



# Zusammenfassende Dokumentation

über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie:  
Anlage X (Festbetragsgruppenbildung)  
– Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch, Gruppe 1, in Stufe 1

Vom 15. Dezember 2022

## Inhalt

<b>A.</b>	<b>Tragende Gründe und Beschluss .....</b>	<b>2</b>
<b>B.</b>	<b>Bewertungsverfahren.....</b>	<b>3</b>
<b>C.</b>	<b>Dokumentation des gesetzlich vorgeschriebenen Stellunghnahmeverfahrens.....</b>	<b>3</b>
<b>1.</b>	<b>Unterlagen des Stellunghnahmeverfahrens.....</b>	<b>5</b>
1.1	Schriftliches Stellunghnahmeverfahren .....	5
1.2	Mündliche Anhörung.....	5
<b>2.</b>	<b>Übersicht der eingegangenen Stellunghnahmen.....</b>	<b>5</b>
2.1	Übersicht der eingegangenen schriftlichen Stellunghnahmen .....	5
2.2	Übersicht der Anmeldung zur mündlichen Anhörung .....	6
<b>3.</b>	<b>Auswertung der Stellunghnahmen.....</b>	<b>8</b>
<b>4.</b>	<b>Wortprotokoll der mündlichen Anhörung .....</b>	<b>38</b>
<b>D.</b>	<b>Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation .....</b>	<b>45</b>

**A. Tragende Gründe und Beschluss**

werden ergänzt!

## 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

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.

Die vorgeschlagene Neubildung der Festbetragsgruppe „Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch, Gruppe 1“ in Stufe 1 erfüllt die Voraussetzungen für eine Festbetragsgruppenbildung nach § 35 Absatz 1 Satz 2 Nummer 1 SGB V.

## 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 Ärztesellschaften 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

<b>Organisation</b>	<b>Straße</b>	<b>Ort</b>
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 Holzhaus 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
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 17.01.2022 B5)

(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 12. August 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**

<b>Organisation</b>	<b>Eingangsdatum</b>
CLS Behring GmbH	14.02.2022
Novo Nordisk Pharma GmbH	10.02.2022
Octapharma GmbH	11.02.2022
Takeda Pharma Vertriebs GmbH & Co. KG	14.02.2022
Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller e. V. (.B.A.H)	13.02.2022
Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V (BPI)	14.02.2022
Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa)	10.02.2022

## 2.2 Übersicht der Anmeldung zur mündlichen Anhörung

Organisation	Teilnehmer
CLS Behring GmbH	Herr Fabian Jülich Frau Mareike Radke
Novo Nordisk Pharma GmbH	Dr. Markus Fußer Kilian Dambacher
Octapharma GmbH	Michael Moll Bärbel Helmich
Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG	Christian Lüddecke Saskia Steuber
Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller e. V. (.B.A.H)	Lutz Boden
Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e.V. (BPI)	Christine Lietz Dr. Nicole Armbrüster
Verband Forschender Arzneimittelhersteller e.V. (vfa)	Dr. Jan M. Bungenstock

### 2.2.1 Zusammenfassende Angaben der Offenlegungserklärung

Organisation, Name	Frage 1	Frage 2	Frage 3	Frage 4	Frage 5	Frage 6
CLS Behring Hr. Jülich	Ja	Nein	Nein	Nein	Nein	Nein
CLS Behring Fr. Radke	Ja	Ja	Nein	Nein	Nein	Ja
Novo Nordisk Hr. Fußer	Ja	Nein	Nein	Nein	Nein	Nein
Novo Nordisk Hr. Dambacher	Ja	Nein	Nein	Nein	Nein	Ja
Octapharma Fr. Helmich	Ja	Nein	Nein	Nein	Nein	Nein

<b>Organisation, Name</b>	<b>Frage 1</b>	<b>Frage 2</b>	<b>Frage 3</b>	<b>Frage 4</b>	<b>Frage 5</b>	<b>Frage 6</b>
Octapharma Hr. Moll	Ja	Nein	Nein	Nein	Nein	Ja
Takeda Hr. Lüddecke	Ja	Nein	Nein	Nein	Nein	Nein
Takeda Fr. Steuber	Ja	Nein	Nein	Nein	Nein	Nein
B.A.H. Hr. Boden	Ja	Nein	Nein	Nein	Nein	Nein
BPI Fr. Lietz	Ja	Nein	Nein	Nein	Nein	Nein
BPI Fr. Armbrüster	Ja	Nein	Nein	Nein	Nein	Nein
vfa Hr. Bungenstock	Ja	Nein	Nein	Nein	Nein	Ja



### 3. Auswertung der Stellungnahmen

#### 1. Einwand: Unterschiede zwischen den einbezogenen Arzneimitteln

*Der Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller e. V. (BAH) führt aus, dass sich die Besonderheiten der Blutprodukte vor allem darin widerspiegeln, dass es erhebliche Unterschiede zwischen den verschiedenen pdFVIII gibt, die die Bildung einer einheitlichen Festbetragsgruppe von vornherein als problematisch erscheinen lassen.*

*Zum generellen Verständnis sei vorausgeschickt, dass es sich bei den pdFVIII um Produkte handelt, die aus menschlichem Blutplasma gewonnen werden. An die Gewinnung des Plasmas schließt sich ein Reinigungsprozess an, der als wichtigstes Ziel hat, mögliche Krankheitsauslöser (z. B. Viren) zu entfernen. Neben der Selektion der Blutspender und dem Test des verarbeiteten Plasmas gehören zahlreiche inaktivierende Produktionsschritte zum heutigen Sicherheitsstandard. Dabei gibt es je nach Hersteller und je nach den angewendeten Prozessen und Verfahren relevante Unterschiede zwischen den Präparaten.*

*Dies ist zunächst an der Herkunft sowie der Reinheit (mittlere spezifische Aktivität) der Produkte festzumachen<sup>1</sup>. Die Qualität eines Faktor VIII (FVIII)-Präparates ist nach der Querschnittsleitlinie der Bundesärztekammer (BÄK) u. a. von dem Reinheitsgrad des Konzentrates (spezifische Aktivität, Proteinverunreinigungen) sowie dem Virusinaktivierungsverfahren abhängig.*

*Weiterhin enthalten plasmatische Faktor VIII-Präparate zusätzlich andere Proteine, die in ihrer Zusammensetzung von Präparat zu Präparat unterschiedlich sein können und die in den Gelenken, im Blut und in den Gefäßen zelluläre Prozesse beeinflussen können. Zum Beispiel zeigt eine Studie, dass bei dem Produkt Faktor VIII SDH Intersero die Adenosindiphosphat-induzierte Bindung von Fibrinogen an Blutplättchen verstärkt wird, während diese biochemischen Vorgänge bei Applikation der Faktorpräparate Beriate, Octanate und Haemoctin nicht stattfinden<sup>2</sup>. Dies zeigt sich insbesondere bei dem Vergleich der einzelnen Fachinformationen. Die ersten Unterschiede zeigen sich in den zugelassenen Indikationen: Während Beriate, Octanate und Faktor VIII SDH Intersero jeweils zur Behandlung des erworbenen Faktor VIII-Mangels (ICD-10-Code: D68.38) zugelassen sind, hat Haemoctin nur die mit den anderen Präparaten übereinstimmende Zulassung zur Behandlung des Hereditären Faktor VIII-Mangels (ICD-10-Code: D66). Darüber hinaus sind Octanate und Faktor VIII SDH Intersero zur Behandlung von Hemmkörperhämophilie mit Faktor VIII-Inhibitor (ICD-10-Code: D68.31) zugelassen. Dies ist sowohl ein konkreter Hinweis auf die Ungleichheit zwischen den Präparaten sowie auch Auslöser für sehr unterschiedliche Dosierungen innerhalb eines Präparates je Sub-Indikation (s. u.).*

*Der weitere Vergleich der Fachinformationen (CSL Behring GmbH, 2020<sup>3</sup>; Intersero GmbH, 2020<sup>4</sup>; Biotest Pharma GmbH, 2020<sup>5</sup> & OCTAPHARMA GmbH, 2021<sup>6</sup>) zeigt große Abweichungen zwischen Beriate und den drei anderen Präparaten der aufgerufenen Gruppe. Während Haemoctin, Octanate und Faktor VIII SDH Intersero gleiche Eigenschaften aufweisen,*

---

1 Mancuso ME, Mannucci PM, Rocino A, Garagiola I, Tagliaferri A, Santagostino E  
Source and purity of factor VIII products as risk factors for inhibitor development in patients with hemophilia A  
J Thromb Haemost / 10/5 (S781–90) /2012/  
doi: 10.1111/j.1538-7836.2012.04691.x

2 Bertling A; Brodde MF; Visser M; Treffon J; Fennen M; Fender AC; Kelsch R; Kehrel BE. Components in Plasma-Derived Factor VIII, But Not in Recombinant Factor VIII Downregulate Anti-Inflammatory Surface Marker CD163 in Human Macrophages through Release of CXCL4 (Platelet Factor 4)  
Transfus Med Hemother / 44/5 (S351-357) /2017/ doi: 10.1159/000472157

3 CSL Behring GmbH. Fachinformation: Beriate® 250/500/1000/2000 (Stand: 02/2020)

4 Intersero GmbH. Fachinformation: Faktor VIII SDH Intersero (Stand: 09/2020)

5 Biotest Pharma GmbH. Fachinformation: Haemoctin® SDH 250/500/1000 (Stand: 11/2020)

6 OCTAPHARMA GmbH. Fachinformation: OCTANATE 250/500/1000 (Stand: 04/2021)

unterscheidet sich Beriate in den Bereichen der Haltbarkeit, Wirkstärken, spezifischen Aktivität der einzelnen Wirkstärken sowie Menge des Lösungswassers deutlich:

	<b>Beriate</b>	<b>Haemoctin</b>	<b>Octanate</b>	<b>Faktor VIII SDH Intersero</b>
<b>Zulassungsinhaber</b>	CSL Behring GmbH	Biotest Pharma GmbH	OCTAPHARMA GmbH	Intersero GmbH
<b>Haltbarkeit bei 2-8 Grad</b>	36 Monate	24 Monate	24 Monate	24 Monate
<b>Haltbarkeit bei Raumtemperatur (bis 25 Grad)</b>	1 Monate	24 Monate	24 Monate	24 Monate
<b>Verfügbare I.E.</b>	250/500/1000/2000	250/500/1000	250/500/1000	250/500/1000
<b>mittlere spezifische Aktivität</b>	ca. 400 I.E./mg Protein	ca. 100 I.E./mg Protein	ca. 100 I.E./mg Protein	ca. 100 I.E./mg Protein
<b>Menge Lösungswasser für Injektionszwecke</b>	2,5/5/10 ml	5 ml	5 ml	5 ml

Besonders kritisch sind hierbei die Unterschiede im Hinblick auf die mittlere spezifische Aktivität der genannten Gerinnungsfaktoren humanplasmatischer Herkunft.

Im Sinne der (Un-)Gleichheit der Präparate für den Patienten ist besonders kritisch, dass die Präparate mit unterschiedlichen Lösungsmittel-Volumina verabreicht werden. Dies kann bei schlechter Beschaffenheit der Venen und besonders jungen Patienten dazu führen, dass das Präparat nicht verabreicht werden kann, da das Volumen zu groß ist. Ebenfalls ist es für die Patienten vorteilhafter, sowohl im Hinblick auf die Behandlungssicherheit als auch für ein niedrigeres Infektionsrisiko bei der Heimselbstbehandlung, auf höhere Wirkstärken zurückzugreifen, um multiple Injektionen während eines Behandlungsdurchlaufs zu vermeiden.

Ebenso ist die Haltbarkeit der Präparate ein wichtiger Aspekt für das Handling der Medikamente im Zuge der Heimselbstbehandlung. Die chronische Erkrankung führt dazu, dass im Sinne der wirtschaftlichen Verordnung häufig Verordnungen für 3 Monate ausgestellt werden. Während Haemoctin, Octanate und Faktor VIII SDH Intersero dauerhaft bei Raumtemperatur aufbewahrt werden können, ist eine fachgerechte Lagerung von Beriate ohne die Möglichkeit einer Kühlung zeitlich stark eingeschränkt und liegt unter der notwendigen 3 Monatsgrenze.

Darüber hinaus zeigen die Recherchen von Dr. Uwe Schlenkrich (Interessengemeinschaft Hämophiler e.V., n.d.) unterschiedliche Verfahren zur Virusinaktivierung zwischen Beriate und den anderen Präparaten: Während Haemoctin, Octanate und Faktor VIII SDH Intersero mithilfe des Solvent/Detergent Verfahrens und der Kurzzeittrockenerhitzung (100°C/30 min) aufgereinigt werden, wird bei Beriate die Aufreinigung mit einer Pasteurisierung (60°C/10h) und Nanofiltration vorgenommen. Die Gleichheit von Beriate mit der restlichen Gruppe ist auch auf Grund dieser Ausführungen nicht gegeben.

Zusätzlich zu den bereits o. g. Produktmerkmalen werden Unterschiede in der Pharmakokinetik deutlich (Übersicht erstellt auf Basis der Fachinformationen):

	<b>Beriate</b>	<b>Haemoctin</b>	<b>Octanate</b>	<b>Faktor VIII SDH Intersero</b>
<b>Zulassungsinhaber</b>	CSL Behring GmbH	Biotest Pharma GmbH	OCTAPHARM A GmbH	Intersero GmbH
<b>mittlere Halbwertszeit</b>	ca. 12 Stunden (5-22)	ca. 12 Stunden (5-18)	13,7 Stunden $\pm$ 1,4 (7,7 – 19,1) 12,3 Stunden $\pm$ 1,3 (7,2 – 17,7)	ca. 12 Stunden (5-18)
<b>mittlere Verweildauer (MRT)</b>	ca. 17 Stunden (Standardabweichung 5,5 Stunden)	ca. 15 Stunden	18,6 Stunden $\pm$ 1,4 (9,2 – 27,0) 16,2 Stunden $\pm$ 1,3 (10,3 – 22,3)	ca. 15 Stunden
<b>mittlere Fläche unter der Konzentrations-Zeitkurve (AUC)</b>	ca. 0,4 h $\times$ kg/ml (Standardabweichung 0,2)	ca. 17 I.E. $\times$ h/ml	42,2 $\pm$ 1,5 (19,0 – 65,3) (% $\times$ h $\times$ I.E. $\times$ kg) 32,4 $\pm$ 1,3 (19,5 – 50,2)	ca. 17 I.E. $\times$ h/ml
<b>mittlere Clearance</b>	ca. 3 ml/h/kg (Standardabweichung 1,5 ml/h/kg)	ca. 155 ml/h	2,4 $\pm$ 1,5 (1,5 – 5,3) (ml $\times$ h $^{-1}$ $\times$ kg) 3,1 $\pm$ 1,3 (2,0 – 5,1)	ca. 155 ml/h

Selbst wenn man einmal (zu Unrecht) annähme, dass es sich um Produkte mit demselben Wirkstoff handle, müsste man hier allerdings gemäß § 17 Abs. 1 des 4. Kapitels der GBA-VerfO eine für die Therapie bedeutsame unterschiedliche Bioverfügbarkeit berücksichtigen. Besonders ist im Hinblick auf die signifikant divergierenden Bioverfügbarkeiten, die als mittlere Fläche unter der Konzentrations-Zeitkurve definiert werden, darauf hinzuweisen, dass diese einen erheblichen Einfluss auf die klinischen Ergebnisse, wie z. B. den Blutungsschutz sowie dessen Dauer haben können. Nach § 17 Abs. 1 VerfO des GBA sind Bioverfügbarkeiten dann relevant, wenn für die Therapie des Patienten daraus folgt, dass ein bestimmtes Arzneimittel unverzichtbar wird. Dies ist in dem oben beschriebenen Fall zutreffend, da der Behandler zur idealen Hämophilie-A-Behandlung patientenindividuell entscheiden muss. In diese Therapiefreiheit wird jedoch eingegriffen. Eine individualisierte Behandlung, wie von den Leitlinien empfohlen, ist mit dieser Gruppenbildung nicht mehr möglich.

Auch der Anteil des von Willebrand Faktors (vWF) spielt eine entscheidende Rolle bei der Unterscheidung der pdFVIII. Die heutige Datenlage beweist, dass in Abhängigkeit der exogenen vWF-Konzentration einige pdFVIII ein geringeres Risiko als andere haben, das Auftreten von Inhibitoren zu indizieren<sup>7</sup>. Da die pdFVIII besonders auch in der Behandlung von

7 Gouw SC; van der Bom JG; Auerswald G; Escuriola Ettinghausen C; Tedgård U; van den Berg HM. Recombinant versus plasma-derived factor VIII products and the development of inhibitors in previously

behandlungsnaiven Patienten eine wesentliche Rolle einnehmen, ist die Entwicklung von FVIII-Inhibitoren eine der schwerwiegendsten Komplikationen bei der Behandlung von Hämophilen und kann zu einer unzureichenden Reaktion auf eine FVIII-Injektion führen. Beispielsweise nach dem „Bonn-Protokoll“<sup>8</sup> bedeutet eine Behandlung von Inhibitoren auch, dem Patienten, hoch dosiert, zweimal täglich Faktorkonzentrate in einer weit über die Prophylaxe-Dosis hinausgehenden Dosierung zu injizieren. Das führt zu einer hohen Therapiebelastung über Wochen oder Monate, aber auch zu hohen Kosten für das Gesundheitssystem (s. a. unten Ziff. IV.).

Diese beschriebenen Unterschiede sind für die Therapie des Hämophilie A Patienten bedeutsam, daher stehen sie einer Festbetragsgruppenbildung für diese Produkte entgegen.

**Novo Nordisk Pharma GmbH (Novo)** führt aus, dass Grundlage jeder Festbetragsgruppenbildung die in den jeweiligen Fachinformationen aufgeführten Anwendungsgebiete sind.

Die für die geplante Festbetragsgruppe aus plasmatischen Faktor VIII zusammengefassten Präparate sind für unterschiedliche Anwendungsgebiete zugelassen. Beispielsweise sind Beriate<sup>®</sup>, Octanate<sup>®</sup> und Faktor VIII SDH Intersero für die Behandlung des kongenitalen & erworbenen Faktor-VIII-Mangels zugelassen.<sup>9</sup> Haemoctin<sup>®</sup> hingegen ist lediglich zugelassen zur Behandlung von angeborenem Faktor-VIII-Mangel.<sup>10</sup>

Wir zitieren auszugsweise aus den jeweiligen Fachinformationen:

Fachinformation Beriate<sup>®</sup>

**4. KLINISCHE ANGABEN**

**4.1 Anwendungsgebiete**

Therapie und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A (kongenitaler Faktor-VIII-Mangel).

Dieses Produkt kann in der Behandlung des erworbenen Faktor-VIII-Mangels eingesetzt werden.

Fachinformation Haemoctin<sup>®</sup>

**4. KLINISCHE ANGABEN**

**4.1 Anwendungsgebiete**

Therapie und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A (angeborener Faktor- VIII-Mangel).

Dieses Produkt enthält den von-Willebrand-Faktor nicht in pharmakologisch wirksamer Menge und ist daher nicht für die Behandlung des von-Willebrand-Syndroms indiziert.

	Kongenitaler Faktor-VIII-Mangel	erworbene Faktor-VIII-Mangel
Beriate <sup>®</sup>	x	x
Octanate <sup>®</sup>	x	x
Faktor VIII SDH Intersero	x	x
Haemoctin <sup>®</sup>	x	

Produkte mit unterschiedlichen Anwendungsgebieten dürfen nur in einer Festbetragsgruppe zusammengefasst werden, wenn sichergestellt ist, dass jedes Anwendungsgebiet zum Festbetrag verfügbar ist. Ist dies nicht der Fall besteht das Risiko eines nicht-bestimmungsgemäßen Gebrauchs (sogenannter Off-Label-Use) und kann unter Umständen das Patientenwohl gefährden. Folglich können in solchen Fällen Ärztinnen und Ärzte beim Auftreten von schweren

untreated patients with severe hemophilia A: the CANALcohort study. Blood / 109/11 (S.4693-7) /2007/ doi: 10.1182/blood-2006-11-056317.

8 Brackmann HH; Oldenburg J; Schwaab R. Immune Tolerance for the Treatment of Factor VIII Inhibitors - Twenty Years' 'Bonn Protocol'. Vox Sang / 70/1 (S30-35) /1996/ doi: 10.1111/j.1423-0410.1996.tb01346.x.

9 Fachinformation Beriate CSL Bering, Stand Februar 2020

10 Fachinformation Haemocting, Biotest, Stand November 2020

*Nebenwirkungen haftbar gemacht werden. Auch ist ein Off-Label-Use Einsatz grundsätzlich nicht zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung möglich. Demzufolge müsste es bei einer hochpreisigen Therapie zur Verweigerung der Kostenübernahme durch die Krankenkasse kommen, da eine arzneimittelrechtliche Zulassung nicht vorliegt. Auch das Bundessozialgericht hat bereits in einem Urteil (B 1 KR 13/10 R) festgehalten, dass Festbetragsgruppen auf die arzneimittelrechtliche Zulassung und damit unweigerlich auf das Anwendungsgebiet abzustellen sind.*

*Auch Wortlaut und Normsystematik des § 35 Abs 1 SGB V verdeutlichen, dass grundsätzlich für die Festbetragsgruppen auf die arzneimittelrechtliche Zulassung abzustellen ist.<sup>11</sup>*

*Dieser Argumentation folgend ist die Zusammenfassung unterschiedlicher Anwendungsgebiete in einer Festbetragsgruppe äußerst kritisch zu beurteilen, um rechtliche Konsequenzen für den Arzt und die gesundheitlichen Folgen für den Patienten auszuschließen. Daher spricht Novo Nordisk sich gegen die geplante Festbetragsgruppenbildung aus.*

*Ein weiterer, kritisch zu würdigender Punkt ist die Lagerfähigkeit der plasmatischen Faktorprodukte. So ist Beriate® thermolabil und muss im Kühlschrank bei 2 °C – 8 °C gelagert werden. Bei unsachgemäßer Lagerung ist eine sichere Verwendung des Arzneimittels nicht mehr gewährleistet. Dies kann möglicherweise die Wirksamkeit und Sicherheit des Produktes beeinträchtigen. Alle anderen Präparate dürfen nicht über 25 °C gelagert werden.*

#### Fachinformation Beriate®

##### 6.4 Besondere Vorsichtsmaßnahmen für die Aufbewahrung

Im Kühlschrank lagern (2 °C – 8 °C). Nicht einfrieren. Behältnis in der geschlossenen Faltschachtel aufbewahren, um den Inhalt vor Licht zu schützen.

#### Fachinformation Faktor VIII SDH Intersero

##### 6.4 Besondere Vorsichtsmaßnahmen für die Aufbewahrung

Nicht über 25 °C lagern. Nicht einfrieren. Durchstechflaschen im Umkarton aufbewahren, um den Inhalt vor Licht zu schützen.

*Falls bei einer Festbetragsgruppenbildung und damit nachfolgenden Bestimmung der Festbetragshöhe durch den GKV-SV der Festbetrag so niedrig angesetzt wird, dass nur noch Beriate® zum Festbetrag verfügbar wäre, kann die Umstellung auf Beriate® bei unsachgemäßer Lagerung Folgen für die Patientensicherheit haben. Für den Patienten sind u.U. lebensbedrohliche Spontanblutungen in Gelenken, dem Gehirn oder inneren Organen eine mögliche Konsequenz.*

## Bewertung

Nach § 35 Absatz 5 SGB V sind Festbeträge so festzusetzen, dass sie im Allgemeinen eine ausreichende, zweckmäßige und wirtschaftliche sowie in der Qualität gesicherte Versorgung gewährleisten. Sie haben Wirtschaftlichkeitsreserven auszuschöpfen, sollen einen wirksamen Preiswettbewerb auslösen und haben sich deshalb an möglichst preisgünstigen Versorgungsmöglichkeiten auszurichten; soweit wie möglich ist eine für die Therapie hinreichende Arzneimittelauswahl sicherzustellen.

Nach der Gesetzessystematik erfolgt die Festbetragsgruppenbildung der Stufe 1 auf der Ebene derselben Wirkstoffe. 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

11 <https://www.sozialgerichtsbarkeit.de/legacy/143468?modul=esgb&id=143468>

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.

Die beschriebenen 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 den Fachinformationen, dass ein Arzneimittel für Kinder geeigneter wäre als die anderen.

Der Festbetragsregelung stehen auch etwaige Unterschiede bezüglich der Haltbarkeitsdauer und Lagerungsvorschriften der auf dem Markt befindlichen Arzneimittel nicht entgegen.

Zu fehlender Wirkstoffgleichheit siehe Bewertung 3. Einwand.

Zu Hemmkörperbildung siehe Bewertung 5. Einwand.

Zu Unterschieden der Darreichungsformen und bei der Applikation siehe Bewertung 6. Einwand.

## **2. Einwand: patientenindividuelle Dosierung**

*Der BAH führt aus, dass [...] im Rahmen der Festbetragsmechanismen die gewichtsabhängige patientenindividuelle Dosierung keine ausreichende Berücksichtigung findet. Dies spielt sowohl bei den herangezogenen Verordnungszahlen aus der Vergangenheit als auch bei den Auswirkungen der Festbetragsgruppe eine Rolle.*

*In allen Fachinformationen der vorgeschlagenen Gruppe wird bei der Dosierung für die Prophylaxe von Kindern auf eine patientenindividuelle Dosierung explizit hingewiesen: „In manchen Fällen, insbesondere bei jüngeren Patienten, können kürzere Dosierungsintervalle oder höhere Dosen erforderlich sein.“ Daher ist eine Festbetragsgruppenbildung für diese Produkte nicht adäquat, denn sie würde zur Ungleichbehandlung zwischen den einzelnen pdFVIII führen. Unabhängig von den tatsächlich entstandenen Verbräuchen und damit auch unabhängig von den tatsächlichen Kosten je Produkt für das GKV-System würde trotzdem ein identischer Festbetrag je IE (internationaler Einheit) für alle Produkte entsprechend der Systematik in der Stufe 1 festgelegt werden. Diese Problematik kann auch nicht durch eine adäquate Festlegung der Vergleichsgröße gelöst werden. Es gibt bislang keine Daten darüber, welche pdFVIII bei der gleichen Patientenpopulation zu unterschiedlichen Verbräuchen führen. Dies wäre jedoch erforderlich, um derartige Unterschiede sachgerecht und adäquat berücksichtigen zu können.*

*Ein weiterer Aspekt wie schon oben erwähnt, der gegen die Bildung der Festbetragsgruppe in der Konstellation spricht, ist, dass einige der Produkte für die Prophylaxe (vorbeugende Dauerbehandlung) und Therapie von Blutungen bei Hämophilie A (angeborener FVIII-Mangel), für alle Formen von erworbenem FVIII-Mangel sowie auch Hemmkörperhämophilie mit FVIII-Inhibitoren zugelassen sind. Insbesondere die zuletzt genannte Einsatzmöglichkeit der Produkte entspricht einem gänzlich anderen, patientenindividualisierten Therapieregime und Intervall im Vergleich zur klassischen Prophylaxe. So wird zum Beispiel eine Inhibitorbehandlung gemäß „Bonn-Protokoll“ mit täglich 300 I.E./kg durchgeführt, was zu einer 10-fachen oder noch höheren Menge FVIII im Vergleich zur Prophylaxe führt.<sup>8</sup> Die Produkte Octanate und Faktor VIII SDH Intersero beinhalten in der Zulassung die Inhibitorbehandlung, während Haemoctin nur die Zulassung für angeborene Hämophilie hat und Beriate nur die Zulassung für angeborene und erworbene Hämophilie. Das führt zu essenziellen Verzerrungen aufgrund der verschiedenen Verordnungsanteile bei den tatsächlichen Patienten, je nachdem ob ein Produkt stärker im Rahmen der Inhibitorbehandlung oder in der Prophylaxe eingesetzt wird, so dass ein einheitlicher Festbetrag die Kosten für die pdFVIII nicht sachgerecht abbilden kann. Dies ist auch darin begründet, dass kein linearer Zusammenhang zwischen der Anzahl der Verordnungen und der Anzahl der Patienten besteht.*

*Der **Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa)** wendet ein, dass die Bildung einer Festbetragsgruppe bereits deshalb nicht angezeigt ist, weil bei den Faktor-VIII-Produkten erhebliche Unterschiede bestehen. Alle Faktor-VIII-Produkte sind gewichtsabhängig und patientenindividuell zu dosieren und besitzen ausweislich der zugrundeliegenden Fachinformationen keine fixen Dosierungsspannen, weswegen sich die Produktunterschiede in unterschiedlichen Mengenbedarfen bei der Therapie niederschlagen.*

***Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. Kg (Takeda)** führt aus, dass Faktor-VIII-Produkte gewichtsabhängig und patientenindividuell dosiert werden und gemäß ihren Fachinformationen keine fixen Dosierungsspannen besitzen. Hieraus resultiert, dass sich Produktunterschiede in unterschiedlichen Mengenbedarfen bei der Therapie niederschlagen.*

## Bewertung

Die patientenindividuelle Dosierung der Arzneimittel mit Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch spricht nicht gegen die Festbetragsgruppenbildung. Wie in der Bewertung des 1. Einwandes 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.

### 3. Einwand: fehlende Wirkstoffgleichheit

*Der BAH führt aus, dass in der Geschichte des Festbetragsystems bisher keine Festbetragsgruppen für Blutprodukte gebildet worden sind, geschweige denn eine Festbetragsgruppe der Stufe 1. Ein rechtlicher Grund hierfür ist, dass die Bildung einer Festbetragsgruppe der Stufe 1 voraussetzt, dass die hiervon erfassten Arzneimittel als Arzneimittel „mit denselben Wirkstoffen“ zu qualifizieren sind (vgl. § 35 Abs. 1 Satz 2 Nr. 1 SGB V). Daran fehlt es bei pdFVIII.*

*Es gibt im SGB V keine Definition dieses Begriffes, weswegen nicht abschließend geklärt ist, welche Anforderungen an die vom Gesetz vorausgesetzte Wirkstoffidentität anzulegen sind. Seit jeher besteht Unsicherheit darüber, in welchem Verhältnis dieser Begriff zu dem Begriff der Wirkstoffgleichheit in § 129 Abs. 1 Satz 1 Nr. 1 b) SGB V oder § 130a Abs. 3b Satz 1 SGB V steht. Die unterschiedlichen Terminologien weisen jedenfalls darauf hin, dass die bei Festbetragsgruppen der Stufe 1 verlangte Wirkstoffidentität womöglich enger zu verstehen ist als die bloße Wirkstoffgleichheit beim Generikaabschlag oder der Aut-idem-Regelung.*

*Bei biologischen Arzneimitteln ist nach der bisherigen Gruppenbildung des Gemeinsamen Bundesausschusses bei der Stufe 1 jedenfalls in aller Regel erforderlich, dass es sich bei Arzneimitteln um das Original sowie die hierauf bezugnehmenden Biosimilars handeln muss. Bei pdFVIII kann nichts anderes gelten. Allerdings sind die verschiedenen pdFVIII gerade nicht als Biosimilars bezugnehmend aufeinander zugelassen.*

*Dies bestätigt die vom Gemeinsamen Bundesausschuss am 19. November 2021 beschlossene, zwischenzeitlich durch das BMG nicht beanstandete, aber in diesem Moment noch nicht in Kraft getretene Anlage VIIa seiner Arzneimittel-Richtlinie. Diese Übersicht enthält die in*

Deutschland verfügbaren biologischen Originale und die hierzu zugelassenen Biosimilars. pdFVIII werden dort jedoch nicht genannt, was sich nur daraus erklärt, dass es sich bei diesen Produkten gerade nicht um festbetragsfähige Biosimilars zueinander handelt.

Dass es sich nicht um Produkte mit denselben Wirkstoffen handelt, ist auch daran erkennbar, dass für die gewählten Produkte kein Generikaabschlag anfällt. Dies ist den entsprechenden Produkteinträgen in der sog. Lauer-Taxe eindeutig zu entnehmen.

Vor diesem Hintergrund ist die geplante Bildung einer Festbetragsgruppe der Stufe 1 mit plasmatischen Blutgerinnungsfaktoren VIII nicht gesetzeskonform und würde gegen § 35 Abs. 1 Satz 2 Nr. 1 SGB V verstoßen.

Der **vfa** wendet ein, dass eine Festbetragsgruppe der Stufe 1 voraussetzt, dass die darin zusammengefassten Produkte als Arzneimittel „mit denselben Wirkstoffen“ zu qualifizieren sind (vgl. § 35 Abs. 1 Satz 2 Nr. 1 SGB V). Faktor VIII-Produkte sind biologische Arzneimittel. Die verschiedenen Faktor VIII-Produkte sind nicht als Biosimilars bezugnehmend aufeinander zugelassen. Sie können nicht in einer Festbetragsgruppe der Stufe 1 zusammengefasst werden.

**Takeda** wendet ein, dass die Bildung einer Festbetragsgruppe der Stufe 1 [...] voraussetzt, dass die hiervon erfassten Arzneimittel als Arzneimittel „mit denselben Wirkstoffen“ zu qualifizieren sind (vgl. § 35 Abs. 1 Satz 2 Nr. 1 SGB V). Dies ist bei den Faktor VIII Produkten nicht der Fall. Bei biologischen Arzneimitteln ist es nach der bisherigen Festbetragsgruppenbildung des Gemeinsamen Bundesausschusses bei der Stufe 1 jedenfalls erforderlich, dass es sich bei Arzneimitteln um das Original sowie die hierauf bezugnehmenden Biosimilars handeln muss. Bei Faktor VIII Produkten kann dabei nichts anderes gelten. Allerdings sind die verschiedenen Faktor VIII-Produkte gerade nicht als Biosimilars bezugnehmend aufeinander zugelassen.

**Octapharma GmbH (Octapharma)** wendet ein, dass die Voraussetzungen zur Bildung einer Festbetragsgruppe nach § 35 Abs. 1 Satz 2 Nr. 1 SGB V für die einbezogenen Arzneimittel nicht vorliegen. Nach unserem Verständnis der zur Anhörung gestellten Unterlagen sollen in die Festbetragsgruppe die Arzneimittel Octanate, Haemoctin SDH, Beriate und Faktor VIII SDH Intersero sowie die entsprechenden Parallelimporte einbezogen werden. Da es sich um die Festbetragsstufe 1 handelt, ist die Gruppenbildung nur zulässig, wenn die eingruppierten Arzneimittel untereinander wirkstoffgleich sind. Nach § 16 Abs. 1 Satz 2 VerfO soll das Erfordernis des gleichen Wirkstoffes auch dann erfüllt sein können, wenn die Bestandteile menschlicher Herkunft sind. Diese Auffassung teilt Octapharma jedenfalls für die Faktor VIII-Zubereitungen nicht. Die gesetzlichen Anforderungen an die Eingrupprierbarkeit der Wirkstoffe in eine Festbetragsgruppe unterliegen keinem Gestaltungsspielraum des G-BA, sondern die gesetzlichen Eingruppierungsmerkmale sind gerichtlich voll überprüfbar (BSG, Urt. v. 17.09.2013, B 1 KR 54/12 R - juris, Rd-Nr. 27). Es ist nicht ersichtlich, dass für den Begriff der Wirkstoffgleichheit im SGB V spezielle sozialrechtliche Anknüpfungsmerkmale gelten. Vielmehr ist der Begriff der Wirkstoffgleichheit nach den arzneimittelrechtlichen Kriterien zu bestimmen (BSG, Urt. v. 30.09.2015, B 3 KR 1/15 R - juris, Rd-Nr. 44 f). Der Begriff der Wirkstoffgleichheit ist strikt zu trennen von der bloßen Wirkungsgleichheit (BSG, a. a. O. - juris, Rd-Nr. 43). Nach den Kriterien des [§ 24b Abs. 5 Satz 1 AMG](#) sind biologische Arzneimittel grundsätzlich nicht als untereinander wirkstoffgleich anzusehen. Vielmehr sieht die „Guideline on the clinical investigation of recombinant and human plasma-derived factor VIII products“ vom 26.07.2018<sup>12</sup> explizit vor, dass die Zulassung für neue Plasma-Produkte nur auf Grundlage eigener klinischer Prüfungen mit mindestens 100 Patienten erteilt werden können. Dies belegt, dass die arzneimittelrechtlichen Voraussetzungen für die Annahme einer Wirkstoffgleichheit nicht gegeben sind.

---

12 EMA, CHMP. Guideline on the clinical investigation of recombinant and human plasma-derived factor VIII products, 2018.

Demzufolge sind die Kriterien des [§ 35 Abs. 1 Satz 2 Nr. 1 SGB V](#) nicht erfüllt.

**CSL Behring GmbH (CSL)** wendet ein, dass Festbeträge nicht nur den Kriterien des § 35 Abs. 5 SGB V entsprechen müssen, sondern zusätzlich auf einer rechtmäßigen Gruppenbildung gemäß § 35 Abs. 1 SGB V beruhen müssen. Die vorliegende Gruppe der Faktor-VIII-Präparate entspricht jedoch nicht den Voraussetzungen des § 35 Abs. 1 S. 2 Nr. 1 SGB V.

Gruppen der Stufe 1 waren durch den Gesetzgeber bei der Schaffung des Festbetragssystems ausschließlich für Generika vorgesehen, also für Produkte, die sich durch exakte Gleichheit der wirksamen Bestandteile auszeichnen. So wird in der Gesetzesbegründung des Gesundheitsreformgesetz (GRG) explizit auf Generika abgestellt:

*Absatz 3 erlaubt die Gruppenbildung für wirkstoffgleiche Arzneimittel erst, wenn nach der Zulassung des ersten Generikums zwei Jahre verstrichen sind. Damit soll sichergestellt werden, dass Festbeträge für diese Arzneimittelgruppe erst festgesetzt werden, wenn Generika bereits auf dem Markt eingeführt sind. (BT-Drs. 200/88)*

Auch wenn die genannte Ausnahmeregelung in der Zwischenzeit geändert wurde, so zielt die Stufe 1 nach wie vor auf Generika ab. So heißt es in der Begründung zum GKV-Modernisierungsgesetz (GMG):

*Ziel der Regelung ist die Ausschöpfung von Einsparpotenzialen bei wirkstoffgleichen Arzneimitteln. Deshalb sollen die Festbeträge für generikafähige Wirkstoffe das untere Preisdrittel nicht übersteigen. (BT-Drs. 15/1525, 87)*

In der vorgeschlagenen Gruppe unterscheiden sich die wirksamen Bestandteile der Arzneimittel jedoch, da es sich gerade nicht um generikafähige Arzneimittel handelt. Es sind biologische Arzneimittel, bei denen sich die Sicherheit und Wirksamkeit des Wirkstoffes durch Unterschiede im Herstellungsverfahren erheblich voneinander unterscheiden können. Es handelt sich hierbei auch gerade nicht um biotechnologisch hergestellte Biosimilars.

Die Herstellung der Faktor-VIII-Präparate erfolgt in einem mehrstufigen Prozess. Zunächst wird das von Blut- und Plasmaspendern gewonnene Plasma gepoolt und der Faktor VIII isoliert und gereinigt. Dies wird beispielsweise durch Ionenaustausch-Chromatographie, Adsorption, Präzipitation, Immunneutralisation und/oder Fällungen erreicht. Im Anschluss daran werden Schritte zur Virusinaktivierung und -abreicherung durchgeführt. Dabei gibt es verschiedene Methoden zur Virusinaktivierung z. B. Pasteurisierung (60 °C/10 h), Nanofiltration oder Solvent/Detergens-Verfahren und Trockenhitzeinaktivierung (100 °C/30 min). Dieser letzte Prozessschritt ist besonders kritisch, da sichergestellt werden muss, dass alle potenziell vorhandenen krankheitsauslösenden Viren im fertigen Präparat entweder entfernt oder inaktiviert worden sind, gleichzeitig aber berücksichtigt werden muss, dass das Faktor-VIII-Protein bei erhöhter Temperatur leicht denaturiert und mit der dadurch bedingten Änderung seiner Tertiärstruktur die Funktion verlieren kann.

Heutzutage gewährleisten die virusinaktivierenden und -abreichernden Produktionsschritte die Virussicherheit der Faktor-VIII-Präparate. Dennoch kann es durch die Vielzahl der unterschiedlichen Produktionsschritte zu abweichenden Präparate-Eigenschaften kommen, die auch einen Einfluss auf das Nutzen-Risiko-Verhältnis der Präparate haben können.

Deutlich wird dieser Einfluss des Herstellungsverfahrens auf die Faktor-VIII-Präparate-Eigenschaften anhand von zwei Beispielen von Faktor-Präparaten, die in der Vergangenheit auf Grund schwerwiegender Nebenwirkungen vom Markt genommen wurden. So entwickelten in den 90er-Jahren zuvor behandelte Patienten mit schwerer Hämophilie A in den Niederlanden und Belgien nach Anwendung des plasmatischen Faktor-VIII-Präparats CPS-P gehäuft

Hemmkörper<sup>13</sup>. Es wird vermutet, dass die Pasteurisierung des Virusinaktivierungsschritts die Proteinstruktur des Faktor VIII veränderte. Dadurch wird die Immunogenität des Faktor-VIII-Präparats CPS-P erhöht, wodurch das Risiko für die Hemmkörperbildung steigt. Ein ähnlicher Fall ereignete sich mit dem Präparat Octavi SDPlus (FVIII-SDP) in Deutschland<sup>14</sup>. Dieses Präparat wurde mit einem Lösungsmittel-Detergens behandelt und nach der Reinigung pasteurisiert, was vermutlich zu dem erhöhten Risiko für die Hemmkörperbildung geführt hat.

Diese beiden „Ausbrüche“ von Hemmkörpern bei Patienten, die mit Faktor-VIII-Präparaten aus bestimmten Virusinaktivierungsverfahren behandelt wurden, sind auch maßgeblich für die EMA-Guideline für klinische Prüfungen von plasmatischen Faktor-VIII-Präparaten<sup>15</sup>. Die EMA stellt fest, dass die spezifische Immunogenität von plasmatischen Faktor-VIII-Präparaten durch Änderungen im Herstellungsprozess hervorgerufen werden kann. Das plasmatische Faktor-VIII-Präparat aufgrund des Herstellungsprozesses relevante Unterschiede aufweisen, wird schon anhand der Angaben in den Fachinformationen der vorliegend relevanten Produkte erkennbar. So unterscheiden sich u. a. die in der Einheit „I. E.“ angegebene mittlere spezifische Aktivität pro mg Protein erheblich; während sie bei Beriate® bei 400 I. E./mg Protein liegt, liegt sie z. B. bei Octanate® und Faktor VIII SDH® bei (ca.) 100 I. E./mg Protein.

Insgesamt ist festzuhalten, dass der arzneilich wirksame Bestandteil in Faktor-VIII-Präparaten nicht zwischen diesen vergleichbar ist und sie deshalb nicht denselben Wirkstoff im Sinne des § 35 Abs. 1 S. 2 Nr. 1 SGB V enthalten.

## Bewertung

Nach der Gesetzessystematik erfolgt die Festbetragsgruppenbildung der Stufe 1 auf der Ebene derselben Wirkstoffe. Unterschiedliche Bioverfügbarkeiten wirkstoffgleicher Arzneimittel sind zu berücksichtigen, sofern sie für die Therapie bedeutsam sind.

Gemäß 4. Kapitel § 16 Absatz 1 Verfo kann derselbe Wirkstoff menschlicher, tierischer, pflanzlicher oder chemischer Herkunft oder ein auf biotechnologischem Weg hergestellter Stoff sein.

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.

---

13 Sawamoto Y, Prescott R, Zhong D, Saenko EL, Mauser-Bunschoten E, Peerlinck K, et al. Dominant C2 domain epitope specificity of inhibitor antibodies elicited by a heat pasteurized product, factor VIII CPS-P, in previously treated hemophilia A patients without inhibitors. *Thrombosis and haemostasis*; 59(01):62-8; 1998

14 Laub R, Giambattista DM, Fondu P, Brackmann H-H, Lenk H, Saenko E, et al. Inhibitors in German hemophilia A patients treated with a double virus inactivated factor VIII concentrate bind to the C2 domain of FVIII light chain. *Thrombosis and haemostasis*; 81(01):39-44; 1999

15 EMA. Guideline on the clinical investigation of recombinant and human plasma-derived factor VIII products. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-clinical-investigation-recombinant-human-plasma-derived-factor-viii-products-revision-2\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-clinical-investigation-recombinant-human-plasma-derived-factor-viii-products-revision-2_en.pdf) [Zugriff: 03.02.2022]

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.

Den Stellungnehmenden wird zugestimmt, dass die Zulassungsbehörden besondere Vorgaben für die klinische Prüfung von Arzneimitteln mit Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch haben, um den Besonderheiten dieser Arzneimittel gerecht zu werden. Alle in die Festbetragsgruppe einbezogenen Arzneimittel sind zugelassen, Wirksamkeit, Sicherheit und pharmazeutische Qualität sind somit für alle Arzneimittel sichergestellt.

Unter Berücksichtigung der Regelungen im 4. Kapitel § 16 VerfO sieht der Gemeinsame Bundesausschuss die Voraussetzungen für die Bildung einer Festbetragsgruppe der Stufe 1 als erfüllt an. Therapierelevante Unterschiede in der Bioverfügbarkeit liegen nicht vor (s. Bewertung 1. Einwand).

#### **4. Einwand: Hemmkörperbildung**

*CSL wendet ein, dass es ein relevantes Risiko der Hemmkörperbildung beim Wechsel von Präparaten gibt.*

*Die schwerwiegendste Komplikation bei der Substitutionstherapie von Patienten mit Hämophilie A mit Faktor-VIII-Präparaten ist die Bildung neutralisierender Hemmkörper gegen den substituierten Faktor VIII. Hemmkörper sind gegen den substituierten Faktor VIII gerichtete allo gene Antikörper, da der verabreichte Faktor VIII vom Immunsystem des Patienten als körperfremd angesehen werden kann. Durch die Hemmkörper wird die Substitutionstherapie unwirksam und das Risiko für Blutungen steigt<sup>16</sup>. Daher leiden Patienten mit Faktor-VIII-Hemmkörpern sehr häufig unter Gelenkschäden und deren Symptomen, wie Schmerzen, Bewegungseinschränkung und Gelenkdeformitäten. Dadurch kann das Erreichen des Therapieziels, die Verhütung von Blutungen und die Erhaltung der Gelenkfunktionen gefährdet sein. Außerdem haben Patienten mit Hemmkörpern ein um bis zu 70 % erhöhtes Letalitätsrisiko im Vergleich zu Patienten ohne Hemmkörper<sup>17</sup>.*

*Da durch die Hemmkörper die Therapie mit Faktor VIII unwirksam ist, muss entweder eine Immuntoleranz-Induktion (ITI) durchgeführt oder auf andere Präparate für die Prophylaxe und Bedarfsbehandlung zurückgegriffen werden. Zu den Präparaten gehören die Bypassing-Präparate NovoSeven® und FEIBA® sowie der bispezifische Antikörper Hemlibra®. Bypassing-Präparate und Hemlibra® verringern zwar Blutungen, können aber die Hemmkörper nicht dauerhaft eliminieren, so dass diese Therapien lebenslang und kostenintensiv eingesetzt werden müssen. Nur durch die ITI können Hemmkörper dauerhaft eliminiert werden, weshalb die ITI auch primär durchgeführt werden sollte<sup>18</sup>. Zur ITI wird beispielsweise in Abhängigkeit der Bethesda-Einheiten (die laborchemische inhibitorische Aktivität und damit die Menge der Hemmkörper) die zweimal tägliche Gabe von Faktor VIII in einer Dosis von 100 – 200 I. E./kg bis zur mehrmonatigen Normalisierung der Recovery und der Halbwertszeit empfohlen<sup>18</sup>. Die ITI erfordert daher eine enge Überwachung der Patienten, eine regelmäßige Bestimmung der Bethesda-Einheiten und der Faktor-VIII-Pharmakokinetik. Die sehr häufigen intravenösen Injektionen können auch die Implantation eines Portkatheters notwendig machen.*

---

16 Kempton C, Soucie J, Abshire T. Incidence of inhibitors in a cohort of 838 males with hemophilia A previously treated with factor VIII concentrates. Journal of thrombosis and haemostasis; 4(12):2576-81; 2006

17 Walsh CE, Soucie JM, Miller CH, Network USHTC. Impact of inhibitors on hemophilia a mortality in the United States. American Journal of Hematology; 90(5):400-5; 2015

18 BÄK. Querschnitts-Leitlinien zur Therapie mit Blutkomponenten und Plasmaderivaten - Gesamtnovelle 2020. [https://www.bundesaerztekammer.de/fileadmin/user\\_upload/downloads/pdf-Ordner/MuE/Querschnitts-Leitlinien\\_BAEK\\_zur\\_Therapie\\_mit\\_Blutkomponenten\\_und\\_Plasmaderivaten-Gesamtnovelle\\_2020.pdf](https://www.bundesaerztekammer.de/fileadmin/user_upload/downloads/pdf-Ordner/MuE/Querschnitts-Leitlinien_BAEK_zur_Therapie_mit_Blutkomponenten_und_Plasmaderivaten-Gesamtnovelle_2020.pdf) [Zugriff: 03.02.2022]

*Aufgrund der Komplexität und des Zeitaufwandes dieses oben beschriebenen Hemmkörpermanagements fallen sowohl für die Behandlung mit Bypassing-Präparaten und Hemlibra® als auch für die ITI hohe Kosten an. Für die Bypassing-Präparate und Hemlibra® wurden im Rahmen der Nutzenbewertung bereits Jahrestherapiekosten berechnet. Im letzten Nutzenbewertungsbeschluss zu Hemlibra® (Vorgangsnummer 2019-03-15-D-426 vom 5. September 2019) gibt der G-BA je nach Alter Jahrestherapiekosten von 127.269,61 Euro bis 656.592,04 Euro an<sup>19</sup>. Die Jahrestherapiekosten von Bypassing-Präparaten wurden vom IQWiG in der ersten Dossierbewertung zu Hemlibra® bestimmt (A18-20 vom 27.06.2018). Je nach Alter und Dosisempfehlung geht das IQWiG von 250.614,00 Euro (für Patienten unter 6 Jahren) bis zu 9.968.332,50 Euro (erwachsene Patienten) für die Behandlung von Patienten mit Hämophilie A und Faktor-VIII-Hemmkörpern aus<sup>20</sup>. Eine ITI kostet im Durchschnitt zusammen mit der Behandlung spontaner Blutungen etwa 60.078 Euro monatlich und muss durchschnittlich über 10 Monate durchgeführt werden<sup>21</sup>. Die ITI ist somit neben der großen Belastung für die Betroffenen (und auch deren Eltern) auch ressourcenintensiv. Da jede Behandlung von Patienten mit Hemmkörpern, unabhängig von der gewählten Therapie, sehr kostenintensiv ist, sollte das Risiko für eine potenzielle Hemmkörperbildung minimiert werden.*

*Des Weiteren ist das Risiko der Hemmkörperbildung multifaktoriell und abhängig von verschiedenen patientenseitigen und behandlungsassoziierten Risikofaktoren. Dazu gehören etwa der Schweregrad der Hämophilie A, die zugrundeliegende Faktor-VIII-Genmutation, das familiäre Auftreten von Hemmkörpern und die Art und Intensität der Behandlung sowie Produktcharakteristika. Insbesondere trägt ein junges Alter der Patienten, eine geringe Anzahl der Expositionstage, also die vorherigen Infusionen von Faktor VIII, sowie der Wechsel zwischen verschiedenen Faktor-VIII-Präparaten zum Risiko der Hemmkörperbildung bei<sup>18,22,23,24,25</sup>. Bei zuvor unbehandelten Patienten (previously untreated patients, PUP) besteht ein Risiko von bis 50 % für das Auftreten von Hemmkörpern<sup>18</sup>. Insgesamt sind Patienten mit schwerer Hämophilie A häufiger von Hemmkörperbildung betroffen. Dennoch können auch bei Patienten mit einer milden oder mittelschweren Hämophilie A Hemmkörper auftreten<sup>26</sup>.*

*Für das Verfahren zur Festbetragsgruppenbildung für plasmatische Faktor-VIII-Präparate ist insbesondere das erhöhte Risiko der Hemmkörperbildung durch eine Therapieumstellung relevant<sup>25</sup>. Durch die Festsetzung der Festbeträge werden nicht mehr alle Präparate zum Festbetrag erhältlich sein. Das bedeutet, dass Patienten ohne medizinische Indikation auf ein anderes Präparat umgestellt werden müssten, um eine hohe Aufzählung dieser Patienten zu vermeiden. Durch eine solche Umstellung würde das Risiko für eine Hemmkörperbildung steigen. Betroffen sind insbesondere zwei Patientengruppen: Zum einen Patienten mit milder oder mittelschwerer Hämophilie A und zum anderen Kinder, bei denen die Substitutions-*

---

19 G-BA. Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL): Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Emicizumab (neues Anwendungsgebiet: Hämophilie A ohne Hemmkörper)

20 IQWiG. Dossierbewertung – Emicizumab (Hämophilie A) – A18-20

21 Rocino A, Cortesi P, Scalone L, Mantovani L, Crea R, Gringeri A, et al. Immune tolerance induction in patients with haemophilia a and inhibitors: effectiveness and cost analysis in an European Cohort (The ITER Study). *Haemophilia*; 22(1):96-102; 2016

22 Franchini M, Coppola A, Rocino A, Santagostino E, Tagliaferri A, Zanon E, et al. Systematic review of the role of FVIII concentrates in inhibitor development in previously untreated patients with severe hemophilia a: a 2013 update. *Seminars in thrombosis and hemostasis*; 39(07):752-66, 2013

23 Dimichele D. Immune tolerance therapy for factor VIII inhibitors: moving from empiricism to an evidence-based approach *Journal of Thrombosis and Haemostasis*; 5:143-50, 2007

24 Gouw SC, Van Der Bom JG, Ljung R, Escuriola C, Cid AR, Claeyssens-Donadel S, et al. Factor VIII products and inhibitor development in severe hemophilia A. *New England Journal of Medicine*; 368(3):231-9; 2013

25 Iorio A, Halimeh S, Holzhauser S, Goldenberg N, Marchesini E, Marcucci M, et al. Rate of inhibitor development in previously untreated hemophilia A patients treated with plasma-derived or recombinant factor VIII concentrates: a systematic review. *Journal of Thrombosis and Haemostasis*; 8(6):1256-65; 2010

26 van Velzen AS, Eckhardt CL, Hart DP, Peters M, Rangarajan S, Mancuso ME, et al. Inhibitors in nonsevere haemophilia A: outcome and eradication strategies. *Thrombosis and haemostasis*; 114(07):46-55; 2015

therapie gerade begonnen wurde. Dies ist darin begründet, dass Hemmkörper überwiegend in den ersten 50 Expositionstagen entstehen und die Therapie der schweren Hämophilie A meist im Kindesalter beginnt<sup>18</sup>. Durch seltenere Injektionen bei Patienten mit milder oder mittelschwerer Hämophilie A, erreichten dieses Patienten die 50 Expositionstage erst später, sodass Hemmkörper auch im fortgeschrittenen Alter auftreten können<sup>16,27,28</sup>. Um das Risiko für eine Hemmkörperbildung zu minimieren, empfehlen Leitlinien, dass ein Wechsel zwischen Faktor-VIII-Präparaten allenfalls bei Patienten mit mehr als 150 Expositionstagen erwogen werden sollte<sup>29</sup>.

## **Bewertung**

Wie von der Stellungnehmerin ausgeführt, stellt die Hemmkörperbildung eine Komplikation bei der Behandlung der Hämophilie A dar und Erkrankte müssen bei der Behandlung mit Bluterinnungsfaktoren hinsichtlich einer Hemmkörperentwicklung überwacht werden. Das Risiko der Entwicklung einer Hemmkörperbildung ist multifaktoriell.

Ob ein Präparatewechsel das Risiko erhöht, ist aus der vorgelegten Literatur und den widersprüchlichen Ergebnissen nicht eindeutig ableitbar. In der Meta-Analyse von Iorio<sup>25</sup> wurde ein höheres Risiko nach Präparatewechsel beschrieben, in der Studie von Gouw<sup>24</sup> war das Risiko nach Präparatewechsel nicht erhöht (siehe *Supplementary Appendix*<sup>30</sup>). Nach Empfehlung der Leitlinie von Rayment<sup>29</sup> kann eine Umstellung nach 150 Expositionstagen bei Patientinnen und Patienten, bei denen noch keine Hemmkörperbildung aufgetreten ist erfolgen. Die Autorinnen und Autoren führen aus, dass keine Daten für eine Umstellung nach Hemmkörperbildung vorliegen.

Studien, aus denen Unterschiede hinsichtlich der Hemmkörperbildung zwischen den in die Festbetragsgruppenbildung einbezogenen Arzneimitteln hervorgehen, werden nicht vorgelegt.

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.).

