



# Tragende Gründe

## **zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Aussetzung der Beschlussfassung nach § 35a Abs. 3 Satz 1 SGB V zu Onasemnogen- Abeparvovec**

Vom 3. Dezember 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>Bürokratiekostenermittlung .....</b> | <b>3</b> |
| <b>4.</b> | <b>Verfahrensablauf .....</b>           | <b>3</b> |

## **1. Rechtsgrundlage**

Nach § 35a Abs. 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 Parlamentes und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen sind, gilt gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 Halbs. 1 SGB V der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Nachweise zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen müssen nicht vorgelegt werden (§ 35a Abs. 1 Satz 11, Halbs. 2 SGB V). § 35a Abs. 1 Satz 11, Halbs. 1 SGB V fingiert somit einen Zusatznutzen für ein zugelassenes Orphan Drug, obschon eine den in § 35a Abs. 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 SGB V iVm. 5. Kap, §§ 5 ff 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 Abs. 1 Satz 12 SGB V innerhalb von drei Monaten nach Aufforderung durch den G-BA Nachweise gemäß 5. Kap. § 5 Abs. 1 bis 6 VerfO, insbesondere zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zu der vom G-BA entsprechend 5. Kap. § 6 G-BA VerfO festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie, zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

## **2. Eckpunkte der Entscheidung**

Onasemnogen-Abepravovec ist als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens (Orphan Drugs) nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlamentes und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen.

Nach § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V müssen für Arzneimittel, die zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen sind [...], Nachweise nach § 35a Abs. 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 nicht vorgelegt werden. Das heißt bei diesen Arzneimitteln muss das vom pharmazeutischen Unternehmer zu erstellende Dossier – solange die Privilegierung von Gesetzes wegen greift – keine Angaben zum medizinischen Nutzen bzw. dem medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie enthalten. Überschreitet der Umsatz des Orphan Drug mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apothekenverkaufspreisen sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten in einem anhängigen Verfahren der Nutzenbewertung nach § 35a Abs. 1 SGB V einen Betrag von 50 Millionen Euro, ist der G-BA dazu berechtigt, den pharmazeutischen Unternehmer aufzufordern, ein Dossier für die Einleitung eines Nutzenbewertungsverfahrens nach § 35a Abs.1 Satz 11 SGB V i.V.m. 5. Kapitel § 12 Nr. 2 VerfO mit vollständigen Nachweisen nach Maßgabe des § 35a Abs.1 Satz 3 SGB V vorzulegen. Das Verfahrensprivileg der nur eingeschränkten Prüftiefe bei der Nutzenbewertung entfällt. Die Verfahrensprivilegierung ist für Arzneimittel angemessen, die aufgrund ihrer Zulassung für seltene Erkrankungen einen nur geringen Umsatz haben. Erreicht der pharmazeutische Unternehmer mit dem Arzneimittel indes in der gesetzlichen Krankenversicherung einen Umsatz von mehr als 50 Millionen Euro in den letzten 12 Kalendermonaten, ist es auch ihm zuzumuten, den Nachweis des Zusatznutzens zu erbringen und hierfür ein vollständiges Dossier insbesondere zum Nachweis des medizinischen Nutzens bzw. dem medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie vorzulegen.

Das vom pharmazeutischen Unternehmer vorgelegte Dossier auf Basis der für die Zulassung verwendeten Studien ohne Zusatznutzennachweis im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie ist für die vom G-BA nunmehr, nach Wegfall der Verfahrenserleichterungen infolge Umsatzschwellenüberschreitung durchzuführende Nutzenbewertung ungeeignet. Der pharmazeutische Unternehmer wurde daher gemäß § 35a Abs. 1 Satz 12 SGB V am 27. November 2020 vom G-BA ergänzend dazu aufgefordert, Nachweise nach Satz 3 Nummer 2 und 3 zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie abweichend von Satz 11 nachzuweisen.

Da bis zur Vorlage des angeforderten ergänzenden Dossiers und dem Vorliegen einer hierauf basierenden Nutzenbewertung nach § 35a Abs. 2 Satz 1 SGB V eine Entschließung des G-BA nach § 35a Abs. 3 Satz 1 SGB V mangels Vorliegens aller Sachentscheidungsvoraussetzungen nicht möglich ist, ist der Beschluss über die Nutzenbewertung von Onasemnogen-Abepravovec vorläufig auszusetzen. Die mit der Nutzenbewertung des G-BA vom 1. Oktober 2020 auf Basis des vom pharmazeutischen Unternehmers vorgelegten Dossiers vom 26. Juni 2020 begonnene Dreimonatsfrist nach § 35a Abs. 3 Satz 1 SGB V ist durch die nach Überschreiten der Umsatzschwelle eingetretene Änderung der Sachentscheidungsvoraussetzungen unterbrochen.

### **3. Bürokratiekostenermittlung**

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 Unterausschuss Arzneimittel hat sich in seiner Sitzung am 24. November 2020 über das weitere Vorgehen des am 1. Juli 2020 begonnenen Nutzenbewertungsverfahrens beraten.

Berlin, den 3. Dezember 2020

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken