



Zusammenfassende Dokumentation

über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie:
Anlage IX (Festbetragsgruppenbildung) – Miglustat, Gruppe 1,
in Stufe 1

Vom 21. Juli 2022

Inhalt

A. Tragende Gründe und Beschluss	2
1. Rechtsgrundlage	2
2. Eckpunkte der Entscheidung	2
3. Bürokratiekostenermittlung	3
4. Verfahrensablauf	3
5. Anlage	5
6. Beschluss.....	7
7. Anhang.....	8
7.1 Prüfung nach § 94 Absatz 1 SGB V.....	8
7.2 Veröffentlichung im Bundesanzeiger	9
B. Bewertungsverfahren	10
C. Dokumentation des gesetzlich vorgeschriebenen Stellungnahmeverfahrens	11
1. Unterlagen des Stellungnahmeverfahrens.....	12
1.1 Schriftliches Stellungnahmeverfahren	12
1.2 Mündliche Anhörung	12
2. Übersicht der eingegangenen Stellungnahmen	12
2.1. Übersicht der eingegangenen schriftlichen Stellungnahmen	12
2.2. Übersicht der Anmeldung zur mündlichen Anhörung.....	12
3. Auswertung der Stellungnahmen	13
D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation	16

A. Tragende Gründe und Beschluss

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35 Absatz 1 SGB V bestimmt der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) in den Richtlinien nach § 92 Absatz 1 Satz 2 Nummer 6 SGB V, für welche Gruppen von Arzneimitteln Festbeträge festgesetzt werden können. In den Gruppen sollen Arzneimittel mit

1. denselben Wirkstoffen,
2. pharmakologisch-therapeutisch vergleichbaren Wirkstoffen, insbesondere mit chemisch verwandten Stoffen,
3. therapeutisch vergleichbarer Wirkung, insbesondere Arzneimittelkombinationen

zusammengefasst werden.

Der Gemeinsame Bundesausschuss ermittelt auch die nach § 35 Absatz 3 SGB V notwendigen rechnerischen mittleren Tages- oder Einzeldosen oder andere geeignete Vergleichsgrößen.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Der Unterausschuss Arzneimittel hat die Beratungen zur Neubildung der Festbetragsgruppe „Miglustat, Gruppe 1“ in Stufe 1 abgeschlossen und ist dabei zu dem Ergebnis gekommen, dass die vorgeschlagene Neubildung der Gruppe die Voraussetzungen für eine Festbetragsgruppenbildung nach § 35 Absatz 1 Satz 2 Nummer 1 SGB V erfüllt.

Nach § 35 Absatz 2 SGB V sind die Stellungnahmen der Sachverständigen der medizinischen und pharmazeutischen Wissenschaft und Praxis sowie der Arzneimittelhersteller und der Berufsvertretungen der Apotheker in die Entscheidungen des Gemeinsamen Bundesausschusses mit einzubeziehen.

Nach Durchführung des schriftlichen Stellungnahmeverfahrens wurde gemäß § 91 Absatz 9 SGB V eine mündliche Anhörung anberaumt. Von seinem Recht zur mündlichen Stellungnahme hat der Stellungnahmeberechtigte keinen Gebrauch gemacht.

Aus der Auswertung des Stellungnahmeverfahrens haben sich keine Änderungen ergeben.

In Anlage IX der AM-RL wird folgende Festbetragsgruppe „Miglustat, Gruppe 1“ in Stufe 1 eingefügt:

„Stufe:	1
Wirkstoff:	Miglustat
Festbetragsgruppe Nr.:	1
Status:	verschreibungspflichtig
Gruppenbeschreibung:	orale Darreichungsformen
Darreichungsformen:	Hartkapseln“

Die der Neubildung der vorliegenden Festbetragsgruppe zugrundeliegenden Dokumente sind den Tragenden Gründen als Anlage beigelegt.

Alle von der Festbetragsgruppe „Miglustat, Gruppe 1“ umfassten Arzneimittel enthalten den Wirkstoff Miglustat, wobei keine hinreichenden Belege für unterschiedliche, für die Therapie bedeutsame Bioverfügbarkeiten vorliegen, die gegen die Festbetragsgruppe in der vorliegenden Form sprechen.

Als geeignete Vergleichsgröße im Sinne des § 35 Absatz 1 Satz 8 SGB V wird für die vorliegende Festbetragsgruppe der Stufe 1 gemäß 4. Kapitel § 18 Satz 1 der Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses (VerfO) die reale Wirkstärke je abgeteilter Einheit bestimmt.

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 eine Arbeitsgruppe mit der Beratung und Vorbereitung von Beschlussempfehlungen zur Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens bei der Neubildung von Festbetragsgruppen beauftragt, die sich aus den von den Spitzenorganisationen der Leistungserbringer benannten Mitgliedern, den vom GKV-Spitzenverband benannten Mitgliedern sowie Vertreter(innen) der Patientenorganisationen zusammensetzt.

Die AG Nutzenbewertung hat am 15. November 2021 und 13. Dezember 2021 über die Neubildung der betreffenden Festbetragsgruppe beraten.

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 11. Januar 2022 über die Neubildung der betreffenden Festbetragsgruppe beraten. Die Beschlussvorlage über die Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens wurde konsentiert und nach 1. Kapitel § 10 Absatz 1 Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses (VerfO) die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens einstimmig beschlossen.

Die mündliche Anhörung wurde für den 9. Mai 2022 anberaumt. Der Stellungnahmeberechtigte hat von seinem Recht zur mündlichen Stellungnahme keinen Gebrauch gemacht.

Die Beschlussvorlage zur Neubildung der Festbetragsgruppe wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 8. Juni 2022 konsentiert.

Zeitlicher Beratungsverlauf:

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG Nutzenbewertung	15.11.2021 13.12.2021	Beratung zur Neubildung der Festbetragsgruppe
Unterausschuss Arzneimittel	11.01.2022	Beratung, Konsentierung und Beschlussfassung zur Einleitung des Stellungnahmeverfahrens hinsichtlich der Änderung der AM-RL in Anlage IX
AG Nutzenbewertung	04.04.2022	Beratung über Auswertung der schriftlichen Stellungnahmen
Unterausschuss Arzneimittel	12.04.2022	Information über eingegangene Stellungnahmen, Beratung über Auswertung der schriftlichen Stellungnahmen und Terminierung der mündlichen Anhörung

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
Unterausschuss Arzneimittel	09.05.2022	Durchführung der mündlichen Anhörung - entfallen
Unterausschuss Arzneimittel	08.06.2022	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage
Plenum	21.07.2022	Beschlussfassung

Berlin, den 21. Juli 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

5. Anlage

Festbetragsstufe 1

Festbetragsgruppe:

Miglustat

Gruppe 1

Gruppenbeschreibung: verschreibungspflichtig
orale Darreichungsformen
Hartkapseln *

* Die Bezeichnung der Darreichungsformen erfolgt unter Verwendung der zum Preis-/Produktstand aktuellen Liste der "Standard Terms" der Europäischen Arzneibuchkommission (EDQM = European Directorate for the Quality of Medicines), veröffentlicht im Internet unter: <https://standardterms.edqm.eu/stw/default/index> .

Preis- und Produktstand: 01.10.2021 / Verordnungsdaten: 2020

Preisübersicht zu Festbetragsgruppe Miglustat, Gruppe 1
 Verordnungen (in Tsd.): 1,9 (Basis 2020)
 Umsatz (in Mio. EURO): 15,5

Wirkstärke (w) Darreichungsform Packungsgröße ----- Präparat				100 KAPS 84
	Vo in Tsd	%isol.	%kum.	
MIGLUSTAT ABACUS JANSSEN		0,00	100,00	8.402,16
MIGLUSTAT ACCORD	0,20	10,85	100,00	7.127,01
MIGLUSTAT BLUEF	0,35	18,65	89,15	7.129,42
MIGLUSTAT CC JANSSEN	0,05	2,67	70,50	7.176,63
MIGLUSTAT DIPHARMA	0,01	0,48	67,82	6.464,66
MIGLUSTAT GENORPH	0,18	9,78	67,34	7.111,29
MIGLUSTAT JANSSEN	0,86	46,02	57,56	9.741,54
MIGLUSTAT KOHL GENORPH		0,00	11,54	7.109,23
MIGLUSTAT KOHL JANSSEN		0,00	11,54	9.593,33
MIGLUSTAT ORI GENORPH		0,00	11,54	7.109,21
MIGLUSTAT ORI JANSSEN	0,06	3,42	11,54	8.423,21
MIGLUSTAT PIRAMAL	0,15	8,12	8,12	6.124,60
Summen (Vo in Tsd.)	1,87			1,87
Anteilswerte (%)				100,00

Abkürzungen: Darreichungsformen Kürzel Langform
 KAPS Kapseln, Hartkapseln, Weichkapseln

6. Beschluss



Beschluss

des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung
der Arzneimittel-Richtlinie:
Anlage IX (Festbetragsgruppenbildung) – Miglustat, Gruppe 1,
in Stufe 1

Vom 21. Juli 2022

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 21. Juli 2022 beschlossen, die Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008/22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), die zuletzt durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom 12. Juli 2022 (BAnz AT 05.08.2022 B3) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

- I. In Anlage IX der AM-RL wird folgende Festbetragsgruppe „Miglustat, Gruppe 1“ in Stufe 1 eingefügt:

„Stufe:	1
Wirkstoff:	Miglustat
Festbetragsgruppe Nr.:	1
Status:	verschreibungspflichtig
Gruppenbeschreibung:	orale Darreichungsformen
Darreichungsformen:	Hartkapseln“

- II. Die Änderung der Richtlinie tritt am Tag nach der Veröffentlichung im Bundesanzeiger in Kraft.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter www.g-ba.de veröffentlicht.

Berlin, den 21. Juli 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

7. Anhang

7.1 Prüfung nach § 94 Absatz 1 SGB V



Bundesministerium
für Gesundheit

Bundesministerium für Gesundheit, 11055 Berlin

Gemeinsamer Bundesausschuss
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin



Dr. Josephine Tautz
Ministerialrätin
Leiterin des Referates 213
"Gemeinsamer Bundesausschuss,
Strukturierte Behandlungsprogramme
(DMP), Allgemeine medizinische Fragen in
der GKV"

HAUSANSCHRIFT Friedrichstraße 191, 10117 Berlin
POSTANSCHRIFT 11055 Berlin
TEL +49 (0)30 18 441-4514
FAX +49 (0)30 18 441-3788
E-MAIL 213@bmg.bund.de
INTERNET www.bundesgesundheitsministerium.de

Berlin, 29. Juli 2022
AZ 213 – 21432 – 01

vorab per Fax: 030 - 275838105

Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses gem. § 91 SGB V vom 21. Juli 2022
hier: **Änderung der Arzneimittel-Richtlinie:**
Anlage IX (Festbetragsgruppenbildung) – Miglustat, Gruppe 1, in Stufe 1

Sehr geehrte Damen und Herren,

der von Ihnen gemäß § 94 SGB V vorgelegte o. g. Beschluss vom 21. Juli 2022 über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie wird nicht beanstandet.

Mit freundlichen Grüßen
Im Auftrag
gez. Dr. Josephine Tautz
Ausgefertigt

C. Schöne

7.2 Veröffentlichung im Bundesanzeiger



Bundesanzeiger

Herausgegeben vom
Bundesministerium der Justiz
www.bundesanzeiger.de

Bekanntmachung

Veröffentlicht am Freitag, 19. August 2022
BAnz AT 19.08.2022 B1
Seite 1 von 1

Bundesministerium für Gesundheit

**Bekanntmachung
eines Beschlusses des Gemeinsamen Bundesausschusses
über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie:
Anlage IX (Festbetragsgruppenbildung) – Miglustat, Gruppe 1, in Stufe 1**

Vom 21. Juli 2022

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 21. Juli 2022 beschlossen, die Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008/22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), die zuletzt durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom 12. Juli 2022 (BAnz AT 05.08.2022 B3) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

I.

In Anlage IX der AM-RL wird folgende Festbetragsgruppe „Miglustat, Gruppe 1“ in Stufe 1 eingefügt:

„Stufe: 1
Wirkstoff: Miglustat
Festbetragsgruppe Nr.: 1
Status: verschreibungspflichtig
Gruppenbeschreibung: orale Darreichungsformen
Darreichungsformen: Hartkapseln“

II.

Die Änderung der Richtlinie tritt am Tag nach der Veröffentlichung im Bundesanzeiger in Kraft.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter www.g-ba.de veröffentlicht.

Berlin, den 21. Juli 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V

Der Vorsitzende
Prof. Hecken

B. Bewertungsverfahren

Nach § 35 Absatz 1 SGB V bestimmt der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) in den Richtlinien nach § 92 Absatz 1 Satz 2 Nummer 6 SGB V, für welche Gruppen von Arzneimitteln Festbeträge festgesetzt werden können. In den Gruppen sollen Arzneimittel mit

4. denselben Wirkstoffen,
5. pharmakologisch-therapeutisch vergleichbaren Wirkstoffen, insbesondere mit chemisch verwandten Stoffen,
6. therapeutisch vergleichbarer Wirkung, insbesondere Arzneimittelkombinationen

zusammengefasst werden.

Der Gemeinsame Bundesausschuss ermittelt auch die nach § 35 Absatz 3 SGB V notwendigen rechnerischen mittleren Tages- oder Einzeldosen oder andere geeignete Vergleichsgrößen.

C. Dokumentation des gesetzlich vorgeschriebenen Stellungnahmeverfahrens

Nach § 35 Absatz 2 SGB V ist Sachverständigen der medizinischen und pharmazeutischen Wissenschaft und Praxis sowie der Arzneimittelhersteller und der Berufsvertretungen der Apotheker vor der Entscheidung des Gemeinsamen Bundesausschusses Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben.

Mit Beschluss vom 21. Dezember 2017 (BAnz AT 16.01.2018 B4) hat der Gemeinsame Bundesausschuss beschlossen, in Verfahren zu Festbetragsgruppenbildungen nach § 35 Absatz 1 SGB V im Sinne einer einheitlichen Verfahrenspraxis den nach § 92 Absatz 3a SGB V entsprechend 1. Kapitel § 9 der Verfahrensordnung bestimmten Kreis von Stellungnahmeberechtigten anzuhören.

Daher ist entsprechend § 92 Absatz 3a Satz 1 SGB V den Sachverständigen der medizinischen und pharmazeutischen Wissenschaft und Praxis sowie den für die Wahrnehmung der wirtschaftlichen Interessen gebildeten maßgeblichen Spitzenorganisationen der pharmazeutischen Unternehmer, den betroffenen pharmazeutischen Unternehmern, den Berufsvertretungen der Apotheker und den maßgeblichen Dachverbänden der Ärztegesellschaften der besonderen Therapierichtungen auf Bundesebene in Verfahren zu Festbetragsgruppenbildungen nach § 35 Absatz 1 SGB V Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben. Der maßgeblichen Spitzenorganisation der Medizinprodukte-Hersteller wird beschränkt auf Richtlinienänderungen bezogen auf sonstige in die Arzneimittelversorgung einbezogene Leistungen nach § 31 SGB V Gelegenheit zur Stellungnahme gegeben, weshalb vorliegend ein Stellungnahmerecht nicht besteht.

Folgende Organisationen werden angeschrieben:

Organisation	Straße	Ort
Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI)	Friedrichstr. 148	10117 Berlin
Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa)	Hausvogteiplatz 13	10117 Berlin
Bundesverband der Arzneimittel-Importeure e. V. (BAI)	EurimPark 8	83416 Saaldorf-Surheim
Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller e. V. (BAH)	Friedrichstr. 134	10117 Berlin
Biotechnologie-Industrie-Organisation Deutschland e. V. (BIO Deutschland e. V.)	Schützenstraße 6a	10117 Berlin
Verband der Arzneimittelimporteure Deutschlands e. V. (VAD)	Im Holzhau 8	66663 Merzig
Pro Generika e. V.	Unter den Linden 32 - 34	10117 Berlin
Bundesverband Medizintechnologie e.V. (BVMed)	Reinhardtstraße 29b	10117 Berlin
Arzneimittelkommission der Deutschen Ärzteschaft (AkdÄ)	Herbert-Lewin-Platz 1	10623 Berlin

Organisation	Straße	Ort
Arzneimittelkommission der Deutschen Zahnärzteschaft (AK-Z) c/o Bundeszahnärztekammer	Chausseestr. 13	10115 Berlin
Bundesvereinigung Deutscher Apothekerverbände e.V. (ABDA)	Heidestr. 7	10557 Berlin
Deutscher Zentralverein Homöopathischer Ärzte e. V.	Axel-Springer-Str. 54b	10117 Berlin
Gesellschaft Anthroposophischer Ärzte e. V.	Herzog-Heinrich-Str. 18	80336 München
Gesellschaft für Phytotherapie e. V.	Postfach 10 08 88	18055 Rostock

Darüber hinaus wurde die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens im Bundesanzeiger bekanntgemacht (BAnz AT 03.02.2022 B4).

(siehe D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation)

1. Unterlagen des Stellungnahmeverfahrens

1.1 Schriftliches Stellungnahmeverfahren

(siehe D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation)

1.2 Mündliche Anhörung

Mit Datum vom 13. April 2022 wurden die pharmazeutischen Unternehmer/Organisationen, die berechtigt sind, zu einem Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses Stellung zu nehmen und eine schriftliche Stellungnahme abgegeben haben, zu der mündlichen Anhörung eingeladen.

(siehe D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation)

2. Übersicht der eingegangenen Stellungnahmen

2.1 Übersicht der eingegangenen schriftlichen Stellungnahmen

Organisation	Eingangsdatum
Amicus Therapeutics GmbH	03.03.2022

2.2 Übersicht der Anmeldung zur mündlichen Anhörung

Die mündliche Anhörung ist entfallen, da der pharmazeutische Unternehmer auf sein Recht zur mündlichen Stellungnahme verzichtet hat.

3. Auswertung der Stellungnahmen

Einwand: keine Eingruppierung von Miglustat 65 mg zur Behandlung von Morbus Pompe

Die **Amicus Therapeutics GmbH (Amicus)** führt aus, dass sie unmittelbar von der geplanten Festbetragsgruppenbildung betroffen ist. Amicus plant derzeit das Fertigarzneimittel Opfolda™ mit dem Wirkstoff Miglustat in Europa zuzulassen und auch in Deutschland zu vermarkten.

Opfolda™ soll als Hartkapsel mit einer Wirkstärke von 65 mg zugelassen werden und ausschließlich in freier Kombination mit dem Wirkstoff Cipagluco­sidase alfa zur Langzeitbehandlung von erwachsenen Patienten mit Morbus Pompe (Mangel an saurer α -Glucosidase [GAA]) eingesetzt werden. Cipagluco­sidase alfa, ebenfalls derzeit im Zulassungsverfahren bei der European Medicines Agency (EMA), hat die beantragte Indikation „Cipagluco­sidase alfa in Kombination mit Miglustat wird gemäß Fachinformation angewendet zur Langzeitbehandlung von erwachsenen Patienten mit Morbus Pompe (saurer α -Glucosidase [GAA]-Mangel)“.

Die Zulassung beider Wirkstoffe wird derzeit für 01. November 2022 erwartet und erfolgt somit voraussichtlich noch vor dem Inkrafttreten des Festbetrags.

Orphan Drug-Status und therapeutische Verbesserung in der Indikation Morbus Pompe

Die EMA erteilte der Amicus Therapeutics Europe Limited am 11. Januar 2019 die Orphan Drug Designation (ODD) EU/3/18/2129 für Miglustat zur Behandlung der Typ II-Glykogenspeicherkrankheit (Morbus Pompe).¹

Gemäß (ODD) EU/3/18/2129 soll Miglustat in Kombination mit Cipagluco­sidase alfa (ODD EU/3/18/2000) eingesetzt werden; Cipagluco­sidase alfa gilt als neuer Wirkstoff², dessen vorgenannter Einsatz der Dossierpflicht im Rahmen einer Nutzenbewertung nach § 35a SGB V unterliegt. Somit findet im Rahmen der Nutzenbewertung eine unmittelbare Bewertung von Cipagluco­sidase alfa in Kombination mit Miglustat statt. Die pivotale Studie PROPEL (NCT03729362) untersucht Cipagluco­sidase alfa in Kombination mit Miglustat gegenüber Alglucosidase alfa. Innerhalb der G-BA-Beratung (Beratungsanforderung 2021-B-392) zur ‚hypothetischen‘ zweckmäßigen Vergleichstherapie (zVT) für Cipagluco­sidase alfa in Kombination mit Miglustat wurde Alglucosidase alfa genannt. Im Rahmen der ODD wird von einem Vorteil gegenüber Alglucosidase alfa im Bereich der verbesserten Muskelfunktion ausgegangen, welche im Rahmen des Zulassungsprozesses derzeit bewertet wird. Gemäß Art. 3 Abs. 1 lit. b der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 ist daher davon auszugehen, dass noch keine zufriedenstellende Methode für die Behandlung zugelassen wurde oder dass das betreffende Arzneimittel für diejenigen, die von diesem Leiden betroffen sind, von erheblichem Nutzen sein wird.

Mit Blick auf die Nutzenbewertung von Cipagluco­sidase alfa, welches in Kombination mit Miglustat eingesetzt werden soll, ist zu berücksichtigen, dass bei Orphan Drugs gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbsatz SGB V zudem der medizinische Zusatznutzen im Rahmen des AMNOG-Verfahrens durch die Zulassung als belegt gilt. Somit liegen basierend auf dem Orphan Drug-Status zwei maßgebliche Faktoren vor, die gegen eine Eingruppierung von Opfolda™ in die geplante Festbetragsgruppe sprechen:

- Durch die ODD bestätigt die EMA, dass Miglustat als Arzneimittel für ein seltenes Leiden die Therapie(situation) von Morbus Pompe potenziell maßgeblich verbessert.

¹ European Medicines Agency (EMA), Public summary of opinion on orphan designation. Miglustat for the treatment of glycogen storage disease type II (Pompe's disease). 2019.

² European Medicines Agency (EMA), Public summary of opinion on orphan designation. Recombinant human acid alpha-glucosidase for the treatment of glycogen storage disease type II (Pompe's disease). 2018.

Es kann daher von einer therapeutischen Verbesserung ausgegangen werden, wenn die ODD mit der Zulassung von Opfolda™ aufrechterhalten wird.

- Cipagluco­sidase alfa in Kombination mit Miglustat wird aufgrund des Orphan Drug-Status für die Gesamtheit der erwachsenen Morbus Pompe-Patienten einen Zusatznutzen erhalten. Durch den Einbezug von Opfolda™ würde somit eine Festbetragsgruppe gebildet werden, die erstmalig auch ein Fertigarzneimittel beträfe für das für die gesamte Zulassungspopulation ein durch den G-BA bestätigter Zusatznutzen und damit einhergehend eine therapeutische Verbesserung gegenüber der weiteren Therapiealternative Alglucosidase alfa vorliegt.

Opfolda™ einzig zugelassenes miglustathaltiges Fertigarzneimittel für Morbus Pompe-Patienten

Die derzeitig zugelassenen und auf dem deutschen Markt verfügbaren miglustathaltigen Fertigarzneimittel (Zavesca® und Generika) sind zur Behandlung der leichten bis mittelschweren Form der Gaucher-Krankheit des Typs 1 bei erwachsenen Patienten und zur Behandlung progressiver neurologischer Manifestationen bei erwachsenen und pädiatrischen Patienten mit Niemann-Pick-Krankheit Typ C zugelassen.³

Opfolda™ ist daher in Kombination mit Cipagluco­sidase alfa nach Markteintritt alternativlos zur Behandlung von Patienten mit Morbus Pompe. Opfolda™ ist außerdem mit einer spezifischen Dosierung von 65 mg das einzige Fertigarzneimittel speziell zur Therapie von Morbus Pompe. Innerhalb und außerhalb der geplanten Festbetragsgruppe gäbe es daher faktisch kein anderes miglustathaltiges Fertigarzneimittel, das in Kombination mit Cipagluco­sidase alfa eingesetzt werden könnte.

Aufzahlungs­freies Opfolda™ notwendig und erforderlich, um Therapie mit Cipagluco­sidase alfa sicherzustellen

Wie oben bereits ausgeführt, ist für Morbus Pompe derzeit nur Alglucosidase alfa zugelassen und in Deutschland verfügbar. Nach der Zulassung von Miglustat in Kombination mit Cipagluco­sidase alfa stehen den Patienten somit insgesamt lediglich zwei Therapieoptionen in Deutschland zur Verfügung. Da der zulassungskonforme Einsatz von Cipagluco­sidase alfa eine Dosierung von vier Hartkapseln zu 65 mg Miglustat alle 2 Wochen erfordert, ist es zwingend erforderlich, dass den Patienten aufzahlungs­freie Miglustat-Fertigarzneimittel zur Verfügung stehen. Soll demnach eine Therapie mit dem nicht festbetragsregulierten Cipagluco­sidase alfa erfolgen, wäre eine aufzahlungs­freie Versorgung mit Miglustat nicht sichergestellt. Das Bundessozialgericht (BSG) stellte bereits für den atypischen Individualfall fest, sofern keine ausreichende Versorgung zum Festbetrag möglich ist, die Leistungsbeschränkung auf den Festbetrag entfällt (BSG, Urt. v. 3.7.2012 – B 1 KR 22/11 R, Rn. 16 ff.). Es wird demnach davon ausgegangen, dass eine Festbetragsgruppenbildung die regelhaft die ausreichende Versorgung gefährdet, nicht getroffen werden darf. In der vorliegenden Konstellation kann zudem nicht darauf abgestellt werden, dass eine Therapie außerhalb der Festbetragsgruppe mit Alglucosidase alfa (Myozyme®) erfolgen könne. Dies liegt darin begründet, dass Cipagluco­sidase alfa in Kombination mit Miglustat einen Zusatznutzen im AMNOG-Verfahren erhalten wird und somit begründeterweise in der Therapie vorzuziehen ist.

Zusammenfassend ist Amicus der Auffassung, dass keine Eingruppierung von Miglustat mit der Wirkstärke 65 mg in die Festbetragsgruppe stattfinden sollte, um die aufzahlungs­freie Versorgung der Morbus Pompe-Patienten mit dem einzigen zugelassenen und Zusatznutzenbewährten Miglustat in Kombination mit Cipagluco­sidase alfa sicherzustellen.

³ Janssen-Cilag International NV, Fachinformation Zavesca® 100 mg Kapseln. 2021.

Bewertung:

Derzeit sind keine Arzneimittel mit dem Wirkstoff Miglustat in der Wirkstärke 65 mg auf dem Markt verfügbar. Unter Berücksichtigung seiner Beobachtungspflicht prüft der Gemeinsame Bundesausschuss mögliche Konkretisierungen einer Gruppenbeschreibung grundsätzlich aus Anlass der Marktverfügbarkeit entsprechender Arzneimittel.

Derzeit sieht der G-BA von einer Eingruppierung der Wirkstärke 65 mg in die Festbetragsgruppe ab.

D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation

Inhalt

Bekanntmachung des Beschlusses im Bundesanzeiger

1. Unterlagen des Stellungnahmeverfahrens
- 1.1 Schriftliches Stellungnahmeverfahren
- 1.2 Mündliche Anhörung (Einladung)



Bundesministerium für Gesundheit

Bekanntmachung des Gemeinsamen Bundesausschusses gemäß § 91 des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V)

Vom 11. Januar 2022

Der Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) hat am 11. Januar 2022 beschlossen, folgende Stellungnahmeverfahren zur Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) einzuleiten:

Anlage IX (Festbetragsgruppenbildung)

- Metformin, Gruppe 1, in Stufe 1 (Aktualisierung)
- Miglustat, Gruppe 1, in Stufe 1 (Neubildung)
- Teriparatid, Gruppe 1, in Stufe 1 (Neubildung)

Nach § 35 Absatz 2 SGB V ist unter anderem Sachverständigen der Arzneimittelhersteller vor der Entscheidung des G-BA Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben. Mit Beschluss vom 21. Dezember 2017 (BAnz AT 16.01.2018 B4) hat der G-BA beschlossen, in Verfahren zu Festbetragsgruppenbildungen nach § 35 Absatz 1 SGB V im Sinne einer einheitlichen Verfahrenspraxis den nach § 92 Absatz 3a SGB V entsprechend 1. Kapitel § 9 seiner Verfahrensordnung bestimmten Kreis von Stellungnahmeberechtigten anzuhören.

Gemäß § 92 Absatz 3a SGB V ist den Sachverständigen der medizinischen und pharmazeutischen Wissenschaft und Praxis sowie den für die Wahrnehmung der wirtschaftlichen Interessen gebildeten maßgeblichen Spitzenorganisationen der pharmazeutischen Unternehmer, den betroffenen pharmazeutischen Unternehmern, den Berufsvertretungen der Apotheker und den maßgeblichen Dachverbänden der Ärztesellschaften der besonderen Therapierichtungen auf Bundesebene zu den beabsichtigten Änderungen der AM-RL Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben.

Die entsprechenden Entwürfe zur Änderung der AM-RL werden zu diesem Zweck folgenden Organisationen und Verbänden mit der Bitte um Abgabe sachverständiger Stellungnahmen mit Schreiben vom 1. Februar 2022 zugeleitet:

Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI), Verband Forschender Arzneimittelhersteller (VFA), Bundesverband der Arzneimittelimporteure e. V. (BAI), Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller e. V. (BAH), Biotechnologie-Industrie-Organisation Deutschland e. V. (BIO Deutschland e. V.), Verband der Arzneimittelimporteure Deutschlands e. V. (VAD), Pro Generika e. V., Bundesverband Medizintechnologie e. V. (BVMed), Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ), Arzneimittelkommission der Deutschen Zahnärzteschaft (AK-Z), Bundesvereinigung deutscher Apothekerverbände (ABDA), Deutscher Zentralverein Homöopathischer Ärzte e. V., Gesellschaft Anthroposophischer Ärzte e. V., Gesellschaft für Phytotherapie e. V.

Das Stellungnahmerecht des BVMed ist beschränkt auf Änderungen der AM-RL, die sonstige in die Arzneimittelversorgung nach § 31 SGB V einbezogene Leistungen betreffen, weshalb vorliegend ein Stellungnahmerecht nicht besteht.

Stellungnahmen zu diesen Entwürfen einschließlich Literatur sowie Literatur- bzw. Anlagenverzeichnis sind – soweit nicht ausdrücklich im Original angefordert – in elektronischer Form (z. B. per CD/DVD oder per E-Mail) als Word-Datei bzw. die Literatur als PDF-Dateien

bis zum 3. März 2022

zu richten an:

Gemeinsamer Bundesausschuss
Abteilung Arzneimittel
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin
festbetragsgruppen@g-ba.de

Betroffene pharmazeutische Unternehmen, die nicht Mitglieder der oben genannten Verbände sind, erhalten die Entwürfe sowie die Tragenden Gründe bei der Geschäftsstelle des G-BA.

Die Beschlüsse und die Tragenden Gründe können auf den Internetseiten des G-BA unter www.g-ba.de eingesehen werden.

Berlin, den 11. Januar 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V

Der Vorsitzende
Prof. Hecken



Gemeinsamer Bundesausschuss

Gemeinsamer Bundesausschuss, Postfach 12 06 06, 10596 Berlin

An die
Stellungnahmeberechtigten
nach § 35 Absatz 2 SGB V

Per E-Mail

gemäß § 91 SGB V
Unterausschuss
Arzneimittel

Besuchsadresse:
Gutenbergstr. 13
10587 Berlin

Ansprechpartner/in:
Abteilung Arzneimittel

Telefon:
030 275838210

Telefax:
030 275838205

E-Mail:
arzneimittel@g-ba.de

Internet:
www.g-ba.de

Unser Zeichen:
moh/BaA (2021-20)

Datum:
1. Februar 2022

Stellungnahmeverfahren über die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Anlage IX zur Festbetragsgruppenbildung nach § 35 SGB V - Verfahren 2021-20

Sehr geehrte Damen und Herren,

der Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses hat in seiner Sitzung am 11. Januar 2022 beschlossen, ein Stellungnahmeverfahren zur Änderung der Anlage IX einzuleiten. Die Anlage IX zum Abschnitt M der Arzneimittel-Richtlinie gemäß § 35 SGB V soll wie folgt geändert werden:

Änderung der Arzneimittel-Richtlinie

- Anlage IX (Festbetragsgruppenbildung)
 - Miglustat, Gruppe 1, in Stufe 1 (Neubildung)

Bitte beachten Sie, dass die Bezeichnung der Darreichungsformen unter Verwendung der zum Preis-/Produktstand (01.10.2021) aktuellen Liste der „Standard Terms“ der Europäischen Arzneibuchkommission (EDQM = European Directorate for the Quality of Medicines) erfolgt.

Im Rahmen Ihres Stellungnahmerechts nach § 35 Absatz 2 SGB V erhalten Sie bis zum

3. März 2022

Gelegenheit zur Abgabe Ihrer Stellungnahme. Später bei uns eingegangene Stellungnahmen können nicht berücksichtigt werden.

Bitte begründen Sie Ihre Stellungnahme zum Richtlinienentwurf durch Literatur (z. B. relevante Studien). Die zitierte Literatur ist obligat im Volltext inklusive einem standardisierten und vollständigen Literatur- bzw. Anlagenverzeichnis der Stellungnahme beizufügen. Anbei erhalten Sie das Begleitblatt „Literaturverzeichnis“. Wir weisen darauf hin, dass nur Literatur, die im Volltext vorliegt, berücksichtigt werden kann.

Mit Abgabe einer Stellungnahme erklären Sie sich einverstanden, dass diese in den Tragenden Gründen bzw. in der Zusammenfassenden Dokumentation wiedergegeben werden kann. Diese Dokumente werden jeweils mit Abschluss der Beratungen im Gemeinsamen Bundesausschuss erstellt und in der Regel der Öffentlichkeit via Internet zugänglich gemacht.

Ihre Stellungnahme einschließlich Literatur sowie Literatur- bzw. Anlagenverzeichnis richten Sie – soweit nicht ausdrücklich im Original angefordert – bitte in elektronischer Form (z. B. per CD/DVD oder per E-Mail) als Word-Datei bzw. die Literatur als PDF-Datei an:

**Gemeinsamer Bundesausschuss
Unterausschuss Arzneimittel
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin
festbetragsgruppen@g-ba.de**

Bitte formulieren Sie die Betreffzeile Ihrer E-Mail möglichst kurz und prägnant durch Angabe der o. g. Verfahrensnummer sowie der „Wirkstoffgruppe“.

Mit freundlichen Grüßen

Anlagen

Beschluss

des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Einleitung
eines Stellungnahmeverfahrens zur Änderung der
Arzneimittel-Richtlinie:
Anlage IX (Festbetragsgruppenbildung) – Miglustat, Gruppe 1,
in Stufe 1

Vom 11. Januar 2022

Der Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) hat in seiner Sitzung am 11. Januar 2022 die Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens zur Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), die zuletzt durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom T. Monat JJJJ (BAnz AT TT.MM.JJJJ V[X]) geändert worden ist, beschlossen:

I. In Anlage IX der AM-RL wird folgende Festbetragsgruppe „Miglustat, Gruppe 1“ in Stufe 1 eingefügt:

„Stufe:	1
Wirkstoff:	Miglustat
Festbetragsgruppe Nr.:	1
Status:	verschreibungspflichtig
Gruppenbeschreibung:	orale Darreichungsformen
Darreichungsformen:	Hartkapseln“

II. Die Änderung der Richtlinie tritt am Tag nach der Veröffentlichung im Bundesanzeiger in Kraft.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter www.g-ba.de veröffentlicht.

Berlin, den 11. Januar 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
die Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens zur Änderung
der Arzneimittel-Richtlinie:

Anlage IX (Festbetragsgruppenbildung) – Miglustat, Gruppe 1,
in Stufe 1

Vom 11. Januar 2022

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung	2
3.	Verfahrensablauf	3
4.	Anlage	6

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35 Absatz 1 SGB V bestimmt der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) in den Richtlinien nach § 92 Absatz 1 Satz 2 Nummer 6 SGB V, für welche Gruppen von Arzneimitteln Festbeträge festgesetzt werden können. In den Gruppen sollen Arzneimittel mit

1. denselben Wirkstoffen,
 2. pharmakologisch-therapeutisch vergleichbaren Wirkstoffen, insbesondere mit chemisch verwandten Stoffen,
 3. therapeutisch vergleichbarer Wirkung, insbesondere Arzneimittelkombinationen
- zusammengefasst werden.

Der Gemeinsame Bundesausschuss ermittelt auch die nach § 35 Absatz 3 SGB V notwendigen rechnerischen mittleren Tages- oder Einzeldosen oder andere geeignete Vergleichsgrößen.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 11. Januar 2022 beschlossen, ein Stellungnahmeverfahren zur Neubildung der Festbetragsgruppe „Miglustat, Gruppe 1“ in Stufe 1 einzuleiten.

In Anlage IX der AM-RL wird folgende Festbetragsgruppe „Miglustat, Gruppe 1“ in Stufe 1 eingefügt:

„Stufe:	1
Wirkstoff:	Miglustat
Festbetragsgruppe Nr.:	1
Status:	verschreibungspflichtig
Gruppenbeschreibung:	orale Darreichungsformen
Darreichungsformen:	Hartkapseln“

Die der Neubildung der vorliegenden Festbetragsgruppe zugrundeliegenden Dokumente sind den Tragenden Gründen als Anlage beigefügt.

Alle von der Festbetragsgruppe „Miglustat, Gruppe 1“ umfassten Arzneimittel enthalten den Wirkstoff Miglustat, wobei keine hinreichenden Belege für unterschiedliche, für die Therapie bedeutsame Bioverfügbarkeiten vorliegen, die gegen die Festbetragsgruppe in der vorliegenden Form sprechen.

Als geeignete Vergleichsgröße im Sinne des § 35 Absatz 1 Satz 8 SGB V wird für die vorliegende Festbetragsgruppe der Stufe 1 gemäß 4. Kapitel § 18 Satz 1 der Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses (VerfO) die reale Wirkstärke je abgeteilter Einheit bestimmt.

3. **Verfahrensablauf**

Der Unterausschuss Arzneimittel hat eine Arbeitsgruppe mit der Beratung und Vorbereitung von Beschlussempfehlungen zur Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens bei der Neubildung von Festbetragsgruppen beauftragt, die sich aus den von den Spitzenorganisationen der Leistungserbringer benannten Mitgliedern, den vom GKV-Spitzenverband benannten Mitgliedern sowie Vertreter(innen) der Patientenorganisationen zusammensetzt.

Die AG Nutzenbewertung hat am 15. November 2021 und 13. Dezember 2021 über die Neubildung der betreffenden Festbetragsgruppe beraten.

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 11. Januar 2022 über die Neubildung der betreffenden Festbetragsgruppe beraten. Die Beschlussvorlage über die Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens wurde konsentiert und nach 1. Kapitel § 10 Absatz 1 Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses (VerfO) die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens einstimmig beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf:

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG Nutzenbewertung	15.11.2021 13.12.2021	Beratung zur Neubildung der Festbetragsgruppe
Unterausschuss Arzneimittel	11.01.2022	Beratung, Konsentierung und Beschlussfassung zur Einleitung des Stellungnahmeverfahrens hinsichtlich der Änderung der AM-RL in Anlage IX

Zum Zeitpunkt der Einleitung des Stellungnahmeverfahrens stellen die vorliegenden Tragenden Gründe den aktuellen Stand der Zusammenfassenden Dokumentation dar, welche den stellungnahmeberechtigten Organisationen zur Verfügung zu stellen sind (1. Kapitel § 10 Abs. 2 VerfO).

Als Frist zur Stellungnahme ist ein Zeitraum von 4 Wochen vorgesehen.

Eine Stellungnahme zur Richtlinienänderung ist durch Literatur (z. B. relevante Studien) zu begründen. Die zitierte Literatur ist obligat im Volltext inklusive einem standardisierten und vollständigen Literatur- bzw. Anlagenverzeichnis der Stellungnahme beizufügen. Nur Literatur, die im Volltext beigefügt ist, kann berücksichtigt werden.

Mit Abgabe einer Stellungnahme erklärt sich der Stellungnehmer einverstanden, dass diese in den Tragenden Gründen bzw. in der Zusammenfassenden Dokumentation wiedergegeben werden kann. Diese Dokumente werden jeweils mit Abschluss der Beratungen im Gemeinsamen Bundesausschuss erstellt und in der Regel der Öffentlichkeit via Internet zugänglich gemacht.

Stellungnahmeberechtigte

Nach § 35 Absatz 2 SGB V ist Sachverständigen der medizinischen und pharmazeutischen Wissenschaft und Praxis sowie der Arzneimittelhersteller und der Berufsvertretungen der Apotheker vor der Entscheidung des Gemeinsamen Bundesausschusses Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben.

Mit Beschluss vom 21. Dezember 2017 (BAnz AT 16.01.2018 B4) hat der Gemeinsame Bundesausschuss beschlossen, in Verfahren zu Festbetragsgruppenbildungen nach § 35 Absatz 1 SGB V im Sinne einer einheitlichen Verfahrenspraxis den nach § 92 Absatz 3a SGB V entsprechend 1. Kapitel § 9 der Verfahrensordnung bestimmten Kreis von Stellungnahmeberechtigten anzuhören.

Daher ist entsprechend § 92 Absatz 3a Satz 1 SGB V den Sachverständigen der medizinischen und pharmazeutischen Wissenschaft und Praxis sowie den für die Wahrnehmung der wirtschaftlichen Interessen gebildeten maßgeblichen Spitzenorganisationen der pharmazeutischen Unternehmer, den betroffenen pharmazeutischen Unternehmern, den Berufsvertretungen der Apotheker und den maßgeblichen Dachverbänden der Ärztgesellschaften der besonderen Therapierichtungen auf Bundesebene in Verfahren zu Festbetragsgruppenbildungen nach § 35 Absatz 1 SGB V Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben. Der maßgeblichen Spitzenorganisation der Medizinprodukte-Hersteller wird beschränkt auf Richtlinienänderungen bezogen auf sonstige in die Arzneimittelversorgung einbezogene Leistungen nach § 31 SGB V Gelegenheit zur Stellungnahme gegeben, weshalb vorliegend ein Stellungnahmerecht nicht besteht.

Folgende Organisationen werden angeschrieben:

Organisation	Straße	Ort
Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI)	Friedrichstr. 148	10117 Berlin
Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa)	Hausvogteiplatz 13	10117 Berlin
Bundesverband der Arzneimittel-Importeure e. V. (BAI)	EurimPark 8	83416 Saaldorf-Surheim
Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller e. V. (BAH)	Friedrichstr. 134	10117 Berlin
Biotechnologie-Industrie-Organisation Deutschland e. V. (BIO Deutschland e. V.)	Schützenstraße 6a	10117 Berlin
Verband der Arzneimittelimporteure Deutschlands e. V. (VAD)	Im Holzau 8	66663 Merzig
Pro Generika e. V.	Unter den Linden 32 - 34	10117 Berlin
Bundesverband Medizintechnologie e.V. (BVMed)	Reinhardtstraße 29b	10117 Berlin
Arzneimittelkommission der Deutschen Ärzteschaft (AkdÄ)	Herbert-Lewin-Platz 1	10623 Berlin
Arzneimittelkommission der Deutschen Zahnärzteschaft (AK-Z) c/o Bundeszahnärztekammer	Chausseestr. 13	10115 Berlin

Organisation	Straße	Ort
Bundesvereinigung Deutscher Apothekerverbände e.V. (ABDA)	Heidestr. 7	10557 Berlin
Deutscher Zentralverein Homöopathischer Ärzte e. V.	Axel-Springer-Str. 54b	10117 Berlin
Gesellschaft Anthroposophischer Ärzte e. V.	Herzog-Heinrich-Str. 18	80336 München
Gesellschaft für Phytotherapie e. V.	Postfach 10 08 88	18055 Rostock

Darüber hinaus wird die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens im Bundesanzeiger bekanntgemacht.

Berlin, den 11. Januar 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

4. Anlage

Festbetragsstufe 1

Festbetragsgruppe:

Miglustat

Gruppe 1

Gruppenbeschreibung: verschreibungspflichtig
orale Darreichungsformen
Hartkapseln *

* Die Bezeichnung der Darreichungsformen erfolgt unter Verwendung der zum Preis-/Produktstand aktuellen Liste der "Standard Terms" der Europäischen Arzneibuchkommission (EDQM = European Directorate for the Quality of Medicines), veröffentlicht im Internet unter: <https://standardterms.edqm.eu/stw/default/index> .

Preis- und Produktstand: 01.10.2021 / Verordnungsdaten: 2020

Preisübersicht zu Festbetragsgruppe Miglustat, Gruppe 1

Verordnungen (in Tsd.): 1,9 (Basis 2020)

Umsatz (in Mio. EURO): 15,5

Wirkstärke (w) Darreichungsform Packungsgröße ----- Präparat				100 KAPS 84
	Vo in Tsd	%isol.	%kum.	
MIGLUSTAT ABACUS JANSSEN		0,00	100,00	8.402,16
MIGLUSTAT ACCORD	0,20	10,85	100,00	7.127,01
MIGLUSTAT BLUEF	0,35	18,65	89,15	7.129,42
MIGLUSTAT CC JANSSEN	0,05	2,67	70,50	7.176,63
MIGLUSTAT DIPHARMA	0,01	0,48	67,82	6.464,66
MIGLUSTAT GENORPH	0,18	9,78	67,34	7.111,29
MIGLUSTAT JANSSEN	0,86	46,02	57,56	9.741,54
MIGLUSTAT KOHL GENORPH		0,00	11,54	7.109,23
MIGLUSTAT KOHL JANSSEN		0,00	11,54	9.593,33
MIGLUSTAT ORI GENORPH		0,00	11,54	7.109,21
MIGLUSTAT ORI JANSSEN	0,06	3,42	11,54	8.423,21
MIGLUSTAT PIRAMAL	0,15	8,12	8,12	6.124,60
Summen (Vo in Tsd.)	1,87			1,87
Anteilswerte (%)				100,00

Abkürzungen:

Darreichungsformen

Kürzel

Langform

KAPS

Kapseln, Hartkapseln, Weichkapseln

Erläuterungen zur Erstellung von Literaturlisten als Anlagelhrer Stellungnahme

Bitte verwenden Sie zur Auflistung der zitierten Literatur die beigegefügte Tabellen-Vorlage „Literaturverzeichnis“.

Für jede Literaturstelle sind immer 3 Felder (Zeilen) vorgegeben.

Bitte tragen Sie Autoren, Titel und Quellenangabe in die dafür vorgesehenen Zeilen entsprechend des u.a. Musters ein.

Nr.	Feldbezeichnung	Text
1.	AU:	(Autoren, Körperschaft, Herausgeber: getrennt durch Semikolon)
	TI:	(Titel)
	SO:	(Quelle: Zeitschrift, Internetadresse, Ort/Verlag/Jahr)

Bitte verwenden Sie diese Tabellenstruktur unverändert inklusive der vorgegebenen Feldbezeichnungen.

Die korrekte Eingabe für unterschiedliche Literaturtypen finden Sie im folgenden Beispiel:

Literaturliste [Institution/Firma] Niereninsuffizienz

	Nr.	Feldbezeichnung	Text
<i>Beispiel für Zeitschriftenartikel</i>	1	AU:	National Guideline Clearinghouse; National Kidney Foundation
		TI:	Clinical practice guidelines for nutrition in chronic renal failure
		SO:	Am J Kidney Dis / 35/6 Suppl 2 (S1-140) /2000/
<i>Beispiel für Buchkapitel</i>	2	AU:	Druml W
		TI:	Ernährung bei Krankheiten der Niere. In: Stein J, Jauch KW (Ed) . Praxishandbuch klinische Ernährung und Infusionstherapie
		SO:	Berlin: Springer. 2003. S. 521-38
<i>Beispiel für Buch</i>	3	AU:	Stein J; Jauch KW (Eds)
		TI:	Praxishandbuch klinische Ernährung und Infusionstherapie
		SO:	Berlin: Springer. 2003
<i>Beispiel für Internetdokument</i>	4	AU:	National Kidney Foundation
		TI:	Adult guidelines. Maintenance Dialysis. Nutritional Counseling and Follow-Up
		SO:	http://www.kidney.org/professionals/doqi/doqi/nut_a19.html
<i>Beispiel für HTA-Dokument</i>	5	AU:	Cummins C; Marshall T; Burls A
		TI:	Percutaneous endoscopic gastrostomy (PEG) feeding in the enteral nutrition of dysphagic stroke patients
		SO:	Birmingham: WMHTAC.2000

Stellungnahmeverfahren zum Thema Festbetragsgruppenbildung
 [2021-20_Miglustat_G1S1]

Literaturliste [Hier Institution / Firma eingeben] Indikation [Hier zutreffende Indikation eingeben]

Nr.	Feldbezeichnung	Text
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	

Gemeinsamer Bundesausschuss, Postfach 12 06 06, 10596 Berlin

Stellungnahmeberechtigte
nach § 91 Absatz 9 Satz 1 SGB V

vorab per E-Mail

**gemäß § 91 SGB V
Unterausschuss
Arzneimittel**

Besuchsadresse:
Gutenbergstr. 13
10587 Berlin

Ansprechpartner/in:
Abteilung Arzneimittel

Telefon:
030 275838226

Telefax:
030 275838205

E-Mail:
festbetragsgruppen@g-ba.de

Internet:
www.g-ba.de

Unser Zeichen:
Moh/nr (2021-20)

Datum:
13. April 2022

Sachverständigen-Anhörung gemäß § 91 Absatz 9 Satz 1 SGB V zur Änderung der Anlage IX der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL)

Sehr geehrte Damen und Herren,

nach § 91 Absatz 9 Satz 1 SGB V i. V. m. 1. Kapitel § 12 Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses ist vor einer Entscheidung des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie jedem, der berechtigt ist, zu einem Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses Stellung zu nehmen und eine schriftliche Stellungnahme abgegeben hat, in der Regel auch Gelegenheit zu einer mündlichen Stellungnahme zu geben.

Der Vorsitzende des zuständigen Unterausschusses Arzneimittel hat demzufolge bezüglich der

Änderung der Arzneimittel-Richtlinie

- **Anlage IX (Festbetragsgruppenbildung)
– Miglustat, Gruppe 1, in Stufe 1**

eine mündliche Anhörung anberaumt.

Die Anhörung findet statt:

**am 9. Mai 2022
um 16:30 Uhr**

**im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin
als eMeeting**

Zu dieser Anhörung laden wir Sie hiermit herzlich ein.

An der Anhörung können für jeden mündlich Stellungnahmeberechtigten höchstens jeweils zwei Sachverständige teilnehmen.

Bitte teilen Sie uns bis zum 27. April 2022 per E-Mail (festbetragsgruppen@g-ba.de) mit, ob Sie an der mündlichen Anhörung teilnehmen werden und benennen Sie in dem Fall bitte auch die teilnehmenden Personen und deren E-Mail-Adressen.

Es steht Ihnen frei, auf Ihr mündliches Stellungnahmerecht zu verzichten.

Voraussetzung für die Teilnahme an der mündlichen Anhörung ist die Abgabe einer vollständig ausgefüllten Offenlegungserklärung. Bitte prüfen Sie deshalb, ob Sie alle Fragen beantwortet haben und unterschreiben Sie die Offenlegungserklärung mit Datumsangabe zweimalig im dafür vorgesehen Abschnitt auf Seite 3.

Die Offenlegungserklärung ist im Original zur mündlichen Anhörung vorzulegen. Ausnahmsweise können Sie ihre Offenlegungserklärung als Scan oder Foto an arzneimittel@g-ba.de richten.

Die mündliche Anhörung dient in erster Linie dazu, die sich aus der schriftlichen Stellungnahme ergebenden Fragen zu klären und neuere Erkenntnisse, die sich zeitlich nach Abschluss des schriftlichen Stellungsnahmeverfahrens ergeben haben, einzubringen.

PowerPoint-Präsentationen sind jedoch leider nicht möglich. Bitte beachten Sie, dass die mündliche Anhörung in deutscher Sprache stattfindet. Ausführungen in anderen Sprachen werden nicht protokolliert.

Die Einwahldaten erhalten Sie rechtzeitig vor der Sitzung per E-Mail.

Für Rückfragen stehen wir Ihnen gerne zur Verfügung.

Mit freundlichen Grüßen

Anlage