## **5. Einwand: Preisneuordnung für betroffene Arzneimittel bereits erfolgt, Festbetragsgruppenbildung nicht verhältnismäßig**

Der **BAH** führt aus, dass die von der Festbetragsgruppe erfassten Produkte erst zum 1. September 2020 Gegenstand einer umfassenden Preisregulierung und -absenkung waren. Mit der nun angestoßenen Bildung einer neuen Festbetragsgruppe folgt unmittelbar nach Abschluss der erst kürzlich angepassten Preise für Hämophilie A-Produkte im Rahmen des durch das GSAV eingeführten § 130d SGB V sowie den danach erfolgten Abschlüssen von bilateralen Rabattverträgen nach § 130a Abs. 8 SGB V ein weiterer Regulierungsschritt. Dies ist eine deutliche Über- bzw. Mehrfachregulierung für die pdFVIII. Sinn und Zweck des

---

27 Peyvandi F, Mannucci PM, Garagiola I, El-Beshlawy A, Elalfy M, Ramanan V, et al. A randomized trial of factor VIII and neutralizing antibodies in hemophilia A. *New England Journal of Medicine*; 374(21):2054-64; 2016

28 Wight J, Paisley S. The epidemiology of inhibitors in haemophilia A: a systematic review. *Haemophilia*; 9(4):418-35; 2003

29 Rayment R, Chalmers E, Forsyth K, Gooding R, Kelly AM, Shapiro S, et al. Guidelines on the use of prophylactic factor replacement for children and adults with Haemophilia A and B. *British Journal of Haematology*; 190(5):684-95; 2021

30 Supplementary Appendix zu Gouw 2013, verfügbar unter

[https://www.nejm.org/doi/suppl/10.1056/NEJMoa1208024/suppl\\_file/nejmoa1208024\\_appendix.pdf](https://www.nejm.org/doi/suppl/10.1056/NEJMoa1208024/suppl_file/nejmoa1208024_appendix.pdf)

*Festbetragssystem ist die Regulierung eines preislich bisher nicht reglementierten Marktes, um Wirtschaftlichkeitsreserven zu heben. Bei FVIII-Präparaten liegt aufgrund der Umsetzung des GSAV allerdings bereits ein reglementierter Markt mit wirtschaftlichen Arzneimitteln vor. Insofern stellt sich nicht nur die Frage, ob das Festbetragssystem hier überhaupt tatbestandlich einschlägig ist. Darüber hinaus bestehen erhebliche Bedenken, ob dieses Instrument vorliegend in ermessensfehlerfreier Weise zum Einsatz kommen würde.*

*Vor der Vertriebswegänderung durch das GSAV zum 1. September 2020 konnten Blutgerinnungsfaktoren zur Behandlung der Hämophilie A im Direktvertrieb von pharmazeutischen Unternehmen an Hämophiliezentren abgegeben werden. Es galten insofern Ausnahmen vom Apothekenvertriebsweg gemäß § 47 AMG. Damit einher ging die Befreiung von der AMPPreisV, so dass zwischen Unternehmen und Zentren individuelle Preise vereinbart wurden, die von den in der Lauer-Taxe aufgeführten Herstellerabgabepreisen abweichen konnten. Das GSAV führte zum einen zu einer Änderung des Vertriebswegs: Seit 1. September 2020 müssen auch Blutgerinnungsfaktoren über die Apotheken abgegeben werden. Zum anderen wurden gleichzeitig die Preise der Produkte reguliert: Gemäß § 130d Abs. 1 SGB V waren die Unternehmen verpflichtet, die „Preise, die für die Jahre 2017 und 2018 bei der Direktabgabe ... tatsächlich vereinbart worden sind“ an den GKV-Spitzenverband zu melden. Nach einer Plausibilitätsprüfung durch den GKV-Spitzenverband mussten die Unternehmen sodann als neuen „Herstellerabgabepreis einen mengengewichteten arithmetischen Mittelwert“ aus den tatsächlich vereinbarten Preisen an die IFA GmbH melden. Diese neuen Herstellerabgabepreise gelten seit 1. September 2020 und fallen nunmehr unter die AMPPreisV. Dabei ist es regulierungsrechtlich zu einem Mischpreis gekommen, bei dem insbesondere die hohen Rabatte für die Inhibitorbehandlung mit Blutgerinnungsfaktoren aufgrund der höheren Mengenbedarfe einbezogen wurden. Denn aufgrund der Tatsache, dass Inhibitoren mit extrem hohen Mengen an FVIII-Präparaten behandelt werden, wurden vor Inkrafttreten des GSAV für Inhibitorbehandlungen besondere – besonders niedrige – Preise zwischen den pharmazeutischen Unternehmen und den Hämophiliezentren vereinbart. Diese besonders niedrigen Preise wurden dann im Rahmen der Preisermittlung des GSAV Teil der Preisbildung und führten zu dem – niedrigeren – Mischpreis.*

*Die neuen Herstellerabgabepreise für die von der Festbetragsgruppe betroffenen pdFVIII liegen 20,3% unter den Preisen vor dem 1. September 2020 (gewichteter Durchschnittswert auf Basis der laut hiesigem G-BA-Beschluss abgerechneten Mengen). Bereits deswegen erscheint es ermessensfehlerhaft, wenn der Gemeinsame Bundesausschuss zum jetzigen Zeitpunkt und in unmittelbarer zeitlicher Abfolge abermals ein Preisregulierungsinstrument einsetzen möchte, um – freilich nur noch fiktiv unterstellte – Einsparreserven in diesem Marktsegment zu realisieren.*

*Bei der Bildung der Festbetragsgruppe käme es darüber hinaus zu einer widersprüchlichen Doppelverwertung gleicher Preisparameter: Wie beschrieben, haben die pharmazeutischen Unternehmer im Jahr 2019 gemäß § 130d Abs. 1 SGB V die „bei der Direktabgabe ... tatsächlich vereinbarten“ Preise der FVIII-Produkte aus den Jahren 2017 und 2018 an den GKV-Spitzenverband gemeldet. Auf dieser Basis wurden je Produkt die neuen Herstellerabgabepreise ab dem 1. September 2020 ermittelt und festgelegt. Nun würde im Rahmen des Festbetragsverfahrens der so auf Basis von Daten aus 2017 und 2018 ermittelte Preis des unteren Drittels der Festbetragsgruppe wiederum für alle Produkte in der Festbetragsgruppe nochmals verwertet werden.*

*Im Übrigen war im Rahmen der GSAV-Gesetzesinitiative vorgesehen, die Auswirkungen der gesetzlichen Änderungen zunächst zu beobachten und sodann zu bewerten. Diese Beobachtung und Bewertung der erfolgten Änderungen sollten insbesondere vor dem Hintergrund der aktuell andauernden Pandemie mindestens bis Ende 2023 fortgeführt werden. Die Einführung einer Festbetragsgruppe während der Beobachtung/Bewertung der Folgen des GSAV wäre insofern demgegenüber kontraproduktiv.*

Der **Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI)** wendet ein, dass mit dem GSAV alle Arzneimittel zur spezifischen Therapie von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie einem einheitlichen Vertriebs- und Preisregulierungssystem unterworfen wurden, um Marktverzerrungen zwischen verschiedenen Produktarten in diesem Therapiegebiet zu vermeiden (vgl. BT-Drs. 19/8753, S. 97)<sup>31</sup>. Diese gesetzliche Zielsetzung verbietet eine zusätzliche Festbetragsregelung für Faktor VIII-Produkte.

Die beabsichtigte Festbetragsregelung ist schließlich auch unverhältnismäßig. Festbeträge sollen der Hebung von Wirtschaftlichkeitsreserven in einem weitgehend freien Wettbewerb dienen. Dieser freie Wettbewerb mit Einsparpotential besteht bei den Hämophilieprodukten seit der Neuordnung des Hämophiliemarktes durch das GSAV nicht mehr. Mit der Überführung in die Preisbindung und in den regulären Vertriebsweg über die Apotheken haben diese Produkte durch die Preisbestimmung nach § 130d SGB V bereits erhebliche Preissenkungen hinnehmen müssen. Zusätzlich unterfallen diese Produkte nunmehr dem Abschlagsregime des § 130a SGB V und, sofern sie dem Ante-AMNOG-Markt entstammen, dem Preismoratorium. Die Überführung in das neue Regulierungssystem erfolgte erst zum 1. September 2020. Die Unterwerfung unter ein zusätzliches Preissteuerungssystem belastet die Hersteller innerhalb kürzester Zeit nochmals zusätzlich und ist damit auch unverhältnismäßig. Überdies ist sie auch nicht durch die Zielsetzung des GSAV gedeckt (s. o.).

Der **vfa** führt aus, Die von der geplanten Festbetragsgruppe erfassten Arzneimittel waren erst zum 1. September 2020 Gegenstand einer vollumfänglich vom Gesetzgeber neu gestalteten Preisregulierung (GSAV, § 130d SGB V). Die hierdurch vom diesbezüglich ermächtigten GKV-Spitzenverband erzwungene Preisabsenkung für bestehende Hämophilie A-Produkte wurde erst vor Kurzem abgeschlossen (Preisregulierungsebene 1). In der Folge kam es außerdem zu Abschlüssen von bilateralen Rabattverträgen nach § 130a Abs. 8 SGB V (Preisregulierungsebene 2). Mit der nun angestoßenen Bildung einer neuen Festbetragsgruppe folgt unmittelbar eine weitere, dritte Preisregulierungsebene.

Dies ist eine unzweckmäßige Über- und Mehrfachregulierung für die Faktor-VIII-Produkte. Sinn und Zweck des Festbetragsystems ist die Regulierung eines preislich bisher nicht regulierten Marktes, um Wirtschaftlichkeitsreserven zu heben. Bei Faktor-VIII-Produkten liegt wie erläutert aufgrund der Umsetzung des GSAV allerdings bereits ein preisregulierter Markt vor:

2019 haben die pharmazeutischen Unternehmer gemäß § 130d SGB V die „bei der Direktabgabe ... tatsächlich vereinbarten“ Preise der Faktor VIII-Produkte aus den Jahren 2017 und 2018 an den GKV-SV gemeldet. Auf dieser Basis wurden je Produkt die Abgabepreise der pharmazeutischen Unternehmer ab dem 1. September 2020 ermittelt und durch den GKV-Spitzenverband bestimmt (§ 130d SGB V). Ausgehend hiervon würde im Rahmen des nunmehr gestarteten Festbetragsverfahrens der auf Basis von Daten aus 2017 und 2018 ermittelte Preis des unteren Drittels der Festbetragsgruppe wiederum für alle Produkte in der Festbetragsgruppe nochmals verwertet werden.

Die Überführung in das neue Regulierungssystem erfolgte erst zum 1. September 2020. Bestehende Hämophilie A-Produkte haben mit der durch das GSAV geschaffenen Überführung dieser Produkte in die Preisbindung und den regulären Vertriebsweg über die Apotheken zusammen mit der Preisbestimmung nach § 130 d SGB V bereits erhebliche Preissenkungen hinnehmen müssen. Zusätzlich unterliegen diese Produkte, sofern sie dem Nicht-AMNOG-Markt entstammen, dem Herstellerabschlag nach § 130a SGB V einschließlich des Preismoratoriums. [...]

Im Übrigen war im Rahmen der GSAV-Gesetzesinitiative vorgesehen, die Auswirkungen der gesetzlichen Änderungen zunächst zu beobachten und sodann zu bewerten. Diese

---

31 Deutscher Bundestag 19. Wahlperiode. Gesetzentwurf der Bundesregierung – Entwurf eines Gesetzes für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung <https://dserver.bundestag.de/btd/19/087/1908753.pdf>

*Beobachtung und Bewertung der erfolgten Änderungen sollte aus Sicht des vfa insbesondere vor dem Hintergrund der aktuell andauernden Pandemie mindestens bis Ende 2023 fortgeführt werden. Die Einführung einer Festbetragsgruppe während der Beobachtung/Bewertung der Folgen des GSAV wäre insofern demgegenüber kontraproduktiv. Darüber hinaus ist auf die unter Pandemie-Bedingungen angespannte Versorgungslage aufmerksam zu machen.*

**Takeda** wendet ein, dass das Festbetragsssystem allein der Ausgabenreduzierung der GKV durch Schaffung von Anreizen an Unternehmen dient, ihre Preise aus Wettbewerbsgründen zu senken (vgl. Becker/Kingreen/Axer, 7. Aufl. 2020, SGB V § 35 Rn. 1).

*Festbetragsgruppenbildungen sind im Umkehrschluss also nicht zweckmäßig, wenn eine Ausgabenreduzierung und Preisabsenkung bereits auf anderem Wege erfolgt ist. Dies ist für Arzneimittel zur Therapie der Hämophilie durch die Maßnahmen des GSAV (Gesetz zur Sicherheit in der Arzneimittelversorgung vom 9.8.2019) bereits ausreichend geschehen:*

*Neben der Neuregelung des Vertriebsweges wurde mit dem GSAV eine umfassende Preisanpassung für Hämophilieprodukte durchgeführt (vgl. § 130d SGB V). Es mussten alle Unternehmen ihre tatsächlichen Abgabepreise für alle ihre Produkte dem GKV-Spitzenverband melden. Diese wurden vom GKV-Spitzenverband ausgewertet und mit Angaben der Einzelkrankenkassen plausibilisiert. Als Ergebnis setzte der GKV-Spitzenverband dann den mengengewichteten arithmetischen Mittelwert als Preis für das Produkt fest. Dieses Verfahren wählte der Gesetzgeber ausdrücklich „zur Hebung der Wirtschaftlichkeitsreserven“ (BT-Drs. 19/8753, S. 66). Mit dem Verfahren nach § 130d SGB V konnte eine Absenkung des Preisniveaus von 17 Prozent erzielt werden (Henk, Die Neuordnung der Hämophilie-Versorgung mit dem Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung, in: GKV 90 Prozent, Ausgabe 21). Bereits hier wird deutlich, dass für weitere Preissenkungsverfahren kein Raum mehr verbleibt.*

*Für erstattungsbetragsregulierte Produkte (§ 130b SGB V) erhielt der GKV-Spitzenverband ein Sonderkündigungsrecht, § 130b Abs. 7a SGB V. Von diesem machte der GKV-Spitzenverband vollumfänglich Gebrauch, so dass er für alle diese Produkte einen – auf Basis der bereits nach § 130d SGB V abgesenkten Preise – reduzierten Erstattungsbetrag verhandelt hat.*

*Somit wurde mit den Instrumenten des GSAV der Hämophiliemarkt vollumfänglich abdeckt und „Wirtschaftlichkeitsreserven“ zu Gunsten der GKV abgeschöpft.*

*Neben dem Verfahren nach § 130d SGB V sah das GSAV vor, dass die Krankenkassen (bzw. ihre Verbände), mit den Hämophiliezentren besondere Versorgungsverträge schließen (§ 132i SGB V). Zur Finanzierung dieser Verträge regte der Gesetzgeber an, dass die Krankenkassen Rabattverträge nach § 130a Abs. 8 SGB V schließen sollen (BT-Drs. 19/8753, S. 78).*

*Hiervon machten die Krankenkassen regen Gebrauch. So liegt zum aktuellen Zeitpunkt die Rabattvertragsabdeckung im Hämophiliemarkt bereits bei ca. 90%.*

*Es lässt sich festhalten, dass die Instrumente des GSAV und die Rabattverträge nach § 130a Abs. 8 SGB V im Hämophiliemarkt bereits eine erhebliche Preissenkung herbeigeführt haben. Für weitere Preissenkungsinstrumente – wie die hier geplante Festbetragsgruppenbildung – bleibt daher kein Raum.*

**Novo** führt aus, dass seit September 2020 sich der Markt der Hämophilieprodukte in erheblichem Umbruch befindet. Es wurde der Vertriebsweg geändert, ein Preisfestsetzungsverfahren für nicht-AMNOG-geregelte Produkte durchgeführt und anschließend AMNOG-geregelte Präparate neu verhandelt. Insbesondere die Abgabe des Arzneimittels über die Apotheke und nicht, wie in der Vergangenheit, über das behandelte Zentrum hat zu erheblichen Verunsicherungen auf Patientenseite geführt. Auch die Arzneimittelhersteller sind bereits jetzt durch das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) von den oben genannten Preisregulierungsmaßnahmen stark betroffen. Eine Festbetragsgruppe Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch verschärft den Preisdruck weiter und kann in der Konsequenz zu

Marktrücknahmen führen. Damit wäre die Versorgung von Patienten mit geeigneten und zugelassenen Arzneimitteln gefährdet.

**Octapharma** führt aus, dass durch den Festbetrag die Wirtschaftlichkeit der Arzneimittelversorgung gewährleistet werden soll (BT-Drucks. 14/6041, S. 1, 5). Deshalb sieht § 35 Abs. 5 SGB V explizit vor, dass die Festbeträge so festzusetzen sind, dass sie im Allgemeinen eine ausreichende, zweckmäßige und wirtschaftliche, sowie in der Qualität gesicherte Versorgung gewährleisten. Schon bei der Gruppenbildung wird daher zu erwägen sein, ob und inwieweit die in Aussicht genommene Festbetragsgruppe dazu geeignet ist, relevante Wirtschaftlichkeitsreserven im GKV-System zu erschließen.

Die Versorgung der GKV mit plasmatischen Faktor VIII-Zubereitungen ist flächendeckend rabattvertragsgeregelt. Damit ist die im GSAV geforderte Hebung von Wirtschaftlichkeitsreserven (BT-Drucks.19/8753, S. 67) durch Rabattverträge und Verträge nach § 130c SGB V gerade bei Hämophiliepräparaten bereits umfassend umgesetzt worden. Die umfassende Rabattvertragsabdeckung belegt die in der Anlage 2 [nicht extrahiert] beigefügte Liste, die wir aus der Lauer-Taxe extrahiert haben.

Durch die geplante Festbetragsgruppe sind keine weitergehenden Einsparungen in Bezug auf die den jeweiligen Krankenkassen entstehenden Kosten zu erwarten. Schließen Krankenkassen Rabattverträge ab, so ist davon auszugehen, dass sie etwaig bestehende Wirtschaftlichkeitsreserven in dem betreffenden Therapiegebiet ausgeschöpft haben. Wie bereits das BMG in seiner Stellungnahme vom 22.03.2012 zur kleinen Anfrage in BT-Drucks. 17/8947 ausgeführt hat, trifft die Krankenkassen die Verantwortlichkeit für die Überwachung der Wirtschaftlichkeit ihrer Rabattverträge. Speziell für den Festbetragsbereich folgt dies auch aus § 31 Abs. 2 Satz 3 SGB V. Darin heißt es, dass ein Rabattvertrag nur zulässig ist, wenn durch ihn die Mehrkosten der Überschreitung des Festbetrages ausgeglichen werden. Dies drückt die besondere Wirtschaftlichkeitsverantwortung der Krankenkassen für den Rabattvertragsbereich aus, die auch in den §§ 106b Abs. 4, 129 Abs. 1 Satz 3 SGB V eine weitere gesetzliche Bestätigung findet. Gerade für die biotechnologischen Arzneimittel legt zudem § 40a der Arzneimittelrichtlinie fest, dass vorrangig die Wirtschaftlichkeit durch Rabattverträge zu gewährleisten ist. Da das Therapiegebiet, in dem die Faktor VIII-Zubereitungen Anwendung finden, durch ein Nebeneinander der biotechnologischen und der plasmatischen Faktorenzubereitungen geprägt ist, ist es im Sinne der Konsistenz der Wirtschaftlichkeitssteuerung notwendig, dass die Steuerung unter Anwendung gleicher Grundsätze stattfindet. Deshalb ist der Rabattvertragssteuerung der Vorzug einzuräumen. Es wäre daher wegen der umfassenden Rabattvertragssteuerung inkonsistent, wenn der G-BA in der Arzneimittelrichtlinie durch die geplante Festbetragsgruppe ein weiteres Wirtschaftlichkeitsinstrument etabliert.

Die geplante Festbetragsgruppe ist auch nicht verhältnismäßig. Die Faktor VIII-Zubereitungen unterliegen dem besonderen Preisregime des § 130d SGB V. Aus dem Wortlaut dieser Spezialregelung ergibt sich nicht, dass die betroffenen Arzneimittel zusätzlich einer Festbetragsregulierung unterliegen. Sinn und Zweck des Festbetrags sprechen ebenfalls gegen eine Anwendung. Das Festbetragssystem dient dem Abbau eines überhöhten Preisniveaus (so der Gesetzentwurf zum GRG in BT-Drucks. 11/2237, Seite 147). Dieses Ziel ist bereits über das besondere Preisbestimmungsverfahren nach § 130d SGB V umgesetzt worden. Dieses diente – ebenso wie ein Festbetrag – explizit der Hebung von Wirtschaftlichkeitsreserven (BT-Drucks. 19/8753, S. 66). Eine weitere Absenkung des Preisniveaus ist daher unverhältnismäßig. Zumal die niedrigsten und damit die für die Preisgrenze relevanten Packungspreise im Verfahren der Preisfestsetzung nach § 130d SGB V durch Großabnehmerpreise verzerrt worden sind, die einigen wenigen Zentren wegen der großen Abnahmemengen eingeräumt worden sind. Diese beruhen auf einem präferenziellen Einsatz in dem Teilanwendungsgebiet der Hemmkörperhämophilie mit Faktor VIII-Inhibitoren, in dem sehr hohe Dosierungen über längere Zeit Anwendung finden müssen. Diese Großabnehmerpreise sind infolge der Verlagerung des

Vertriebswegs auf die einzelnen öffentlichen Apotheken jedoch weggefallen, so dass sie nicht Grundlage einer Festbetragsfestlegung sein können. Zusätzliche Einsparungen sind dadurch erzeugt worden, dass durch die Umstellung auf den Apothekenbetrieb die Herstellerabschläge nach § 130a SGB V Anwendung finden.

Auch strukturell ist die Anwendung des Festbetragssystems systemwidrig. Durch die Festbeträge sollten Höchsterstattungspreise auf Grundlage der Wirtschaftlichkeitsreserven festgelegt werden, die sich aus den tatsächlichen Marktpreisen ergeben. Die durch die Maßzahl 160 (§ 35 Abs. 5 Satz 5 SGB V) beschriebene Preisgrenze soll sicherstellen, dass ausreichend viele Arzneimittel zum Festbetrag zur Verfügung stehen. Diese Grenze soll Gewähr dafür bieten, dass nicht besondere Vertriebsbedingungen für einzelne Arzneimittel ganz wesentlich den Festbetrag beeinflussen. Aus dem gleichen Grund schließt § 35 Abs. 5 Satz 6 SGB V besonders hochpreisige Packungen ohne Versorgungsbedeutung von der Berücksichtigung aus. Die Preisgrenze soll also marktkonform ermittelt werden. Die Preise nach § 130d SGB V bilden hingegen besondere Vorzugspreise einzelner Präparate ab, die in wenigen Hämostasezentren in großen Mengen z. B. zur Hemmkörperbehandlung eingesetzt worden sind. Wird somit der spätere Festbetrag ganz wesentlich durch einzelne Produkte bestimmt, deren Preisgestaltung durch Großabnehmererrabatte geprägt war, beruht der Festbetrag nicht auf einem unverzerrtem Markt. Daher bietet die Preisgrenze keine hinreichende Gewähr für die Versorgungssicherheit. Deshalb ist es unverhältnismäßig, wenn der Festbetrag auf Grundlage der nach § 130d SGB V festgelegten Preise gebildet wird. Diese Preise lassen die Ermittlung echter Wirtschaftlichkeitsreserven nicht zu, weil sie Ausdruck besonderer Marktbedingungen sind, die sich durch staatliche Eingriffe wesentlich geändert haben.

**CSL** wendet ein, dass durch die Schaffung des Festbetragssystems die Wirtschaftlichkeit der Arzneimittelversorgung gewährleistet werden sollte (BT-Drs. 14/6041, S. 1, 5). Daher sind die Festbeträge so festzusetzen, dass sie im Allgemeinen eine ausreichende, zweckmäßige und wirtschaftliche sowie in der Qualität gesicherte Versorgung gewährleisten. Sie haben Wirtschaftlichkeitsreserven auszuschöpfen, sollen einen wirksamen Preiswettbewerb auslösen und haben sich deshalb an möglichst preisgünstigen Versorgungsmöglichkeiten auszurichten; soweit wie möglich ist eine für die Therapie hinreichende Arzneimittelauswahl sicherzustellen (§ 35 Abs. 5 SGB V).

Dabei ist bereits auf der Ebene der Gruppenbildung durch den G-BA darauf zu achten, dass die in § 35 Abs. 5 SGB V festgelegten Ziele durch eine mögliche Festbetragsgruppe erreicht werden können. Als juristische Person des öffentlichen Rechts sowie eine Körperschaft des öffentlichen Rechts haben der G-BA und der GKV-Spitzenverband bei allen getroffenen Maßnahmen das Prinzip der Verhältnismäßigkeit zu beachten. Das bedeutet im Rahmen des Festbetragsverfahrens konkret, dass die Festbeträge einen legitimen öffentlichen Zweck verfolgen müssen. Weiterhin müssen sie dazu geeignet, erforderlich und angemessen sein, diesen Zweck zu erreichen.

[...]

*Das Einsparpotential durch die Gruppenbildung ist gering*

*Die Festbeträge legt der GKV-SV legt mit Hilfe eines Regressionsverfahrens fest, das im Detail publiziert ist<sup>32</sup>. Mit Hilfe dieses Verfahrens lässt sich ausgehend von den Listenpreisen der Lauertaxe und entsprechenden GKV-Jahresverordnungen eine Prognose der Festbeträge der vorgeschlagenen Gruppe berechnen.*

---

32 GKV-Spitzenverband. Arzneimittel-Festbeträge - Stellungnahmeverfahren (Anpassung) vom 07.12.2021 bis 04.01.2022 (ZIP, 1,8 MB). [https://www.gkv-spitzenverband.de/media/dokumente/krankenversicherung\\_1/arzneimittel/arzneimittel\\_festbeträge\\_1/festbeträge\\_beschlüsse/az\\_fb\\_zip\\_ab\\_2014/StnV\\_211207\\_220104\\_Anpassung.zip](https://www.gkv-spitzenverband.de/media/dokumente/krankenversicherung_1/arzneimittel/arzneimittel_festbeträge_1/festbeträge_beschlüsse/az_fb_zip_ab_2014/StnV_211207_220104_Anpassung.zip) (Link verweist auf den zip-Ordner) [Zugriff: 03.02.2022]

*Es ergeben sich mit den aktuellen Preisen (Stand 15.12.2021) und Verordnungsdaten des Jahres 2021 (IQVIA Contract Monitor) Festbeträge für die Packungen der Gruppe, die zwischen 87 % und 117 % des jeweiligen Apothekenverkaufspreises liegen. Nimmt man an, dass die Anbieter ihre Preise auf den Festbetrag senken, aber kein Anbieter den Preis erhöht, so ergibt sich die rechnerische Einsparung der Gruppe von 6 %.*

*Für die dargestellte Berechnung wurden die Verordnungsdaten des Jahres 2021 verwendet, da es sich nach der Umstellung des Vertriebsweges zum 01. September 2020 um die ersten vollständig belastbaren Verordnungsdaten handelt.*

*Bei der Regression wurde als Festbetrag der Standardpackung der niedrigste mögliche Wert nach der sogenannten 20/20-Regel (§ 35 Abs. 5 S. 5 SGB V) angenommen. Der GKV-SV kann unter Umständen einen höheren Wert wählen, einen niedrigeren Festbetrag darf aufgrund der 20/20-Regel jedoch nicht festgesetzt werden.*

*Es ist dagegen nicht vollkommen auszuschließen, dass die Verordnungsdaten des GKV-SV von den hier verwendeten Daten abweichen. Aber auch mit anderen Verordnungsdaten kann der Festbetrag der Standardpackung niemals unter dem niedrigsten Preis einer Standardpackung liegen. Nimmt man als unrealistischen Extremfall an, dass als Festbetrag der Standardpackung der niedrigste Preis einer Standardpackung gewählt würde, so läge die rechnerische Einsparung auf Ebene der Apothekenverkaufspreise dennoch lediglich bei 17 %.*

*Bei der Interpretation der genannten Werte muss berücksichtigt werden, dass sich die rechnerische Einsparung noch durch den Wegfall des Herstellerzwangsabschlags von 7 % nach § 130a Abs. 1 SGB V mindert. Weiter muss berücksichtigt werden, dass der Markt der Hämophilie-Produkte fast vollständig über Rabattverträge geregelt ist (zum 15.12.2021 lag die Vertragsabdeckung bei 98 %), sodass die berechneten Einsparungen um einen unbekanntem Faktor überschätzt sind. Letztendlich muss auch berücksichtigt werden, dass ein Festbetrag mit Therapieumstellungen und damit zusätzlichen Kosten für ärztliche Begleitung, erhöhten Faktorverbrauch und ggf. mit einem notwendigen Hemmkörpermanagement (ITI oder die lebenslange Behandlung mit Bypassing-Präparaten oder Hemlibra®) verbunden wäre. Insgesamt ist es fragwürdig, ob mit der Gruppenbildung überhaupt Einsparungen für die GKV realisiert werden können.*

*Wir sind gerne bereit, dem G-BA alle Details der Berechnung zur Verfügung zu stellen.*

## **Bewertung**

Nach § 35 Absatz 5 SGB V sind Festbeträge so festzusetzen, dass sie im Allgemeinen eine ausreichende, zweckmäßige und wirtschaftliche sowie in der Qualität gesicherte Versorgung gewährleisten. Sie haben Wirtschaftlichkeitsreserven auszuschöpfen, sollen einen wirksamen Preiswettbewerb auslösen und haben sich deshalb an möglichst preisgünstigen Versorgungsmöglichkeiten auszurichten; soweit wie möglich ist eine für die Therapie hinreichende Arzneimittelauswahl sicherzustellen.

Zeitpunkt, Zuschnitt und Auswahl der Festbetragsgruppenbildung liegen im Gestaltungsspielraum des Gemeinsamen Bundesausschusses (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. Es gibt keine Mindesteinsparungen, die mit einer Festbetragsgruppenbildung erreicht werden müssen.

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, wie von den Stellungnehmenden ausgeführt, in diesem Verfahren zu einer Neuordnung des Preisgefüges gekommen ist, steht die Neureglung durch das GSAV der Festbetragsgruppenbildung nicht entgegen.

Das BMG hat dem Bundesrat sechs Monate nach Inkrafttreten der Regelungen zur Hämophilie-Versorgung einen Evaluationsbericht übermitteln. Nach diesem Evaluationsbericht (Bundesrat Drucksache 491/21)<sup>33</sup> wird die Qualität der Versorgung der Hämophilie-Patienten mit Blick auf die Änderung des Vertriebswegs gleichbleibend gut beschrieben. Es wird berichtet, dass es durch die Änderung der Preisgestaltung nicht zu Marktaustritten gekommen ist. Das Thema der Festbetragsgruppen wurde ebenfalls in dem Evaluationsbericht aufgegriffen: „Es bestehen nun die Rahmenbedingungen, um das kostendämpfende Instrument der Festbetragsgruppen auch in diesem Therapiebereich anwenden zu können“ (S. 18, Bundesrat Drucksache 491/21).

Die Prüfung, ob eine Festbetragsgruppe gebildet werden kann, erfolgt unabhängig von Rabattverträgen zwischen pharmazeutischen Unternehmen und Krankenkassen. Im Rahmen der Festbetragsregelung werden Wirtschaftlichkeitsreserven auf der Gruppenebene und nicht produktspezifisch realisiert. Dabei dient die Festbetragsfestsetzung einer für die Versicherten allgemeinverbindlichen Festlegung von Erstattungshöchstgrenzen. Rabattverträge sind demzufolge als weiteres Element zur Schöpfung von Wirtschaftlichkeitsreserven neben einer Festbetragsregelung möglich, zumal über Rabattverträge sowohl zeitlich als auch aufgrund der Diversität inhaltlich keine gleichermaßen vollständige Abdeckung des relevanten Marktes erfolgen kann.

Im Weiteren ist die Festbetragsfestsetzung nicht Gegenstand des vorliegenden Stellungnahmeverfahrens, sondern schließt sich in einem weiteren Verfahrensschritt im Verantwortungsbereich des GKV-Spitzenverband an.

## 6. Einwand: unterschiedliche Darreichungsformen

*Takeda führt aus, dass zusätzlich bei den Faktor VIII Produkten zum Teil unterschiedliche Darreichungsformen vorliegen, weshalb das Handling der Injektion mit Hilfe der verschiedenen Applikationshilfen/Devices nicht vergleichbar ist.*

*Novo führt aus, dass die Herstellung rekonstituierter Lösungen vor jeder Applikation von Präparat zu Präparat durchaus unterschiedlich in der Handhabung ist. Nach jahrelanger Behandlung ist es für Patienten unabdingbar, ihre Behandlung mit dem gewohnten Präparat durchzuführen. Beispielsweise darf das Transferset bei Octanate® aus dem Blister genommen werden, wohingegen bei Haemoctin® das Transfersystem im Blister verbleiben muss. Muss der Patient in Folge einer Umstellung auf ein anderes Produkt bei dessen Rekonstitution von seinem bisher praktizierten Zubereitungsmodus abweichen, kann es in der Handhabung schnell zu Fehlern mit fatalen gesundheitlichen Folgen kommen. Mit anderen Worten: bei der Änderung einer Gewohnheit können sich schnell Fehler einschleichen, die insbesondere bei der intravenösen Gabe zu lebensbedrohlichen Situationen führen können.*

*Hämophilie ist eine chronische Erkrankung. Für eine erfolgreiche und sichere Therapie ist Patientenseitig ein sicherer Umgang mit dem vom behandelnden Zentrum verordneten Faktorpräparat erforderlich. Bei einer Umstellung von einem jahrelang verschriebenen Faktorpräparat auf ein anderes kann sich auch das Injektionszubehör ändern, da diese i.d.R. produktspezifisch und nicht austauschbar sind.*

Verwenden Sie bitte ausschließlich das mitgelieferte Injektionszubehör. Die Anwendung anderer Injektions-/Infusionsbestecke kann mit Risiken verbunden sein oder die Wirksamkeit beeinträchtigen.

Fachinformation Octanate®

---

<sup>33</sup> Evaluationsbericht des Bundesministeriums für Gesundheit zu der Vertriebswegänderung und den gesetzlichen Folgeänderungen für plasmatisch und gentechnologisch hergestellte Gerinnungsfaktorenzubereitungen zur Behandlung von Hämophilie durch das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) vom 9. August 2019. Bundesrat Drucksache 491/21 vom 03.06.2021

*Bei Wechsel wäre dann eine Schulung zum Umgang mit dem neuen Injektionszubehör unabdingbar, die den verordnenden Ärzten nicht vergütet wird.*

## **Bewertung**

Alle in die Festbetragsgruppe einbezogenen Arzneimittel haben die Darreichungsform „Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektionslösung“, für Beriate ist die Angabe in der Fachinformation weiter gefasst „Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektions-/Infusionslösung“. Wie von einer Stellungnehmerin beschrieben, unterscheidet sich das Handling der Applikationshilfen.

Den Stellungnehmenden wird dahingehend zugestimmt, dass für die Anwendung der in die Festbetragsgruppen einbezogenen Arzneimittel – insbesondere auch im Fall des Wechsels der verordneten Arzneimittels – Aufklärung und Schulung der Erkrankten durch Ärztinnen und Ärzte erforderlich ist.

Dies steht einer Festbetragsgruppenbildung jedoch nicht entgegen.

Mit einer Festbetragsgruppenbildung sind darüber hinaus keine Entscheidungen hinsichtlich der Auswahl eines Fertigarzneimittels präjudiziert. Die Austauschbarkeit ist ein Kriterium der Aut-idem-Regelung nach § 129 Absatz 1 Satz 2 SGB V und ist von der Festbetragsgruppenbildung zu differenzieren. Die Eingruppierung von Arzneimitteln in eine Festbetragsgruppe bedeutet nicht, dass diese Arzneimittel im Sinne der Aut-idem-Regelung beliebig bei einem Patienten austauschbar sind.

## **7. Einwand: gewählte Datenbasis nicht adäquat**

*Der **bpi** wendet ein, dass entsprechend der Tragenden Gründe beabsichtigt ist, als Basisjahr für die Festbetragsfestsetzung 2020 zu wählen. Dies halten wir für verfehlt, da erst zum September 2020 der Hämophiliemarkt in den regulären Vertriebsweg über die Apotheke überführt wurde. Das Jahr 2020 spiegelt daher nicht die aktuelle Versorgungs- und Marktlage wider und kann daher nicht als Grundlage für Festbetragsfestsetzungen dienen.*

*Der **vfa** führt aus, dass ausweislich der Tragenden Gründe des Gemeinsamen Bundesausschusses [...] beabsichtigt ist, als Basisjahr für die Festbetragsfestsetzung 2020 zu wählen. Da bestehende Hämophilie A-Produkte erst zum 1. September 2020 in das aktuelle regulatorische System überführt wurden, kann das Jahr 2020 insofern bereits nicht die aktuelle Versorgungslage abbilden.*

***Octapharma** führt aus, dass Grundlage der Gruppenbildung die Verordnungsdaten aus 2020 sind. Das Jahr 2020 war noch weitestgehend durch den Vertriebsweg nach § 47 Abs. 1 AMG geprägt. Erst zum 01.09.2020 erfolgte die Umstellung auf den Apothekenvertriebsweg. Daher können erst die Verordnungsdaten des Jahres 2021 einen unverzerrteren Blick auf die für die Festbetragsbildung zugrunde zu legenden Verordnungsanteile ermöglichen.*

## **Bewertung**

Das primäre Ziel von Festbeträgen liegt darin, Wirtschaftlichkeitsreserven auszuschöpfen und einen wirksamen Preiswettbewerb auszulösen. Sie sind so festzusetzen, dass sie im Allgemeinen eine ausreichende, zweckmäßige und wirtschaftliche sowie in der Qualität gesicherte Versorgung gewährleisten.

Zeitpunkt, Zuschnitt und Auswahl der Festbetragsgruppenbildung liegen im Gestaltungsspielraum des G-BA (BSG, Urt. v. 1.3.2011, Az. B 1 KR 10/10 R, Rn. 38). Dabei erachtet der G-BA die Festbetragsgruppenbildung als Instrument insbesondere zur weitergehenden Förderung des Wettbewerbs zum jetzigen Zeitpunkt als sachangemessen. Gemäß § 35 Absatz 5 Satz 7

SGB V erfolgt die anschließende Festbetragsberechnung auf Basis des zum Zeitpunkt des Berechnungstichtags zuletzt verfügbaren Jahresdaten nach § 84 Absatz 5 SGB V. Im Übrigen ist die Festbetragsfestsetzung nicht Gegenstand des vorliegenden Verfahrens.

## 8. Einwand: Versorgungssicherheit

*Der bpi wendet ein, dass gemäß § 35 SGB V Festbeträge so festzusetzen sind, dass sie im Allgemeinen eine ausreichende, zweckmäßige und wirtschaftliche sowie in der Qualität gesicherte Versorgung gewährleisten. Sie haben Wirtschaftlichkeitsreserven auszuschöpfen, sollen einen wirksamen Preiswettbewerb auslösen und haben sich deshalb an möglichst preisgünstigen Versorgungsmöglichkeiten auszurichten; soweit wie möglich ist eine für die Therapie hinreichende Arzneimittelauswahl sicherzustellen. Die geplante Bildung einer Festbetragsgruppe läuft diesen Anforderungen jedoch zuwider.*

*Die geplante Festbetragsgruppenbildung und eine spätere Festbetragsfestsetzung für Faktor VIII-Produkte sehen wir insbesondere unter dem Aspekt der Versorgungssicherheit als problematisch an, denn die kontinuierliche Versorgung mit Plasmaprodukten ist bereits jetzt gefährdet (nähere Ausführungen hierzu siehe unten). Festbeträge für den Teilbereich der Faktor VIII-Produkte werden diese Situation verschärfen.*

*Faktor VIII-Produkte sind für viele Menschen überlebenswichtig und gehören auch laut WHO zu den versorgungsrelevanten „Essential Medicines“<sup>34</sup>.*

*Blutplasma-Medikamente wie Faktor VIII-Produkte werden aus menschlichem Blutplasma hergestellt. Plasmaspenden sind für die Herstellung unabdingbar. Dem steigenden Bedarf an Blutplasmaprodukten steht jedoch eine begrenzte Anzahl der Blut- und Plasmaspender in der deutschen Bevölkerung gegenüber. Hinzu kommt die Corona-Pandemie, die die Blutplasmagewinnung nochmals deutlich erschwert. Zusätzlich besteht eine hohe Abhängigkeit von Plasmaspenden aus den USA, diese gehen aber auch dort pandemiebedingt stark zurück. Gleichzeitig ist zu erwarten, dass der Bedarf an Blutplasmaprodukten mittel- und langfristig durch bessere Diagnosen und die Erweiterung des Indikationsspektrums noch weiter steigen wird. Darüber hinaus ist die Herstellung von Blutplasmaprodukten hochkomplex und erfordert eine lange Produktionsvorlaufzeit, die zwischen 7 und 12 Monaten beträgt. Daher manifestieren sich Versorgungsengpässe deutlich zeitverzögert. Auf der Seite des BfArM sind Lieferengpässe mit Plasmaprodukten (Immunglobuline) bereits verzeichnet<sup>35</sup>.*

*Durch den Rückgang der Blut- und Plasmaspenden sind die Rohstoffpreise massiv gestiegen. Diese können aufgrund der zusätzlichen Herstellerrabatte und des nunmehr geltenden Preismoratoriums nicht adäquat kompensiert werden. Eine marktgerechte Preisgestaltung ist nicht mehr möglich.*

*Der Fixkostenanteil in der Gewinnung und Vermarktung von Plasma liegt bei 57% (vs. 14% bei „klassischen“ Pharmaunternehmen)<sup>36</sup>. Das Kosten-Ertragsgefüge gestaltet sich dabei nicht linear wie bei chemisch definierten Arzneimitteln (Wirkstoff > Produkt), sondern der Ertrag setzt sich aus den Erträgen der einzelnen unterschiedlichen Produkte (Blutplasma > Albumin, IG, Gerinnungsfaktoren, Alpha1-Antitrypsin, Fibrinkleber) zusammen, die alle aus dem Ausgangsstoff Spenderplasma gewonnen werden. Die Plasmagewinnung wird durch Festbeträge für das Teilprodukt Gerinnungsfaktoren unattraktiver und gefährdet damit mittelbar die Versorgung des deutschen Marktes. Der Rückgang des Ertrags bei Blutgerinnungsprodukten*

---

34 WHO. Model list of essential medicines – 22nd list, 2021

<https://apps.who.int/iris/bitstream/handle/10665/345533/WHO-MHP-HPS-EML-2021.02-eng.pdf>

35 PharmNet.Bund. Veröffentlichte Lieferengpassmeldungen <https://anwendungen.pharmnet-bund.de/lieferengpassmeldungen/faces/public/meldungen.xhtml>

36 PPTA. Plasma Protein Therapies – Uniquely Saving Lives  
[https://www.pptaglobal.org/images/Communication\\_Advocacy/PPTs -  
Uniquely Saving Lives/NA/SavingLives\\_FINAL\\_042919.pdf](https://www.pptaglobal.org/images/Communication_Advocacy/PPTs_-_Uniquely_Saving_Lives/NA/SavingLives_FINAL_042919.pdf)

*hätte damit unmittelbare Auswirkungen auf die Preise für andere Plasmaprodukte, um die Wirtschaftlichkeit der Produktion und die Kontinuität der Versorgung zu erhalten. Daher sind bei der Regulierung eines Teilbereichs der Plasmaprodukte die Folgewirkungen auf die weiteren Produktebenen in den Blick zu nehmen.*

*Für die beabsichtigte Festbetragsgruppe kommt hinzu, dass es hier nur vier Anbieter im Markt für die Faktor VIII-Produkte gibt. In einem derart konzentrierten Markt können sich Lieferengpässe und Eingriffe in die produktgruppenübergreifende Kalkulationsbasis der Hersteller (s.o.) gravierend auf die Versorgung von Patientinnen und Patienten auswirken. Regelmäßig handelt es sich hierbei um die kontinuierliche Versorgung chronisch Erkrankter.*

*Im Sinne einer bedarfsgerechten, zuverlässigen und dem medizinischen Fortschritt angepassten Versorgung ist es notwendig, günstige Bedingungen zu schaffen, zumindest aber, diese nicht durch zusätzliche Regulierung noch weiter zu verschlechtern. In der 94. Gesundheitsministerkonferenz haben die Gesundheitsminister der Länder daher entsprechenden Handlungsbedarf angemahnt, um dieses fragile System zu stützen und die Liefersicherheit von Blutplasmaprodukten auch in Zukunft und insbesondere in schwierigen Situationen wie der Pandemie zu gewährleisten.*

*Planungssicherheit für die pharmazeutischen Unternehmen ist hier besonders wichtig, diese wird aber durch die beabsichtigte Festbetragsgruppenbildung konterkariert.*

*Der vfa wendet ein, dass die geplante Festbetragsgruppenbildung und spätere Festbetragsfestsetzung für Faktor VIII-Produkte auch unter Versorgungsaspekten fragwürdig sind, denn die Sicherstellung der Versorgung mit Plasmaprodukten ist zunehmend gefährdet. Die (durch die Corona-Pandemie noch verstärkten) rückläufigen Plasmaspenden in der deutschen Bevölkerung und die langen Vorlaufzeiten der besonders komplexen Produktion dieser versorgungskritischen Produkte deuten darauf hin, dass die Versorgung mit Faktor-VIII-Produkten zukünftig ein kritisches Niveau einnehmen wird.*

*Neben der abnehmenden Spendenbereitschaft in der deutschen Bevölkerung besteht außerdem eine hohe Abhängigkeit von Plasmaspenden aus den USA, in denen ebenfalls ein Rückgang der Spendenbereitschaft festzustellen ist. Feststellbar ist ebenfalls ein steigender Bedarf an Blutplasmaprodukten sowie massiv gestiegene Rohstoffpreise (Plasma), die bedingt durch Herstellerabschlag und Preismoratorium vom pharmazeutischen Unternehmer in Deutschland nicht weitergegeben werden können.*

*Erste Lieferengpässe mit Plasmaprodukten (am Beispiel der Immunglobuline) sind bereits zu verzeichnen. Für die beabsichtigte Festbetragsgruppe kommt hinzu, dass es hier nur wenige Anbieter im Markt gibt.*

*Laut Weltgesundheitsorganisation (WHO) gehören Faktor-VIII-Produkte zu den versorgungsrelevanten „Essential Medicines“, die für viele Menschen überlebenswichtig sind. Die Herstellung von Blutplasmaprodukten ist allerdings hochkomplex und erfordert eine lange Produktionsvorlaufzeit. Deshalb werden Versorgungsengpässe erst nach 7-12 Monaten sichtbar. Daher ist bereits jetzt absehbar, dass der Mangel an Rohstoffen nicht nur zu temporären Lieferengpässen, sondern zu Beeinträchtigungen und Engpässen in der Versorgung mit Blutplasmaapparaten führen wird.*

*Im Sinne einer bedarfsgerechten, zuverlässigen und den medizinischen Fortschritt berücksichtigenden Versorgung ist es deshalb notwendig, günstige Bedingungen zu schaffen und diese nicht durch zusätzliche Regulierung zu verschlechtern. In diesem Sinne äußerten sich auch die Gesundheitsminister der Länder bei ihrer 94. Gesundheitsministerkonferenz und mahnten Handlungsbedarf zum Schutz dieses fragilen Systems und der Liefersicherheit von Blutplasmaprodukten auch in Zukunft an - insbesondere auch in schwierigen Situationen wie der Pandemie.*

Planungssicherheit ist für die Herstellung von Plasmaprodukten besonders wichtig, sie wird jedoch durch die beabsichtigte Festbetragsgruppenbildung konterkariert: Die Herstellung von Plasmaprodukten wie Faktor VIII ist aufgrund der Komplexität kostenintensiver als bei der Produktion von Arzneimitteln mit chemisch definierten Wirkstoffen und die Rohstoffbeschaffung verteuert sich zunehmend.

Der vfa hält die beabsichtigte Festbetragsgruppenbildung für verfehlt. Die gerade erst vom Gesetzgeber neu gestaltete Hämophilieversorgung in Deutschland soll eine verbesserte medizinische Versorgung und Preisbildung zugleich gewährleisten. Die Hämophilieversorgung darf nicht vorschnell und vorzeitig durch Festbeträge mit verschiedenen Preisregulierungsinstrumenten zugleich überzogen werden. Aus Sicht des vfa sollte die geplante Festbetragsgruppenbildung daher unterbleiben.

Aus Sicht von **Takeda** gefährdet die Bildung einer Festbetragsgruppe zudem die Versorgung mit Plasmaprodukten. Bei Plasma handelt es sich um ein rares Produkt, das nicht uneingeschränkt zur Verfügung steht. Für die Produktion von Plasmaprodukten ist der Hersteller auf Plasmaspenden angewiesen. Diese sind – insbesondere seit der Corona-Pandemie – rückläufig. Hinzu kommt, dass die Produktion aufwändig ist, so dass es lange Vorlaufzeiten gibt. Ausfälle von anderen Herstellern können daher – wenn überhaupt – nur mit viel Verzögerung kompensiert werden. Es ist zu erwarten, dass der Mangel an Plasmaspenden nicht nur zu kurzen Lieferengpässen, sondern zu Beeinträchtigungen der Therapie mit Blutplasmapräparaten führen wird.

Bereits jetzt gibt es nur wenige Anbieter von Plasmaprodukten. Diese hatten in der jüngeren Vergangenheit immer wieder mit Lieferausfällen zu kämpfen, so zuletzt bei den Immunglobulinen.

Das Vorhaben der Festbetragsgruppenbildung kann diese Situation sogar noch verschärfen, obwohl es vielmehr angezeigt wäre, günstigere Bedingungen für die Marktteilnehmer zu schaffen und Planungssicherheit herzustellen. Die Brisanz der Versorgungssituation war daher auch Gegenstand der 94. Gesundheitsministerkonferenz der Länder. Im einstimmigen Beschluss erklärten diese, dass die Gewinnung von Plasma und Sicherstellung der Versorgung ein wichtiges Ziel sei (<https://www.gmkonline.de/Beschluesse.html?id=1135&jahr=2021>).

Dies zusammen zeigt, dass es sich bei plasmatischen Produkten um eine sehr sensible Produktgruppe handelt. Ein Festbetrag ist hier daher nicht angezeigt. In der Hämophilie allgemein – und bei plasmatischen Produkten besonders – ist eine Vielfalt an Anbietern von hoher Bedeutung. Jedoch darf eine Festbetragsgruppenbildung eben nicht dazu führen, dass die notwendige Versorgung mit den betroffenen Produkten ausgeschlossen wird. Dabei ist es die Aufgabe der Selbstverwaltung, dass sich Festbeträge an Marktrealitäten richten (BSG 3.5.2018 – B 3 KR 9/16 R Rn. 27; BSG 3.5.2018 – B 3 KR 10/17 R Rn. 29). Daher betont das Bundessozialgericht, dass eine Stärkung des Wettbewerbs nur gelingen kann, wenn die Herstellung von Arzneimitteln zum Festbetrag für den pharmazeutischen Unternehmer wirtschaftlich ist und nicht zu unerwünschten Marktabgängen und weitgehendem Rückzug von Anbietern führt (BSG 3.5.2018 – B 3 KR 9/16 R Rn. 27). Gerade dies ist hier aber zu befürchten, da – wie zuvor beschrieben – das Einsparpotential durch die Maßnahmen im GSAV bereits ausgeschöpft ist.

Der **BAH** führt aus, dass angesichts der vorgestellten Fakten und Analyse ist die geplante Festbetragsgruppenbildung aus rechtlichen Gründen sowie aus Sorge um die sichere Versorgung der Patientinnen und Patienten mit den durch die WHO als „essential medicines“ und damit als versorgungsrelevant und überlebenswichtig eingestuften Faktor-VIII-Arzneimittel weder geboten noch zielführend.

**Novo** führt aus, dass Festbeträge das Ziel haben, eine Preisobergrenze festzusetzen. Für Produkte oberhalb des Festbetrags muss der Patient entweder eine Aufzahlung leisten oder

der Hersteller reduziert seinen Preis. Die vergangenen Festbetragsverfahren haben gezeigt, dass Hersteller im Regelfall die Preise absenken. Die Corona-Pandemie hat klar vor Augen geführt, welche Gefahr eine Preiserosion mit sich bringt. Arzneimittel können nicht mehr zu wirtschaftlich auskömmlichen Preisen in Deutschland vertrieben werden. Bereits im Koalitionsvertrag ist festgehalten

„Wir stellen die Versorgung mit innovativen Arzneimitteln und Impfstoffen sicher. Die Engpässe in der Versorgung bekämpfen wir entschieden. Wir ergreifen Maßnahmen, um die Herstellung von Arzneimitteln inklusive der Wirk- und Hilfsstoffproduktion nach Deutschland oder in die EU zurück zu verlagern.“<sup>37</sup>

Die vom GBA geplante Festbetragsgruppenbildung Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch gefährdet maßgeblich die Sicherstellung der Lieferfähigkeit und Verfügbarkeit von Arzneimitteln in Deutschland. Die der Festbetragsgruppenbildung folgende Festbetragsfestsetzung erhöht massiv das Risiko, dass die Arzneimittelhersteller mit dem Wirkstoff „humanen Blutgerinnungsfaktor VIII“ ihre Blutgerinnungsfaktoren in Deutschland vom Markt nehmen, weil sie nicht mehr wirtschaftlich vertrieben werden können.

**Octapharma** wendet ein, dass die Festbeträge der Förderung der Wirtschaftlichkeit der Versorgung dienen und dieses Ziel ohne Gefährdung der Arzneimittelversorgung erreichen sollen. Dies ist vorliegend nicht gewährleistet. Blutplasmaprodukte und insbesondere plasmatische Faktor VIII-Zubereitungen sind lebenswichtige Arzneimittel.

Die Herstellung erfolgt in einem aufwendigen Verfahren aus menschlichem Blut. Deshalb ist die Herstellung zwingend auf Blutspenden in ausreichender Menge angewiesen. Die Plasmaspenden sind insbesondere bedingt durch die Corona-Pandemie stark rückläufig (vgl. z. B. die in der Anlage 3<sup>38</sup> beigefügte Stellungnahme). Dies hat auch – vor allem in den USA – zu stark ansteigenden Plasmakosten geführt<sup>39</sup>. Dem steht ein seit Jahren kontinuierlich ansteigender Bedarf hauptsächlich von Immunglobulinen gegenüber. Der in der Anlage 5 beigefügte Auszug aus der offiziellen Lieferengpassliste des BfArM zeigt bereits für die Vergangenheit für eine Reihe von Blutplasmaprodukten Lieferengpässe.<sup>40</sup> Es ist nicht zu erwarten, dass sich daran in der mittelfristigen Zukunft etwas ändert. Da wegen des aufwendigen Herstellprozesses die Produktionsvorlaufzeit für die Blutplasmaprodukte lang ist, werden sich weitere Versorgungsengpässe erst nach und nach manifestieren. Es ist bereits jetzt absehbar, dass der Mangel an Blutplasma auch langfristig zu Versorgungsengpässen führen wird. Der geplante Festbetrag wird die Lage noch weiter verschärfen. Ein größerer Preisdruck auf den Faktor VIII wird wegen der sehr komplexen Produktionsprozesse zu Preissteigerungen bei den anderen Blutplasmaprodukten führen müssen, die alle in einem mehrstufigen Fraktionierungsprozess aus dem Plasma hergestellt werden. Nur bei einer Gesamtbetrachtung der vielfältigen aus Plasma hergestellten Produkte kann die gesamte Produktpalette rentabel gestaltet werden. Deshalb müssen bei Preiseingriffen bei einem Produkt (hier Faktor VIII) die Folgewirkungen auf den weiteren Produktebenen (z. B. Immunglobuline, andere Gerinnungsfaktoren wie Fibrinogen und Antithrombin) mitbedacht werden. Nur so bleiben die Gesamtwirtschaftlichkeit und die Sicherstellung der Versorgung im Blick.

Diesen Aspekten hat auch der Gesetzgeber in den Materialien zum GSAV Rechnung getragen (BT-Drucks.19/8753 S. 90). Er weist ausdrücklich darauf hin, dass der bereits durch das Maßnahmenbündel des GSAV entstehende Kostendruck dazu führen könnte, dass Unternehmen die Herstellung von Biologika – und zu diesen zählen auch die hier aufgerufenen Faktor VIII-Präparate – aus wirtschaftlichen Gründen Produktionskapazitäten verlagern. Man

---

37 Koalitionsvertrag „mehr Fortschritt wagen“ zwischen SPD, BÜNDNIS 90/DIE GRÜNEN UND FDP

38 AABB, America's Blood Centers and the American Red Cross. Joint Statement: Blood Donors Urgently Needed this Holiday Season, December 13, 2021

39 American Red Cross. Red Cross Declares First-ever Blood Crisis amid Omicron Surge, January 11, 2022

40 PharmNet.Bund. Veröffentlichte Lieferengpassmeldungen, Stand 31.01.2022

*müsse dies aufmerksam beobachten, da einmal verlagerte Produktionskapazitäten kaum zurückzuholen seien. Vornehmlich die Hersteller der plasmatischen Faktor VIII-Präparate haben Produktionsstätten in Deutschland und dem europäischen Ausland aufgebaut. Diese wären von weiteren wirtschaftlichen Belastungen in besonders hohem Maße betroffen.*

*Im Rahmen der mündlichen Anhörung führt Octapharm aus, dass angesichts der stark steigenden Preise für das Ausgangsmaterial Plasma und des bestehenden Preismoratoriums das subkutane Immunglobulinpräparat cutaquig mit einem Marktanteil von circa 25 Prozent in Deutschland seit Anfang Juni nicht mehr ausgebaut wird, weil der zu erzielende Abgabepreis deutlich unter den Herstellungskosten liegt.*

**CSL** wendet ein, dass Faktor-VIII-Präparate als „essential medicines“ zu den von der WHO als unentbehrlich zur Deckung des Versorgungsbedarfs der Bevölkerung eingeordneten Arzneimitteln gehören<sup>41</sup>. Ein Festbetrag für diese Arzneimittel würde die Versorgungssicherheit mit aus Plasma hergestellten Arzneimitteln generell und mit Faktor-VIII-Präparaten im Besonderen gefährden.

*Ziel des Festbetragsystems ist gemäß § 35 Abs. 5 S. 1 SGB V die Sicherstellung einer in der Qualität gesicherten Versorgung. Außerdem sollen Wirtschaftlichkeitsreserven ausgeschöpft und ein wirksamer Preiswettbewerb ausgelöst werden (§ 35 Abs. 1 S. 2 Hs. 2 SGB V).*

*Nach der Rechtsprechung des Bundessozialgerichtes würde das Ziel der Stärkung des Wettbewerbs jedoch in sein Gegenteil verkehrt, wenn eine realistische Preisgestaltung in Orientierung am Festbetrag für die pharmazeutischen Unternehmer nicht möglich wäre und es dadurch zu etwaigen Marktrückgängen und einer unerwünschten Oligopolisierung kommen könnte (BSG, Urteil vom 03.05.2018, B 3 KR 9/16 R).*

*Die Preisgestaltung bei den Faktor-VIII-Präparaten wurde bereits im Rahmen des Gesetzes für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) durch Eingliederung in den Vertriebsweg über die Apotheke und eine Preisfestsetzung gemäß § 130d SGB V erheblich beeinflusst.*

*§ 130d SGB V regelt dabei die sozialversicherungsrechtlichen Konsequenzen der Herausnahme von spezifischen Arzneimitteln für die Behandlung von Gerinnungsstörungen bei Hämophilie aus dem Sondervertriebsweg nach § 47 AMG. Nach Auffassung des Gesetzgebers sollten durch die Preisneuordnung bestehende Wirtschaftlichkeitsreserven gehoben werden (vgl. Gesetzentwurf GSAV, BT-Drs. 19/8753, S. 66). Infolge der Neuordnung der Abgabepreise lag das mittlere gelistete Preisniveau am 1. September 2020, gegenüber den bis dahin geltenden Preisen, um 17 % niedriger, wobei die höchste Preisdifferenz bei -52,5 % gelegen hat.*

*Folge des durch das GSAV bezweckten Eingriffs in den bestehenden Markt der Faktor-VIII-Präparate war somit ein massives Absinken der Listenpreise.*

*Die Bildung einer Festbetragsgruppe für Faktor-VIII-Präparate stellt eine weitere preisregulierende Maßnahme dar. Durch sie würde die bereits angespannte Situation, bedingt durch einen Mangel an Plasma sowie einen erheblichen Preisanstieg von Plasma, bei der Versorgung der Patienten mit Blutprodukten weiter verschärft.*

*Es gibt einen wachsenden Mangel an Blutplasma; zusätzlicher Preisdruck könnte zu Versorgungseinschränkungen führen.*

*Festbeträge sind grundsätzlich an den Marktrealitäten zu orientieren (vgl. BSG, Urteil vom 03.05.2018, B 3 KR 9/16 R). Dies gilt nicht nur für die Festsetzung der Höhe nach, sondern auch auf der Ebene der Gruppenbildung.*

*Vor diesem Hintergrund ist zu berücksichtigen, dass der Markt für Blutplasma momentan erheblichen Verwerfungen unterliegt und stark unter Druck ist, da die Nachfrage das Angebot*

---

41 WHO. Model list of essential medicines - 22nd list, 2021, <https://apps.who.int/iris/rest/bitstreams/1374779/retrieve> [Zugriff: 03.02.2022]

bei weitem übersteigt. So mussten bereits alle namhaften Hersteller von Immunglobulin-G-Präparaten im letzten Jahr offiziell Lieferengpässe an das BfArM melden<sup>42</sup>. Infolge der hohen Nachfrage und der knappen Ressourcen stieg der Preis für einen Liter Plasma im europäischen Markt von 2016 bis 2021 von ca. 110 Euro auf ca. 139 Euro, was einen Anstieg um ca. 26 % bedeutet<sup>43,44</sup>.

Sowohl auf Bundes- als auch auf Länderebene sind der Plasmamangel und die Bedeutung jener Präparate für die Versorgung der Patienten ein wichtiges Thema, weshalb Mitte 2021 die Gesundheitsminister der Länder in einer Gesundheitsministerkonferenz Maßnahmen beschlossen haben, um die Spendebereitschaft der Bevölkerung insbesondere für Blutplasma zu erhöhen.

Das Problem der Ressourcenknappheit wird derzeit noch weiter verschärft durch die Covid-19-Pandemie, da auf Grund von Angst vor Ansteckung weniger Spender zur Verfügung stehen und die Kapazitäten in den Spendezentren durch die notwendigen Hygienemaßnahmen beschränkt werden<sup>45</sup>.

Da momentan ein Ende der Covid-19-Pandemie nicht sicher absehbar ist, ist zu befürchten, dass die Spendemöglichkeiten infolge von Lockdowns auch weiterhin eingeschränkt sein werden. Zudem ist auch in Zukunft mit einem Auftreten weiterer Pandemien zu rechnen – jedenfalls sind diese nicht auszuschließen.

Der gesamte Plasmamarkt befindet sich derzeit durch die weltweite Verknappung an Blutplasmaspenden in einer angespannten Lage. Daher darf der Preisdruck bei Plasma-Produkten nicht beliebig an die Plasmahersteller weitergegeben werden. Andernfalls wird es Engpässe bei dem Handel mit Blutplasma-Produkten geben, wodurch es auch zu Versorgungseinschränkungen im deutschen Markt kommen kann.

Eine realistische Preisgestaltung für Faktor-VIII-Präparate unter Festbetrag wäre nicht möglich. Anders als synthetische Wirkstoffe wird Faktor VIII in einem aufwändigen, verlustbehafteten Verfahren durch Fraktionierung und Reinigung aus dem Plasma hergestellt. Zur Behandlung eines durchschnittlichen erwachsenen Patienten mit Hämophilie A für ein Jahr werden rund 1.200 Plasmaspenden benötigt. Die Preise des Blutplasmas tragen in erheblichem Maße zu den Kosten der aus Plasma hergestellten Arzneimittel bei; die Kosten für die Herstellung inklusive des Ausgangsmaterials stellen bei den aus Plasma hergestellten Arzneimitteln einen Anteil von etwa 57 % dar, im Gegensatz zu den Arzneimitteln mit chemischen Wirkstoffen, bei welchen der Kostenanteil der Herstellung inklusive des Ausgangsmaterials nur bei etwa 14 % liegt<sup>46</sup>. Der Arzneimittelpreis ist daher auch sehr stark an den Rohstoffpreis gekoppelt; Skaleneffekte bestehen kaum.

Allgemein anerkannt und in ständiger Rechtsprechung des Bundessozialgerichts bestätigt ist der Grundsatz, dass die Herstellung von Medikamenten zum Festbetrag für die pharmazeutischen Unternehmer wirtschaftlich sein muss und nicht zu unerwünschten Marktabgängen und weitgehendem Rückzug von Anbietern führen darf (BSG, Urteil vom 03.05.2018, B 3 KR 10/17 R). Wörtlich heißt es dort wie folgt:

---

42 PharmNet.Bund. Veröffentlichte Lieferengpassmeldungen. <https://anwendungen.pharmnet-bund.de/lieferengpassmeldungen/faces/public/meldungen.xhtml?jfwid=EBF57427FA837D06F1D19927D75131FE%3A0> [Zugriff: 03.02.2022]

43 Marketing Research Bureau. International Blood/Plasma News - March 2022

44 Marketing Research Bureau. International Blood/Plasma News - March 2017

45 Seiffert J. ADKA 2021: Versorgungsengpässe mit Plasmaprodukten. <https://www.gelbe-liste.de/immunologie/versorgungsengpass-plasmaprodukte> [Zugriff: 03.02.2022]

46 PPTA. PLASMA PROTEIN THERAPIES - Uniquely Saving Lives. [https://www.pptaglobal.org/images/Communication\\_\\_Advocacy/PPTs\\_-\\_Uniquely\\_Saving\\_Lives/NA/SavingLives\\_FINAL\\_042919.pdf](https://www.pptaglobal.org/images/Communication__Advocacy/PPTs_-_Uniquely_Saving_Lives/NA/SavingLives_FINAL_042919.pdf) [Zugriff: 03.02.2022]

„Festbeträge unterhalb dieser Grenze können auf Dauer den Preiswettbewerb durch unerwünschte Oligopolisierung einschränken (vgl dazu Entwurf der Fraktionen der CDU/CSU und FDP eines Gesetzes zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der GKV <Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz - AMNOG>, BT-Drucks 17/2413 S. 16 unter II. 2.). Dies kann sachwidrige und willkürliche Wettbewerbsverzerrungen bewirken. Deshalb ist auch in anderen Bereichen des Leistungserbringerrechts anerkannt, dass Preise zwar einerseits dem Wirtschaftlichkeitsgebot genügen müssen, andererseits aber nicht zu einer Existenzgefährdung der Leistungserbringer führen dürfen.“

Allerdings wurde die Auskömmlichkeit der Produktion bereits durch die Maßnahmen des GSAV einerseits sowie die Preissteigerungen beim Ausgangsstoff Plasma andererseits stark gemindert. Durch die Festsetzung von Festbeträgen wären alle Hersteller, die mit ihrem Preis über diesen Festbeträgen liegen, gezwungen, ihre Preise nochmals abzusenken, da eine Aufzählung bei diesen Arzneimitteln für Patienten nicht zumutbar wäre. In der Folge wäre eine für die Unternehmer wirtschaftliche Herstellung von Plasmaprodukten im Sinne der Rechtsprechung des Bundessozialgerichts gefährdet. Bei nur vier Anbietern von plasmatischen Faktor-VIII-Präparaten würde ein Marktaustritt auch nur eines Anbieters einen wirksamen Preiswettbewerb bereits spürbar beeinträchtigen, weshalb ein Festbetrag für Faktor-VIII-Präparate nicht den Kriterien des § 35 Abs. 5 S. 2 SGB V entspricht.

Ein Marktrückzug einzelner Hersteller hätte auch Ausfälle anderer Blutprodukte zur Folge

Die Produktion von Faktor VIII wird üblicherweise so betrieben, dass aus demselben Ausgangsmaterial (dem Blutplasma) nicht nur Faktor VIII, sondern auch weitere Blutprodukte gewonnen werden. Wenn sich die Plasmaverarbeitung für einen Hersteller nicht mehr lohnt und er den Markt verlässt, so hat dies nicht nur Auswirkungen auf die Versorgungssituation mit Faktor VIII, sondern auch auf die Versorgung mit anderen Wirkstoffen. Dies sind insbesondere:

- Immunglobuline
- Albumin
- Faktor IX
- Prothrombinkomplex
- Antithrombin
- von-Willebrand-Faktor
- Faktor VII
- Faktor X
- Faktor XIII
- Fibrinogen

Problematisch ist, dass es für viele aus Plasma hergestellten Arzneimittel keinen großen Markt gibt, da die Erkrankungen zum Teil selten sind und nur wenige Patienten behandelt werden. Diese Arzneimittel können nur deshalb produziert werden, weil aus demselben Ausgangsstoff weitere Arzneimittel entstehen, die die Vermarktung der nur selten gebrauchten Arzneimittel finanziell mittragen. Ein Beispiel sind die Faktor-XIII-Präparate, die in Deutschland für die rund 15 – 80 von einem angeborenen Mangel in Deutschland Betroffenen essenziell sind<sup>47</sup>. Außerdem sind Faktor XIII, Immunglobuline und Fibrinogen ausschließlich als plasmatische Produkte verfügbar, sodass bei einem Mangel nicht auf andere Präparate, beispielsweise auf rekombinante Präparate, zurückgegriffen werden kann.

Im Rahmen der mündlichen Anhörung weist CSL ergänzend darauf hin, dass die Produktionspreise aktuell aufgrund steigender Inflation und der Energiekrise zusätzlich steigen.

BAH und vfa weisen in der mündlichen Anhörung ergänzend darauf hin, dass der Krieg gegen die Ukraine zu noch weiter steigenden Energie- und Rohstoffpreisen geführt hat.

---

47 Weber CF, Adam EH, Pape A, Jöst M, Meybohm P, Schmitz K, et al. Der Gerinnungsfaktor XIII– Pathophysiologie, Klinik und Therapie von Mangelzuständen. INS-Anästhesiologie· Intensivmedizin·Notfallmedizin·Schmerztherapie; 50(11/12):684-90; 2015

### **Bewertung:**

Das primäre Ziel von Festbeträgen liegt gerade darin, 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.

Den Stellungnehmenden wird zugestimmt, dass es sich bei Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch um versorgungsrelevante und von der WHO als „essential medicines“ eingestufte Arzneimittel handelt. Dem Evaluationsbericht des BMG zur Änderung der Hämophilie-Versorgung durch das GSAV (Bundesrat Drucksache 491/21)<sup>33</sup> 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).

Aus dem Bericht des Paul-Ehrlich-Instituts über die nach § 21 Transfusionsgesetz gemeldeten Daten 2020<sup>48</sup> geht hervor, dass die Zahl der Aphaese-Spenden, die für die Plasma-Gewinnung benötigt werden, in Deutschland auch 2020 im Vergleich mit den Vorjahren auf einem gleichbleibenden Niveau geblieben ist.

### **9. Einwand: In die Festbetragsgruppe einbezogene Arzneimittel**

*Im Rahmen der mündlichen Anhörung wendet **Novo** ein, dass das Arzneimittel Fanhdi in die Festbetragsgruppe einbezogen werden müsse, da Fanhdi und Beriate ein übereinstimmendes Anwendungsgebiet, den angeborenen und den erworbenen Faktor-VIII-Mangel, haben.*

### **Bewertung:**

Nach der Gesetzessystematik erfolgt die Festbetragsgruppenbildung der Stufe 1 auf der Ebene derselben Wirkstoffe. Die zugelassenen Anwendungsgebiete sind bei Festbetragsgruppen der Stufe 1 daher grundsätzlich nicht zu berücksichtigen.

Das Arzneimittel Fanhdi enthält neben Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch noch von-Willebrand-Faktor und damit einen zweiten Wirkstoff. Insofern ist es nicht von der Festbetragsgruppe der Stufe 1 umfasst.

Die Bildung einer Festbetragsgruppen der Stufe 2 oder 3 sieht der G-BA aktuell nicht vor. Zeitpunkt, Zuschnitt und Auswahl der Festbetragsgruppenbildung liegen im Gestaltungsspielraum des Gemeinsamen Bundesausschusses (BSG, Urt. v. 01.03.2011, Az. B 1 KR 10/10 R, Rn. 38).

---

<sup>48</sup> Bericht des Paul-Ehrlich-Instituts über die nach § 21 Transfusionsgesetz gemeldeten Daten 2020, verfügbar unter <https://www.pei.de/DE/newsroom/pflichtberichte/21tfg/21-tfg-berichte-node.html>

#### **4. Wortprotokoll der mündlichen Anhörung**

Mündliche Anhörung gemäß § 91 Absatz 9 Satz 1 SGB V zur  
Änderung der Arzneimittel-Richtlinie  
**des Gemeinsamen Bundesausschusses**

**hier: Anlage IX (Festbetragsgruppenbildung) – Blutgerin-  
nungsfaktor VIII, plasmatisch, Gruppe 1, in Stufe 1**

Videokonferenz des Gemeinsamen Bundesausschusses  
am 5. September 2022  
von 16:19 Uhr bis 16:42 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende der Firma **CSL Behring GmbH:**

Herr Jülich

Frau Radke

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Novo Nordisk Pharma GmbH:**

Herr Dr. Fußler

Herr Dambacher

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Octapharma GmbH:**

Herr Moll

Frau Helmich

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG:**

Herr Lüddecke

Frau Steuber

Angemeldeter Teilnehmender für den **Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller e. V. (.B.A.H):**

Herr Boden

Angemeldete Teilnehmende für den **Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI):**

Frau Lietz

Frau Dr. Armbrüster

Angemeldeter Teilnehmender für den **Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa):**

Herr Dr. Bungenstock

Beginn der Anhörung: 16:19 Uhr

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Meine sehr verehrten Damen und Herren, mit leichter Verspätung von vier Minuten herzlich willkommen im Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses! Wir haben Montag, Anhörungstag, jetzt die mündliche Anhörung zur Festbetragsgruppenbildung, hier konkret die Neubildung einer Festbetragsgruppe Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch, Gruppe 1, in Stufe 1. Im schriftlichen Stellungnahmeverfahren haben Stellungnahmen abgegeben CSL Behring, Novo Nordisk, Octapharma, Takeda Pharma, der Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller, der Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie und der Verband Forschender Arzneimittelhersteller.

Es ist im Wesentlichen vorgetragen worden, dass diverse Unterschiede zwischen den einbezogenen Arzneimitteln bestünden. Unter anderem unterschieden sich die Herstellungsverfahren aus Spenderplasma, was zu Unterschieden bei den Endprodukten führe. Es wird vorgetragen, dass die Arzneimittel nicht denselben Wirkstoff hätten. Das würde zum Beispiel dadurch verdeutlicht, dass keine Generika- oder Biosimilarzulassungen vorlägen. Beim Wechsel zwischen den Präparaten könne es zu Hemmkörperbildung kommen. Eine Preisneuordnung für Hämophilie-Arzneimittel und damit auch für die in die Festbetragsgruppen einbezogenen Wirkstoffe sei bereits 2020 durch das GSAV erfolgt. Schließlich und endlich bedrohe die Festbetragsgruppenbildung die bereits gefährdete Versorgungssicherheit weiter. Plasmaspenden seien rückläufig, und eine weitere Verschärfung des Kostendrucks könne zu Marktrücknahmen führen. – Das sind im Wesentlichen die Argumente, die vorgetragen worden sind. Ich wollte sie eingangs schon einmal in den Raum stellen.

Ich muss jetzt die Anwesenheit feststellen, weil wir auch für diese Anhörung Wortprotokoll führen und das dokumentiert sein muss. Für CSL Behring GmbH sind zugeschaltet Herr Fabian Jülich und Frau Mareike Radke, für Novo Nordisk Herr Dr. Markus Fußer und Herr Kilian Dambacher, für Octapharma GmbH Herr Michael Moll und Frau Bärbel Helmich, für Takeda Herr Christian Lüddecke und Frau Saskia Steuber, für den .B.A.H Herr Lutz Boden, für den BPI Frau Christine Lietz und Frau Dr. Nicole Armbrüster sowie für den vfa Herr Dr. Jan M. Bungenstock. Ist noch jemand eingeloggt, der nicht aufgerufen wurde? – Das sehe ich nicht.

Ich frage zunächst, nachdem ich einleitend die wesentlichen Argumente vorgetragen habe, in Richtung der Bänke und der Patientenvertretung: Gibt es aus Ihrer Sicht Fragen zu dem, was im schriftlichen Stellungnahmeverfahren vorgetragen worden ist? – Ich sehe keine Wortmeldung der Bänke. Dann würde ich die einzelnen Stellungnehmer nacheinander abfragen und sie bitten, ganz kurz das zu adressieren, was ich eingangs in einer groben Zusammenfassung angesprochen hatte, damit Sie die Gelegenheit haben, Ihren jeweiligen Haupt Gesichtspunkt mündlich vorzutragen. Gehen wir in der Reihenfolge vor, in der ich soeben die Anwesenheit abgefragt habe. Wer möchte von CSL Behring etwas sagen? – Bitte schön, Herr Jülich, Sie haben das Wort.

**Her Jülich (CSL Behring):** Vielen Dank. – Sehr geehrter Herr Professor Hecken! Sehr geehrte Damen und Herren! Zunächst möchten wir uns für die Möglichkeit, im Rahmen der heutigen Anhörung eine mündliche Stellungnahme abzugeben, ganz herzlich bedanken. Mein Name ist Fabian Jülich. Ich bin bei der CSL Behring GmbH im Bereich Market Access Deutschland tätig und hauptsächlich für den Bereich Hämophilie zuständig. Unterstützt werde ich von Frau Mareike Radke, die die schriftliche Stellungnahme mitverfasst hat.

CSL Behring vertreibt das Produkt Beriate, ein plasmatisches Faktor-VIII-Präparat, welches durch die geplante Festbetragsgruppe betroffen wäre. Ich möchte im Folgenden gern auf zwei Punkte eingehen, um darzulegen, warum aus unserer Sicht eine Festbetragsgruppenbildung für plasmatische Faktor-VIII-Präparate nicht angezeigt ist. Der erste Punkt ist die

auskömmliche Preisgestaltung aus Herstellersicht. Der zweite Punkt ist das Einsparpotenzial durch die geplante Festbetragsbildung.

Wie bereits in der schriftlichen Stellungnahme dargelegt, befindet sich der gesamte Plasmamarkt durch die weltweite Verknappung an Plasmaspenden derzeit in einer angespannten Lage. Durch die Verknappung des Rohstoffs auf der einen Seite und die steigende Nachfrage auf der anderen Seite kommt es bei der Herstellung von aus Plasma gewonnenen Arzneimitteln zu stark erhöhten Produktionskosten. So ist im europäischen Raum der Preis für 1 l Blutplasma von 2016 bis 2021 um circa 26 Prozent gestiegen. Zum Vergleich: Der Verbraucherpreisindex in Deutschland hat sich im gleichen Zeitraum um circa 8,6 Prozent erhöht. Bei dieser Preissteigerung sind jedoch noch nicht die aktuelle Wirtschaftslage und Preisentwicklung durch die steigende Inflation sowie die Energiekrise berücksichtigt. Die Produktionskosten von Arzneimitteln werden wie im gesamten Wirtschaftsgefüge durch diese Faktoren zusätzlich weiter ansteigen. Des Weiteren kommt gerade für die Herstellung plasmatischer Arzneimittel erschwerend hinzu, dass die aktuellen Diskussionen zur Corona-Pandemie darauf schließen lassen, dass die Pandemie noch nicht ausgestanden ist und das Sammeln von Plasma auch in absehbarer Zeit weiter nur eingeschränkt und erschwert möglich sein wird, mit entsprechenden Konsequenzen für den Blutplasma Preis. Während steigende Herstellungskosten in anderen Wirtschaftsbereichen durch Preisanpassung kompensiert werden können, ist dies im deutschen Arzneimittelmarkt aufgrund des Preisratoriums nicht bzw. nur sehr begrenzt möglich. Darüber hinaus wurden die Plasmaproducte erst kürzlich im Rahmen des GSAV preislich reguliert. Daher würde ein weiterer Kostendruck durch die geplante Festbetragsgruppe die Auskömmlichkeit der Herstellung von Plasmaproducten weiter gefährden.

Die gesetzlichen Grundlagen für die Festbeträge, § 35 SGB V, intendieren, dass die Festbeträge einen wirksamen Preiswettbewerb unter den Anbietern auslösen sollen. Ein solcher Wettbewerb kann jedoch nur ausgelöst werden, wenn die Ausbietung der Arzneimittel für die Anbieter noch wirtschaftlich bzw. auskömmlich ist, was durch das Bundessozialgericht bestätigt wurde. Aufgrund der bereits genannten Gründe würde ein Festbetrag für die Faktor-VIII-Präparate daher keinen Wettbewerb schaffen, sondern diesen aus unserer Sicht eher unterbinden, da bei einer nicht mehr kostendeckenden Vermarktungsmöglichkeit ein Anbierrückgang möglich wäre. Käme es zu einem solchen Rückgang, könnte es bei nur vier Herstellern bereits zu einer Gefährdung der Versorgung der Patienten kommen.

Die Festbeträge sollen gemäß § 35 Absatz 5 SGB V gerade „im Allgemeinen eine ... in der Qualität gesicherte Versorgung gewährleisten“ und nicht gefährden. Zusätzlich zur Gewährleistung einer in der Qualität gesicherten Versorgung legt § 35 Absatz 5 SGB V auch fest, dass die Festbeträge wirtschaftlich sein müssen und Wirtschaftlichkeitsreserven ausschöpfen sollen. Das heißt, sie sollen Einsparungspotenziale für die Kostenträger realisieren. Ob die geplante Festbetragsgruppe die genannten Wirtschaftlichkeitsziele erfüllt, ist aus unserer Sicht jedoch mehr als fraglich. Nach unseren Berechnungen würde eine Festbetragsgruppe nur sehr geringe Einsparungen für die Kostenträger generieren, unter der Annahme, dass alle Anbieter ihren Preis auf den Festbetrag senken. Diese geringen Einsparungen beinhalten jedoch noch nicht die Tatsache, dass bei Festsetzung eines Festbetrages der Herstellerabschlag von derzeit 7 Prozent bzw. in 2023 von wahrscheinlich 12 Prozent entfällt. Dadurch würden sich die Einsparungen noch einmal verringern. Dies haben wir bereits in unserer schriftlichen Stellungnahme dezidiert dargelegt.

Zusammenfassend heißt das, dass mit der vorgeschlagenen Gruppenbildung voraussichtlich keine oder nur geringfügige Einsparungen erzielt werden können, jedoch perspektivisch ein nicht zu vernachlässigendes Risiko auf die Auskömmlichkeit der Produktion bei den Herstellern durch vorausgehende Preisregulierung und steigende Plasma- bzw. Herstellungskosten gegeben ist, was langfristig auch Auswirkungen auf die Versorgungssicherheit für die Patienten bedeutet. Damit widerspricht die geplante

Gruppenbildung dem Sinn und Zweck der Festbeträge, eine ausreichende, zweckmäßige und wirtschaftliche sowie in der Qualität gesicherte Versorgung zu gewährleisten.

Ich bedanke mich für Ihre Aufmerksamkeit und stehe gern für Fragen zur Verfügung.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön, Herr Jülich, für diese Ausführungen. – Ich sehe, es gibt keine Fragen dazu. Dann würde ich Novo das Wort geben. Ich bitte darum, sich jetzt auf Gesichtspunkte zu fokussieren, die Herr Jülich noch nicht angesprochen hat. Es ist unter anderem vorgetragen worden, dass die Wirkstoffe nicht vergleichbar seien, etc. pp. Die Abteilung Wirtschaftlichkeit/Sinnhaftigkeit können wir abhaken. Darauf können Sie Bezug nehmen. Sonst dauert es zu lange. – Bitte schön, Novo.

**Herr Dambacher (Novo):** Vielen Dank für die Möglichkeit, sich mündlich zu äußern. Neben den Argumenten, die wir in der Stellungnahme vorgebracht haben, möchten wir ein weiteres Argument einführen. Unserer Ansicht nach fehlt das Produkt Fanhdi in der Festbetragsgruppe. Wenn man sich die Anwendungsgebiete ansieht, stellt man fest, Fanhdi und Beriate haben ein übereinstimmendes Anwendungsgebiet, den angeborenen und den erworbenen Faktor-VIII-Mangel. Daher wäre es für uns angebracht, dieses Produkt in die Festbetragsgruppe zu integrieren. Alle weiteren Argumente haben wir in der schriftlichen Stellungnahme niedergeschrieben. – Vielen Dank.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herzlichen Dank, Herr Dambacher. – Octapharma GmbH, bitte. Wer möchte das Wort ergreifen?

**Herr Moll (Octapharma):** Mein Name ist Michael Moll. Ich leite bei Octapharma die Business Unit Haematology. Ich werde begleitet von Frau Bärbel Helmich, die bei uns Senior Product Manager Haemophilia ist und unter anderem für das in diesem Verfahren aufgerufene Präparat Octanate verantwortlich ist. Zu der Gewährleistung der wirtschaftlichen Versorgung hat der Kollege von Behring schon etwas gesagt. Auch wir kommen zu dem Ergebnis, dass es hier wahrscheinlich vor dem Hintergrund bestehender Rabattverträge zu einem negativen Beitrag in Bezug auf Kosten für die Krankenkassen kommen dürfte.

Des Weiteren möchte ich kurz zu strategischen Konsequenzen für die betroffenen Unternehmen und den Einfluss auf die Therapiequalität in Deutschland Stellung nehmen. Alle relevanten Hersteller von Präparaten aus Blutplasma und den hier aufgerufenen plasmatischen Faktor-VIII-Präparaten haben Produktionsstätten in Deutschland und im europäischen Ausland. Octapharma produziert ausschließlich in Deutschland respektive Europa. Die Politik weist zu Recht zumindest in der öffentlichen Diskussion immer wieder auf die Bedeutung einer heimischen Produktion hin, wenn es um die sichere Versorgung der Patienten mit Medikamenten geht. Vor diesem Hintergrund sind die hier betroffenen Firmen von weiteren wirtschaftlichen Belastungen in besonders hohem Maße betroffen.

Ein spezifischer Aspekt bei Präparaten aus Blutplasma ist der komplexe mehrstufige Fraktionierungsprozess, in dem eine Vielzahl von Präparaten aus dem Rohstoff Plasma gewonnen werden. Ein erhöhter Preisdruck bei einem Präparat wirkt sich naturgemäß auf die anderen Präparate aus. In unserem Fall kann ich sagen, dass wir angesichts der stark steigenden Preise für das Ausgangsmaterial Plasma und des bestehenden Preismoratoriums bereits die Entscheidung treffen mussten, unser subkutanes Immunglobulinpräparat Cutaquig mit einem Marktanteil von circa 25 Prozent in Deutschland seit Anfang Juni nicht mehr anzubieten, weil der zu erzielende Abgabepreis deutlich unter unseren Herstellungskosten liegt. In diesem Zusammenhang vielleicht der Hinweis, dass aus der Fiktion, es könnte zu einem Mangel kommen, hier bereits Realität geworden ist. Es gibt weitere 13 Immunglobulinpräparate, zu denen es bereits heute Engpassmeldungen gibt. Aus diesem Grund fordern wir Augenmaß in Bezug auf weitere Belastungen. Dies gilt insbesondere in diesem Fall, da bei Plasmapräparaten nie ein Produkt isoliert betrachtet werden kann, Faktor VIII, sondern stets alle aus Plasma fraktionierten Präparate als kommunizierende Röhren zu sehen sind.

Ich bedanke mich für Ihre Aufmerksamkeit und stehe zur Beantwortung weiterer Fragen gerne zur Verfügung.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Ganz herzlichen Dank, Herr Moll. – Dann würde ich weitergehen zu Takeda. Wer möchte da sprechen?

**Herr Lüddecke (Takeda):** Vielen Dank für die Möglichkeit der Stellungnahme. Mein Name ist Christian Lüddecke. Ich bin Teil des Market-Access-Teams von Takeda. Wir haben in unserer schriftlichen Stellungnahme schon ausgeführt, warum wir die Festbetragsgruppenbildung als nicht sachgerecht ansehen, und auch den Punkt der Gefahr für die Sicherstellung der Patientenversorgung gebracht. Wir haben der schriftlichen Stellungnahme mündlich nichts weiter hinzuzufügen.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herzlichen Dank, Herr Lüddecke. – Herr Boden, .B.A.H.

**Herr Boden (.B.A.H):** Vielen Dank. – Herr Professor Hecken! Meine Damen und Herren! Die Knackpunkte sind eingangs von Ihnen, Herr Professor Hecken, genannt worden. Bei all dem, was danach gesagt wurde, können wir entsprechend bestätigend einen „Haken“ dranhaken. Vielleicht eine ganz allgemeine Anmerkung von unserer Seite. Die Initiative zu der Festbetragsgruppenbildung, die am Ende des Tages in eine Festbetragsfestsetzung münden soll, ist zwar in Kenntnis der Corona-Pandemie und deren vielfältigen Folgen erfolgt, aber eben noch, wenn man so will, in Unkenntnis der schwerwiegenden Folgen für den Zuliefererbereich und die Preissteigerungen infolge des Krieges gegen die Ukraine. Wenn man alles zusammen betrachtet, was heute gesagt wurde, was auch wir schriftlich geäußert haben, möchten wir dringend empfehlen, von dieser Gruppenbildung abzusehen, mindestens aber die Entwicklung der äußeren Umstände so weit abzuwarten, um die Situation in einer stabileren Phase neu zu bewerten. Wir denken, damit wäre allen am besten gedient. – Vielen Dank.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herzlichen Dank, Herr Boden. – Jetzt kommt der BPI. Wer macht das? – Frau Lietz.

**Frau Lietz (BPI):** Vielen Dank. – Eine kurze Ergänzung zum Thema Regelungsintensität. Ich würde den Fokus gerne darauf legen wollen, dass mit dem GSAV bereits eine erhebliche Preissenkung erwirkt wurde, durch die gesamte Umstrukturierung des Hämophiliemarktes, letzten Endes auch dadurch, dass durch den GKV-Spitzenverband eine Preisbestimmung ermöglicht wurde. Die Neuregulierung und Umstrukturierung ist erst zum September 2020 wirksam geworden, sodass, wenn Sie jetzt eine Festbetragsregelung aufsatteln, innerhalb kürzester Zeit die Belastungen kumulieren. Das verschärft – das wurde schon dargelegt – das Problem der Auskömmlichkeit der Produktion.

Wir haben noch ein gewisses systematisches Problem, weil Sie Festbeträge in einem Markt festsetzen wollen, der durch die vorab staatlich festgesetzten Preise kein freier Markt ist und sich damit von dem klassischen Festbetragsmarkt erheblich unterscheidet, sodass sich hier eine gewisse Unwucht im System ergibt. Wir haben Zweifel, ob das letzten Endes so beabsichtigt war. Die Umstrukturierung durch das GSAV ist gemacht worden, um gleiche Wettbewerbsbedingungen für diese Produkte herzustellen. Wenn Sie jetzt einen Teilmarkt gesondert regeln, haben wir dieses Gleichgewicht verloren.

Beim Plädoyer schließe ich mich meinen Vorrednern an. Ich bitte die Festbetragsgruppenbildung zu überdenken und mit Augenmaß anzugehen. – Vielen Dank.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herzlichen Dank, Frau Lietz. – Es verbleibt der vfa, Herr Dr. Bungenstock.

**Herr Dr. Bungenstock (vfa):** Herzlichen Dank. – Der vfa schließt sich mit Blick auf die Mehrfachregulierung der kritischen Sicht des BPI und auch des .B.A.H an. Darüber hinaus ist Folgendes zu bedenken. Zum einen hat der Konflikt in der Ukraine zu steigenden Energie- und Rohstoffpreisen geführt. Diese verteuern die Herstellung von plasmatischen Produkten. Zum anderen weist aktuell die Deutsche Gesellschaft für Transfusionsmedizin und

Immunhämatologie darauf hin, dass es infolge der wieder zugenommenen Reisetätigkeit und vor dem Hintergrund des demografischen Wandels in Deutschland zunehmend schwierig wird, ausreichend Blutspenden zu erhalten. Beide Faktoren erschweren die Herstellung von plasmatischen Produkten zusätzlich. Der vfa bittet den G-BA deshalb, von der beabsichtigten Festbetragsgruppenbildung abzusehen. – Danke.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Ganz herzlichen Dank. – Ich schaue noch einmal in die Runde, an die Bänke, an die Patientenvertretung: Gibt es jetzt noch Fragen? Wir hatten uns vorher in der AG schon mit Ihren Einwänden auseinandergesetzt – nicht dass Sie das Gefühl haben, wir würden nicht ernst nehmen, was Sie hier vortragen. Es ist bekannt. Wir werden das zu diskutieren haben. – Frau Teupen, Patientenvertretung, bitte.

**Frau Teupen:** Ja, wir leben in wirtschaftlichen Problemen. – Vielleicht können Sie ein Wort zur Hemmkörperbildung in der Hämophiliebehandlung sagen. Ich weiß nicht, wen genau ich fragen sollte, vielleicht einen Hersteller. Wie relevant ist das Problem? Uns geht es darum, was das für die Patienten heißt, auch um eine mögliche Aufzählung. Vielleicht kann Takeda einen Satz dazu sagen.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Wer möchte dazu etwas sagen? – Behring hatte das vorgetragen.

**Herr Jülich (CSL Behring):** Wir haben das in der Stellungnahme ausführlich dargelegt. Zusammengefasst beziehen wir uns auf die Äußerungen der Querschnittsleitlinie zur Therapie mit Blutkomponenten und Plasmaderivaten. Es gibt die Möglichkeit der Hemmkörperbildung, die letztendlich behandlungsassoziierten Faktoren und Produktcharakteristika zugeführt werden kann und demnach letztendlich bei einer Therapieumstellung, die keiner medizinischen Indikation folgt, sondern aus Wirtschaftlichkeitsgründen erfolgt, vermehrt auftreten kann. Das könnte zu Mehrkosten für das System führen. Tatsächlich haben wir keine Zahlen, wie häufig das auftritt.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön. – Frau Teupen, okay?

(Frau Teupen: Das ist okay, danke!)

Dann bedanke ich mich bei Ihnen, dass Sie uns Ihre Bedenken, Einwände, Anregungen noch einmal vorgetragen haben. Wir werden das selbstverständlich zu gewichten haben und auch diskutieren. Wer uns jetzt verlässt, dem wünsche ich einen schönen Resttag.

Damit können wir diese Anhörung beenden.

Schluss der Anhörung: 16:42 Uhr

## **D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation**

### 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 7. Dezember 2021

Der Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) hat am 7. Dezember 2021 beschlossen, folgende Stellungnahmeverfahren zur Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) einzuleiten:

Anlage IX (Festbetragsgruppenbildung)

- Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch, Gruppe 1, in Stufe 1 (Neubildung)
- Dronedaron, 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 dem 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 14. Januar 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 14. Februar 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](http://www.g-ba.de) eingesehen werden.

Berlin, den 7. Dezember 2021

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende  
Prof. Hecken



## Gemeinsamer Bundesausschuss

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 (2021-18)

**Datum:**  
14. Januar 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss, Postfach 12 06 06, 10596 Berlin

An die  
Stellungnahmeberechtigten  
nach § 35 Absatz 2 SGB V

### Per E-Mail

Stellungnahmeverfahren über die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Anlage IX zur Festbetragsgruppenbildung nach § 35 SGB V - Verfahren 2021-18

Sehr geehrte Damen und Herren,

der Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses hat in seiner Sitzung am 7. Dezember 2021 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)
  - Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch, Gruppe 1, in Stufe 1 (Neubildung)

Bitte beachten Sie, dass die Bezeichnung der Darreichungsformen unter Verwendung der zum Preis-/Produktstand (01.11.2021) 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

**14. Februar 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

## Erläuterungen zur Erstellung von Literaturlisten als Anlagelhrer Stellungnahme

Bitte verwenden Sie zur Auflistung der zitierten Literatur die beige-fügte 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 Zeitschriften-artikel</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: <b>Stein J, Jauch KW (Ed)</b> . 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:	<a href="http://www.kidney.org/professionals/doqi/doqi/nut_a19.html">http://www.kidney.org/professionals/doqi/doqi/nut_a19.html</a>
<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  
 [2021-18\_Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch\_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:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	

# Beschluss

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

Vom 7. Dezember 2021

Der Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) hat in seiner Sitzung am 7. Dezember 2021 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 „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“

- 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](http://www.g-ba.de) veröffentlicht.

Berlin, den 7. Dezember 2021

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

Vom 7. Dezember 2021

## 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 7. Dezember 2021 beschlossen, ein Stellungnahmeverfahren zur Neubildung der Festbetragsgruppe „Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch, Gruppe 1“ in Stufe 1 einzuleiten.

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.

### 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 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.

#### **Zeitlicher Beratungsverlauf:**

<b>Sitzung</b>	<b>Datum</b>	<b>Beratungsgegenstand</b>
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

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:

<b>Organisation</b>	<b>Straße</b>	<b>Ort</b>
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

<b>Organisation</b>	<b>Straße</b>	<b>Ort</b>
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 7. Dezember 2021

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

## 4. 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 ----- Präparat				250	500	1000	2000
	Vo in Tsd	%isol.	%kum.	PULV 1	PULV 1	PULV 1	PULV 1
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  
PULV

Langform

Pulver / Pulver für ein Konzentrat / Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektionslösung /  
 Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektions- / Infusionslösung



**Gemeinsamer  
Bundesausschuss**

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 275838210

**Telefax:**  
030 275838205

**E-Mail:**  
arzneimittel@g-ba.de

**Internet:**  
www.g-ba.de

**Unser Zeichen:**  
Moh (2021-18)

**Datum:**  
12. August 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) – Blutgerinnungsfaktor VIII, plasmatisch, Gruppe 1, in Stufe 1**

eine mündliche Anhörung anberaumt.

Die Anhörung findet statt:

**am 5. September 2022  
um 16:15 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 **26. August 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](mailto: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 Stellungnahmeverfahrens 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