

# Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über  
eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie  
Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen  
Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch  
(SGB V)  
Onasemnogen-Abeparvovec (spinale Muskelatrophie);  
Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung  
und von Auswertungen

Vom 20. Januar 2022

## 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>Stellungnahmeverfahren nach §92 Abs. 3a SGB V .....</b>	<b>3</b>
<b>4.</b>	<b>Bürokratiekostenermittlung .....</b>	<b>3</b>
<b>5.</b>	<b>Verfahrensablauf.....</b>	<b>3</b>

## **1. Rechtsgrundlage**

Nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V kann der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) bei den folgenden Arzneimitteln vom pharmazeutischen Unternehmer innerhalb einer angemessenen Frist die Vorlage anwendungsbegleitender Datenerhebungen und Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung fordern:

1. bei Arzneimitteln, deren Inverkehrbringen nach dem Verfahren des Artikels 14 Absatz 8 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 31. März 2004 zur Festlegung von Gemeinschaftsverfahren für die Genehmigung und Überwachung von Human- und Tierarzneimitteln und zur Errichtung einer Europäischen Arzneimittel-Agentur (ABl. L 136 vom 30.4.2004, S. 1), die zuletzt durch die Verordnung 162 Verfahrensordnung Stand: 16. Dezember 2020 (EU) 2019/5 (ABl. L 4 vom 7.1.2019, S. 24) geändert worden ist, genehmigt wurde oder für die nach Artikel 14-a der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 eine Zulassung erteilt wurde, sowie
2. bei Arzneimitteln, die zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung Nr. 141/2000 zugelassen sind.

## **2. Eckpunkte der Entscheidung**

In seiner Sitzung am 4. Februar 2021 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Onasemnogen-Abeparvovec gemäß § 35a SGB V beschlossen. Im Nachgang zu der Veröffentlichung des Beschlusses auf den Internetseiten des G-BA wurde aufgrund der umfangreichen Abstimmung des Studienprotokolls sowie des statistischen Analyseplans (SAP) mit dem pharmazeutischen Unternehmer eine Anpassung der Zeitpunkte für die Zwischenanalysen und eine Anpassung des Umfangs der Berichterstattung 18 Monate nach Beschlussfassung notwendig.

Der pharmazeutische Unternehmer hat dem G-BA mit Schreiben vom 11. August 2021, eingegangen am 13. August 2021, fristgerecht Entwürfe für ein Studienprotokoll sowie einen SAP übermittelt. Unter Einbindung des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) wurde vom G-BA eine Prüfung dieser Unterlagen vorgenommen.

Aufgrund umfangreichen Anpassungsbedarfes wurde dem pharmazeutischen Unternehmer seitens des G-BA mit Schreiben vom 28. September 2021 eine entsprechende Überarbeitung des Studienprotokolls und des SAP aufgegeben. Der pharmazeutische Unternehmer hat dem G-BA daraufhin die überarbeiteten Studienunterlagen mit Schreiben vom 21. November, eingegangen am 23. November 2021, innerhalb der angesetzten Frist übermittelt. Unter Einbindung des IQWiG wurde im Anschluss eine erneute Prüfung der Unterlagen vom G-BA vorgenommen.

Der Start der anwendungsbegleitenden Datenerhebung hat sich infolge des umfangreichen Anpassungsbedarfes und der erforderlichen 2. Prüfung der Unterlagen durch den G-BA verzögert. Zwischen dem Startzeitpunkt der anwendungsbegleitenden Datenerhebung für den Wirkstoff Onasemnogen-Abeparvovec mit Inkrafttreten des Beschlusses über eine Feststellung im Verfahren der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b SGB V: Onasemnogen-Abeparvovec (spinale Muskelatrophie) – Vorlage von Studienprotokoll und Statistischem Analyseplan vom 20.

Januar 2022 (nachfolgend: Feststellungsbeschluss) am 1. Februar 2022 und dem ersten Zeitpunkt für eine Zwischenanalyse laut Beschluss des G-BA vom 4. Februar 2021 (August 2022) liegen nunmehr nur wenige Monate. Es ist daher davon auszugehen, dass die erste Zwischenanalyse mit Berichtszeitpunkt August 2022 (18 Monate nach Beschlussfassung) keine aussagekräftigen Ergebnisse enthalten wird.

Der G-BA erachtet es daher als sachgerecht, eine Anpassung der im Beschluss genannten Zeitpunkte für die Vorlage von Zwischenanalysen und entsprechenden Auswertungen in Anlage XII der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) vorzunehmen.

Zudem wird die verbleibende zweite Zwischenanalyse um sechs Monate vorgezogen und dadurch mit dem dritten Statusreport zusammengelegt.

Da die überarbeiteten Studienunterlagen nur unter der Auflage bestätigt werden konnten, dass seitens des pharmazeutischen Unternehmers verbleibende und weiterhin für erforderlich gehaltene Anpassungen an dem Studienprotokoll und SAP vorgenommen werden, sieht der G-BA es als erforderlich an, dass der pharmazeutische Unternehmer dem G-BA die angepassten finalen Studienunterlagen vorlegt. Der pharmazeutische Unternehmer hat dabei die Auflagen im Feststellungsbeschluss vom 20. Januar 2022 umzusetzen. Die Vorlage der finalen Studienunterlagen soll im Zuge der Angaben zum Verlauf der Datenerhebung 18 Monate nach Beschluss des G-BA vom 4. Februar 2021 erfolgen.

### **3. Stellungnahmeverfahren nach §92 Abs. 3a SGB V**

Ein erneutes Stellungnahmeverfahren ist nicht durchzuführen, da die Anpassung der Zeitläufe keine wesentliche Änderung im Vergleich zum Beschlussentwurf zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen darstellt, vgl. 1. Kap. § 14 Verfahrensordnung des G-BA.

### **4. 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.

### **5. Verfahrensablauf**

Im Nachgang zur Beschlussfassung vom 4. Februar 2021 über eine Änderung der AM-RL Anlage XII - Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Onasemnogen-Abepravovec wurde aufgrund der umfangreichen Abstimmung des Studienprotokolls sowie des statistischen Analyseplanes (SAP) mit dem pharmazeutischen Unternehmer eine Anpassung der Zeitpunkte für die Zwischenanalysen und eine Anpassung des Umfangs der Berichterstattung 18 Monate nach Beschlussfassung in der AM-RL notwendig .

Der Sachverhalt wurde in der Arbeitsgruppe AG § 35a und im Unterausschuss Arzneimittel beraten.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 20. Januar 2022 die Änderung der AM-RL hinsichtlich einer Anpassung der Zeitpunkte für die Zwischenanalysen und einer Anpassung des Umfangs der Berichterstattung 18 Monate nach Beschlussfassung einvernehmlich beschlossen.

#### **Zeitlicher Beratungsverlauf**

<b>Sitzung</b>	<b>Datum</b>	<b>Beratungsgegenstand</b>
AG § 35a	4. Januar 2022	Beratung über den Sachverhalt
Unterausschuss Arzneimittel	11. Januar 2022	Beratung über einen Änderungsbeschluss hinsichtlich einer Anpassung der Zeitpunkte für die Zwischenanalysen und des Umfangs der Berichterstattung 18 Monate nach Fassung des Beschlusses vom 4. Februar 2021
Plenum	20. Januar 2022	Beschlussfassung über die Änderung der Zeitpunkte für die Zwischenanalysen und des Umfangs der Berichterstattung 18 Monate nach Fassung des Beschlusses vom 4. Februar 2021

Berlin, den 20. Januar 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken