



# Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über  
eine Änderung der Verfahrensordnung:  
Änderung des 5. Kapitels – Konkretisierung des Begriffs  
Unterlagenschutz

Vom 20. April 2023

## Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung .....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung .....	6
4.	Verfahrensablauf .....	6

## **1. Rechtsgrundlage**

Der Gemeinsame Bundesausschuss hat gemäß § 91 Absatz 4 Satz 1 Nummer 1 SGB V eine Verfahrensordnung (VerfO) zu beschließen, 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 Verfahrensordnung bedarf gemäß § 91 Absatz 4 Satz 2 SGB V der Genehmigung des Bundesministeriums für Gesundheit.

Mit dem am 1. Januar 2011 in Kraft getretenen Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarkts wurde in § 35a SGB V eine Nutzenbewertung für Arzneimittel als Grundlage für Vereinbarungen von Erstattungsbeträgen nach § 130b SGB V eingeführt. Danach bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Hierzu gehört insbesondere die Bewertung des Zusatznutzens des Arzneimittels gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie, des Ausmaßes des Zusatznutzens und seiner therapeutischen Bedeutung. § 35a Absatz 1 Satz 9 SGB V ermächtigt den Gemeinsamen Bundesausschuss, weitere Einzelheiten in seiner VerfO zu regeln.

Mit Beschluss vom 20. Januar 2011 hat der Gemeinsame Bundesausschuss ein 5. Kapitel in die VerfO eingefügt, in dem das Nähere zum Verfahren über die Bewertung des Zusatznutzens von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V geregelt ist.

## **2. Eckpunkte der Entscheidung**

Mit dem vorliegenden Beschluss werden Anpassungen des 5. Kapitels VerfO vorgenommen, die aus Anlass des Gesetzes zur finanziellen Stabilisierung der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes) vom 11. November 2022 (BGBl. I. S. 1990 ff.) erforderlich geworden sind.

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

#### **Zu 1.**

Mit der Änderung der VerfO soll klargestellt werden, dass grundsätzlich folgende regulatorische Schutzrechte als Unterlagenschutz zu berücksichtigen sind:

- der achtjährige Verwertungsschutz gemäß Artikel 14 Absatz 11 der Verordnung (EG) Nummer 726/2004 bzw. § 24b Absatz 1 Satz 1 des Arzneimittelgesetzes (AMG),
- der zehnjährige Vermarktungsschutz gemäß Artikel 14 Absatz 11 der Verordnung (EG) Nummer 726/2004 bzw. § 24b Absatz 1 Satz 2 AMG, der gemäß § 24b Absatz 1 Satz 3 AMG auf höchstens elf Jahre verlängert werden kann,
- das Marktexklusivitätsrecht gemäß Artikel 8 der Verordnung (EG) Nummer 141/2000 bei Arzneimitteln, für die eine Zulassung zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nummer 141/2000 erteilt worden ist, jedoch nur innerhalb der Reichweite des jeweiligen Marktexklusivitätsrechts.

### ***Verortung des Unterlagenschutzes nach der sog. 8+2+1-Regelung***

Mit der Regelung in 5. Kapitel § 1a Nummer 1 und 2 wird die bereits etablierte und durch Urteil des LSG Berlin-Brandenburg vom 24. September 2021, Az. L 28 KR 329/20 KL (PharmR 2022, 124 Rn. 57 ff.) gerichtlich bestätigte Spruchpraxis des Gemeinsamen Bundesausschusses in der VerfO niedergelegt.

Nach Artikel 14 Absatz 11 der Verordnung (EG) Nummer 726/2004 unterliegen Humanarzneimittel, die gemäß den Bestimmungen dieser Verordnung genehmigt worden sind, unbeschadet des Rechts über den Schutz gewerblichen und kommerziellen Eigentums einem Datenschutzes von acht Jahren und einem Vermarktungsschutz von zehn Jahren. Die zehnjährige Frist wird auf höchstens elf Jahre verlängert, wenn der Inhaber der Genehmigung für das Inverkehrbringen innerhalb der ersten acht dieser insgesamt zehn Jahre die Genehmigung eines oder mehrerer neuer Anwendungsgebiete erwirkt, die bei der wissenschaftlichen Bewertung vor ihrer Genehmigung als von bedeutendem klinischen Nutzen im Vergleich zu den bestehenden Therapien betrachtet werden. Hierdurch wurde die vormalige Rechtsgrundlage für den Unterlagenschutz in Artikel 13 Absatz 4 der Verordnung (EG) Nummer 2309/93 durch die sogenannte 8+2+1-Regelung ersetzt. Diese wurde mit § 24b Absatz 1 AMG auch innerstaatlich normiert. Daran anknüpfend hat das LSG Berlin-Brandenburg in seiner Entscheidung vom 24. September 2021 klargestellt, dass Wirkstoffe erst nach Ablauf einer mindestens zehnjährigen Unterlagenschutzfrist keine „neuen Wirkstoffe“ i.S.v. § 35a Absatz 1 Satz 1 SGB V i.V.m. § 2 Absatz 1 Satz 2 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) mehr sind. Für den Begriff des Unterlagenschutzes im Sinne der sog. 8+2+1-Regelung kommt es nicht entscheidend auf die Datenexklusivität von acht Jahren („Unterlagenschutz im engeren Sinne“), sondern auf die Unterlagenschutzfrist bis zum Ablauf des Vermarktungsschutzes an, die in der Regel einen Zeitraum von zehn Jahren ab Zulassung beträgt und ausnahmsweise auf elf Jahre verlängert werden kann. Maßgeblich dafür ist, dass ein Generikum frühestens nach Ablauf von mindestens zehn Jahren nach Erteilung der ersten Genehmigung in den Verkehr gebracht werden darf.

### ***Verortung des Marktexklusivitätsrechts gemäß Artikel 8 der Verordnung (EG) Nummer 141/2000***

Durch die Regelung in 5. Kapitel § 1a Nummer 3 werden Wirkstoffe, die als seltene Leiden nach der Verordnung (EG) Nummer 141/2000 (nachfolgend: Orphan Drug) zugelassen und in den Verkehr gebracht werden und für die allein ein Marktexklusivitätsrecht besteht, in den Geltungsbereich der Nutzenbewertung einbezogen, indem das Marktexklusivitätsrecht gemäß Artikel 8 der Verordnung (EG) Nummer 141/2000 dem Begriff des Unterlagenschutzes unterstellt wird.

Mit der Zulassung als Orphan Drug erhält ein Arzneimittel in der EU eine zehnjährige Marktexklusivität, die verhindert, dass Arzneimittel mit gleichem/ähnlichem Wirkstoff in der entsprechenden Indikation zugelassen und in Verkehr gebracht werden. Das Marktexklusivitätsrecht kann gemäß Artikel 37 der Verordnung (EG) Nummer 1901/2006 auf zwölf Jahre verlängert werden. Die Marktexklusivität gilt grundsätzlich unabhängig von einem etwaigen Unterlagenschutz gemäß 5. Kapitel § 1a Nummer 1 und 2 VerfO oder einem Patentschutz. Auch wenn ggf. für ein Orphan Drug neben Marktexklusivitätsrechten ein Unterlagenschutz gemäß 5. Kapitel § 1a Nummer 1 und 2 VerfO zu berücksichtigen ist, so ist dieser in der Regel von untergeordneter Bedeutung, da durch die Marktexklusivität bereits sichergestellt ist, dass kein weiterer Unternehmer den Wirkstoff in der Indikation vertreiben kann. Im Zuge der Zulassung eines Wirkstoffes in einer seltenen Erkrankung wurden jedoch für diesen Wirkstoff – vergleichbar der Erwägung für neuen Unterlagenschutz gemäß 5. Kapitel § 1a Nummer 1 und 2 VerfO – bedeutende neue wissenschaftliche Erkenntnisse in der Art generiert, die, dem Sinn

und Zweck der frühen Nutzenbewertung nach § 35a SGB V entsprechend, einer transparenten Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens zugeführt werden sollten.

Unter diesem Gesichtspunkt hat der Gemeinsame Bundesausschuss beschlossen, die Erteilung eines Marktexklusivitätsrechts dem Sachverhalt der Erteilung neuen Unterlagenschutzes gemäß 5. Kapitel § 1a Nummer 1 und 2 Verfo durch eine entsprechende konkretisierende Regelung in der Verfo gleich zu stellen. Ausgangspunkt hierfür war die Erwägung, dass, obschon sich die in Rede stehenden Begrifflichkeiten – Marktexklusivität einerseits und Unterlagenschutz andererseits – vom Wortlaut her unterscheiden, beiden eine vergleichbare Zweckrichtung innewohnt. Ebenso wie das in Artikel 8 Verordnung (EG) Nummer 141/2000 geregelte Marktexklusivitätsrecht zielt auch die Gewährung von Unterlagenschutz darauf ab, dem pharmazeutischen Unternehmer für ein neu zugelassenes Arzneimittel für eine begrenzte Zeitdauer eine marktexklusive Stellung einzuräumen.

Ausgehend hiervon wird der Wortlaut des Geltungsbereichs des § 35a SGB V dahingehend erweiternd ausgelegt, dass unter den Begriff des Unterlagenschutzes ebenfalls das Marktexklusivitätsrecht fällt. Dass dies dem Willen des Gesetzgebers entspricht, ergibt sich aus der Begründung zum GKV-Finanzstabilisierungsgesetz. Dort heißt es in Bezug auf § 130b Absatz 3 Satz 1 bis 6 SGB V, dass der Begriff des Unterlagenschutzes hier weit zu verstehen sei und auch das Marktexklusivitätsrecht für Arzneimittel, die zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nummer 141/2000 zugelassen sind, umfasse (BT-Drs. 20/3448, S. 48). Dieses Begriffsverständnis ergibt sich außerdem aus der Anlage 6 der Rahmenvereinbarung nach § 130b Absatz 9 SGB V über die Maßstäbe für Vereinbarungen nach § 130b Absatz 1 SGB V. Dort ist ebenfalls geregelt, dass als Unterlagenschutz im Sinne der Rahmenvereinbarung das Marktexklusivitätsrecht gemäß Artikel 8 der Verordnung (EG) Nummer 141/2000 gilt, auch sofern es sich gemäß Artikel 37 der Verordnung (EG) Nummer 1901/2006 verlängert. Gemäß § 130b Absatz 3 Satz 1 SGB V ist der Erstattungsbetrag auf Grundlage des im Beschluss über die Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 3 SGB V festgestellten Ausmaßes des Zusatznutzens und dessen Wahrscheinlichkeit zu vereinbaren oder festzusetzen. Der Beschluss über die Nutzenbewertung bildet also den Ausgangspunkt für die Erstattungsbetragsverhandlungen nach § 130b SGB V, weshalb ein einheitliches Begriffsverständnis des Unterlagenschutzes im Rahmen der Nutzenbewertung und der Erstattungsbetragsverhandlungen zwingend ist.

Die Differenzierung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a Absatz 1 SGB V und Arzneimitteln mit bekannten Wirkstoffen nach § 35a Absatz 6 SGB V wird dabei beibehalten. Enthält ein Arzneimittel Wirkstoffe, deren Wirkungen bei der erstmaligen Zulassung in der medizinischen Wissenschaft nicht allgemein bekannt sind, so handelt es sich um ein Arzneimittel mit einem neuen Wirkstoff gemäß § 35a Absatz 1 SGB V, vgl. § 2 Absatz 1 Satz 1 AM-NutzenV. Das Arzneimittel gilt solange als ein Arzneimittel mit einem neuen Wirkstoff, wie für das erstmalig zugelassene Arzneimittel mit dem Wirkstoff Unterlagenschutz im Sinne der Regelung des 5. Kapitels § 1a Verfo besteht, vgl. § 2 Absatz 1 Satz 2 AM-NutzenV.

Mit der Einschränkung in 5. Kapitel § 1a Nummer 3 Verfo, dass ein Marktexklusivitätsrecht jedoch nur innerhalb der Reichweite des jeweiligen Marktexklusivitätsrechts als Unterlagenschutz zu berücksichtigen ist, wird dem Spannungsfeld der grundsätzlich wirkstoffbezogenen Betrachtungsweise der frühen Nutzenbewertung und dem Anwendungsgebietsbezug des Marktexklusivitätsrechts Rechnung getragen. Anders als der Unterlagenschutz gemäß 5. Kapitel § 1a Nummer 1 und 2 Verfo erstreckt sich das Marktexklusivitätsrecht nach 5. Kapitel § 1a Nummer 3 Verfo nicht auf den gesamten Wirkstoff, sondern bezieht sich auf das konkrete seltene Leiden, also auf das Anwendungsgebiet des Arzneimittels mit gleichem/ähnlichem Wirkstoff, das den Status als Orphan Drug begründet. Für Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen bedeutet dies, dass das Arzneimittel in den Indikationen, in denen kein Schutzrecht gemäß 5. Kapitel § 1a Verfo mehr besteht und damit die Fiktion der Dauer der Neuheit endet, als ein Arzneimittel mit einem bekannten Wirkstoff anzusehen ist, vgl. § 2 Absatz 1 Satz 2 AM-Nut-

zenV. In den Indikationen, die bei Ablauf des Unterlagenschutzes nach 5. Kapitel § 1a Nummer 1 und 2 VerFO noch Marktexklusivität haben, ist der Wirkstoff bis zum Ablauf des jeweiligen Marktexklusivitätsrechts jedoch weiterhin als neuer Wirkstoff anzusehen, vgl. § 2 Absatz 1 Satz 2 AM-NutzenV. Dies ist sachgerecht, denn bis zum Ablauf des Marktexklusivitätsrechts unterliegt der Wirkstoff in der jeweiligen Indikation keinem Wettbewerb, sodass es einer Preisregulierung durch die Nutzenbewertung bzw. der sich anschließenden Preisverhandlungen nach § 130b SGB V bedarf. Erhält ein Wirkstoff erst nach Ablauf des Unterlagenschutzes gemäß 5. Kapitel § 1a Nummer 1 und 2 VerFO die Zulassung für eine weitere (neue) Indikation mit Marktexklusivität, dann kann eine Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 6 SGB V durchgeführt werden (bekannter Wirkstoff).

Befristungen nach 5. Kapitel § 1 Absatz 2 Nummer 7 VerFO, Re-Bewertungen wegen Überschreitung der Umsatzschwelle bei Orphan Drugs und der Aufruf wegen neuer wissenschaftlicher Erkenntnisse nach 5. Kapitel § 1 Absatz 2 Nummer 5 und 6 VerFO sind bis zum Ablauf des letzten regulatorischen Schutzrechts in der jeweiligen Indikation möglich. Dies gilt sowohl für Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen als auch für Arzneimittel mit bekannten Wirkstoffen. Bei der Re-Bewertung wegen Überschreitung der Umsatzschwelle eines Orphan Drugs gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V wird der Umsatz für alle Anwendungsgebiete des Arzneimittels ermittelt, die Nutzenbewertung allerdings nur für die Anwendungsgebiete durchgeführt, in denen noch Unterlagenschutz im Sinne des 5. Kapitels § 1a VerFO besteht. So soll in Übereinstimmung mit dem Zweck der Nutzenbewertung sichergestellt werden, dass eine solche nur dann stattfindet, wenn ein Wettbewerb im Markt wegen bestehender regulatorischer Schutzrechte nicht möglich ist.

Der Gemeinsame Bundesausschuss hat von einer expliziten Gleichstellung der Verwertungs- und Vermarktungsschutzrechte gemäß Artikel 38 der Verordnung Nummer 1901/2006 über Kinderarzneimittel mit dem Unterlagenschutz in 5. Kapitel § 1a VerFO abgesehen, denn gemäß der Regelung in 5. Kapitel § 2 Absatz 1 Satz 3 Nummer 2 VerFO unterliegen diese Arzneimittel bereits der Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a Absatz 1 SGB V, weshalb eine Klarstellung nicht für erforderlich gehalten wird.

Der einjährige Unterlagenschutz gemäß Artikel 10 Absatz 5 der Richtlinie 2001/83/EG bzw. § 24b Absatz 6 AMG unterfällt ebenfalls dem Begriff des Unterlagenschutzes. Aus systematischen Erwägungen hat sich der Gemeinsame Bundesausschuss jedoch gegen eine Regelung dieses Schutzrechtes in 5. Kapitel § 1a VerFO entschieden. Die Regelung in 5. Kapitel § 1a VerFO gilt sowohl für Arzneimittel mit neuen als auch für Arzneimittel mit bekannten Wirkstoffen. Der Unterlagenschutz gemäß Artikel 10 Absatz 5 der Richtlinie 2001/83/EG bzw. § 24b Absatz 6 AMG wird jedoch nur für bekannte Wirkstoffe erteilt, sodass dieses Schutzrecht in 5. Kapitel § 16 Absatz 1 VerFO geregelt wird (s. dazu Nummer 3).

## **Zu 2.**

Die Ergänzung ist zur Abgrenzung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 1 SGB V und Arzneimitteln mit bekannten Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 6 SGB V erforderlich. Es wird klargestellt, dass die Erteilung eines Marktexklusivitätsrechts bei einem Arzneimittel mit einem bekannten Wirkstoff nicht dazu führt, dass das Arzneimittel wieder als ein Arzneimittel mit einem neuen Wirkstoff anzusehen ist. Insofern wird an der Regelung in § 2 Absatz 1 Satz 2 AM-NutzenV („solange-Regelung“) ausdrücklich festgehalten.

### **Zu 3.**

Mit der Regelung wird klargestellt, dass auch der einjährige Unterlagenschutz gemäß Artikel 10 Absatz 5 der Richtlinie 2001/83/EG bzw. § 24b Absatz 6 AMG, der für die Gewinnung von Daten durch bedeutende vorklinische oder klinische Studien im Zusammenhang mit einem neuen Anwendungsgebiet eines bekannten Wirkstoffes erteilt wird, unter den Begriff des Unterlagenschutzes fällt. Folglich kann auch für einen bekannten Wirkstoff, für den ein einjähriger Unterlagenschutz gemäß Artikel 10 Absatz 5 der Richtlinie 2001/83/EG bzw. § 24b Absatz 6 AMG zu berücksichtigen ist, eine Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 6 i.V.m. 5. Kapitel § 16 Absatz 1 VerFO veranlasst werden. Weil dieses Schutzrecht allein für bekannte Wirkstoffe erteilt wird, hat sich der Gemeinsame Bundesausschuss gegen eine übergeordnete Regelung in 5. Kapitel § 1a VerFO entschieden.

### **Klarstellender Hinweis bezüglich zukünftiger Bewertungsverfahren**

Aus Klarstellungsgründen wird darauf hingewiesen, dass die Regelungen des vorliegenden Beschlusses für alle Arzneimittel gelten, für die der maßgebliche Zeitpunkt für den Beginn des Bewertungsverfahrens gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 VerFO erst nach Inkrafttreten dieses Beschlusses vorliegt.

### **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 28. März 2023 beraten und konsentiert.

Die Beschlussvorlage wurde der Arbeitsgruppe Geschäftsordnung-Verfahrensordnung übersandt, die diese in schriftlicher Abstimmung am 5. April 2023 konsentiert und an das Plenum des Gemeinsamen Bundesausschusses zur Beschlussfassung weitergeleitet hat.

Das Plenum hat am 20. April 2023 die Änderungen im 5. Kapitel VerFO beschlossen.

## Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG Entscheidungsgrundlagen	23. März 2023	Beratung der Änderungen im 5. Kapitel der Verfahrensordnung
Unterausschuss Arzneimittel	28. März 2023	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage
AG Geschäftsordnung-Verfahrensordnung	5. April 2023	Schriftliche Abstimmung über die Beschlussvorlage
Plenum	20. April 2023	Beschlussfassung

Berlin, den 20. April 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken