

Tragende Gründe



Gemeinsamer
Bundesausschuss

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Verfahrensordnung (VerfO): Änderung des 5. Kapitels - Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V

Vom 16. Juli 2020

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
2.1	Zu den Änderungen der Verfahrensordnung.....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung	14
4.	Verfahrensablauf	15

1. Rechtsgrundlage

Der Gemeinsame Bundesausschuss hat gemäß § 91 Absatz 4 Satz 1 Nr. 1 SGB V eine Verfahrensordnung zu beschließen, in der er insbesondere methodische Anforderungen an die wissenschaftliche sektorenübergreifende Bewertung des Nutzens, der Notwendigkeit und der Wirtschaftlichkeit von Maßnahmen als Grundlage für Beschlüsse sowie die Anforderungen an den Nachweis der fachlichen Unabhängigkeit von Sachverständigen und anzuhörenden Stellen, die Art und Weise der Anhörung und deren Auswertung regelt. Die Verfahrensordnung bedarf gemäß § 91 Absatz 4 Satz 2 SGB V der Genehmigung des Bundesministeriums für Gesundheit. Mit Beschluss vom 20. Januar 2011 hat der G-BA ein 5. Kapitel in die Verfahrensordnung (VerfO) eingefügt, in dem das Nähere zum Verfahren über die Bewertung des Zusatznutzens von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35 a SGB V geregelt ist.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Mit dem vorliegenden Beschluss werden Anpassungen des 5. Kapitels vorgenommen, die aus Anlass von Änderungen im SGB V sowie der Arzneimittelnutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) durch das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) vom 9. August 2019 (BGBl. I. S.1202) sowie dem Gesetz für einen fairen Kassenwettbewerb in der gesetzlichen Krankenversicherung (Fairer-Kassenwettbewerb-Gesetz – GKV-FKG) vom 22. März 2020 erforderlich geworden sind.

2.1 Zu den Änderungen der Verfahrensordnung

Zu I.

Diese Regelung setzt eine durch Artikel 12 Nr. 2c GSAV vorgenommene Änderung in § 35a SGB V um. Die Änderung sieht vor, dass eine Beratung zu anwendungsbegleitenden Datenerhebungen unter Beteiligung des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte oder des Paul-Ehrlich-Instituts stattfinden soll.

Zu II.

Mit der Forderung von Auswertungen einer Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V wird eine Aufbereitung der Daten zum Zweck einer erneuten Bewertung des Zusatznutzens eines Arzneimittels verlangt. Nummer 8 regelt, zu welchen Zeitpunkten das Nutzenbewertungsverfahren beginnt. Der Zeitpunkt für den Beginn einer erneuten Nutzenbewertung bestimmt sich nach den hierzu in dem Beschluss über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung getroffenen Regelungen, soweit der G-BA nicht etwas anderes beschließt.

Zu III.

Die Regelung setzt eine durch Artikel 12 Nr. 2a GSAV vorgenommene Änderung in § 35a Absatz 1 Satz 11, Halbsatz 2 SGB V um. Durch die Gesetzesänderung wird die für Arzneimittel für seltene Leiden vorgesehene Privilegierung, wonach für diese Arzneimittel im Nutzenbewertungsverfahren keine Nachweise zum medizinischen Nutzen und Zusatznutzen (§ 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 SGB V) vorgelegt werden müssen, unter den

Vorbehalt eines Beschlusses nach § 35a Absatz 3b SGB V gestellt. Mit der Änderung von § 12 Nummer 1 VerFO wird diese Gesetzesänderung auf Ebene der Verfahrensordnung nachvollzogen.

Zu IV.

Mit Inkrafttreten des GSAV wurde ein neuer Absatz 3b in § 35a SGB V eingefügt. Hierdurch wird die Befugnis des G-BA begründet, nach seinem pflichtgemäßen Ermessen den pharmazeutischen Unternehmer zur Vorlage anwendungsbegleitender Datenerhebungen und Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung für die in Absatz 3b Satz 1 Nummer 1 und 2 enumerativ genannten Arzneimittel zu verpflichten. Darüber hinaus ermächtigt Absatz 3b Satz 2 den G-BA, die Befugnis zur Versorgung der Versicherten mit einem Arzneimittel, für das eine anwendungsbegleitende Datenerhebung gefordert wird, auf solche Leistungserbringer zu beschränken, die an der anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken. Mit dem GKV-FKG wurde § 35a Absatz 3b SGB V u.a. dahingehend geändert, dass der G-BA den Beschluss nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V frühestens mit Wirkung zum Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens der Arzneimittel nach Satz 1 Nummer 1 und 2 fassen kann.

Zur Umsetzung des Gesetzesauftrags in § 35a Absatz 3b Satz 9 SGB V wird dem 5. Kapitel ein neuer Abschnitt 4 angefügt. Dieser Abschnitt regelt das Nähere zum Verfahren der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V sowie zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V.

Zu den Regelungen im Einzelnen:

§ 49 Geltungsbereich und Begriffsbestimmung

Die Befugnis zur Forderung von anwendungsbegleitenden Datenerhebungen und von Auswertungen bezieht sich auf die in § 35a Absatz 3b Satz 1 Nummer 1 und 2 SGB V abschließend aufgeführten Arzneimittel.

Nach § 49 Absatz 2 Nummer 1 handelt es sich hierbei um Arzneimittel mit einer bedingten Genehmigung für das Inverkehrbringen (Artikel 14 Absatz 7 der Verordnung (EG) Nummer 726/2004) oder um Arzneimittel, für die eine Zulassung unter außergewöhnlichen Umständen erteilt worden ist (Artikel 14a der Verordnung (EG) Nummer 726/2004) sowie nach § 49 Absatz 2 Nummer 1 um Arzneimittel, die zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 zugelassen sind.

Diesen Genehmigungen bzw. Zulassungen für das Inverkehrbringen eines Arzneimittels ist gemein, dass im Zeitpunkt der Entscheidung der Zulassungsbehörde in der Regel noch keine vollständigen klinischen Daten zur Beurteilung von Wirksamkeit und /oder Sicherheit des betreffenden Arzneimittels vorliegen. Die Erteilung der Zulassung bzw. Genehmigung wird in der Regel von der Zulassungsbehörde mit Auflagen oder Bedingungen für den pharmazeutischen Unternehmer verbunden, mit denen der pharmazeutische Unternehmer zur weiteren Datengenerierung verpflichtet wird. Der Zulassungs- bzw. Genehmigungsinhaber muss beispielsweise bestimmte Studien einleiten oder abschließen, um nachzuweisen, dass

das Nutzen-Risiko-Verhältnis positiv ist, und um offene Fragen zu Qualität, Unbedenklichkeit und Wirksamkeit des Arzneimittels zu beantworten (BT-Drucks. 19/8753, Seite 60).

Es gelangen somit kraft europäischer Genehmigungs- bzw. Zulassungsentscheidung Arzneimittel in die nationale Versorgung zu Lasten der Gesetzlichen Krankenversicherung, bei denen aufgrund limitierter Evidenzlage noch Wissenslücken bestehen (AxeR, Anwendungsbegleitende Datenerhebung bei Arzneimitteln., Seite 2 [im Folgenden: AxeR, Anwendungsbegleitende Datenerhebung]) 1. Um diese Arzneimittel Patientinnen und Patienten in der gesetzlichen Krankenversicherung zügig zur Verfügung stellen zu können und gleichzeitig eine bessere Datenbasis zur Bewertung des Zusatznutzens zu erhalten, kann der G-BA verlangen, dass anwendungsbegleitende Datenerhebungen und/oder Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung durchgeführt werden (BT-Drucks. 19/8753, Seite 60). Der G-BA wird insoweit ermächtigt, in diesen Fällen bei noch ausstehenden Daten frühestens zum Zeitpunkt der Nutzenbewertung eine anwendungsbegleitende Datenerhebung zu beschließen. Adressat dieser Verpflichtung ist der pharmazeutische Unternehmer, der die anwendungsbegleitenden Datenerhebungen und Auswertungen entweder selbst durchführt oder durch Dritte auf seine Kosten durchführen lassen muss.

§ 50 Zweckbestimmung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und zugehöriger Auswertungen

Zu Absatz 1

Die anwendungsbegleitende Datenerhebung soll zum Zweck der Nutzenbewertung durchgeführt werden. Gegenstand der Fragestellung der Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 SGB V ist die Bewertung des Zusatznutzens eines Arzneimittels gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie. Für die Bewertung dieser Fragestellung soll mit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung bei den in § 49 genannten Arzneimitteln eine bessere Datenbasis geschaffen werden, insbesondere um „eine valide Quantifizierung des Zusatznutzens zu erreichen“ (BT-Drucks. 19/8753, Seite 60). Diese Zwecksetzung aufgreifend bestimmt § 50, dass eine anwendungsbegleitende Datenerhebung sowie zugehörige Auswertungen dazu dienen, die Entscheidungsgrundlagen für die Bewertung des Zusatznutzens eines Arzneimittels nach § 35a SGB V durch die Erhebung von Daten aus der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit dem Arzneimittel, auch im Vergleich zur Versorgung mit anderen Arzneimitteln oder Behandlungsmöglichkeiten, zu verbessern.

Zu Absatz 2

Mit der Forderung von Auswertungen einer Datenerhebung wird eine Aufbereitung der Daten gemäß den wissenschaftlichen Standards zum Zweck der Bewertung des Zusatznutzens eines Arzneimittels verlangt. Diesbezüglich besteht kein prinzipieller Unterschied zwischen der Auswertung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und der Auswertung anderer Datenerhebungen, die Gegenstand der Nutzenbewertung nach § 35a Abs. 1 SGB V sind.

In den Regelungen wird konkretisiert, dass für die Auswertungen die Dossier-Vorlage verwendet werden soll, die auch in den weiteren Nutzenbewertungsverfahren nach § 35a SGB V für den Nachweis des Zusatznutzens durch den pharmazeutischen Unternehmer verwendet wird. Somit sollen die Daten aus der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und zugehörige Auswertungen nach Maßgabe der in der Dossier-Vorlage festgelegten Anforderungen aufbereitet und vorgelegt werden.

Zum jetzigen Zeitpunkt enthält die Dossier-Vorlage keinen spezifischen Abschnitt für konkret eine anwendungsbegleitende Datenerhebung gemäß § 35a Absatz 3b SGB V. Allerdings sind im Modul 4 der Dossier-Vorlage die Abschnitte für „Nicht randomisierte vergleichende Studien“ sowie „Weitere Untersuchungen“ hierfür prinzipiell geeignet und bieten die Vorlage für die erforderliche strukturierte Aufarbeitung der Informationen. Der G-BA behält sich vor, eine Anpassung bei dem Format für die Auswertungen von anwendungsbegleitenden Datenerhebungen vorzunehmen, sofern sich aus den zukünftigen Erfahrungen ein entsprechender Bedarf ableiten lässt.

Ferner wird in den Regelungen klargestellt, dass die Auswertung auch eine Zwischenanalyse der Datenerhebung sein kann.

Zudem wird konkretisiert, dass Daten aus Datenerhebungen, die sich aus Auflagen oder sonstigen Nebenbestimmungen der Zulassungs- oder Genehmigungsbehörden oder aus anderweitigen Datenerhebungen ergeben, zum Beispiel aus bereits laufenden Datenerhebungen eines vorhandenen Indikationsregisters, Gegenstand von Auswertungen nach diesem Beschluss sein können.

Diesbezüglich in Betracht kommende Daten müssen in Zusammenhang mit der vom G-BA geforderten Datenerhebung stehen bzw. denen im Beschluss des G-BA festgelegten Anforderungen an die Datenerhebung auf der Grundlage des Konzepts entsprechen. Hiermit wird klargestellt, dass die Forderung von Auswertungen nicht für sich alleine, sondern immer im Zusammenhang mit der korrespondierenden Forderung einer Datenerhebung steht. Falls zum Beispiel eine laufende Datenerhebung aus einem Indikationsregister in Betracht kommt, obliegt es zunächst dem pharmazeutischen Unternehmer zu prüfen, inwieweit diese den Anforderungen an die Datenerhebung gemäß dem Beschluss des G-BA entspricht.

§ 51 Grundzüge des Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen

§ 51 beschreibt die Grundzüge des Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen. Danach gliedert sich das Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen in die Beurteilung der Erforderlichkeit einer Datenerhebung zum Zweck der Nutzenbewertung, in einem auf diese Beurteilung gründenden Beschluss des Plenums zur Einleitung des Verfahrens, der Vorbereitung eines Konzepts für die Anforderungen an eine anwendungsbegleitende Datenerhebung unter Beteiligung sachverständiger Stellen nach § 35a Absatz 3b Sätze 7 und 8 SGB V, sowie dem Beschluss des Plenums über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung.

§ 52 Beteiligung der Stellen nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V

Mit der Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 35a Absatz 3b Sätze 7 und 8 SGB V vor einer Beschlussfassung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V hat der Gesetzgeber ein spezielles Verfahren zur Aktivierung und Einbeziehung sachverständiger Expertise eingerichtet, um sicherzustellen, dass der für die Beurteilung der Erforderlichkeit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und für die Erstellung von Anforderungen an die Datengenerierung mit Blick auf die Nutzenbewertung erforderliche Sachverstand der medizinisch-pharmakologischen Wissenschaft angemessen berücksichtigt wird. Aufgrund

seiner Spezialität verdrängt das Beteiligungsverfahren das Stellungnahmeverfahren nach § 92 Absatz 3a SGB V, auch wenn der Beschluss nach § 35a Absatz 3 Satz 1 SGB V Bestandteil der Arzneimittel-Richtlinie wird. Dem entspricht, dass § 35a Absatz 3b Satz 7 SGB V in seinem Verweis auf die entsprechende Geltung von Verfahrensvorschriften zur Beschlussfassung nach § 35a Absatz 3 SGB V die Regelungen zum Stellungnahmeverfahren in Absatz 3 Satz 2 nicht in Bezug nimmt.

Aufgrund der unterschiedlichen Vorgaben zur Beteiligung der Stellen nach § 35a Absatz 3b Sätze 7 und 8 SGB V ist zwischen der Beteiligung der Bundesoberbehörden nach § 35a Absatz 3b Satz 7 SGB V einerseits und der Arbeitsgemeinschaft der wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften (AWMF), die Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft sowie dem betroffenen pharmazeutischen Unternehmer nach § 35a Absatz 3b Satz 8 SGB V andererseits zu differenzieren.

Zu Absatz 1

Der Sinn und Zweck der Beteiligung der Bundesoberbehörden an dem Verfahren besteht darin, dass der G-BA im Wege eines fachlichen Austauschs mit dem Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte und dem Paul-Ehrlich-Institut Informationen aus dem Zulassungsverfahren über Evidenzlücken erhält, die für die Beurteilung der Erforderlichkeit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen im Hinblick auf eine Nutzenbewertung relevant sein können. Der Zugang zu solchen Informationen ist insbesondere dann unerlässlich, wenn der G-BA erwägt, einen Beschluss über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen mit Wirkung zum Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens des Arzneimittels zu fassen. Da in diesem Fall die Beratungen im G-BA zur Erforderlichkeit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung parallel zu einem laufenden Zulassungsverfahren stattfinden, ist es für eine zweckverwirklichende Umsetzung des Gesetzesauftrags unerlässlich, dass der G-BA im Rahmen der Beteiligung der Bundesoberbehörden von diesen auf Verlangen Auskunft zu Information und Einsicht in Unterlagen aus dem Zulassungsverfahren erhält, die relevante Hinweise auf bestehende Evidenzlücken für die Nutzenbewertung des Arzneimittels enthalten. Die dem G-BA von den Bundesoberbehörden zur Verfügung gestellten Daten werden als hoch vertrauliche Unterlagen im Sinne der Vertraulichkeitsschutzordnung des G-BA eingestuft. Auf diese Weise wird sichergestellt, dass die Daten einem hohen Geheimhaltungs- und Vertraulichkeitsschutz unterliegen.

Ein frühzeitiger Fachaustausch mit den Bundesoberbehörden dient aber auch dazu abzuklären, ob und inwieweit von Zulassungsseite erwogen wird, etwa eine bedingte Zulassung mit Auflagen zur Datengenerierung zu versehen. Diese soll der G-BA bei seiner Entscheidung über eine anwendungsbegleitende Datenerhebung berücksichtigen. Insoweit dient ein frühzeitiger Fachaustausch auch dazu zu vermeiden, dass doppelt mit demselben Ziel Daten erhoben werden (vgl. Axer, Anwendungsbegleitende Datenerhebung, Seite 11).

Darüber hinaus werden die Bundesoberbehörden auch an der Konzepterstellung nach § 56 beteiligt (vgl. § 57).

Zu Absatz 2

Die Beteiligung von AWMF, AkdÄ sowie des betroffenen pharmazeutischen Unternehmers erfolgt im Rahmen der Konzepterstellung.

§ 53 Zuständigkeit für die Durchführung des Verfahrens

Zu Absatz 1

Mit § 53 Absatz 1 wird die Zuständigkeit für die Durchführung des Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Forderung dem Unterausschuss Arzneimittel übertragen. Er kann hierzu Arbeitsgruppen einrichten und diese mit vorbereitenden Arbeiten für einen Beschluss zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V und zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V beauftragen.

Zu Absatz 2

§ 53 Absatz 2 bestimmt die näheren Anforderungen an die zusammenfassende Dokumentation des Verfahrens zu Beschlussfassungen nach § 35a Absatz 3b Satz 1 und 2 SGB V. Die zusammenfassende Dokumentation enthält eine Beschreibung des Verfahrensablaufs, eine Dokumentation des Verfahrens zur Beurteilung der Erforderlichkeit der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen, eine Dokumentation des Verfahrens zur Erstellung eines Konzepts für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen sowie den Beschluss des Plenums über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen.

§ 54 Voraussetzung für die Durchführung des Verfahrens – Beurteilung der Erforderlichkeit der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V

Zu Absatz 1

Voraussetzung für die Einleitung und Durchführung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung ist, dass die Datenerhebung zum Zweck der Nutzenbewertung eines Arzneimittels als erforderlich anzusehen ist. Diese Entscheidung steht im Ermessen des G-BA.

Zu Absatz 2

Absatz 2 konkretisiert die bei der Ermessensentscheidung nach Absatz 1 zu berücksichtigenden Gesichtspunkte unter Berücksichtigung des Verhältnismäßigkeitsgrundsatzes. Demgemäß richtet sich das Ermessen daran aus, ob und inwieweit die vorhandenen klinischen Daten nicht ausreichen und ob und inwieweit eine weitere Datenerhebung und Auswertung für die Nutzenbewertung neue Erkenntnisse und Ergebnisse erbringen kann (AxeR, Anwendungsbegleitende Datenerhebung, Seite 8).

Angesichts dessen, dass die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen dem Zwecke der Nutzenbewertung dienen soll, erfolgt die Beurteilung der Erforderlichkeit am Maßstab von patientenrelevanten Endpunkten. Hierbei erfolgt jedoch keine Beurteilung von Behandlungseffekten, die der Nutzenbewertung vorbehalten bleibt, sondern eine Beurteilung der Aussagekraft von vorhandenen Daten zu patientenrelevanten Endpunkten auf Studienebene, unter Berücksichtigung der Patientenpopulation, der Intervention, des Vergleiches sowie der Beobachtungsdauer von patientenrelevanten

Endpunkten. Der diesbezüglich hervorgehobene Gesichtspunkt der Aussagekraft zu langfristigen Behandlungseffekten resultiert aus der Erkenntnis, dass die der Zulassung zugrundeliegende Datenlage, insbesondere bei bedingten Zulassungen sowie Zulassungen unter besonderen Umständen, oftmals nur limitierte oder gar keine Aussagen zu langfristigen Behandlungseffekten des Arzneimittels erlaubt. Hierbei können insbesondere langfristige Nebenwirkungen im Blickpunkt stehen, aber auch langfristige Nutzenendpunkte zur Mortalität, Morbidität und Lebensqualität.

Durch die Berücksichtigung der aktuellen Evidenzlage und Entwicklung zu dem betreffenden Arzneimittel soll zum einen eine doppelte Durchführung von Studien zu derselben oder hinreichend vergleichbaren Fragestellung vermieden werden. Zum anderen erfolgt eine Einschätzung dahingehend, welche Stufe der Evidenz mit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung erreichbar erscheint in Relation zu der erwartbaren höchstmöglichen Evidenzstufe in der konkreten Fallkonstellation. Diesbezüglich ist für die Feststellung der Erforderlichkeit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung maßgeblich, dass Evidenz aus klinischen Studien einer höheren Evidenzstufe, z.B. einer randomisierten, kontrollierten Studie, aus nachvollziehbaren Gründen nicht erwartet werden kann.

Des Weiteren werden die Kriterien der Realisierbarkeit und Angemessenheit einer Datenerhebung bei der Prüfung der Erforderlichkeit berücksichtigt. Hiermit sollen Faktoren und Rahmenbedingungen in Betracht gezogen werden, welche der Durchführung einer Datenerhebung sowie der Aussicht auf aussagekräftige Daten zum Zwecke der Nutzenbewertung grundsätzlich entgegenstehen könnten.

§ 55 Entscheidung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen

Nach Abschluss der Beratungen zur Erforderlichkeit einer Forderung nach § 54 legt der Unterausschuss dem Plenum einen Beschlussentwurf mit Tragenden Gründen zur Entscheidung vor. Das Plenum entscheidet über die Feststellung der Erforderlichkeit einer Forderung. Hält das Plenum die Forderung für erforderlich, beauftragt es den Unterausschuss mit der Vorbereitung eines Konzepts nach § 56 zu den Anforderungen an eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen für einen Beschluss nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V und der Durchführung des Beteiligungsverfahrens nach § 57. Die Vorbereitung eines Konzepts soll grundsätzlich einen Zeitraum von 6 Monaten nicht überschreiten. Da es sich bei der 6-Monatsfrist um eine „Sollens“-Vorgabe handelt, kann der Unterausschuss mit Begründung davon abweichen. Dies kann insbesondere dann der Fall sein, wenn die Komplexität der für die Vorbereitung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen zu klärenden Fragestellungen einen besonders hohen Arbeitsaufwand erfordert.

§ 56 Erstellung eines Konzepts für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen

Zu Absatz 1

Die Regelung adressiert die Umsetzung zu näheren Vorgaben an die Dauer, die Art und den Umfang der Datenerhebung und Auswertung, sowie zur Methodik, zu patientenrelevanten

Endpunkten und deren Erfassung. Es wird zunächst geregelt, dass diese Vorgaben Bestandteil des Konzepts sind.

Die Regelung konkretisiert, dass das Konzept die Fragestellung der Datenerhebung und von Auswertungen gemäß dem „PICO-Schema“ enthält. Bei dem PICO-Schema handelt es sich um eine allgemein anerkannte Formulierung von wissenschaftlich-klinischen Fragestellungen, die regelhaft auch für die Nutzenbewertung nach § 35a SGB V herangezogen wird. Das PICO-Schema umfasst die Komponenten Population (P), Intervention (I), Vergleichstherapie; engl. Comparator (C) und Zielgröße bzw. Endpunkte; engl. Outcomes (O).

Ferner wird geregelt, dass Anforderungen an die Auswertung der Ergebnisse und Zwischenergebnisse der Datenerhebung bereits im Konzept festgelegt werden. Hiermit wird zum einen der Tatsache Rechnung getragen, dass, neben der Datenerhebung als solcher, die Auswertung der Ergebnisse ein wesentlicher Bestandteil der Forderung darstellt. Zum anderen enthält das Konzept Anforderungen an die Auswertung der Zwischenergebnisse dieser, aber auch anderer Datenerhebung, die der Überprüfung nach § 59 dienen.

Aufgrund der Neuheit des Instruments der anwendungsbegleitenden Datenerhebung in seiner Funktion zur Verbesserung der Datengrundlage für die Nutzenbewertung von Arzneimitteln hält es der G-BA für erforderlich, zunächst Erfahrungen aus der Anwendung dieses Instruments zu sammeln und auszuwerten, bevor in der Verfahrensordnung weitergehende Festlegungen zu bestimmten Anforderungen, zum Beispiel zu den in Betracht kommenden Arten einer Datenerhebung, getroffen werden. Dies entspricht dem Charakter des mit dem AMNOG geschaffenen Instruments der frühen Nutzenbewertung von Arzneimitteln als lernendem System. Welche Datenerhebungen in Betracht kommen, wird vom G-BA mit Blick auf die Zielsetzung der Maßnahme im konkreten Fall nach den Grundsätzen der Zweckmäßigkeit und Verhältnismäßigkeit entschieden (vgl. BT-Drucks. 19/8753, Seite 61)

Zu Absatz 2

Um eine Datenerhebung entsprechend ihrer Zweckbestimmung zielgerichtet auf eine Verbesserung der Evidenzgrundlage für eine Nutzenbewertung hin auszugestalten, kann es erforderlich sein, ein vergleichendes Studiendesign als Gegenstand der Datenerhebung festzulegen. Gegenstand der Studie ist dann der Vergleich des Arzneimittels nach § 35a SGB V im Vergleich zu einer zweckmäßigen Vergleichstherapie.

Auch für Arzneimittel nach § 49 Absatz 2 Nummer 2, die zur Behandlung eines seltenen Leiden zugelassen sind (Orphan drugs), kann eine vergleichende Untersuchung zum Gegenstand einer Datenerhebung gemacht werden. Dem steht nicht entgegen, dass nach § 35a Absatz 1 Satz 11, Halbsatz 2 SGB V bei diesen Arzneimitteln der Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt gilt und Nachweise zum Zusatznutzen nach § 35a Absatz 1 Satz 2 Nummer 2 und 3 SGB V nicht vorgelegt werden müssen. Denn mit der Einfügung der Formulierung „vorbehaltlich eines Beschlusses nach Absatz 3b“ in § 35a Absatz 1 Satz 11 Halbsatz 2 SGB V durch das GSAV wurde eine Rückausnahme von diesem Privilegierungstatbestand geschaffen. Mit anderen Worten bedeutet das: Wenn und soweit der G-BA nach § 35a Absatz 3b SGB V die Vorlage anwendungsbegleitender Datenerhebungen und Auswertungen fordert, ist der pharmazeutische Unternehmer verpflichtet, Nachweise zum Zusatznutzen eines Orphan drugs gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie vorzulegen. Die diesbezüglich erforderlichen Nachweise sollen dann mit der geforderten Datenerhebung erstellt werden.

Zu Absatz 3

Die Regelung trägt der Vorgabe in § 35a Absatz 3b Satz 5 SGB V Rechnung, wonach der G-BA bei der Forderung von anwendungsbegleitenden Datenerhebungen laufende und geplante Datenerhebungen zu dem Arzneimittel berücksichtigen soll, insbesondere solche, die sich aus Auflagen oder sonstigen Nebenbestimmungen der Zulassungs- oder Genehmigungsbehörden ergeben.

Zu Absatz 4

§ 35a Absatz 3b Satz 6 SGB V ermöglicht auch die Forderung von indikationsbezogenen Datenerhebungen ohne Randomisierung. Um möglichst aussagekräftige Daten zu generieren, kann es sinnvoll sein, nicht nur die Daten der Patienten zu erfassen, bei denen das Arzneimittel angewendet wird, sondern einen indikationsbezogenen Ansatz zu wählen. Dies kann auch die Verpflichtung zur Nutzung von Indikationsregistern beinhalten. Damit werden die Daten aller Patienten erfasst, die an der gleichen Erkrankung leiden – unabhängig davon, ob bei ihnen das Arzneimittel angewendet wird oder ob sie auf andere Weise versorgt werden. So ist eine vergleichende Bewertung der Therapiealternativen besser möglich als mit anderen Studiendesigns (vgl. BT-Drucks. 19/10681, Seite 85). Eine ausdrückliche Beschränkung auf nichtinterventionelle Prüfungen nach § 4 Absatz 23 AMG ist § 35a Absatz 3b Satz 6 SGB V jedoch nicht zu entnehmen, sodass auch (nichtrandomisierte) klinische Prüfungen nach § 4 Absatz 23 AMG von der Befugnis umfasst sind (vgl. von Dewitz, BeckOK Sozialrecht, § 35a Rn.37c).

Zu Absatz 5

Das Plenum entscheidet darüber, ob das Konzept von der Geschäftsstelle des G-BA oder vom IQWiG erstellt wird.

§ 57 Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 35a Absatz 3b Sätze 7 und 8 SGB V an der Konzepterstellung

§ 57 regelt das Nähere zu den nach § 35a Absatz 3b Sätze 7 und 8 SGB V vor einer Beschlussfassung über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen zu beteiligenden sachverständigen Stellen. Das Verfahren der Beteiligung dient dazu sicherzustellen, dass der für die Erstellung eines Konzepts für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung erforderliche Sachverstand der medizinisch-pharmakologischen Wissenschaft angemessen berücksichtigt wird.

Zu Absatz 1

Hierbei handelt es sich um das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte und das Paul-Ehrlich-Institut, die wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften, die Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft und den jeweils betroffenen pharmazeutischen Unternehmer.

Zu Absatz 2

Absatz 2 konkretisiert das Verfahren der Beteiligung. Danach erfolgt die Beteiligung in der Weise, dass den sachverständigen Stellen nach Absatz 1 schriftlich Gelegenheit gegeben wird, sich zu den Anforderungen an eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen gemäß dem nach § 56 Absatz 1 erstellten Konzept zu äußern. Hierzu werden die jeweils zur schriftlichen Äußerung zu gebenden Fragestellungen zu den Vorgaben nach § 56 Absatz 1 vom Gemeinsamen Bundesausschuss an die sachverständigen Stellen nach Absatz 1 schriftlich übermittelt. Für die Beteiligung der wissenschaftlich-medizinischen

Fachgesellschaften erfolgt die Übermittlung an die Geschäftsstelle der Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften e.V. (AWMF) mit der Bitte um Weiterleitung an die jeweils fachlich zuständigen wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften. Im Anschreiben sind die sachverständigen Stellen auf die Beachtung von Betriebs- und Geschäftsgeheimnissen und auf die Möglichkeit der Veröffentlichung ihrer Äußerungen als Bestandteil der zusammenfassenden Dokumentation hinzuweisen. Die schriftliche Äußerung ist in der Regel innerhalb von vier Wochen nach Eingang der Anfrage an den Gemeinsamen Bundesausschuss zu übersenden.

Zu Absatz 3

In bestimmten Fällen kann es erforderlich sein, über den Kreis der in § 57 Absatz 1 aufgeführten sachverständigen Personen und Organisationen hinaus auch andere Sachverständige in die Konzepterstellung miteinzubeziehen, die auf dem Gebiet der Erstellung und Durchführungen von Datenerhebungen eine besondere Expertise haben. Insoweit kommen zum Beispiel Registerbetreiber, aber auch weitere pharmazeutische Unternehmer in Betracht. Diese können vom Unterausschuss gemäß § 20 Absatz 6 GO als Sachverständige bestellt und zu den Beratungen hinzugezogen werden. Für die Beteiligung gilt Absatz 2 Sätze 1, 2, 4 und 5 entsprechend.

Zu Absatz 4

Absatz 4 ermöglicht es, die sachverständigen Stellen nach Absatz 1 und 3 auch in Form eines Fachaustauschs an den Beratungen des Unterausschusses zur Erstellung eines Konzepts zu beteiligen.

Zu Absatz 5

Absatz 5 bestimmt das Nähere über die Einbeziehung der im Rahmen der Beteiligung dem Gemeinsamen Bundesausschuss zur Kenntnis gebrachten Äußerungen. Danach ist über die Auswertung der Äußerungen eine schriftliche Dokumentation anzufertigen, aus der hervorgeht, in welcher Weise die Äußerungen bei der Erstellung des Konzepts berücksichtigt worden sind.

§ 58 Beschlussfassung

Zu Absatz 1

Nach Abschluss seiner Beratungen legt der Unterausschuss dem Plenum eine Beschlussempfehlung mit Tragenden Gründen für ein Konzept für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen vor. Auf der Grundlage der Beschlussempfehlung beschließt das Plenum über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen vom pharmazeutischen Unternehmer. Gegenstand des Beschlusses sind insbesondere die Festlegung von Anforderungen an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen auf der Grundlage des Konzepts nach § 56 Absatz 1.

Zu Absatz 1 Nummer 3

Vor der Durchführung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen soll gemäß dem wissenschaftlichen Standard ein entsprechendes Studienprotokoll sowie ein

statistischer Analyseplan (SAP) vorliegen. Dabei sollen Studienprotokoll und SAP den Anforderungen nach Nummer 1 entsprechen. Die Erstellung von Studienprotokoll und SAP obliegen dem pharmazeutischen Unternehmer. Zur Prüfung, ob die Anforderungen des G-BA an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und an Auswertungen durch das vom pharmazeutischen Unternehmer erstellte Studienprotokoll und statistischem Analyseplan (SAP) umgesetzt worden sind, soll eine Abstimmung mit dem G-BA erfolgen. Dieser Vorgang bietet sich zugleich für eine initiale Überprüfung an, ob der pharmazeutische Unternehmer seiner Verpflichtung zur Durchführung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nachkommt. Mit der Erstellung von Studienprotokoll und SAP kann der pharmazeutische Unternehmer grundsätzlich auch bereits vor dem Zeitpunkt der Beschlussfassung nach § 58 auf Basis der Informationen aus dem Verfahren beginnen. Insbesondere ist bei neu geplanten Datenerhebungen eine zeitnahe Erstellung und Abstimmung erstrebenswert. Diesbezügliche Absprachen mit dem pharmazeutischen Unternehmer können bei den Vorgaben zum Zeitpunkt der Abstimmung grundsätzlich berücksichtigt werden.

Zu Absatz 3

Aus dem Verweis in § 35a Absatz 3b Satz 11 SGB V auf Absatz 3 Satz 6 SGB V folgt, dass der Beschluss über die anwendungsbegleitende Datenerhebung entsprechend dem Nutzenbewertungsbeschluss Teil der Arzneimittel-Richtlinie ist und damit an deren normativen Wirkung teilnimmt. Beschlüsse zur Forderung von anwendungsbegleitenden Datenerhebungen und von Auswertungen, die mit Wirkung zum Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens des Arzneimittels gefasst werden, werden zu diesem Zeitpunkt im Bundesanzeiger bekannt gemacht und im Internet veröffentlicht. Der Beschluss tritt mit seiner Veröffentlichung im Bundesanzeiger in Kraft und entfaltet ab diesem Zeitpunkt Rechtswirksamkeit. Zusätzlich wird der Beschluss dem betroffenen pharmazeutischen Unternehmer zugestellt.

§ 59 Überprüfung durch den Unterausschuss

Absatz 1 konkretisiert die Überprüfung, ob der pharmazeutische Unternehmer seine Verpflichtung zur Durchführung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach Maßgabe des Beschlusses nach § 58 Absatz 1 erfüllt. Die Regelung greift die gesetzliche Vorgabe in § 35a Absatz 3b Satz 10 SGB V auf, wonach eine Überprüfung in regelmäßigen Abständen, mindestens jedoch alle 18 Monate erfolgen soll. Die konkreten Zeitpunkte der Überprüfung werden im Einzelfall bestimmt und anhand entsprechender Vorgaben im Beschluss nach § 58 festgehalten.

Gegenstand der Überprüfung ist insbesondere, ob die Datenerhebung durchgeführt wird oder nicht oder nicht mehr durchgeführt werden kann, die Datenerhebung bzw. deren Auswertungen hinreichende Belege für eine erneute Nutzenbewertung erbringen wird oder Bedarf für eine Anpassung der Vorgaben in dem Beschluss nach § 58 besteht. Somit ist es auch ein Gegenstand der Überprüfung, ob sich im zeitlichen Verlauf der Datenerhebung Erkenntnisse ergeben, die eine Anpassung der Vorgaben in dem Beschluss nach § 58 erforderlich machen können.

Der Absatz 2 regelt das weitere Vorgehen, sofern auf der Grundlage des Ergebnisses der Überprüfung festgestellt wird, dass die Datenerhebung nicht durchgeführt wird oder aus sonstigen Gründen nicht oder nicht mehr durchgeführt werden kann, ein Anpassungsbedarf an dem Beschluss nach § 58 besteht oder die Auswertungen zur anwendungsbegleitenden

Datenerhebung eine Nutzenbewertung des Arzneimittels bereits vor Ablauf der Frist für die Durchführung der Datenerhebung rechtfertigen.

§ 60 Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V kann der G-BA die Befugnis zur Versorgung der Versicherten mit Arzneimitteln, die einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung unterliegen, auf solche Leistungserbringer beschränken, die an der Datenerhebung mitwirken. Damit können zur Versorgung zugelassene Leistungserbringer die Arzneimittel nur verordnen bzw. nur abgeben, wenn sie an der Datenerhebung teilnehmen. Durch die Beschränkung auf teilnehmende Leistungserbringer soll eine vollständige und valide Datenbasis geschaffen und eine nur fragmentarische Datenerfassung verhindert werden, um damit aussagekräftige, geeignete Daten für die Zwecke der Nutzenbewertung zu erlangen.

§ 61 Beschränkung der Versorgungsbefugnis von Leistungserbringern

Zu Absatz 1

Leistungserbringer im Sinne des § 60 sind an der vertragsärztlichen Versorgung teilnehmende Ärztinnen und Ärzte, medizinische Versorgungszentren und Einrichtungen nach § 95 SGB V sowie zur Versorgung zugelassene Krankenhäuser nach § 108 SGB V.

Zu Absatz 2

Hat der G-BA einen Beschluss zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Abs.3b Satz 2 SGB V gefasst, sind nur die an der anwendungsbegleitenden Datenerhebung teilnehmenden Leistungserbringer zur Verordnung bzw. Abgabe des Arzneimittels zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung befugt. Absatz 2 regelt hiervon eine Ausnahme. Danach kann der Beschluss vorsehen, dass Leistungserbringer, die nicht zur Versorgung mit dem Arzneimittel befugt sind, das Arzneimittel ausnahmsweise zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung verordnen bzw. abgeben können, sofern die Verordnung ausschließlich zum Zweck der Weiterverordnung des Arzneimittels und zur Sicherung des Therapieerfolgs nach vorheriger Abstimmung mit dem versorgungsbefugten Leistungserbringer erfolgt und der versorgungsbefugte Leistungserbringer weiterhin für die Datenerhebung zuständig ist und damit der Zweck der Beschränkung der Versorgungsbefugnis, valide Daten aus der Versorgung der Versicherten mit dem Arzneimittel zu erhalten, nicht gefährdet wird.

Die Beschränkung der Erlaubnis zur ausnahmsweisen Verordnung bzw. Abgabe des Arzneimittels auf den Fall der Weiterverordnung soll sicherstellen, dass die Zuständigkeit zur Einleitung und Überwachung der Therapie mit dem Arzneimittel beim versorgungsbefugten Leistungserbringer verbleibt. Mit diesem ist die Erforderlichkeit einer Weiterverordnung eng abzustimmen. Die Erlaubnis zur ausnahmsweisen Verordnung berührt zudem nicht die Zuständigkeit des versorgungsbefugten Leistungserbringers für die Datenerhebung. Das bedeutet, dass die Daten aus dem Vorgang der Weiterverordnung in die anwendungsbegleitende Datenerhebung einbezogen werden sollen. Hierüber soll die Patientin oder der Patient aufgeklärt werden.

§ 62 Erforderlichkeit einer Beschränkung der Versorgungsbefugnis von Leistungserbringern

Die Beurteilung der Erforderlichkeit einer Beschränkung der Versorgungsbefugnis von Leistungserbringern erfolgt unter Berücksichtigung der Beratungen zum Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen.

§ 63 Stellungnahmeverfahren

Da ein Beschluss über die Versorgungsbeschränkung nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V Ärztinnen und Ärzte in ihrer Berufsausübung berührt, ist der Bundesärztekammer gemäß § 91 Absatz 5 SGB V vor einer Beschlussfassung Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben. Gemäß 1. Kapitel § 11 Absatz 2 Satz 2 VerfO richtet sich das Verfahren nach 1. Kapitel § 10 VerfO. Da der Beschluss gemäß § 35a Absatz 3b Satz 11 i.V.m. Absatz 3 Satz 6 SGB V Gegenstand der Arzneimittel-Richtlinie wird und ein spezielles Beteiligungsverfahren nicht vorgesehen ist, ist zudem ein Stellungnahmeverfahren nach § 92 Absatz 3a SGB V durchzuführen.

§ 64 Beschlussfassung

Nach Abschluss seiner Beratungen legt der Unterausschuss dem Plenum eine Beschlussempfehlung mit Tragenden Gründen für eine Beschränkung der Befugnis von Leistungserbringern zur Versorgung der Versicherten mit einem Arzneimittel, welches Gegenstand eines Beschlusses nach § 58 ist oder sein wird, vor. Auf der Grundlage der Beschlussempfehlung beschließt das Plenum über die Beschränkung der Versorgungsbefugnis von Leistungserbringern.

Ein Beschluss über die Beschränkung der Versorgungsbefugnis von Leistungserbringern kann frühestens mit Wirkung zum Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens eines Arzneimittels getroffen werden. Der Beschluss wird im Internet veröffentlicht. Er ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie nach § 92 Absatz 1 Satz 2 Nummer 6 SGB V und wird im Bundesanzeiger bekannt gemacht. § 94 Absatz 1 SGB V gilt nicht. Im Falle eines Beschlusses nach § 64 Absatz 2 erfolgen die Veröffentlichung im Internet und die Bekanntmachung im Bundesanzeiger frühestens zum Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens des Arzneimittels.

3. Bürokratiekostenermittlung

Durch den vorgesehenen Beschluss entstehen keine neuen bzw. geänderten Informationspflichten für Leistungserbringer im Sinne von Anlage II zu 1. Kapitel VerfO und dementsprechend keine Bürokratiekosten.

4. **Verfahrensablauf**

Der Unterausschuss Arzneimittel hat zur Vorbereitung einer Überarbeitung der VerfO im 5. Kapitel die Arbeitsgruppe Entscheidungsgrundlagen beauftragt.

Die Beschlussvorlage wurde abschließend im Unterausschuss Arzneimittel in der Sitzung am 7. Juli 2020 beraten und konsentiert. Der Beschlussentwurf mit Tragenden Gründen wurde der AG Geschäftsordnung-Verfahrensordnung übersandt, die in ihrer Sitzung am 13. Juli 2020 über die Beschlussunterlagen beriet.

Das Plenum des Gemeinsamen Bundesausschusses hat am 16. Juli 2020 die Änderungen im 5. Kapitel der Verfahrensordnung beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG Entscheidungsgrundlagen	2. September 2019 11. November 2019 20. Januar 2020 2. März 2020 30. März 2020 27. April 2020 18. Mai 2020 15. Juni 2020 29. Juni 2020	Änderung im 5. Kapitel der Verfahrensordnung
Unterausschuss Arzneimittel	7. Juli 2020	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlagen zur Änderung im 5. Kapitel der Verfahrensordnung
AG Geschäftsordnung- Verfahrensordnung	13. Juli 2020	Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	16. Juli 2020	Beschlussfassung zur Änderung im 5. Kapitel

Berlin, den 16. Juli 2020

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken