

# Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über  
die vorläufige Aussetzung von Verfahren der  
Nutzenbewertung von Arzneimittel nach § 35a Absatz 1 Satz  
13 SGB V „Orphan Drugs über 30 Millionen Euro“

Vom 2. Februar 2023

## Inhalt

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

## **1. Rechtsgrundlage**

Nach § 35a Abs. 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 Abs. 1 Satz 11 Halbs. 1 SGB V der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Nachweise zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen müssen nicht vorgelegt werden (§ 35a Abs. 1 Satz 11, Halbs. 2 SGB V). § 35a Abs. 1 Satz 11, Halbs. 1 SGB V fingiert somit einen Zusatznutzen für ein zugelassenes Orphan Drug, obschon eine den in § 35a Abs. 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 SGB V iVm. 5. Kap, §§ 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 Abs. 1 Satz 12 SGB V innerhalb von drei Monaten nach Aufforderung durch den G-BA Nachweise gemäß 5. Kap. § 5 Abs. 1 bis 6 VerFO, insbesondere zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zu der vom G-BA entsprechend 5. Kap. § 6 G-BA VerFO festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie, zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

Gemäß § 35a Abs. 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**

Die Wirkstoffe Axicabtagen Ciloleucel, Eftrenonacog alfa, Migalastat, Luspatercept, Midostaurin, Patisiran, Letermovir, Polatuzumab vedotin und Vosoritid sind 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 Abs. 1 Satz 11 SGB V müssen für Arzneimittel, die zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen sind [...], Nachweise nach § 35a Abs. 1 Satz 3 Nummer 2 und 3 SGB V 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 einen Betrag von 30 Millionen Euro, ist der G-BA dazu berechtigt, den pharmazeutischen Unternehmer aufzufordern, innerhalb von drei Monaten nach Aufforderung ein Dossier für die Einleitung eines Nutzenbewertungsverfahrens nach § 35a Abs.1 Satz 11 SGB V i.V.m. 5. Kapitel § 12 Nr. 2 VerfO analog mit vollständigen Nachweisen nach Maßgabe des § 35a Abs. 1 Satz 3 SGB V vorzulegen. Das Verfahrensprivileg der nur eingeschränkten Prüftiefe bei der Nutzenbewertung entfällt. Die Verfahrensprivilegierung ist für Arzneimittel angemessen, die aufgrund ihrer Zulassung für seltene Erkrankungen einen nur geringen Umsatz haben. Erreicht der pharmazeutische Unternehmer mit dem Arzneimittel indes in der gesetzlichen Krankenversicherung einen Umsatz von mehr als 30 Millionen Euro in den letzten 12 Kalendermonaten, ist es auch ihm zuzumuten, den Nachweis des Zusatznutzens zu erbringen und hierfür ein vollständiges Dossier insbesondere zum Nachweis des medizinischen Nutzens bzw. dem medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie vorzulegen.

Mit dem Inkrafttreten des Gesetzes zur finanziellen Stabilisierung der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV-Finanzstabilisierungsgesetz) vom 7. November 2022 (BGBl. I, Nr.42 S. 1990) hat der G-BA die Möglichkeit, das Nutzenbewertungsverfahren für Arzneimittel nach § 35a Abs.1 Satz 11 SGB V (Orphan Drugs), die am 1. Dezember 2022 die Umsatzschwelle nach Satz 12 überschritten haben und noch nicht unter Vorlage der Nachweise nach Satz 3 Nummer 2 und 3 bewertet wurden, zeitlich befristet auszusetzen.

Der Umsatz der Arzneimittel mit den Wirkstoffen Axicabtagen-Ciloleucel, Eftrenonacog alfa, Migalastat, Luspatercept, Midostaurin, Patisiran, Letermovir, Polatuzumab vedotin und Vosoritid hat jeweils am 1. Dezember 2022 die Umsatzschwelle von 30 Millionen Euro mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apothekenverkaufspreisen sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten vor dem 1. Dezember 2022 überschritten. Die Arzneimittel wurden bisher nicht unter Vorlage der Nachweise zum medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie bewertet. Somit liegen die Aussetzungsvoraussetzungen der Ausnahmeregelung des § 35a Abs.1 Satz 13 SGB V vor.

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 13 SGB V setzt der G-BA mit dem vorliegenden Beschluss die erneuten Nutzenbewertungsverfahren zu den o.g. Wirkstoffen für die bereits bewerteten Anwendungsgebiete zeitlich befristet aus. Eine zeitlich befristete Aussetzung der Pflicht zur Übermittlung des Dossiers nach Kap. 5 § 11 VerfO lässt die an die Überschreitung der Umsatzschwelle anknüpfenden Rechtswirkungen unberührt. Die betroffenen pharmazeutischen Unternehmer erhalten ein separates Aufforderungsschreiben.

Zur Vermeidung von Belastungsspitzen in den Gremien des G-BA wurden die Fristen für die Aussetzungen der Verfahren entsprechend der Anzahl der zu bewertenden Anwendungsgebiete sowie der Umsatzvolumina gestaffelt und priorisiert. Dabei wurden zur Vermeidung potentieller unbilliger Härten für die pharmazeutischen Unternehmer notwendige Fristen zur Dossiererstellung und Beratungszeitläufe berücksichtigt.

Die Dauer der Aussetzungsfrist berechnet sich anhand der Zeitspanne zwischen der mit der Beschlussfassung (2. Februar 2023) zusammenfallenden Aufforderung gegenüber dem pharmazeutischen Unternehmern und dem Zeitpunkt, zu dem der entsprechende pharmazeutische Unternehmer das Dossier nach § 35a Absatz 11 zu übermitteln hat, abzüglich der nach § 8 Abs. 1 Nr. 6 VerfO vorgesehenen 3 Monate Aufforderungsfrist.

Anhand der Aussetzungsfristen ermitteln sich folgende Daten für die Pflicht zur Übermittlung der Dossiers in den einzelnen Verfahren:

Wirkstoff	Aussetzungsfrist	Datum der Pflicht zur Übermittlung des Dossiers
Axicabtagen-Ciloleucel	1 Monat und 28 Tage	1. Juli 2023
Eftrenonacog alfa	2 Monate und 30 Tage	1. August 2023
Migalastat amb.	3 Monate und 13 Tage	15. August 2023
Vosoritid	3 Monate und 30 Tage	1. September 2023
Luspatercept amb.	5 Monate und 14 Tage	16. Oktober 2023
Midostaurin amb.	6 Monate und 13 Tage	15. November 2023
Patisiran	6 Monate und 29 Tage	1. Dezember 2023
Letermovir	7 Monate und 13 Tage	15. Dezember 2023
Polatuzumab vedotin	8 Monate	2. Januar 2024

Die zeitlich befristete Aussetzung der Verfahren endet nach Ablauf der gestaffelten Aussetzungsfrist. Wird das Dossier nicht oder unvollständig zu den genannten Daten eingereicht, kann der G-BA die Feststellung treffen, dass ein Zusatznutzen nicht belegt ist.

Die Möglichkeit, dass eine Nutzenbewertung für die Arzneimittel mit den o.g. Wirkstoffen aus anderen Gründen (z.B. vgl. 5. Kapitel § 1 Abs. 2 Nr. 2 VerfO G-BA) zu einem früheren Zeitpunkt durchgeführt werden kann, bleibt hiervon unberührt.

### **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 die Aussetzung der Verfahren beraten.

Berlin, den 2. Februar 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken