

Tragende Gründe



**Gemeinsamer
Bundesausschuss**

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL): Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V Ropeginterferon alfa-2b (Patientenzahlen)

Vom 16. Juli 2020

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Stellungnahmeverfahren nach § 92 Abs. 3a SGB V	3
4.	Bürokratiekosten	4
5.	Verfahrensablauf	4

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Nach § 35a Absatz 6 SGB V kann der G-BA ebenfalls eine Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 SGB V veranlassen für erstattungsfähige Arzneimittel mit einem Wirkstoff, der kein neuer Wirkstoff im Sinne des § 35a Absatz 1 SGB V ist, wenn für das Arzneimittel eine neue Zulassung mit neuem Unterlagenschutz erteilt wird. 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 folgende 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.

Nach 5. Kapitel § 20 Abs. 4 VerfO kann der Unterausschuss Arzneimittel bei Änderungsbedarf im Sinne einer sachlich-rechnerischen Richtigstellung hinsichtlich der Angaben nach 5. Kapitel § 20 Abs. 3 Nr. 2 (Anzahl der Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen) oder Nr. 4 (Therapiekosten) VerfO durch einvernehmlichen Beschluss die entsprechenden Änderungen vornehmen, soweit dadurch der Kerngehalt der Richtlinie nicht berührt wird.

2. Eckpunkte der Entscheidung

In seiner Sitzung am 5. März 2020 hat der G-BA über die Nutzenbewertung von Ropeginterferon alfa-2b gemäß § 35a SGB V beschlossen. Im Nachgang zu der Veröffentlichung des Beschlusses auf der Internetseite des G-BA ist der G-BA zu dem Ergebnis gelangt, dass Bedarf für eine Anpassung der Angaben zu den im Beschluss dargestellten Anzahl der Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen besteht.

In dem Beschluss wurden der Patientengruppe „b) Mit Hydroxyurea vorbehandelte erwachsene Patienten mit Polycythaemia vera ohne symptomatische Splenomegalie, die resistent oder intolerant gegenüber Hydroxyurea sind“ Patientenzahlen aus dem vorherigen Beschluss zu Ruxolitinib im Anwendungsgebiet Polycythaemia vera (15. Oktober 2015)

zugrunde gelegt. Bei den Angaben zur Anzahl der Patienten handelt es sich um die Zielpopulation in der Gesetzlichen Krankenversicherung (GKV).

Im Rahmen des Stellungnahmeverfahrens zu Ropeginterferon alfa-2b hatte der pharmazeutische Unternehmer in Bezug auf die innerhalb der Nutzenbewertung hervorgebrachte Kritik an der Nichtberücksichtigung des Anteils von Patienten, welche in der Erstlinie Hydroxyurea erhalten haben, eine Neuberechnung dargelegt und auf zwei Studien verwiesen. Es handelte sich hierbei um die Studien von Tefferi et al. 2013 sowie von Jentsch et al. 2016. Aus der Studie von Tefferi et al. 2013 hatte der pharmazeutische Unternehmer als Untergrenze einen Wert von 73 % entnommen für den Anteil an Patienten, welche mit Hydroxyurea vorbehandelt worden sind.

Es ist jedoch anzumerken, dass in diesem Anteil auch Patienten enthalten sind, welche eine andere zytoreduktive Therapie als mit Hydroxyurea erhalten haben. Betrachtet man in der Studie von Tefferi et al. 2013 ausschließlich die Patienten, die eine Therapie mit Hydroxyurea ± einer nicht leukämogenen Substanz oder mit Busulfan + Hydroxyurea erhalten hatten, gelangt man zu einem Anteil von 53 %, welcher nun in vorliegender Neuberechnung als Untergrenze herangezogen wird. Der in der Studie von Jentsch et al. 2016 zitierte Wert von 64,4 % wird hingegen als Obergrenze für den Anteil an Patienten, welche zuvor mit Hydroxyurea behandelt worden sind, verwendet.

Unter Berücksichtigung der weiteren im Dossier dargestellten Werte, d.h. einer Prävalenz der Polycythaemia vera von 5-30/100.000 Patienten, einer Spanne von 0% - 36% als Annäherung an den Anteil der Patienten mit symptomatischer Splenomegalie, einem Anteil von 24,1 % an Patienten mit Resistenz oder Intoleranz gegenüber Hydroxyurea sowie einem GKV-Anteil von 87 %, ergibt sich somit ein Wert von 300 – 3360 Patienten für die Patientengruppe b). Da Angaben zum Anteil der Patienten mit symptomatischer Splenomegalie im Dossier fehlen, wurde eine Spanne gebildet: In der Untergrenze wurden alle Patienten mit Splenomegalie (36%) abgezogen. Für die Obergrenze wurde angenommen, dass dieser Anteil vernachlässigbar klein ist und kein Patient abgezogen.

In Übereinstimmung zu Patientengruppe b) werden auch zur Neuberechnung der Patientengruppe a) „Nicht vorbehandelte oder mit Hydroxyurea vorbehandelte erwachsene Patienten mit Polycythaemia vera ohne symptomatische Splenomegalie, die nicht resistent oder intolerant gegenüber Hydroxyurea sind“ Anteilswerte der Studien Tefferi et al. 2013 und Jentsch et al. 2016 zugrunde gelegt. Unter Berücksichtigung des Anteilswertes von 73 % an Patienten mit zytoreduktiver Vorbehandlung und der oben genannten Spanne des Anteils an Patienten mit symptomatischer Splenomegalie und zur GKV-Versicherung lässt sich zum einen eine Anzahl von 624 – 5850 Patienten berechnen, welche bisher überhaupt keine zytoreduktive Behandlung erhalten haben. Für die Patienten, welche mit Hydroxyurea vorbehandelt worden sind und nicht resistent oder intolerant gegenüber diesem sind, werden unter Berücksichtigung der obengenannten Anteilswerte von 53 % – 64,4 % für eine Hydroxyurea Vorbehandlung und unter Abzug des Anteiles von 24,1 % an Patienten, welche resistent oder intolerant gegen Hydroxyurea sind, eine Anzahl von 933 – 10591 Patienten berechnet. Insgesamt ergibt sich unter Addition der Patienten, welche keine zytoreduktive Behandlung erhalten haben sowie der Patienten, welche mit Hydroxyurea behandelt worden sind, aber nicht resistent oder intolerant gegenüber diesem sind, somit für die Patientenpopulation a) eine ungefähre Anzahl von 1560 – 16440 Patienten. Vor dem Hintergrund dessen, dass die zugrundeliegenden Anteilswerte überwiegend einer einzelnen Studie entnommen sind (Tefferi et al. 2013), ergeben sich insgesamt Unsicherheiten.

3. Stellungnahmeverfahren nach § 92 Abs. 3a SGB V

Für die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie bedarf es nicht der Durchführung eines Stellungnahmeverfahrens nach § 92 Abs. 3a SGB V. Pharmazeutische Unternehmen werden durch die Berichtigung der Angaben zu den Patientenzahlen des Wirkstoffes Ropeginterferon

alfa-2b nicht beschwert. Die Änderung aus den unter 2. genannten Gründen ist rechtlich geboten.

4. 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.

5. Verfahrensablauf

Nach der Beschlussfassung ist die Notwendigkeit der Anpassung im Beschluss hinsichtlich der Patientenzahlen im Beschluss vom 5. März 2020 über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie Anlage XII - Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Ropeginterferon alfa-2b aufgefallen.

Der Sachverhalt wurde in der Arbeitsgruppe AG § 35a und im Unterausschuss Arzneimittel beraten.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 16. Juli 2020 die Änderung der AM-RL hinsichtlich einer Anpassung der Angabe der Patientenzahlen im Beschluss vom 5. März 2020 einvernehmlich beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG § 35a	19. Mai 2020 4. Juni 2020 17. Juni 2020	Beratung über den Sachverhalt
Unterausschuss Arzneimittel	7. Juli 2020	Beratung über einen Änderungsbeschluss hinsichtlich der Angabe der Patientenzahlen des Beschlusses vom 5. März 2020
Plenum	16. Juli 2020	Beschlussfassung über einen Änderungsbeschluss hinsichtlich der Angabe der Patientenzahlen des Beschlusses vom 5. März 2020

Berlin, den 16. Juli 2020

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken