

Tragende Gründe

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:

Cerliponase alfa (Neuronale Ceroid-Lipofuszinose Typ 2)

Vom 17. Juni 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 21. Dezember 2017, zuletzt geändert mit Beschluss vom 4. Februar 2021, hat der G-BA über die Nutzenbewertung von Cerliponase alfa gemäß § 35a SGB V beschlossen und. Die Geltungsdauer dieses Beschlusses wurde bis zum 1. Dezember 2021 befristet.

Gemäß den Tragenden Gründen zum Beschluss fand die Befristung ihren Grund darin, dem G-BA zum Ablauf der Befristung die finalen Daten zum Wirkstoff Cerliponase alfa der Studie 190-202, sowie Daten aus einem Register und aus den Auflagen der EMA vorzulegen, um eine sicherere Bewertung zum Ausmaß des Zusatznutzens hinsichtlich patientenrelevanter Endpunkte (Mortalität, Morbidität, Lebensqualität und Nebenwirkungen) und auf Basis einer langfristigen Therapie mit Cerliponase alfa zu ermöglichenden. Der G-BA hielt es für die Gewinnung von weiterführenden wissenschaftlichen Erkenntnissen und als Voraussetzung für eine hinreichend sichere Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens von Cerliponase alfa hinsichtlich der Beeinflussung patientenrelevanter Endpunkte (Mortalität, Morbidität, Lebensqualität und Nebenwirkungen) für erforderlich, dass der pharmazeutische Unternehmer Daten für die in Deutschland mit Cerliponase alfa behandelten Patienten in einem klinischen Register erfasst. Auf diese Weise sollten für den deutschen Versorgungskontext repräsentative Daten zu patientenrelevanten Endpunkten generiert

werden. Darüber hinaus sollten die Daten der mit der Zulassung unter „außergewöhnlichen Umständen“ verbundenen Auflagen (nicht-interventionelle post-authorisation Sicherheitsstudie (PASS) zur Beurteilung der Langzeitsicherheit und nicht-interventionelle postauthorisation Wirksamkeitsstudie (PAES) zur Beurteilung der Krankheitsprogression anhand der motorischen und sprachlichen Skala sowie der Sicherheit und Verträglichkeit) vorgelegt werden.

Der pharmazeutische Unternehmer hat den G-BA darüber informiert, dass die deutschen Datensätze der Sicherheitsstudie (PASS / BMRN 190-504), welche im Rahmen der Nutzenbewertung für eine hinreichend verlässliche Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens von Cerliponase alfa als notwendig erachtet werden, erstmals im 2. Quartal 2022 an die EMA übermittelt werden. Die EMA sieht eine jährliche Einreichung der PASS-Daten vor. Der pharmazeutische Unternehmer informiert darüber hinaus, dass eine Bereitstellung der Daten aus den Auflagen der EMA bzw. von Registerdaten verzögerte, da die ersten deutschen Patienten erst im 1. Quartal 2021 in das europäische Register (190-501) aufgenommen werden. Der deutsche Datensatz im europäischen Register werde im DEM-Child Register unter Leitung der Universität Hamburg aufgenommen.

Um die Bereitstellung der Daten aus den Auflagen der EMA bzw. von Registerdaten der PASS-Studie 190-504 und der PAES-Studie (190-203) sowie den finalen Studienbericht der Extensionsstudie 190-202 für die erneute Nutzenbewertung bereit stellen zu können, sei eine Verlängerung der Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses vom 21.12.2017 notwendig.

Entsprechend der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers wird die ursprünglich bis zum 1. Dezember 2021 befristete Geltungsdauer des Beschlusses bis zum 1. Juli 2022 verlängert.

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

Die Möglichkeit, dass eine Nutzenbewertung zu Cerliponase alfa 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 17. Juni 2021 die Änderung der Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses beschlossen.

Berlin, den 17. Juni 2021

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken