

# Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über  
eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie:  
Anlage XII – Änderung der Angaben zur Geltungsdauer eines  
Beschlusses über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit  
neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches  
Sozialgesetzbuch (SGB V)  
Obeticholsäure (primär biliäre Cholangitis)

Vom 16. Februar 2023

## Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	3
3.	Bürokratiekosten .....	4
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 Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen sind, gilt gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbs. SGB V der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Nachweise zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie müssen nicht vorgelegt werden (§ 35a Absatz 1 Satz 11 2. Halbs. SGB V). § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbs. SGB V fingiert somit einen Zusatznutzen für ein zugelassenes Orphan Drug, obschon eine den in § 35a Absatz 1 Satz 3 Nr. 2 und 3 SGB V i.V.m. 5. Kapitel §§ 5 ff. der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) niedergelegten Grundsätzen entsprechende Bewertung des Orphan Drugs nicht durchgeführt worden ist. Unter Angabe der Aussagekraft der Nachweise ist gemäß § 5 Absatz 8 AM-NutzenV nur das Ausmaß des Zusatznutzens zu quantifizieren.

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 sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung 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 VerfO festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie, zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

Gemäß § 35a Absatz 2 SGB V entscheidet der G-BA, ob er die Nutzenbewertung selbst durchführt oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) beauftragt. Ausgehend von der gesetzlichen Vorgabe in § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V, dass der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt gilt, hat der G-BA in seiner Sitzung vom 15. März 2012 das Verfahren der Nutzenbewertung von Orphan Drugs dahingehend modifiziert, dass bei Orphan Drugs zunächst keine eigenständige Festlegung einer zweckmäßigen Vergleichstherapie mehr durch den G-BA als Grundlage der insoweit allein rechtlich zulässigen Bewertung des Ausmaßes eines gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens erfolgt. Vielmehr wird ausschließlich auf der Grundlage der Zulassungsstudien das Ausmaß des Zusatznutzens unter Angabe der Aussagekraft der Nachweise durch den G-BA bewertet.

Dementsprechend hat der G-BA in seiner Sitzung am 15. März 2012 den mit Beschluss vom 1. August 2011 erteilten Auftrag an das IQWiG zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 2 SGB V in der Weise abgeändert, dass bei Orphan Drugs eine Beauftragung des IQWiG mit der Durchführung einer Nutzenbewertung bei zuvor festgelegter Vergleichstherapie erst dann erfolgt, wenn der Umsatz des betreffenden Arzneimittels die Umsatzschwelle gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V überschritten hat und damit einer uneingeschränkten Nutzenbewertung unterliegt. Die Bewertung des G-BA ist nach § 35a Absatz 2 SGB V innerhalb von drei Monaten nach dem maßgeblichen Zeitpunkt für die Einreichung der Nachweise abzuschließen und im Internet zu veröffentlichen.

Nach § 35a Absatz 3 SGB V beschließt der G-BA über die Nutzenbewertung innerhalb von drei Monaten nach ihrer Veröffentlichung. Der Beschluss ist im Internet zu veröffentlichen und ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie.

## **2. Eckpunkte der Entscheidung**

In seiner Sitzung am 6. Juli 2017 hat der G-BA über die Nutzenbewertung von Obeticholsäure gemäß § 35a SGB V beschlossen. Die Geltungsdauer dieses Beschlusses wurde bis zum 31. Oktober 2023 befristet.

Gemäß den Tragenden Gründen zu diesem Beschluss sollte die Befristung dabei eine Einbeziehung der erwarteten Ergebnisse zu patientenrelevanten Endpunkten der kontrollierten Studie COBALT (747-302) ermöglichen, da aussagekräftige Ergebnisse zu entsprechenden patientenrelevanten Endpunkten eine deutlich längere Beobachtungszeit erfordern, als in der Nutzenbewertung vorgelegten Studie POISE und der folgenden LTSE Phase realisiert. Der Zeitpunkt der Befristung wurde dabei aufgrund der Angaben der EMA sowie den Aussagen des pharmazeutischen Unternehmers zum erwarteten Zeitpunkt der Publikation der Studienresultate festgelegt.

Der pharmazeutische Unternehmer hat den G-BA darüber informiert und dargelegt, dass die Studien COBALT (Clinicaltrials.gov 10: NCT02308111) und 747-401 (Clinicaltrials.gov 10: NCT03633227) vorzeitig beendet wurden, da die Rekrutierung der geplanten Patientenzahl seitens des Data Monitoring Committee als nicht mehr erreichbar angesehen wurde.

Aufgrund der fehlenden Daten der beiden Studien erfolgte eine Anpassung der Fachinformation<sup>1</sup> von Obeticholsäure am 24. Juni 2022. Im Abschnitt 4.3. wurde die Kontraindikation für Patientinnen und Patienten mit dekompensierter Leberzirrhose (z.B. Child-Pugh B oder C) oder Patientinnen und Patienten, bei denen bereits vor Behandlungsbeginn ein Dekompensationsereignis diagnostiziert wurde, ergänzt sowie in anderen Abschnitten entsprechende Folgeänderungen vorgenommen.

Darüber hinaus wurde die bedingte Zulassung gemäß Art. 14 Abs. 7 Verordnung (EG) 726/2004 i.V.m. Art. 4 VO (EG) Nr. 507/2006 des Wirkstoffs Obeticholsäure vom 12. Dezember 2016 mit Beschluss der europäischen Kommission vom 9. November 2022<sup>2</sup> ab dem 15. Dezember 2022 um ein Jahr verlängert.

Da keine für die Nutzenbewertung geeigneten Studiendaten der Studie COBALT zu erwarten sind und aufgrund der Entscheidungen der Zulassungsbehörde zur Verlängerung der bedingten Zulassung des Wirkstoffs Obeticholsäure, sind die sachlichen Gründe entfallen, welche die Befristung des Beschlusses zum vorgesehenen Zeitpunkt rechtfertigen. Daher hebt der Gemeinsame Bundesausschuss die Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses vom 6. Juli 2017 über eine Änderung der Arzneimittelrichtlinie zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) für den Wirkstoff Obeticholsäure auf.

Die Möglichkeit, dass eine Nutzenbewertung zu Obeticholsäure aus anderen Gründen (vgl. 5. Kapitel § 1 Abs. 2 Nr. 2, 3, 5 und 6 Verfo) zu einem früheren Zeitpunkt durchgeführt werden kann, bleibt hiervon unberührt.

---

<sup>1</sup> [https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/ocaliva-epar-product-information\\_de.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/ocaliva-epar-product-information_de.pdf)

<sup>2</sup> [https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2022/20221109157309/dec\\_157309\\_de.pdf](https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2022/20221109157309/dec_157309_de.pdf)

### **3. Bürokratiekosten**

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 Sachverhalt wurde im Unterausschuss Arzneimittel beraten und ein Änderungsbeschluss konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 16. Februar 2023 die Änderung der Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses beschlossen.

Berlin, den 16. Februar 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken