

Tragende Gründe

**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: Voretigen Neparvovec
(Erbliche Netzhautdystrophie)**

Vom 20. Mai 2021

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung	3
4.	Verfahrensablauf.....	3

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. 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 folgenden 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.

2. Eckpunkte der Entscheidung

In seiner Sitzung am 17. Oktober 2019 hat der G-BA über die Nutzenbewertung von Voretigen Neparvovec gemäß § 35a SGB V beschlossen. Die Geltungsdauer dieses Beschlusses wurde bis zum 31. Dezember 2021 befristet.

Gemäß den Tragenden Gründen zu diesem Beschluss fand die Befristung ihren Grund darin, dass der pharmazeutische Unternehmer von der EMA verpflichtet wurde, weitere umfassende klinische Daten über die Unbedenklichkeit und Wirksamkeit des Arzneimittels Luxturna® vorzulegen. Diese umfassenden neuen klinischen Daten zu Voretigen Neparvovec sind für die Bewertung des Nutzens des Arzneimittels gemäß § 35a SGB V relevant.

Bezüglich der zu erbringenden Nachweise fordert die EMA unter anderem die Durchführung einer PASS-Registerstudie zur Langzeitsicherheit sowie die Vorlage der finalen Ergebnisse der (einarmigen) Studie 302 zur Langzeitsicherheit bis spätestens Q4 2031.

Die seitens des GBA eingeräumte Frist für die Vorlage der Ergebnisse der 5-Jahres-Daten der laufenden, einarmigen Verlängerungsstudie 302 (insbesondere zum Datenschnitt aus dem Jahr 2020) kann seitens des pharmazeutischen Unternehmers aufgrund von vertraglichen Vereinbarungen mit dem Sponsor der Studie zur Verfügbarkeit der Studiendaten nicht länger eingehalten werden.

Für die erneute Nutzenbewertung nach Fristablauf sind entsprechend der Auflagen in den Tragenden Gründen des Beschlusses vom 17. Oktober 2019 zur Beurteilung der Nachhaltigkeit der Effekte im Dossier Langzeitdaten zu patientenrelevanten Endpunkten - die Interimsanalyse der Verlängerungsstudie 302 zu allen patientenrelevanten Endpunkten sowie die Sicherheitsdaten des PASS-Registers - vorzulegen.

Um eine Einbeziehung der Analysen der Studie 302 (insbesondere zum Datenschnitt aus dem Jahr 2020) sowie der bis dato verfügbaren PASS-Registerdaten in die Nutzenbewertung von Voretigen Neparvovec nach Fristablauf zu ermöglichen, wird unter Berücksichtigung der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers zur Datenverfügbarkeit eine Verlängerung der Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses bis 1. April 2022 beschlossen.

Die der Befristung zugrundeliegenden Fragestellungen hinsichtlich der Bewertung des Zusatznutzens bleiben hiervon unberührt.

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 Voretigen Neparvovec 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 Voretigen Neparvovec einzureichen (§ 4 Abs. 3 Nr. 5 AM-NutzenV i.V.m. 5. Kapitel § 8 Nr. 5 VerfO).

Die Möglichkeit, dass eine Nutzenbewertung zu Voretigen Neparvovec 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. 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 Sachverhalt wurde im Unterausschuss Arzneimittel beraten und ein Änderungsbeschluss konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 20. Mai 2021 die Änderung der Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses beschlossen.

Berlin, den 20. Mai 2021

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken