

# Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über  
eine Änderung der Verfahrensordnung:

Änderung des 5. Kapitels – Ergänzungen im Verfahren einer  
anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Ab-  
satz 3b Satz 1 und 10 des Fünften Buches Sozialgesetzbuch  
(SGB V) sowie der Beschränkung der Versorgungsbefugnis  
nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V

Vom 15. Dezember 2022

## Inhalt

<b>1.</b>	<b>Rechtsgrundlage.....</b>	<b>2</b>
<b>2.</b>	<b>Eckpunkte der Entscheidung.....</b>	<b>2</b>
<b>3.</b>	<b>Bürokratiekostenermittlung .....</b>	<b>12</b>
<b>4.</b>	<b>Verfahrensablauf .....</b>	<b>12</b>

## **1. Rechtsgrundlage**

Der Gemeinsame Bundesausschuss beschließt gemäß § 91 Absatz 4 Satz 1 Nummer 1 SGB V eine Verfahrensordnung (VerfO), in der er insbesondere methodische Anforderungen an die wissenschaftliche sektorenübergreifende Bewertung des Nutzens, der Notwendigkeit und der Wirtschaftlichkeit von Maßnahmen als Grundlage für Beschlüsse sowie die Anforderungen an den Nachweis der fachlichen Unabhängigkeit von Sachverständigen und anzuhörenden Stellen, die Art und Weise der Anhörung und deren Auswertung regelt. Die VerfO bedarf gemäß § 91 Absatz 4 Satz 2 SGB V der Genehmigung des Bundesministeriums für Gesundheit.

Mit Beschluss vom 16. Juli 2020 und 22. November 2019 hat der Gemeinsame Bundesausschuss dem 5. Kapitel VerfO ein 4. Abschnitt angefügt, in dem das Nähere zum Verfahren einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b Satz 1 und Satz 10 SGB V sowie zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V geregelt ist.

## **2. Eckpunkte der Entscheidung**

Mit dem vorliegenden Beschluss werden Anpassungen des 5. Kapitels VerfO vorgenommen, die aufgrund der bisherigen Erfahrungen im Verfahren einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen sowie der Beschränkung der Versorgungsbefugnis erforderlich geworden sind. Vorwiegend handelt es sich um Konkretisierungen bestehender Verfahrensschritte und Anforderungen, redaktionelle Überarbeitungen sowie Ergänzungen spezifischer Verfahrensschritte insbesondere zum Verfahren der Überprüfung bezüglich der Verpflichtung zur anwendungsbegleitenden Datenerhebung und Auswertung von gewonnenen Daten nach § 35a Absatz 3b Satz 10 SGB V. Hierdurch wird die Verfahrenstransparenz und Planungssicherheit für die pharmazeutischen Unternehmer erhöht.

### **2.1 Zu den Änderungen im Einzelnen:**

#### **Zu 1.**

Durch die Änderung wird klargestellt, dass sich der Geltungsbereich der Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 SGB V auch auf Wirkstoffe erstreckt, für die ein Beschluss zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 58 gefasst und eine anwendungsbegleitende Datenerhebung durchgeführt worden ist. § 1 Absatz 2 Nummer 8 stellt die korrespondierende Vorschrift zu § 8 Absatz 1 Nummer 8 dar.

#### **Zu 2.**

Ein Beschluss nach § 58 zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung mündet nur in einer erneuten Nutzenbewertung, sofern die anwendungsbegleitende Datenerhebung tatsächlich auch durchgeführt wurde. Andernfalls stehen keine neuen Daten zur Verfügung, die im Rahmen einer erneuten Nutzenbewertung ausgewertet werden könnten. Daher wird § 8 Absatz 1 Nummer 8 insofern konkretisiert, dass das Bewertungsverfahren nur beginnt, wenn ein Beschluss nach § 58 gefasst und eine anwendungsbegleitende Datenerhebung durchgeführt worden ist.

#### **Zu 3.**

Die Änderungen in der Überschrift des 4. Abschnitts dienen der Klarstellung, dass der 4. Abschnitt das Verfahren einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen sowie das Verfahren der Beschränkung der Versorgungsbefugnis umfasst. Dabei besteht das

Verfahren einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen sowohl aus dem Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V als auch aus dem Verfahren zur Überprüfung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und der Auswertung der gewonnenen Daten nach § 35a Absatz 3b Satz 10 SGB V.

**Zu 4.**

Die Änderungen in § 49 Absatz 1 sind Folgeänderungen zu 3.

**Zu 5.**

Die Änderung in § 50 Absatz 2 Nummer 2 dient der Klarstellung, dass die Auswertung von Daten aus anderweitigen Datenerhebungen Gegenstand des Forderungsbeschlusses sein kann, soweit die anderweitige Datenerhebung im Zusammenhang mit einer Forderung nach § 58 steht.

Die Änderung in Nummer 3 dient der Klarstellung. Ein Gegenstand der Forderung von Auswertungen von Datenerhebungen kann die Vorlage von Angaben zum Verlauf der Datenerhebung zum Zweck der Überprüfung nach § 63 sein. Die Angaben zum Verlauf der Datenerhebung sind in Form eines Statusberichtes vorzulegen. Dieser kann insbesondere Angaben zur Anzahl und jeweiligen medikamentösen Behandlung der bisher eingeschlossenen Patientinnen und Patienten, patientenbezogene Beobachtungszeiten sowie mögliche Abweichungen bezüglich der erwarteten Rekrutierungszahl beinhalten.

Absatz 3 wird zur Vermeidung von Redundanzen aufgehoben. Die Vorgaben an die Aufbereitung von Zwischenanalysen und den Daten für eine erneute Nutzenbewertung finden sich nun in den §§ 64 und 65.

**Zu 6.**

Durch die Änderungen in § 51 werden die Grundzüge des Verfahrens einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung konkretisiert. Die Streichung der Wörter „zur Forderung“ stellt klar, dass die Grundzüge des Verfahrens sich nicht nur auf den konkreten Beschluss zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen beziehen, sondern auch das in der angefügten Nummer 2 spezifizierte Verfahren zur Überprüfung bezüglich der Verpflichtung zur anwendungsbegleitenden Datenerhebung und Auswertung von gewonnenen Daten nach §§ 60 ff. umfassen.

Unter 1. werden die Grundzüge des Verfahrens der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen dargestellt. In § 56 wird die Vorbereitung eines Konzepts für die Anforderungen an eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen adressiert. Zudem beinhaltet das Verfahren die Auswertung der Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 57 Absatz 5. Dies wird durch das Einfügen des Buchstaben d) aufgenommen.

Die Überprüfung nach § 35a Absatz 3b Satz 10 SGB V umfasst dabei zum einen die Überprüfung des statistischen Analyseplans und Studienprotokolls vorab der Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und zum anderen das Verfahren der weiteren Überprüfungen während der Datenerhebung (Statusberichte, Zwischenanalysen). Im Beschluss über die Feststellung des Ergebnisses der Überprüfung von statistischem Analyseplan und Studienprotokoll wird dabei auch der Zeitpunkt für den Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung festgelegt.

**Zu 7.**

Die Änderungen in § 53 sind Folgeänderungen zu 3. Es wird klargestellt, dass sich die Zuständigkeit des Unterausschusses Arzneimittel und von ihm eingerichteter Arbeitsgruppen sowohl

auf vorbereitende Arbeiten zu Beschlüssen zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V als auch auf Beschlüsse im Zusammenhang mit der Überprüfung nach § 35a Absatz 3b Satz 10 SGB V und auf Beschlüsse zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V bezieht.

Weiterhin wird klargestellt, dass nur zu den Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen und zu dem Verfahren der Beschränkung der Versorgungsbefugnis eine zusammenfassende Dokumentation erstellt wird und welchen Inhalt diese jeweils hat.

#### **Zu 8.**

Die Änderungen in § 54 sollen die Transparenz des Prozesses der Beurteilung der Erforderlichkeit der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V erhöhen.

Zur Verbesserung der Lesbarkeit werden die bisher in Absatz 2 hinterlegten Ausführungen zu den Gesichtspunkten, die für die Beurteilung der Erforderlichkeit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen insbesondere berücksichtigt werden, in Absatz 1 verschoben.

Die bisher in Absatz 1 genannten Informationen, auf deren Grundlage die Beurteilung der Erforderlichkeit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen in der Regel erfolgt, werden in Absatz 2 aufgenommen. Es wird ergänzt, dass zur Vorbereitung der Entscheidungsfindung für die Beurteilung der Erforderlichkeit in der Regel auch eine Recherche in Studienregistern nach laufenden oder abgeschlossenen Studien in der betreffenden Indikation herangezogen wird. Als Grundlage für die Entscheidungsfindung des Gemeinsamen Bundesausschusses hinsichtlich der Realisierbarkeit und Angemessenheit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung (AbD) kann zudem die Kenntnis über bereits vorhandene oder geplante Indikationsregister als auch eine Einschätzung zu der vom Anwendungsgebiet umfassten Patientenzahl relevant sein. Daher wird in Satz 2 dargelegt, dass eine Beauftragung des IQWiG mit der Durchführung einer systematischen Recherche nach Indikationsregistern sowie mit der Einschätzung der Patientenzahlen im zu beratenden Anwendungsgebiet erfolgen kann.

In dem angefügten Absatz 3 wird erläutert, dass sofern für ein AbD-fähiges Arzneimittel über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen im Gemeinsamen Bundesausschuss beraten wird, der betroffene pharmazeutische Unternehmer über die Beratung informiert wird. Zudem kann der pharmazeutische Unternehmer bereits zu diesem Zeitpunkt aufgefordert werden, relevante Informationen für die Vorbereitung der Entscheidungsfindung des Gemeinsamen Bundesausschusses, beispielsweise hinsichtlich des für die Zulassung beantragten Anwendungsgebietes und weiterer geplanter Studien im Anwendungsgebiet, an den Gemeinsamen Bundesausschuss zu übermitteln. Darüber hinaus wird der pharmazeutische Unternehmer darüber informiert, sofern nach Abschluss der Beratungen anhand der zu diesem Zeitpunkt vorliegenden Informationen keine Erforderlichkeit für die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen gesehen wird. Hiervon unbenommen bleibt die Möglichkeit das Verfahren zu einem späteren Zeitpunkt wieder aufzugreifen.

#### **Zu 9.**

Es handelt sich um redaktionelle Anpassungen.

### **Zu 10.**

Durch die Änderung in § 57 Absatz 5 wird klargestellt, dass die im Rahmen des Beteiligungsverfahrens nach § 57 hervorgebrachten Äußerungen nicht bei der Konzepterstellung nach § 56, sondern im Rahmen der Beschlussfassung zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 58 berücksichtigt werden. Demnach geht aus der schriftlichen Dokumentation hervor, in welcher Weise die Äußerungen bei der Beschlussfassung zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 58 berücksichtigt worden sind und inwieweit sich Änderungen an dem nach § 56 Absatz 1 erstellten Konzept ergeben haben. Zudem wird klargestellt, dass die schriftliche Dokumentation Bestandteil der zusammenfassenden Dokumentation ist.

### **Zu 11.**

In § 58 Absatz 1 Satz 1 wird klargestellt, dass der Unterausschuss dem Plenum einen Beschlussentwurf mit Tragenden Gründen über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen, basierend auf dem nach § 56 Absatz 1 erstellten Konzept in Verbindung mit der Auswertung der Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 57 Absatz 5 Satz 1 und 2 vorlegt.

§ 58 Absatz 1 Satz 3 wird zur besseren Verständlichkeit neu strukturiert.

Gemäß Nummer 1 werden im Beschluss nach § 58 die Anforderungen an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen auf Grundlage des Konzepts nach § 56 Absatz 1 in Verbindung mit der Auswertung der Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 57 Absatz 5 Satz 1 und 2 festgelegt. Entsprechend dem wissenschaftlichen Standard hat der pharmazeutische Unternehmer vor der Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen ein Studienprotokoll und statistischen Analyseplan zu erstellen. Die näheren Vorgaben für die Umsetzung der Anforderungen in den vom pharmazeutischen Unternehmer zu erstellenden Studienunterlagen (Studienprotokoll und statistischer Analyseplan) werden dargelegt.

Nummer 2 spezifiziert, dass der Beschluss nach § 58 auch Vorgaben enthält, um die Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Durchführung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen zu überprüfen.

Diese Vorgaben beinhalten gemäß Buchstabe a) zum einen den Zeitpunkt zu dem der pharmazeutische Unternehmer das Studienprotokoll und den statistischen Analyseplan beim Gemeinsamen Bundesausschuss einzureichen hat, damit die Umsetzung der Anforderungen an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen gemäß Nummer 1 geprüft werden kann.

Zum anderen spezifizieren diese Vorgaben gemäß Buchstabe b) insbesondere die Angaben, Unterlagen sowie Auswertungen nach § 50 Absatz 2, welche für die Überprüfung der Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung erforderlich sind (beispielsweise Statusberichte, Zwischenanalysen). Des Weiteren enthält der Beschluss nach § 58 auch Angaben zu den Zeitpunkten zu denen diese Angaben, Unterlagen sowie Auswertungen nach § 50 Absatz 2 beim Gemeinsamen Bundesausschuss einzureichen sind.

Entsprechend der Nummer 3 wird im Beschluss nach § 58 zudem der maßgebliche Zeitpunkt dargelegt, zu dem die Auswertungen der mit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung gewonnenen Daten in Form eines Dossiers für die Durchführung einer erneuten Nutzenbewertung spätestens vorzulegen sind.

## **Zu 12.**

Der eingefügte § 59 (Verpflichtung zur Erstellung des Studienprotokolls und statistischen Analyseplans) legt im Detail die Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Erstellung eines Studienprotokolls und statistischen Analyseplans vorab der Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen fest.

Zu Absatz 1:

Die adäquate Umsetzung der gemäß § 58 Satz 3 Nummer 1 festgelegten Anforderungen an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen im Studienprotokoll und statistischem Analyseplan ist die Basis dafür, dass die Datenerhebung durchgeführt werden kann und die methodischen Anforderungen des Gemeinsamen Bundesausschusses an die Datenerhebung und die Auswertung der gewonnenen Daten umgesetzt werden können.

Zu Absatz 2:

In § 59 Absatz 2 Satz 1 wird die Frist für die Vorlage des statistischen Analyseplans und des Studienprotokolls festgelegt. Diese beträgt in der Regel fünf Monate nach der Beschlussfassung zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen. Um den pharmazeutischen Unternehmer bei der Umsetzung der Vorgaben gemäß § 58 Absatz 1 Satz 3 Nummer 1 zu unterstützen, bietet der Gemeinsame Bundesausschuss die Möglichkeit an, vor Einreichung der finalen Entwürfe für das Studienprotokoll und den statistischen Analyseplan eine Beratung gemäß § 7 in Anspruch zu nehmen. Die Frist für die Einreichung einer Beratungsanforderung zur Erstellung des Studienprotokolls und statistischen Analyseplans wird in der Regel auf vier Wochen nach Beschlussfassung zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen festgelegt. Eine zeitnahe Beratung ist notwendig, um dem pharmazeutischen Unternehmer ausreichend Zeit für eine adäquate Umsetzung der aus der Beratung erhaltenen Hinweise in den finalen Entwürfen zum Studienprotokoll und statistischen Analyseplan zu ermöglichen. Die Zielsetzung dieser Beratungen ist vornehmlich eine Hilfestellung zur Umsetzung der vom Gemeinsamen Bundesausschuss geforderten methodischen Anforderungen an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen. Daher können diese Beratungen zur Sicherstellung der benötigten methodischen Expertise unter Beteiligung des IQWiG unter Beachtung der Festlegungen im § 7 durchgeführt werden.

Zu Absatz 3:

Eine anwendungsbegleitende Datenerhebung kann nur durchgeführt werden, sofern der pharmazeutische Unternehmer vorab der Datenerhebung ein Studienprotokoll und einen statistischen Analyseplan erstellt. In diesen Dokumenten sind die vom Gemeinsamen Bundesausschuss im Beschluss nach § 58 Absatz 1 Satz 3 Nummer 1 dargelegten Anforderungen an die anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen adäquat umzusetzen.

Vom Gemeinsamen Bundesausschuss wird es als erforderlich angesehen das Studienprotokoll und den statistischen Analyseplan, auf deren Basis die Datenerhebung nach § 62 Absatz 3 Nummer 1 und 2 durchgeführt werden kann, vollständig auf den Internetseiten des Gemeinsamen Bundesausschusses zu veröffentlichen. Studienprotokoll und statistischer Analyseplan liefern essentielle Informationen über die Organisation der nicht-interventionellen Datenerhebung. Durch die Veröffentlichung der Studienunterlagen wird gewährleistet, dass alle relevanten Aspekte der Studienmethodik für die an der anwendungsbegleitenden Datenerhebung teilnehmenden Personen einsehbar sind. Somit wird durch die Veröffentlichung der Studienunterlagen die sachgerechte Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung unterstützt.

Darüber hinaus gewährleistet die Veröffentlichung der Studienunterlagen die Nachvollziehbarkeit der Entscheidung des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Durchführbarkeit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen.

Zwar ist der pharmazeutische Unternehmer berechtigt, Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse (BGG) in den Studienunterlagen zu kennzeichnen, die von einer Veröffentlichung vorbehaltlich einer Prüfung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss auszunehmen sind. Allerdings darf diese Kennzeichnung der erforderlichen Veröffentlichung der relevanten Informationen nicht entgegenstehen. Angaben zu Studienmethodik und zu Auswertungen müssen daher frei von BGG zur Verfügung gestellt werden. Da die Veröffentlichung der für die teilnehmenden Leistungserbringer relevanten Informationen für die Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung unerlässlich ist, besteht ein untrennbarer Zusammenhang zwischen der Veröffentlichungspflicht der relevanten Informationen und dem Erfolg der anwendungsbegleitenden Datenerhebung. Dies rechtfertigt es, die Frage nach der Durchführbarkeit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung auch davon abhängig zu machen, dass der pharmazeutische Unternehmer die relevanten Angaben aus den Unterlagen in einer für die Veröffentlichung geeigneten Form aufbereitet und dem Gemeinsamen Bundesausschuss zur Verfügung stellt.

Entsprechend wird in Absatz 3 geregelt, dass das Studienprotokoll und der statistische Analyseplan auf den Internetseiten des Gemeinsamen Bundesausschusses vollständig veröffentlicht werden.

Um den Schutz von BGG des pharmazeutischen Unternehmers zu gewährleisten, kann der betroffene pharmazeutische Unternehmer Unterlagen bzw. Angaben, die BGG enthalten, kennzeichnen und gesondert vorlegen. Dem Gemeinsamen Bundesausschuss ist in diesem Zusammenhang eine Version zur Veröffentlichung vorzulegen, welche frei von BGG ist, jedoch weiterhin alle relevanten Angaben zur geplanten Studienmethodik und zu Auswertungen vollständig beinhaltet.

Sind in den zur Veröffentlichung vorgesehenen Studienunterlagen nicht alle relevanten Angaben zur geplanten Studienmethodik vollständig umfasst, kann dies aus Sicht des Gemeinsamen Bundesausschusses eine sachgerechte Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung einschränken. Daher kann der Gemeinsame Bundesausschuss in diesen Fällen zu dem Ergebnis gelangen, dass die anwendungsbegleitende Datenerhebung nach § 61 Absatz 2 Nummer 1 nicht durchgeführt werden kann.

### **Zu 13.**

Die Neufassung des 5. Titels beinhaltet insbesondere Konkretisierungen des Verfahrens zur Überprüfung der Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur anwendungsbegleitenden Datenerhebung und Auswertung der gewonnenen Daten.

### **Zu § 60**

Zu Absatz 1:

§ 60 beschreibt die Grundzüge des Verfahrens zur Überprüfung. Hierbei wird vom Unterausschuss in regelmäßigen Abständen geprüft, ob der pharmazeutische Unternehmer seine Verpflichtung bezüglich der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach Maßgabe des Beschlusses nach § 58 Absatz 1 nachkommt. Dies beinhaltet sowohl die Prüfung des Studienprotokolls und statistischen Analysenplans, maßgeblich vorab der Durchführung der Datenerhebung, als auch die Prüfung der Durchführung der Datenerhebung anhand von Angaben zum Verlauf der Datenerhebung (Statusberichte) und von Zwischenanalysen. Die konkrete Ausgestaltung der Prüfungsschritte ist in den §§ 62 bis 64 beschrieben.

Zu Absatz 2:

Gemäß der gesetzlichen Regelung in § 35a Absatz 3b Satz 10 SGB V erfolgt die Prüfung der Durchführung der Datenerhebung mindestens alle 18 Monate.

## **Zu § 61**

Zu Absatz 1

Die Überprüfung wird durch den Unterausschuss durchgeführt, welcher dem Plenum das zusammengefasste Ergebnis seiner Überprüfung zur Entscheidung vorlegt.

Zu Absatz 2

In Absatz 2 ist das weitere Vorgehen des Plenums in Abhängigkeit des Überprüfungsergebnisses geregelt. Zu folgenden Aspekten fasst das Plenum in der Regel einen Feststellungsbeschluss:

- Wenn die Datenerhebung anhand der eingereichten Studienunterlagen durchgeführt werden kann
- Wenn ein Änderungsbedarf vorab oder während der Durchführung der Datenerhebung oder an den geplanten Auswertungen besteht
- Wenn die Datenerhebung nicht durchgeführt werden wird, nicht durchgeführt werden kann oder aus sonstigen Gründen keine hinreichenden Belege zur Neubewertung des Zusatznutzens erbringen wird. Das Überprüfungsergebnis übermittelt der Gemeinsame Bundesausschuss an den Spitzenverband Bund der Krankenkassen zu dem Zweck einer Entscheidung nach § 130b Absatz 3 Satz 9 SGB V.

Im zeitlichen Verlauf der Datenerhebung können sich darüber hinaus Erkenntnisse ergeben, die eine Anpassung der Vorgaben in dem Beschluss nach § 58 erforderlich machen können. Daher fasst das Plenum bei einem Anpassungsbedarf an dem Beschluss nach § 58 einen entsprechenden Änderungsbeschluss. Im Rahmen eines Änderungsbeschlusses wird zudem die Frist für die Vorlage von Auswertungen der mit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung erhobenen Daten angepasst, sofern die Überprüfung ergibt, dass eine Nutzenbewertung des Arzneimittels bereits vor Ablauf der im Beschluss nach § 58 Absatz 1 Nummer 3 festgelegten Frist für die Durchführung der Datenerhebung gerechtfertigt ist.

Zu Absatz 3

Feststellungsbeschlüsse werden im Internet veröffentlicht und zudem dem betroffenen pharmazeutischen Unternehmer zugestellt.

## **Zu § 62**

§ 62 regelt das Verfahren zur Überprüfung des Studienprotokolls und statistischen Analyseplans.

Zu Absatz 1

Voraussetzung für eine sachgerechte Durchführung der Datenerhebung ist eine adäquate Umsetzung der Anforderungen des Beschlusses gemäß § 58 Absatz 1 Satz 3 Nummer 1 in den zugehörigen Studienunterlagen (Studienprotokoll und statistischer Analyseplan), welche seitens des pharmazeutischen Unternehmers zu erstellen sind. Die Prüfung der vom pharmazeutischen Unternehmer erstellten Studienunterlagen durch den Gemeinsamen Bundesausschuss stellt daher einen essentiellen Verfahrensschritt für die Umsetzung der Anforderungen des Beschlusses gemäß § 58 Absatz 1 Satz 3 Nummer 1 dar. Die Überprüfung des Studienprotokolls und statistischen Analyseplans findet maßgeblich vorab der Durchführung der

Datenerhebung statt. Gegenstand der Überprüfung ist dabei, ob die Datenerhebung anhand der erstellten Studienunterlagen durchgeführt werden kann.

#### Zu Absatz 2

Grundsätzlich sieht der Gemeinsame Bundesausschuss es als erforderlich an, dass eine adäquate Umsetzung der Anforderungen des Beschlusses gemäß § 58 Absatz 1 Satz 3 Nummer 1 in den initialen Entwürfen zum Studienprotokoll und statistischen Analyseplan erfolgt.

In Absatz 2 wird geregelt, dass der pharmazeutische Unternehmer einmalig die Möglichkeit bekommt seine Studienunterlagen zu überarbeiten, sofern durch den Unterausschuss eine unzureichende Umsetzung der Anforderungen in den initial eingereichten Entwürfen der Studienunterlagen festgestellt wird. In dem entsprechenden Feststellungsbeschluss wird der notwendige Anpassungsbedarf an den Studienunterlagen dargelegt. Ab Inkrafttreten des Feststellungsbeschlusses werden dem pharmazeutischen Unternehmer in der Regel vier Wochen für die Neueinreichung der Unterlagen gewährt.

#### Zu Absatz 3

In Absatz 3 werden die möglichen Ergebnisse der Überprüfung des Studienprotokolls und statistischen Analyseplans durch den Unterausschuss geregelt. Das Ergebnis der Überprüfung hängt maßgeblich von der Umsetzung der Anforderungen gemäß § 58 Absatz 1 Satz 3 Nummer 1 in dem Studienprotokoll und dem statistischen Analyseplan ab. Sind die Anforderungen hinreichend umgesetzt, kann die Datenerhebung anhand der eingereichten Studienunterlagen durchgeführt werden. Werden Mängel in der Umsetzung der Anforderungen festgestellt, welche jedoch dem Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung nicht im Weg stehen, kann die Datenerhebung unter der Auflage durchgeführt werden, dass weitere für die Umsetzung der Anforderungen nach § 58 Absatz 1 Nummer 1 als zwingend erforderlich erachteten Anpassungen an den Studienunterlagen vorgenommen werden. Der Anpassungsbedarf wird in dem entsprechenden Feststellungsbeschluss dargelegt. Werden vom pharmazeutischen Unternehmer keine Studienunterlagen eingereicht oder sind die Anforderungen gemäß § 58 Absatz 1 Satz 3 Nummer 1 unzureichend umgesetzt, sodass die Grundlage für eine sachgerechte Durchführung der Datenerhebung nicht gegeben ist, kann die anwendungsbegleitende Datenerhebung nicht durchgeführt werden.

#### Zu Absatz 4

Das Ergebnis der Überprüfung wird vom Unterausschuss zusammengefasst und dem Plenum zur Entscheidung gemäß § 61 Absatz 2 in Form eines Feststellungsbeschlusses vorgelegt. Um einen möglichst zeitnahen Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung zu ermöglichen, erfolgt die Rückmeldung des Gemeinsamen Bundesausschusses in der Regel innerhalb von zwölf Wochen ab Einreichung des Studienprotokolls und statistischen Analyseplans nach Absatz 2 Satz 3 oder § 59 Absatz 2 Satz 1. Sofern festgestellt wird, dass die anwendungsbegleitende Datenerhebung anhand der eingereichten Studienunterlagen mit oder ohne weitere Auflagen durchgeführt werden kann, wird in dem entsprechenden Feststellungsbeschluss der Zeitpunkt für den Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung festgelegt.

#### Zu Absatz 5

Die Prüfung der Studienunterlagen kann vom Gemeinsamen Bundesausschuss selbst vorgenommen werden oder der Gemeinsame Bundesausschuss kann das IQWiG mit der Prüfung der Unterlagen beauftragen.

#### Zu Absatz 6

Sofern das Ergebnis der Überprüfung ist, dass die anwendungsbegleitende Datenerhebung unter der Auflage durchgeführt werden kann, dass weitere für die Umsetzung der Anforderungen nach § 58 Absatz 1 Nummer 1 als zwingend erforderlich erachteten Anpassungen an

den Studienunterlagen vorgenommen werden, muss der pharmazeutische Unternehmer dem Gemeinsamen Bundesausschuss die final überarbeiteten Studienunterlagen in der Regel vier Wochen nach Beschlussfassung des Feststellungsbeschlusses zur finalen Überprüfung vorlegen.

Zu Absatz 7

Die Regelungen in Absatz 7 sollen die generelle Nachvollziehbarkeit der durchgeführten Änderungen an den Studienunterlagen sicherstellen.

Der pharmazeutische Unternehmer hat die durchgeführten Änderungen vollständig und eindeutig zu kennzeichnen. Hierfür ist regelhaft eine Version der Dokumente einzureichen, in der die Änderungen im Detail ersichtlich sind (z.B. durch Streichungen, farbliche Markierungen), sowie eine aktuelle Version der Dokumente ohne Kenntlichmachung der Änderungen. Darüber hinaus müssen Änderungen, welche sich nicht aus dem im Beschluss nach § 61 Absatz 2 Nummer 2 dargelegten Anpassungsbedarf ergeben, gesondert begründet werden.

Die final geprüften Studienunterlagen stellen die mit dem Gemeinsamen Bundesausschuss abgestimmte Basis für die Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung dar. Für die nachfolgende Überprüfung der Durchführung der Datenerhebung anhand von Zwischenanalysen sowie die erneute Nutzenbewertung müssen weitere Änderungen an den Studienunterlagen, welche vom pharmazeutischen Unternehmer während der Datenerhebung durchgeführt werden, vom Gemeinsamen Bundesausschuss nachvollzogen werden können. Diese Änderungen sind daher in einem separaten Addendum zum Studienprotokoll bzw. statistischen Analyseplan zu hinterlegen und dem Gemeinsamen Bundesausschuss zum Zeitpunkt der Zwischenanalysen bzw. der erneuten Nutzenbewertung vorzulegen. Eine Überprüfung der Änderungen erfolgt im Rahmen der Überprüfung der Zwischenanalysen nach § 64 sowie bei der erneuten Nutzenbewertung nach § 65.

**Zu § 63**

§ 63 regelt das Vorgehen zur Vorlage von Angaben zum Verlauf der Datenerhebung (Statusbericht).

Zu Absatz 1

Die anwendungsbegleitende Datenerhebung ist in den meisten Fällen auf einen längeren Zeitraum angelegt. Dem Gemeinsamen Bundesausschuss muss es dabei möglich sein zu beurteilen, inwieweit die Datenerhebung seitens des pharmazeutischen Unternehmers durchgeführt und ob beispielsweise die erwartete Anzahl an Personen in die Datenerhebung rekrutiert wird. Daher ist es erforderlich, dass der pharmazeutische Unternehmer dem Gemeinsamen Bundesausschuss zu spezifischen Zeitpunkten Angaben zum Verlauf der Datenerhebung (Statusberichte) vorlegt. Für eine übersichtliche Aufbereitung der notwendigen Angaben wird seitens des Gemeinsamen Bundesausschusses eine neue Anlage XIV bereitgestellt. Die Statusberichte sind unter Verwendung dieser Anlage XIV zu erstellen. Wesentlicher Inhalt der Statusberichte kann die Anzahl und die jeweilige medikamentöse Behandlung der bisher eingeschlossenen Patientinnen und Patienten, die patientenbezogenen Beobachtungszeiten und die möglichen Abweichungen bezüglich der erwarteten Rekrutierungsanzahl sein. Sind im Beschluss nach § 58 Absatz 1 Satz 3 Nummer 2 Buchstabe b) weitere für erforderlich erachtete Angaben zum Verlauf der Datenerhebung festgelegt, sind diese im Statusbericht ebenfalls darzustellen.

Zu Absatz 2

Gegenstand der Prüfung der Statusberichte ist, ob der pharmazeutische Unternehmer seiner Verpflichtung zur Durchführung der Datenerhebung und von Auswertungen nach Maßgabe des Beschlusses nach § 58 Absatz 1 nachkommt.

## **Zu § 64**

Der § 64 regelt das Vorgehen zur Überprüfung von Zwischenanalysen der Datenerhebung.

### **Zu Absatz 1**

Die Vorlage von Zwischenanalysen dient insbesondere der Beurteilung, inwieweit die Datenerhebung durchgeführt und hinreichende Belege zur Neubewertung des Zusatznutzens erbringen wird. Die Vorgaben an den Inhalt der Zwischenanalysen und die Zeitpunkte für die Einreichung ergeben sich durch die Vorgaben im Beschluss nach § 58 Absatz 1 Satz 3 Nummer 2 Buchstabe b) sowie durch die Festlegungen in dem statistischen Analyseplan und durch das Studienprotokoll. Für die Aufbereitung der Zwischenanalysen ist das Modul 4 der Dossierunterlagen in Anlage II zu nutzen. Hierbei sind Volltexte und alle Studienunterlagen, inklusive aller Addenda zum Studienprotokoll und statistischem Analyseplan sowie einer zugehörigen Änderungshistorie, dem Gemeinsamen Bundesausschuss vorzulegen.

### **Zu Absatz 2**

Gegenstand der Überprüfung der Zwischenanalysen ist, ob der pharmazeutische Unternehmer seiner Verpflichtung zur Durchführung der Datenerhebung und von Auswertungen nach Maßgabe des Beschlusses nach § 58 Absatz 1 nachkommt, sowie ob und zu welchem Zeitpunkt die Datenerhebung hinreichende Belege für eine erneute Nutzenbewertung erbringen wird.

## **Zu § 65**

Der maßgebliche Zeitpunkt für die Einreichung eines Dossiers für eine erneute Nutzenbewertung ist im Beschluss nach § 58 Absatz 1 Satz 3 Nummer 3 festgelegt. Die Auswertungen sind in einem Dossier nach Maßgabe der Bestimmungen in § 9 Absatz 1 bis 7 unter Berücksichtigung des Beschlusses nach § 58 Absatz 1 aufzubereiten.

### **Zu 14.**

Aufgrund der Neufassung des 5. Titels wird der bisherige § 60 zum § 66. Der Gemeinsame Bundesausschuss beschließt über die Beschränkung der Versorgungsbefugnis ausschließlich für die Arzneimittel, die Gegenstand eines Beschlusses nach § 58 sind. Die Streichung der Wörter „oder sein wird“ dient daher der Klarstellung, dass eine Beschlussfassung zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis nur für Arzneimittel in Betracht kommt, welche Gegenstand eines Beschlusses nach § 58 sind.

Im Absatz 2 wird insofern konkretisiert, dass das Ziel der Beschränkung der Versorgungsbefugnis das Erreichen einer vollständigen und validen Datenerhebung ist.

### **Zu 15 und 16.**

Hierbei handelt es sich um Folgeänderungen aufgrund der Neufassung des 5. Titels.

### **Zu 17.**

Zusätzlich zu Folgeänderungen aufgrund der Neufassung des 5. Titels wird im Absatz 1 das gemäß § 91 Absatz 5a SGB V gesetzlich vorgeschriebene Stellungnahmerecht des Bundesbeauftragten für den Datenschutz und die Informationsfreiheit ergänzt.

### **Zu 18.**

Aufgrund der Neufassung des 5. Titels wird der bisherige § 64 zum § 70. Die Änderungen in Absatz 1 Satz 1 dienen der besseren Lesbarkeit und Konkretisierung. Die Änderungen in Absatz 2 und Absatz 3 Satz 4 dienen der Klarstellung, dass der Beschluss zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis seine Wirkung erst mit dem Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung entfaltet, der in einem gesonderten Beschluss festgelegt wird.

### **Zu 19.**

Für eine übersichtliche Aufbereitung der notwendigen Angaben zur Überprüfung der Vorlage von Angaben zum Verlauf der Datenerhebung (Statusbericht) gemäß § 63 wird seitens des Gemeinsamen Bundesausschusses eine neue Anlage XIV bereitgestellt. Die Anlage teilt sich in vier Abschnitte auf. Im 1. Abschnitt sind Angaben zur Anzahl und Behandlung der bisher eingeschlossenen Personen zu hinterlegen. Im 2. Abschnitt sind Angaben zur patientenbezogenen Beobachtungszeit vorzulegen. Im 3. Abschnitt sollen Angaben zu möglichen Abweichungen bezüglich der erwarteten Rekrutierungsanzahl hinterlegt werden. Zudem sind im 4. Abschnitt weitere Angaben, welche sich gegebenenfalls aus den Vorgaben im Beschluss nach § 58 Absatz 1 Satz 3 Nummer 2 Buchstabe b) ergeben, darzulegen.

### **3. Bürokratiekostenermittlung**

Durch den vorgesehenen Beschluss entstehen keine neuen bzw. geänderten Informationspflichten für Leistungserbringer im Sinne von Anlage II zu 1. Kapitel Verfo und dementsprechend keine Bürokratiekosten.

### **4. Verfahrensablauf**

Der Unterausschuss Arzneimittel hat zur Vorbereitung der Änderung im 5. Kapitel Verfo die Arbeitsgruppe Entscheidungsgrundlagen beauftragt.

Die Beschlussvorlage wurde abschließend im Unterausschuss Arzneimittel in der Sitzung am 25. Oktober 2022 beraten und konsentiert.

Die Beschlussvorlage wurde der Arbeitsgruppe Geschäftsordnung-Verfahrensordnung übersandt, die diese in schriftlicher Abstimmung am 15. November 2022 konsentiert und an das Plenum zur Beschlussfassung weitergeleitet hat.

Das Plenum hat am 15. Dezember 2022 die Änderungen im 5. Kapitel Verfo beschlossen.

### **Zeitlicher Beratungsverlauf**

<b>Sitzung</b>	<b>Datum</b>	<b>Beratungsgegenstand</b>
AG Entscheidungsgrundlagen	14. April 2022 12. Mai 2022 9. Juni 2022 14. Juli 2022 11. August 2022 8. September 2022 13. Oktober 2022	Beratung der Änderungen im 5. Kapitel der Verfahrensordnung
Unterausschuss Arzneimittel	25. Oktober 2022	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage
AG Geschäftsordnung-Verfahrensordnung	15. November 2022	Schriftliche Abstimmung über die Beschlussvorlage
Plenum	15. Dezember 2022	Beschlussfassung

Berlin, den 15. Dezember 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken