

# 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: Cabozantinib**

Vom 1. Oktober 2020

### **Inhalt**

<b>1.</b>	<b>Rechtsgrundlage .....</b>	<b>2</b>
<b>2.</b>	<b>Eckpunkte der Entscheidung.....</b>	<b>2</b>
<b>3.</b>	<b>Bürokratiekosten .....</b>	<b>3</b>
<b>4.</b>	<b>Verfahrensablauf .....</b>	<b>3</b>

## **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 11 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 11 2. Halbs. SGB V). § 35a Absatz 1 Satz 11 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 einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten einen Betrag von 50 Millionen Euro übersteigt. Dann hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 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 11 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 12 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 22. Januar 2015 hat der G-BA über die Nutzenbewertung von Cabozantinib im Anwendungsgebiet „Behandlung des medullären Schilddrüsenkarzinoms bei

erwachsenen Patienten mit progredienter, nicht resektabler, lokal fortgeschrittener oder metastasierter Erkrankung“ gemäß § 35a SGB V beschlossen. Dabei wurde die Geltungsdauer des Beschlusses bis zum 1. Juni 2018 befristet. Die Geltungsdauer des Beschlusses wurde jeweils auf Antrag des pharmazeutischen Unternehmers mit Beschluss vom 18. Januar 2018 bis zum 1. Januar 2020 und mit Beschluss vom 6. Juni 2019 bis zum 1. November 2020 verlängert.

Die ursprüngliche Befristung fand ihren sachlichen Grund darin, dass der pharmazeutische Unternehmer aufgrund einer bedingten Zulassung von Cabozantinib für das vorliegende Anwendungsgebiet gemäß Art. 14 Abs. 7 Verordnung (EG) 726/2004 i.V.m. Art. 4 VO (EG) Nr. 507/2006 verpflichtet ist, der EMA weitere Daten zu Wirksamkeits- und Sicherheitsendpunkten vorzulegen. Die Auflagen der EMA beziehen sich unter anderem auf die Daten der Studie XL-184-401, in der insbesondere die Dosierung von Cabozantinib sowie der RET- und RAS- Mutationsstatus der Patienten weiter untersucht werden sollen. Mit Beschluss vom 6. Juni 2019 wurde die Frist bis zum 1. November 2020 verlängert, da der pharmazeutische Unternehmer dargelegt hatte, dass sich die Studie XL-184-401 in der erweiterten Rekrutierungsphase befand und eine vollständige Rekrutierung, Beobachtung und Datenauswertung bis zum 1. Januar 2020 nicht umzusetzen war. Der pharmazeutische Unternehmer hat zur weiteren Verlängerung der Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses dargelegt, dass sich die Studie XL-184-401 weiterhin in der erweiterten Rekrutierungsphase befindet und die nach Prüfplan präspezifizierte Anzahl an Ereignissen für die Studiauswertung bis zum 1. November 2020 nicht erreicht wird.

Zudem wurde seitens der EMA die Frist für die Vorlage der Daten der Studie XL-184-401 auf das 2. Quartal 2021 verlängert. Somit ist es plausibel, dass die notwendigen Daten für die erneute Nutzenbewertung bis zum 1. November 2020 nicht vorliegen werden.

Um eine erneute Nutzenbewertung unter Verwendung der geforderten Daten aus der Studie XL-184-401 durchführen zu können, wird eine Verlängerung der Befristung bis zum 1. Juli 2021 beschlossen.

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 Cabozantinib 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 Cabozantinib einzureichen (§ 4 Abs. 3 Nr. 5 AM-NutzenV i.V.m. 5. Kapitel § 8 Nr. 5 VerfO). Eine Fristverlängerung kann grundsätzlich gewährt werden, sofern begründet und nachvollziehbar dargelegt wird, dass der Zeitraum der Befristung bis zum 1. Juli 2021 nicht ausreichend ist.

Die Möglichkeit, dass eine Nutzenbewertung zu Cabozantinib 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 1. Oktober 2020 die Änderung der Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses beschlossen.

Berlin, den 1. Oktober 2020

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken