

# Tragende Gründe

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

Vom 6. April 2023

## Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung .....	3
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 i.V.m. 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 G-BA 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.

Das Plenum hat am 2. Februar 2023 über die Dauer der Aussetzung von Verfahren der Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 Satz 13 SGB V beschlossen.

Die Aussetzung lässt die an die Überschreitung der Umsatzschwelle anknüpfenden Rechtswirkungen unberührt.

## 2. Eckpunkte der Entscheidung

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 hat der G-BA mit dem Beschluss vom 2. Februar 2023 die erneuten Nutzenbewertungsverfahren zu den o.g. Wirkstoffen für die bereits bewerteten Anwendungsgebiete zur Vermeidung von Belastungsspitzen zeitlich befristet ausgesetzt. Die betroffenen pharmazeutischen Unternehmer haben ein separates Aufforderungsschreiben erhalten.

Im Nachgang zu dem Beschluss hat der pharmazeutische Unternehmer für den Wirkstoff Luspatercept den G-BA darüber informiert, dass für den Wirkstoff Luspatercept im ersten Quartal 2023 eine Zulassung für ein neues Anwendungsgebiet:

- „Behandlung von Anämie, die mit **nicht-transfusionsabhängiger Beta-Thalassämie** verbunden ist“ zu erwarten ist.

Dieses Anwendungsgebiet ist fachlich eng mit den Anwendungsgebieten, die aufgrund der Überschreitung der 30 Mio. Euro Grenze neu zu bewerten sind, verbunden:

- Behandlung von erwachsenen Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS) mit Ringsideroblasten, mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko, die auf eine Erythropoetin-basierte Therapie nicht zufriedenstellend angesprochen haben oder dafür nicht geeignet sind.
- Behandlung von erwachsenen Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie, die mit einer Beta-Thalassämie verbunden ist (siehe Abschnitt 5.1).

Eine zeitliche Nähe der Dossiereinreichungen führe auf Seiten des pharmazeutischen Unternehmers zu Vereinfachungen der Prozesse in der Datenauswertung und damit zur effizienteren Dossiererstellung. Auf Seiten des G-BA vereinfachen die in zeitlicher Nähe stattfindenden Beratungen zu den ähnlichen Anwendungsgebieten die inhaltliche Diskussion.

Da zwischenzeitlich die Zulassung für das neue Anwendungsgebiet „Behandlung von Anämie, die mit **nicht-transfusionsabhängiger Beta-Thalassämie** verbunden ist“ bereits erfolgt ist, lassen sich die Dossiereinreichungen aufgrund des in § 35a Absatz 1 Satz 3 vorgegebenen maßgeblichen Zeitpunktes (vier Wochen nach Zulassung neuer Anwendungsgebiete) für den Beginn eines Nutzenbewertungsverfahrens nicht synchronisieren.

Dem Anliegen des pharmazeutischen Unternehmers zur Verschiebung der Einreichungsfrist auf den frühestmöglichen Zeitpunkt bzw. Verkürzung der Aussetzung zum Zwecke der

Neubewertung in zeitlichem Zusammenhang mit der Bewertung des neuen Anwendungsgebietes, wird mit dem vorliegenden Änderungsbeschluss Rechnung getragen, um eine Diskussion zu diesen Anwendungsgebieten in engem zeitlichem Abstand zu ermöglichen. Der Einreichungszeitpunkt für das Nutzenbewertungsdossier von Luspatercept für die Neubewertung der Anwendungsgebiete

- Reblozyl wird angewendet für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS) mit Ringsideroblasten, mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko, die auf eine Erythropoetin-basierte Therapie nicht zufriedenstellend angesprochen haben oder dafür nicht geeignet sind (siehe Abschnitt 5.1).
- Reblozyl wird angewendet für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie, die mit einer Beta-Thalassämie verbunden ist (siehe Abschnitt 5.1).

wird auf den 15. Mai 2023 verlegt.

Anhand der Aussetzungsfristen ermitteln sich folgende Daten für die Pflicht zur Übermittlung des Dossiers:

Wirkstoff	Aussetzungsfrist	Datum der Pflicht zur Übermittlung des Dossiers
Luspatercept	13 Tage	15. Mai 2023

Die zeitlich befristete Aussetzung der Verfahren endet nach Ablauf der 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.

Eine zeitlich befristete Aussetzung der Pflicht zur Übermittlung des Dossiers nach Kap. 5 § 11 G-BA Verfo lässt die an die Überschreitung der Umsatzschwelle anknüpfenden Rechtswirkungen unberührt.

### **3. Bürokratiekostenermittlung**

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

### **4. Verfahrensablauf**

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 28. März 2023 über die Änderung der Aussetzungsfrist von Luspatercept beraten.

Berlin, den 6. April 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken