

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie:

Anlage IX (Festbetragsgruppenbildung)

– Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch, Gruppe 1, in Stufe 1

Vom 15. Dezember 2022

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung	6
4.	Verfahrensablauf	6
5.	Anlage	8

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 „Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch, 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 durchgeführt.

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

„Stufe:	1
Wirkstoff:	Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch
Festbetragsgruppe Nr.:	1
Status:	verschreibungspflichtig
Gruppenbeschreibung:	parenterale Darreichungsformen
Darreichungsformen:	Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektionslösung, Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektions-/Infusionslösung“

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

Alle von der Festbetragsgruppe „Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch, Gruppe 1“ umfassten Arzneimittel enthalten den Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch, 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.

Aus der Auswertung des Stellungnahmeverfahrens haben sich keine Änderungen ergeben.

Dem Einwand, dass es Unterschiede zwischen den in die Festbetragsgruppe einbezogenen Arzneimitteln gibt, ist zu entgegnen, dass nach der Gesetzessystematik die Festbetragsgruppenbildung der Stufe 1 auf der Ebene derselben Wirkstoffe erfolgt. Die zugelassenen Anwendungsgebiete sind bei Festbetragsgruppen der Stufe 1 daher grundsätzlich nicht zu berücksichtigen. Unterschiedliche Bioverfügbarkeiten wirkstoffgleicher Arzneimittel sind zu berücksichtigen, sofern sie für die Therapie bedeutsam sind.

Diese Voraussetzungen treffen auf die vorliegende Festbetragsgruppenbildung der Stufe 1 mit dem Wirkstoff Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch zu. Eine alle Aspekte des Wirkstoffes betreffende, vollständige Übereinstimmung wird mit den Regelungen in der Verfahrensordnung für eine Festbetragsgruppenbildung der Stufe 1 nicht gefordert. Auch ist in allen Fachinformationen der einbezogenen Arzneimittel der ATC-Code B02BD02 für Antihämorrhagika, Blutgerinnungsfaktor VIII angegeben.

Alle von der Festbetragsgruppe umfassten Arzneimittel sind zugelassen zur Anwendung bei kongenitalem Faktor VIII-Mangel, drei der vier Arzneimittel sind zudem zugelassen zur Anwendung bei erworbenem Faktor VIII-Mangel. Zwei der Arzneimittel, Faktor VIII SDH Intersero und Octanate, sind außerdem zugelassen für die Behandlung von Hemmkörperhämophilie mit Faktor VIII-Inhibitor. Ein solitäres Anwendungsgebiet weist keines der einbezogenen Arzneimittel auf.

Es liegen keine für die Therapie bedeutsamen Unterschiede hinsichtlich der Bioverfügbarkeit vor. Der G-BA stellt ausgehend von Sinn und Zweck einer Festbetragsgruppenbildung auf Ebene derselben Wirkstoffe bei der Anwendung des Begriffes der Bioverfügbarkeit in erster Linie auf das absolute Ausmaß der Bioverfügbarkeit ab. Alle Arzneimittel werden intravenös appliziert, es liegt also für alle Arzneimittel eine absolute Bioverfügbarkeit von 100 % vor. Auch sind den Fachinformationen der einbezogenen Präparate ähnliche Angaben im Abschnitt 5.2 Pharmakokinetische Eigenschaften zu entnehmen. Wie auch von einem der Stellungnehmenden dargestellt, liegt die mittlere Halbwertszeit für alle Arzneimittel im Bereich von 12 bis 14 Stunden. Unterschiede bezüglich der Clearance und AUC lassen sich aus den Angaben der Fachinformation nicht ableiten.

Auch lassen sich keine Informationen zu therapeutisch relevanten Unterschieden der Bioverfügbarkeiten aus den Dosierungsempfehlungen ableiten, da es keine Unterschiede bei den Angaben zur Dosierung in den Fachinformationen gibt. Die Dosierung bei Bedarfsbehandlung wird für alle Arzneimittel gleich angegeben (*Benötigte Einheiten = Körpergewicht (kg) × gewünschter Faktor-VIII-Anstieg (%) × 0,5*), wobei darauf hingewiesen wird, dass die zu verabreichende Menge und die Häufigkeit der Verabreichung sich immer nach der klinischen Wirksamkeit im Einzelfall richten sollten.

Zur Prophylaxe findet sich bei allen Arzneimitteln die Angabe, dass bei der Langzeitprophylaxe von Blutungen bei Patientinnen und Patienten mit schwerer Hämophilie A die üblichen Dosen 20 bis 40 I.E. Faktor VIII pro kg Körpergewicht in Intervallen von 2 bis 3 Tagen betragen. In manchen Fällen, besonders bei jüngeren Patientinnen und Patienten, können kürzere Dosierungsintervalle oder höhere Dosen notwendig sein.

Daher ist keines der Arzneimittel mit dem Wirkstoff Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch aufgrund einer unterschiedlichen Bioverfügbarkeit für die ärztliche Therapie generell oder auch nur in bestimmten, nicht seltenen Konstellationen unverzichtbar, so dass es zur Behandlung von Patientinnen und Patienten durch ein anderes wirkstoffgleiches Arzneimittel nicht gleichwertig ersetzt werden könnte.

Sofern Unterschiede bezüglich der enthaltenen Proteine bestehen, so steht dies der Festbetragsgruppenbildung nicht entgegen.

Unterschiede in Bezug auf die spezifische Aktivität werden bei der Dosierung berücksichtigt und sprechen nicht gegen die Zusammenfassung der Arzneimittel in eine Festbetragsgruppe der Stufe 1. Mit Blick auf die zu applizierende Menge oder andere Eigenschaften der Arzneimittel finden sich keine Hinweise in der Fachinformationen, dass ein Arzneimittel für Kinder geeigneter wäre als die anderen.

Wenn eingewendet wird, dass die patientenindividuelle Dosierung gegen die Festbetragsgruppenbildung spreche, so ist dem entgegen zu halten, dass die patientenindividuelle Dosierung der Arzneimittel mit Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch spricht nicht gegen die Festbetragsgruppenbildung. Wie obenstehend dargestellt, weichen die Dosierungsempfehlungen in den Fachinformationen der einzelnen Arzneimittel nicht voneinander ab.

Es wird nicht nachvollziehbar dargelegt, dass es relevante Unterschiede bei den benötigten Wirkstoffmengen zwischen den einzelnen in die Festbetragsgruppe einbezogenen Arzneimitteln gibt. Aus einer patientenindividuellen Dosierung ergibt sich dies nicht automatisch.

Dem Einwand hinsichtlich einer möglichen Verzerrung aufgrund der unterschiedlichen Anwendungsgebiete wird nicht gefolgt. Bei der gebildeten Festbetragsgruppe der Stufe 1 erfolgt keine Vergleichsgrößenberechnung unter Berücksichtigung von Verordnungsanteilen, die die Vergleichsgröße in Abhängigkeit vom Anwendungsgebiet beeinflussen könnten. Erfolgt zudem ein Austausch nach § 129 Absatz 1 SGB V ist die Übereinstimmung in einem von mehreren Anwendungsgebieten ausreichend.

Unabhängig davon wurde für die vorliegende Festbetragsgruppe der Stufe 1 als geeignete Vergleichsgröße die reale Wirkstärke je abgeteilter Einheit bestimmt. Damit werden alle zugelassenen Wirkstärken hinreichend berücksichtigt. Der G-BA setzt voraus, dass die Zulassungsbehörden nur therapeutisch sinnvolle Wirkstärken zulassen. Alle in die Festbetragsgruppe einbezogenen Wirkstoffe weisen als gemeinsames Anwendungsgebiet kongenitalen Faktor-VIII-Mangel aus. Unter diesem Gesichtspunkt sind alle Wirkstoffe gleichermaßen von etwaigen Unterschieden in den Therapieschemata der Prophylaxe und Therapie angeborener oder erworbenen Blutungen bei Hämophilie A einerseits und der Hemmkörperhämophilie andererseits betroffen. Insoweit wird dem Gleich- sowie dem Ungleichbehandlungsgebot in angemessenem Maße Rechnung getragen und die Grenzen der abstrakt-generellen Normen immanenten und sachlich gerechtfertigten Typisierung nicht überschritten.

Es wird eingewendet, dass die in die Festbetragsgruppe einbezogenen Arzneimittel nicht denselben Wirkstoff beinhalten. Dem ist zu entgegnen, dass gemäß 4. Kapitel § 16 Absatz 1 VerfO derselbe Wirkstoff menschlicher, tierischer, pflanzlicher oder chemischer Herkunft oder ein auf biotechnologischem Weg hergestellter Stoff sein kann. Diese Voraussetzungen treffen auf die vorliegende Festbetragsgruppenbildung der Stufe 1 mit dem Wirkstoff Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch zu. Eine alle Aspekte des Wirkstoffes betreffende, vollständige Übereinstimmung wird mit den Regelungen in der Verfahrensordnung für eine Festbetragsgruppenbildung der Stufe 1 nicht gefordert. Auch ist in allen Fachinformationen der einbezogenen Arzneimittel der ATC-Code B02BD02 für Antihämorrhagika, Blutgerinnungsfaktor VIII

angegeben. Bei Arzneimitteln mit Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch handelt es sich um biologische Arzneimittel menschlicher Herkunft.

Unterschiedliche Herstellungsverfahren oder Ausgangsmaterialien stehen dabei einer Festbetragsgruppenbildung der Stufe 1 nicht entgegen. Das gilt auch für unterschiedliche Applikationssysteme, Haltbarkeitsdauer und Lagerungsvorschriften. Festbeträge sollen Wirtschaftlichkeitsreserven ausschöpfen und einen wirksamen Preiswettbewerb auslösen. Dabei geht der Gesetzgeber grundsätzlich davon aus, dass wirkstoffgleiche Arzneimittel untereinander hinreichend vergleichbar sind, um miteinander in einen wirksamen Preiswettbewerb einzutreten.

Es besteht keine Einschränkung dahingehend, dass Festbetragsgruppen der Stufe 1 auf Originalarzneimittel und Generika bzw. Referenzarzneimittel und Biosimilars beschränkt sind. Das Aufgreifkriterium ist derselbe Wirkstoff.

Wenn eingewendet wird, dass eine mögliche Hemmkörperbildung gegen die Bildung der Festbetragsgruppe spreche, so ist dem entgegenzuhalten, dass die Frage, ob ein Präparatewechsel das Risiko erhöht, aus der vorgelegten Literatur und den widersprüchlichen Ergebnissen nicht eindeutig ableitbar ist.

Es obliegt der Entscheidung der behandelnden Ärztin oder des behandelnden Arztes, in der jeweiligen Behandlungssituation ein geeignetes Präparat zu verordnen. Mit einer Festbetragsgruppenbildung werden keine therapeutischen Entscheidungen hinsichtlich der Auswahl eines Fertigarzneimittels präjudiziert. Erweist sich ein Arzneimittel, für das ein Festbetrag festgesetzt wurde, im Einzelfall als alternativlos, ist in diesem Fall eine aufzahlungsfreie Versorgung sichergestellt (BSG, Urt. v. 03.07.2012 – B 1 KR 22/11 R, Rn. 16 ff.).

Es wird eingewendet, dass durch das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) bereits 2020 eine Preisneuordnung für die von der Festbetragsgruppe erfassten Produkte erfolgt ist. Dem wird entgegnet, dass Zeitpunkt, Zuschnitt und Auswahl der Festbetragsgruppenbildung im Gestaltungsspielraum des Gemeinsamen Bundesausschusses liegen (BSG, Urt. v. 01.03.2011, Az. B 1 KR 10/10 R, Rn. 38). Dabei erachtet der Gemeinsame Bundesausschuss die Festbetragsgruppenbildung als Instrument, insbesondere zur weitergehenden Förderung des Wettbewerbs zum jetzigen Zeitpunkt als sachangemessen.

Mit dem GSAV wurden nach einem speziellem Verfahren Arzneimittel zur Hämophiliebehandlung der Arzneimittelpreisverordnung (AMPreisV) unterworfen und damit die bis dahin bestehende Sonderbehandlung dieser Arzneimittel beendet. Auch wenn es in diesem Verfahren zu einer Neuordnung des Preisgefüges gekommen ist, steht die Neureglung durch das GSAV der Festbetragsgruppenbildung nicht entgegen.

Wenn eingewendet wird, dass mit der Festbetragsgruppe die Versorgungssicherheit gefährdet werde, so ist dem zu entgegnen, dass das primäre Ziel von Festbeträgen gerade darin liegt, Wirtschaftlichkeitsreserven auszuschöpfen und einen wirksamen Preiswettbewerb auszulösen. Sie haben sich deshalb an möglichst preisgünstigen Versorgungsmöglichkeiten auszurichten. Sie sind so festzusetzen, dass sie im Allgemeinen eine ausreichende, zweckmäßige und wirtschaftliche sowie in der Qualität gesicherte Versorgung gewährleisten.

Dem Evaluationsbericht des BMG zur Änderung der Hämophilie-Versorgung durch das GSAV (Bundesrat Drucksache 491/21) ist zu entnehmen, dass es durch die Neuordnung der Versorgung und der Preisgestaltung nicht zu Versorgungsengpässen gekommen ist und auch keine Marktaustritte erfolgt sind. Aktuell bestehen keine Lieferengpässe für Arzneimittel mit dem Wirkstoff Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch (Lieferengpassmeldungen bei PharmNet.Bund, Stand 29.09.2022).

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 über die Neubildung der betreffenden Festbetragsgruppe beraten.

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 7. Dezember 2021 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 am 5. September 2022 durchgeführt.

Die eingegangenen Stellungnahmen wurden in verschiedenen Sitzungen des Unterausschusses und der AG Nutzenbewertung beraten.

Zeitlicher Beratungsverlauf:

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG Nutzenbewertung	15.11.2021	Beratung zur Neubildung der Festbetragsgruppe
Unterausschuss Arzneimittel	07.12.2021	Beratung, Konsentierung und Beschlussfassung zur Einleitung des Stellungnahmeverfahrens hinsichtlich der Änderung der AM-RL in Anlage IX
Unterausschuss Arzneimittel	09.03.2022	Information über eingegangene Stellungnahmen und Beratung über weiteres Vorgehen
AG Nutzenbewertung	14.03.2022 18.07.2022	Beratung über Auswertung der schriftlichen Stellungnahmen
Unterausschuss Arzneimittel	09.08.2022	Beratung über Auswertung der schriftlichen Stellungnahmen und Terminierung der mündlichen Anhörung
Unterausschuss Arzneimittel	05.09.2022	Durchführung der mündlichen Anhörung
AG Nutzenbewertung	17.10.2022	Beratung über Auswertung der schriftlichen und mündlichen Stellungnahmen

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
Unterausschuss Arzneimittel	08.11.2022	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage
Plenum	15.12.2022	Beschlussfassung

Berlin, den 15. Dezember 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

5. Anlage

Festbetragsstufe 1

Festbetragsgruppe:

Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch

Gruppe 1

Gruppenbeschreibung: verschreibungspflichtig
parenterale Darreichungsformen
Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektionslösung,
Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektions-
/Infusionslösung *

* 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> .

Preisübersicht zu Festbetragsgruppe Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch, Gruppe 1

Verordnungen (in Tsd.): 148,8 (Basis 2020)

Umsatz (in Mio. EURO): 144,0

Wirkstärke (w) Darreichungsform Packungsgröße				250 PULV 1	500 PULV 1	1000 PULV 1	2000 PULV 1
Präparat	Vo in Tsd	%isol.	%kum.				
FAKTORVIIIPLASMA BIOTEST	44,94	30,20	100,00	231,98	452,93	894,80	
FAKTORVIIIPLASMA CC CSL		0,00	69,80			966,61	1.910,26
FAKTORVIIIPLASMA CC OCTAPHARMA		0,00	69,80			766,40	
FAKTORVIIIPLASMA CSL	42,32	28,43	69,80	249,95	488,86	966,67	1.910,27
FAKTORVIIIPLASMA INTERSERO	26,09	17,53	41,37	266,42	521,80	1.032,55	
FAKTORVIIIPLASMA OCTAPHARMA	35,47	23,84	23,84	199,93	388,83	766,59	
FAKTORVIIIPLASMA ORI CSL		0,00	0,00		488,84	966,65	1.910,25
FAKTORVIIIPLASMA ORI OCTAPHARMA		0,00	0,00			766,37	
Summen (Vo in Tsd.)	148,81			3,94	11,79	115,37	17,72
Anteilswerte (%)				2,65	7,92	77,53	11,90

Abkürzungen:

Darreichungsformen

Kürzel

Langform

PULV

Pulver / Pulver für ein Konzentrat / Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektionslösung /

Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektions- / Infusionslösung