinib als auch weitere Daten zu Wirksamkeits- und Sicherheitsendpunkten sowie zur Mortalität werden für die erneute Nutzenbewertung erwartet.

Diesbezüglich wird eine Verlängerung der Geltungsdauer des Beschlusses bis zum 1. Juni 2020 als angemessen erachtet.

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

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 Ponatinib 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 Ponatinib einzureichen (§ 4 Abs. 3 Nr. 5 AM-NutzenV i.V.m. 5. Kapitel § 8 Nr. 5 VerfO).

Die Möglichkeit, dass eine Nutzenbewertung zu Ponatinib 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 17. Oktober 2019 die Änderung der Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses beschlossen.

Berlin, den 17. Oktober 2019

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken