

# Tragende Gründe



Gemeinsamer  
Bundesausschuss

## zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens zur Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL): Abschnitt L (Klinische Studien) – §§ 37 und 39

Vom 12. November 2019

### Inhalt

|    |                                 |   |
|----|---------------------------------|---|
| 1. | Rechtsgrundlage .....           | 2 |
| 2. | Eckpunkte der Entscheidung..... | 2 |
| 3. | Verfahrensablauf .....          | 6 |

## **1. Rechtsgrundlage**

Nach § 35c Absatz 2 SGB V haben Versicherte außerhalb des Anwendungsbereichs des § 35c Absatz 1 SGB V Anspruch auf Versorgung mit zugelassenen Arzneimitteln in klinischen Studien, sofern hierdurch eine therapierelevante Verbesserung der Behandlung einer schwerwiegenden Erkrankung im Vergleich zu bestehenden Behandlungsmöglichkeiten zu erwarten ist, damit verbundene Mehrkosten in einem angemessenen Verhältnis zum erwarteten medizinischen Zusatznutzen stehen, die Behandlung durch einen Arzt erfolgt, der an der vertragsärztlichen Versorgung oder an der ambulanten Versorgung nach den §§ 116b und 117 SGB V teilnimmt und der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) der Arzneimittelverordnung nicht innerhalb von acht Wochen widerspricht. Das Nähere, auch zu den Nachweisen und Informationspflichten, regelt der Gemeinsame Bundesausschuss in den Richtlinien nach § 92 Absatz 1 Satz 2 Nummer 6 SGB V.

## **2. Eckpunkte der Entscheidung**

### **a) Aktualisierung zur Form des Antragserfordernisses**

Durch die Aktualisierung in § 37 Absatz 1 Satz 2 bis 5 Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) wird das Verfahren der Antragseinreichung an die aktuellen Gegebenheiten angepasst. Anträge können nunmehr auch auf elektronischem Weg unter Verwendung einer qualifizierten elektronischen Signatur im Sinne des Artikels 3 Nummer 12 der Verordnung (EU) Nr. 910/2014 eingereicht werden. Die zur Begründung erforderlichen Unterlagen sind elektronisch zu übermitteln.

### **b) Ergänzung und Anpassung des Verfahrens**

Im Übrigen erfolgt mit dem vorliegenden Beschluss zur Änderung der Arzneimittel-Richtlinie eine Ergänzung und Anpassung des Verfahrensablaufs beim Gemeinsamen Bundesausschuss in Bezug auf die Bescheidung und Veröffentlichung der Entscheidung über die Anträge zum zulassungsüberschreitenden Einsatz von Arzneimitteln zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung im Rahmen einer klinischen Studie nach § 35c Absatz 2 SGB V (dazu (1)) sowie hinsichtlich der Nachweis- und Informationspflichten des Sponsors als Antragsteller (dazu (2)). Hierdurch wird das Verfahren den bestehenden Anforderungen in der Versorgungspraxis im Hinblick auf datenschutzrechtliche Belange und Informationsbedürfnisse gerecht.

#### **(1) Veröffentlichung der Entscheidungen**

Der Regelungsauftrag in § 35c Absatz 2 Satz 4 SGB V umfasst das Nähere zur Ausgestaltung des Antragsverfahrens, um dem mit dem GKV-Wettbewerbsstärkungsgesetz verfolgten gesetzgeberischen Ziel, die Versorgung von Patientinnen und Patienten in den Fällen zu verbessern, in denen für bestimmte Patientengruppen sowie Krankheitsbilder die Versorgung mit zugelassenen Arzneimitteln in deren zugelassenem Anwendungsbereich allein keine ausreichende Versorgung sicherstellt und für die deshalb eine rationale Therapie im Rahmen von klinischen Prüfungen entwickelt wird, nachzukommen (vgl. BT Drs. 16/4247, S. 32). Die bisherige Veröffentlichungspraxis in Form einer sog. Widerspruchslösung trägt weder den aktuellen datenschutzrechtlichen Anforderungen noch dem gesetzgeberischen Ziel des § 35c Absatz 2 SGB V hinreichend Rechnung. Danach haben Versicherte Anspruch auf Versorgung mit zugelassenen Arzneimitteln in klinischen Studien, sofern hierdurch eine therapierelevante Verbesserung der Behandlung einer schwerwiegenden Erkrankung im Vergleich zu bestehenden Behandlungsmöglichkeiten zu erwarten ist, damit verbundene Mehrkosten in einem angemessenen Verhältnis zum erwarteten medizinischen Zusatznutzen stehen, die Behandlung durch einen Arzt erfolgt, der an der vertragsärztlichen Versorgung oder an der ambulanten Versorgung nach den §§ 116b und 117 SGB V teilnimmt und der Gemeinsame Bundesausschuss der Arzneimittelverordnung nicht innerhalb von acht Wochen widerspricht.

Soweit der Gemeinsame Bundesausschuss der Arzneimittelverordnung nicht widerspricht, besteht daher ein berechtigtes Informationsinteresse über die laufenden Studien, deren Arzneimittelverordnungen zu Lasten der Gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) erfolgen können.

Zur Ausgestaltung des Regelungsauftrags ist es sachgerecht, dass durch die Neufassung des § 39 Arzneimittel-Richtlinie die Entscheidungen des Gemeinsamen Bundesausschusses zukünftig durch normativen Beschluss als Bestandteil der Arzneimittel-Richtlinie nach § 92 Absatz 1 Satz 2 Nummer 6 SGB V umgesetzt werden. Die Entscheidung über einen Nicht-Widerspruch des Gemeinsamen Bundesausschusses ist als verbindliche Regelung zur Frage der Kostenerstattung des zulassungsüberschreitend eingesetzten Arzneimittels im Rahmen der klinischen Studie zu verstehen und bedingt damit unmittelbar den entsprechenden Versorgungsanspruch. Der Umsetzungsbeschluss dient insoweit und auch unter Berücksichtigung der besonderen Anforderungen aus § 94 Absatz 2 SGB V der Erhöhung der Transparenz und Nachvollziehbarkeit der Entscheidungen des Gemeinsamen Bundesausschusses für die Normadressaten, insbesondere für die potentiell an der klinischen Studie teilnehmenden Versicherten, Prüfzentren und Prüfer sowie betroffene Krankenkassen. Insoweit wird die Umsetzung auch dem mit dem GKV-Wettbewerbsstärkungsgesetz verbundenen Ziel gerecht, dass besonders auch potentielle Teilnehmer insoweit Kenntnis über die Möglichkeit der Erstattung im Rahmen der klinischen Studie erhalten, wodurch eine Studienteilnahme ermöglicht und denkbare Erkenntnislücken geschlossen werden können.

Der Gemeinsame Bundesausschuss wird daher im Anschluss an die Bescheidung eines Antragstellers (Sponsor) jeweils diejenigen Entscheidungen hinsichtlich der Anträge nach § 37 Absatz 1 Arzneimittel-Richtlinie durch Beschluss ohne weiteres umsetzen, denen er (ggf. unter Auflagen) nicht widerspricht. In der Folge werden die Beschlüsse des Gemeinsamen Bundesausschusses im Bundesanzeiger bekannt gemacht sowie auf den Internetseiten des Gemeinsamen Bundesausschusses veröffentlicht.

In den Umsetzungsbeschlüssen werden Antragsteller (Sponsor), Studienvorhaben einschließlich Prüfmedikation (Wirkstoff/e), Indikation, gegebenenfalls spezielle Patientengruppen, Prüfplancode und EudraCT-Nummer sowie etwaige Nebenbestimmungen abgebildet. Die Bewertung der Antragsunterlagen und gegebenenfalls Angaben zu nachgereichten Erklärungen und Unterlagen zur Vervollständigung der Antragsunterlagen können in den Tragenden Gründen zum Beschluss abgebildet werden. Um den datenschutzrechtlichen Anforderungen zu genügen, wird der Antragsteller durch die Ergänzung eines Satzes 6 in § 37 Absatz 1 der Arzneimittel-Richtlinie auf die Möglichkeit der Kennzeichnung von Betriebs- und Geschäftsgeheimnissen in den Antragsunterlagen hingewiesen, die einer Veröffentlichung nach § 39 Absatz 1 Arzneimittel-Richtlinie entgegenstehen.

Durch die Ergänzung in § 37 Absatz 5 Arzneimittel-Richtlinie werden Aktualisierungen, die sich aus genehmigungspflichtigen Änderungen des Prüfprotokolls ergeben auf den Unterausschuss Arzneimittel delegiert. Nach 1. Kapitel § 4 Absatz 2 Satz 2 der Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses (VerfO) können Entscheidungsbefugnisse auf Unterausschüsse übertragen werden, soweit dadurch der Kerngehalt von Richtlinien oder Entscheidungen nach § 136b Absatz 1 und § 136c oder § 136d SGB V nicht berührt wird. Durch die Aktualisierung der Beschlüsse im Hinblick auf Änderungen des Prüfprotokolls wird erreicht, dass die entsprechenden Informationen den Normadressaten zugänglich sind. Insoweit wird der Kerngehalt der Arzneimittel-Richtlinie nicht berührt, soweit sich keine wesentliche Änderung des Inhalts im Hinblick auf die Anerkennung der zulassungsüberschreitenden Anwendung des Arzneimittels in der klinischen Studie ergibt. Es handelt sich um einen Vollzugsakt, der dem Gemeinsamen Bundesausschuss grundsätzlich kein Entscheidungsermessen einräumt. Die Entscheidung des Gemeinsamen Bundesausschusses zum Nicht-Widerspruch bleibt unberührt. Unbenommen davon ist gemäß 1. Kapitel § 4 Absatz 2 Satz 3 Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses die Beschlussfassung durch das Plenum herbeizuführen, wenn bei der Beschlussfassung keine

Einstimmigkeit erreicht werden kann oder die benannten Patientenvertreterinnen und Patientenvertreter dies einheitlich über die Sprecherin oder den Sprecher beantragen.

Anträge, denen der Gemeinsame Bundesausschuss widerspricht, werden vor dem Hintergrund des im Verwaltungsverfahren bestehenden Vertrauensschutzes nicht umgesetzt. Es mangelt an einem Umsetzungsbedürfnis, denn bei negativer Bescheidung besteht weiterhin keine Verordnungsfähigkeit des betreffenden Arzneimittels.

Nach § 39 Absatz 1 Satz 2 der Arzneimittel-Richtlinie gilt entsprechendes in Konstellationen, in denen der Gemeinsame Bundesausschuss nicht fristgerecht entscheidet und der Nicht-Widerspruch somit nach § 35c Absatz 2 Satz 3, 2. Halbsatz SGB V als erteilt gilt. Um über die Tatsache der hierdurch herbeigeführten Verordnungsfähigkeit zu informieren, ist es sachgerecht, dass der Gemeinsame Bundesausschuss auf seinen Internetseiten über den Umstand des Fristablaufs informiert und wesentliche Eckdaten veröffentlicht. Es wird jedoch davon ausgegangen, dass der Gemeinsame Bundesausschuss die Anträge nach § 37 Absatz 1 der Arzneimittel-Richtlinie regelhaft entscheidet wird, sodass von einer vollständigen Abbildung in Anlage XIV der Arzneimittel-Richtlinie im Hinblick auf die nach § 35c Absatz 2 SGB V verordnungsfähigen Arzneimittel ausgegangen werden kann.

## (2) Ergänzungen der Regelungen in § 37 Absatz 2 Nr. 15, Absatz 4 Nr. 3 AM-RL

Neben den Änderungen zur Verbesserung der Transparenz besteht ein über die bisherigen Regelungen hinausgehendes Informationsbedürfnis der betroffenen Krankenkassen im Rahmen der Verwaltungspraxis. Nach der Gesetzesbegründung kann der Gemeinsame Bundesausschuss auch regeln, wie in den Fällen zu verfahren ist, in denen unter Bezugnahme auf die Studienergebnisse der vorgenannten Studien eine Zulassung bzw. Zulassungserweiterung erfolgt, um eine unzulässige finanzielle Belastung der gesetzlichen Krankenversicherung zu vermeiden (vgl. BT Drs. 16/4247, S. 33).

Die Ergänzung in § 37 Absatz 2 Nummer 15 Arzneimittel-Richtlinie verpflichtet den Sponsor als entscheidende Schnittstelle zwischen den beteiligten Akteuren daher zur Anzeige des Beginns der Arzneimittelverordnungen bei den jeweils betroffenen Krankenkassen. Durch die Ergänzung in § 37 Absatz 4 Nummer 3 Arzneimittel-Richtlinie ist zudem die Übermittlung einer Übersicht an den Gemeinsamen Bundesausschuss zu Dauer und Umfang der Arzneimittelverordnungen im Rahmen der klinischen Studie differenziert nach Krankenkassen vorgesehen.

Diese dem Sponsor zusätzlich auferlegten Pflichten sind dadurch gerechtfertigt, dass sie den betroffenen Krankenkassen als Träger der Kosten der in der klinischen Studie zulassungsübergreifend eingesetzten Arzneimittel im Falle einer Zulassungserweiterung eine Identifikation der im Rahmen einer klinischen Studie verordneten Off-Label-Therapie und damit eine Bezifferung der Ausgaben gegenüber dem pharmazeutischen Unternehmer nach § 35c Absatz 2 Satz 5 und 6 SGB V ermöglichen. Die zur Bezifferung erforderlichen Angaben zu Verordnungsdauer und -umfang können den betroffenen Krankenkassen auf entsprechende Anforderung zur Ermöglichung des Regresses gegenüber dem pharmazeutischen Unternehmer zur Verfügung gestellt werden. Damit ist dem datenschutzrechtlichen Grundsatz der Zweckbindung und Datensparsamkeit im erforderlichen Maß Rechnung getragen.

Im Hinblick auf die Anzeigeverpflichtung in § 37 Absatz 2 Nummer 15 Arzneimittel-Richtlinie ist der maßgebliche Zeitpunkt des tatsächlichen Beginns der Arzneimittelverordnungen für im Zeitpunkt des Inkrafttretens der Änderungen laufende klinische Studien bereits vorüber, sodass es vor dem Hintergrund des damit verfolgten Ziels angemessen erscheint, diese Anzeige erst für solche klinischen Studien zu fordern, in welchen erst nach dem Zeitpunkt des Inkrafttretens des Beschlusses mit den Arzneimittelverordnungen begonnen wird.

| Position A  | Position B  |
|---|---|
| <p>Die Übermittlung der vollständigen Übersicht zu den Arzneimittelverordnungen nach § 37 Absatz 4 Nummer 3 Arzneimittel-Richtlinie ist dagegen vor dem Hintergrund der Gesetzesbegründung auch im Hinblick auf im Zeitpunkt des Inkrafttretens der Änderungen bereits laufende klinische Studien erforderlich und auch sachgerecht. Bereits nach § 37 Absatz 2 Nummer 14 Arzneimittel-Richtlinie waren vergleichbare Aufstellungen zu übermitteln. Daneben folgt die Notwendigkeit der Übermittlung entsprechender Daten bereits aus § 35c Absatz 2 Satz 5 und 6 SGB V, sodass Antragsteller mit den hierzu notwendigen Vorkehrungen im Hinblick auf die erforderliche Übersicht zu Art und Menge der Verordnungen rechnen konnten und damit bei ihren Vorkehrungen berücksichtigen konnten.</p> | <p>Das Erfordernis einer Übermittlung der vollständigen Übersicht zu den Arzneimittelverordnungen nach § 37 Absatz 4 Nummer 3 Arzneimittel-Richtlinie kann dagegen vor dem Hintergrund der Gesetzesbegründung auch im Hinblick auf im Zeitpunkt des Inkrafttretens der Änderungen bereits laufende klinische Studien erforderlich und auch sachgerecht sein. Bereits nach § 37 Absatz 2 Nummer 14 Arzneimittel-Richtlinie waren vergleichbare Aufstellungen zu übermitteln. Daneben folgt die Notwendigkeit der Übermittlung entsprechender Daten bereits aus § 35c Absatz 2 Satz 5 und 6 SGB V, sodass Antragsteller mit den hierzu notwendigen Vorkehrungen im Hinblick auf die erforderliche Übersicht zu Art und Menge der Verordnungen rechnen konnten und damit bei ihren Vorkehrungen berücksichtigen konnten. Aus Gründen der Datensparsamkeit und des Aufwandes unter Berücksichtigung eines berechtigten Informationsinteresses der Krankenkassen ist eine Übersicht für bereits laufende Studien nur anlassbezogen in den Fällen des § 35c Absatz 2 Satz 5 und 6 SGB V zu übermitteln. Die Verpflichtung des Sponsors zur Beachtung der gesetzlichen Aufbewahrungsfrist für Patientendokumentationen für die Dauer von zehn Jahren nach Abschluss der Behandlung bleibt hiervon unbenommen (vgl. § 630f Absatz 3 BGB, § 10 Absatz 3 MBO-Ä). Der Gemeinsame Bundesausschuss geht insoweit davon aus, dass der Sponsor seiner Verpflichtung zur Aufbewahrung nachkommt, ableitbare Verordnungsdaten generiert werden können und dadurch die Übermittlung einer Übersicht realisiert werden kann.</p> |

### 3. Verfahrensablauf

Über die Änderung von Abschnitt L der Arzneimittel-Richtlinie wurde in der Sitzung einer Arbeitsgruppe beraten, die sich aus den von den Spitzenorganisationen der Leistungserbringer benannten Mitgliedern, den vom GKV-Spitzenverband benannten Mitgliedern sowie den Vertretern/Vertreterinnen der Patientenorganisationen zusammensetzt. Diese Arbeitsgruppe hat in ihren Sitzungen am 17. Juni 2019, 15. Juli 2019, 12. August 2019 und 14. Oktober 2019 über die Änderung von Abschnitt L der Arzneimittel-Richtlinie beraten.

Der Beschlussentwurf zur Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens wurde in der Sitzung des Unterausschusses Arzneimittel am 12. November 2019 konsentiert. Der Unterausschuss hat in der Sitzung am 12. November 2019 nach 1. Kapitel § 10 Absatz 1 der Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens einstimmig beschlossen.

#### Zeitlicher Beratungsverlauf

| Sitzung            | Datum  | Beratungsgegenstand  |
|--------------------|--|--|
| AG Nutzenbewertung | 17.06.2019<br>15.07.2019<br>12.08.2019<br>16.09.2019<br>14.10.2019 | Beratung über die Änderung von Abschnitt L der AM-RL i   |
| UA Arzneimittel    | 12.11.2019   | Konsentierung der Beschlussvorlage und Beschluss zur Einleitung des Stellungnahmeverfahrens zur Änderung der AM-RL |

Zum Zeitpunkt der Einleitung des Stellungnahmeverfahrens stellen die vorliegenden Tragenden Gründe den aktuellen Stand der Zusammenfassenden Dokumentation dar, welche den stellungnahmeberechtigten Organisationen zur Verfügung zu stellen sind (1. Kapitel § 10 Absatz 2 VerfO).

Als Frist zur Stellungnahme ist ein Zeitraum von 4 Wochen vorgesehen.

Eine Stellungnahme zur Richtlinienänderung ist durch Literatur (z. B. relevante Studien) zu begründen. Die zitierte Literatur ist obligat im Volltext inklusive einem standardisierten und vollständigen Literatur- bzw. Anlagenverzeichnis der Stellungnahme beizufügen. Nur Literatur, die im Volltext beigefügt ist, kann berücksichtigt werden.

Mit Abgabe einer Stellungnahme erklärt sich der Stellungnehmer einverstanden, dass diese in den Tragenden Gründen bzw. in der Zusammenfassenden Dokumentation wiedergegeben werden kann. Diese Dokumente werden jeweils mit Abschluss der Beratungen im Gemeinsamen Bundesausschuss erstellt und in der Regel der Öffentlichkeit via Internet zugänglich gemacht.

Gemäß § 92 Absatz 3a SGB V ist den Sachverständigen der medizinischen und pharmazeutischen Wissenschaft und Praxis sowie den für die Wahrnehmung der wirtschaftlichen Interessen gebildeten maßgeblichen Spitzenorganisationen der pharmazeutischen Unternehmer, den betroffenen pharmazeutischen Unternehmern, den Berufsvertretungen der Apotheker und den maßgeblichen Dachverbänden der Ärztesellschaften der besonderen Therapierichtungen auf Bundesebene Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben.

**Folgende Organisationen werden angeschrieben:**

| Organisation   | Straße                   | Ort                    |
|--|--------------------------|------------------------|
| Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI)                                 | Friedrichstr. 148        | 10117 Berlin           |
| Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa)                                   | Hausvogteiplatz 13       | 10117 Berlin           |
| Bundesverband der Arzneimittel-Importeure e. V. (BAI)                                    | EurimPark 8              | 83416 Saaldorf-Surheim |
| Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller e. V. (BAH)                                    | Friedrichstr. 134        | 10117 Berlin           |
| Biotechnologie-Industrie-Organisation Deutschland e. V. (BIO Deutschland e. V.)          | Am Weidendamm 1a         | 10117 Berlin           |
| Pro Generika e. V.   | Unter den Linden 32 - 34 | 10117 Berlin           |
| Arzneimittelkommission der Deutschen Ärzteschaft (AkdÄ)                                  | Herbert-Lewin-Platz 1    | 10623 Berlin           |
| Arzneimittelkommission der Deutschen Zahnärzteschaft (AK-Z)<br>c/o Bundeszahnärztekammer | Chausseestr. 13          | 10115 Berlin           |
| Bundesvereinigung Deutscher Apothekerverbände (ABDA)                                     | Unter den Linden 19-23   | 10117 Berlin           |
| Deutscher Zentralverein Homöopathischer Ärzte e. V.                                      | Axel-Springer-Str. 54b   | 10117 Berlin           |
| Gesellschaft Anthroposophischer Ärzte e. V.  | Herzog-Heinrich-Str. 18  | 80336 München          |
| Gesellschaft für Phytotherapie e. V.   | Postfach 10 08 88        | 18055 Rostock          |

Gemäß § 91 Absatz 5a SGB V wird zudem dem Bundesbeauftragten für den Datenschutz und die Informationsfreiheit Gelegenheit zur Stellungnahme gegeben, da im Rahmen der im Regelungskontext des § 35c Absatz 2 SGB V durchgeführten klinischen Studien eine Erhebung und Verarbeitung personenbezogener Daten zumindest nicht ausgeschlossen erscheint. Es wird davon ausgegangen, dass die Änderungen der Arzneimittel-Richtlinie keine über die bisherige Datenbetreffenheit hinausgehende Wirkung entfalten.

Darüber hinaus wird die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens im Bundesanzeiger bekanntgemacht.

Berlin, den 12. November 2019

Unterausschuss Arzneimittel des  
Gemeinsamen Bundesausschusses  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

in Vertretung Zahn