

# Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über  
die vorläufige Aussetzung des Verfahrens der  
Nutzenbewertung nach § 35a Abs. 2 SGB V zu Axicabtagen-  
Ciloleucel (DLBCL und HGBL)

Vom 2. Februar 2023

## Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung .....	2
4.	Verfahrensablauf .....	4

## **1. Rechtsgrundlage**

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen.

Für Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens (Orphan Drugs) die nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlamentes und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen sind, gilt gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 Halbsatz 1 SGB V der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Nachweise zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen müssen nicht vorgelegt werden (§ 35a Absatz 1 Satz 11, Halbsatz 2 SGB V). § 35a Absatz 1 Satz 11, Halbsatz 1 SGB V fingiert somit einen Zusatznutzen für ein zugelassenes Orphan Drug, obschon eine den in § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 SGB V i.V.m. 5. Kapitel, §§ 5 ff G-BA VerfO niedergelegten Grundsätzen entsprechende Bewertung des Orphan Drugs nicht durchgeführt worden ist. Lediglich das Ausmaß des Zusatznutzens ist nachzuweisen.

Die aus der gesetzlich angeordneten Bindung an die Zulassung resultierenden Beschränkungen bei der Nutzenbewertung von Orphan Drugs entfallen jedoch, wenn der Umsatz des Arzneimittels mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apothekenverkaufspreisen einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten einen Betrag von 30 Millionen Euro übersteigt.

Dann hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V innerhalb von drei Monaten nach Aufforderung durch den G-BA Nachweise gemäß 5. Kapitel § 5 Absatz 1 bis 6 VerfO, insbesondere zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zu der vom G-BA entsprechend 5. Kapitel § 6 G-BA VerfO festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie, zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

Gemäß § 35a Absatz 1 Satz 13 SGB V kann der G-BA für Orphan Drugs, die am 1. Dezember 2022 die Umsatzschwelle von 30 Millionen Euro überschritten haben und noch nicht unter Vorlage der Nachweise zum medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie bewertet wurden, das Nutzenbewertungsverfahren zeitlich befristet aussetzen. Die Aussetzung lässt die an die Überschreitung der Umsatzschwelle anknüpfenden Rechtswirkungen unberührt.

## **2. Eckpunkte der Entscheidung**

Axicabtagen-Ciloleucel ist als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens (Orphan Drugs) nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlamentes und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen.

Nach § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V müssen für Arzneimittel, die zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen sind [...], Nachweise nach § 35a Absatz 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 nicht vorgelegt werden. Das heißt bei diesen Arzneimitteln muss das vom pharmazeutischen

Unternehmer zu erstellende Dossier – solange die Privilegierung von Gesetzes wegen greift – keine Angaben zum medizinischen Nutzen bzw. dem medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie enthalten. Überschreitet der Umsatz des Orphan Drug mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apothekenverkaufspreisen sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten in einem anhängigen Verfahren der Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 SGB V einen Betrag von 30 Millionen Euro, fordert der G-BA den pharmazeutischen Unternehmer auf, ein Dossier für die Einleitung eines Nutzenbewertungsverfahrens nach § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V i.V.m. 5. Kapitel § 12 Nr. 2 VerfO analog mit vollständigen Nachweisen nach Maßgabe des § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V vorzulegen. Das Verfahrensprivileg der nur eingeschränkten Prüftiefe bei der Nutzenbewertung entfällt.

Yescarta® hat am 1. Dezember 2022 die Umsatzschwelle von 30 Millionen Euro überschritten und wurde bisher nicht unter Vorlage der Nachweise zum medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie bewertet. Das vom pharmazeutischen Unternehmer vorgelegte Dossier auf Basis der für die Zulassung verwendeten Studien ohne Zusatznutzennachweis im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie ist für die vom G-BA nunmehr, nach Wegfall der Verfahrenserleichterungen infolge der Umsatzschwellenüberschreitung, durchzuführende Nutzenbewertung ungeeignet. Gemäß § 35a Absatz 1 Satz 13 SGB V setzt der G-BA daher mit dem vorliegenden Beschluss das Nutzenbewertungsverfahren zur Axicabtagen-Ciloleucel für das Anwendungsgebiet „zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit diffus großzelligem B-Zell-Lymphom (DLBCL) und hochmalignem B-Zell-Lymphom (HGBL), das innerhalb von 12 Monaten nach Abschluss einer Erstlinien-Chemoimmuntherapie rezidiviert oder gegenüber dieser refraktär ist“ zeitlich befristet aus. Der G-BA wird den pharmazeutischen Unternehmer gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V ergänzend dazu auffordern, Nachweise nach Satz 3 Nummer 2 und 3 zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie abweichend von § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V nachzuweisen.

Die zeitlich befristete Aussetzung des Verfahrens endet spätestens 8 Monate nach dieser Aufforderung des G-BA gegenüber dem pharmazeutischen Unternehmer. Die nach § 35a Absatz 2 Satz 3 SGB V mit der Einreichung des Dossiers vom pharmazeutischen Unternehmer am 15. November 2022 begonnene Dreimonatsfrist für den Abschluss und die Veröffentlichung der Nutzenbewertung hat sich erübrigt.

### **3. Bürokratiekostenermittlung**

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

#### **4.      Verfahrensablauf**

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 24. Januar 2023 über das weitere Vorgehen des am 15. November 2022 begonnenen Nutzenbewertungsverfahrens beraten.

Berlin, den 2. Februar 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken