

# Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Feststellung im Verfahren der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V):  
Fedratinib (Myelofibrose) – Vorlage von Studienprotokoll und Statistischem Analyseplan

Vom 1. Juni 2023

## Inhalt

|           |  |          |
|-----------|--|----------|
| <b>1.</b> | <b>Rechtsgrundlage.....</b>            | <b>2</b> |
| <b>2.</b> | <b>Eckpunkte der Entscheidung.....</b> | <b>2</b> |
| <b>3.</b> | <b>Verfahrensablauf .....</b>          | <b>3</b> |

## **1. Rechtsgrundlage**

Nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V kann der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) bei den folgenden Arzneimitteln vom pharmazeutischen Unternehmer innerhalb einer angemessenen Frist die Vorlage anwendungsbegleitender Datenerhebungen und Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung fordern:

1. bei Arzneimitteln, deren Inverkehrbringen nach dem Verfahren des Artikels 14 Absatz 8 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 31. März 2004 zur Festlegung von Gemeinschaftsverfahren für die Genehmigung und Überwachung von Human- und Tierarzneimitteln und zur Errichtung einer Europäischen Arzneimittel-Agentur (ABl. L 136 vom 30.4.2004, S. 1), die zuletzt durch die Verordnung 162 Verfahrensordnung Stand: 16. Dezember 2020 (EU) 2019/5 (ABl. L 4 vom 7.1.2019, S. 24) geändert worden ist, genehmigt wurde oder für die nach Artikel 14-a der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 eine Zulassung erteilt wurde, sowie
2. bei Arzneimitteln, die zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung Nr. 141/2000 zugelassen sind.

Nach § 35a Absatz 3b Satz 10 SGB V in Verbindung mit 5. Kapitel § 60 Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) überprüft der G-BA die gewonnenen Daten und die Verpflichtung zur Datenerhebung in regelmäßigen Abständen, mindestens jedoch alle achtzehn Monate.

## **2. Eckpunkte der Entscheidung**

In seiner Sitzung am 3. November 2022 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Fedratinib gemäß § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V beschlossen.

Mit diesem Beschluss wurde dem pharmazeutischen Unternehmer aufgegeben, vorab der Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen ein Studienprotokoll sowie einen statistischen Analyseplan (SAP) zu erstellen und dem G-BA bis spätestens zum 3. April 2023 zu übermitteln. Der pharmazeutische Unternehmer hat keine Entwürfe für ein Studienprotokoll sowie einen statistischen Analyseplan beim G-BA vorgelegt.

Da der pharmazeutische Unternehmer damit seiner Verpflichtung zur Erstellung eines statistischen Analyseplans und Studienprotokolls vorab der Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung nicht nachgekommen ist, wird mit dem vorliegenden Beschluss festgestellt, dass die anwendungsbegleitende Datenerhebung nicht durchgeführt werden wird.

Dieses Ergebnis wird dem Spitzenverband Bund der Krankenkassen zu dem Zweck einer Entscheidung nach § 130b Absatz 3 Satz 9 SGB V mitgeteilt.

### 3.      **Verfahrensablauf**

Gemäß Beschluss vom 3. November 2022 zur Forderung einer anwendungsgleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Fedratinib hat der pharmazeutische Unternehmer dem G-BA zur Abstimmung die finalen Entwürfe für ein Studienprotokoll sowie für einen statistischen Analyseplan bis spätestens zum 3. April 2023 zu übermitteln.

Der pharmazeutische Unternehmer hat keine Entwürfe für ein Studienprotokoll und einen statistischen Analyseplan beim G-BA eingereicht.

Der Sachverhalt wurde in der Arbeitsgruppe AG AbD und im Unterausschuss Arzneimittel beraten.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 1. Juni 2023 beschlossen, dass die anwendungsbegleitende Datenerhebung nicht durchgeführt werden wird.

#### **Zeitlicher Beratungsverlauf**

| <b>Sitzung</b>              | <b>Datum</b>                 | <b>Beratungsgegenstand</b>   |
|-----------------------------|------------------------------|--|
| AG AbD                      | 6. April 2023<br>4. Mai 2023 | Beratung zur Überprüfung der Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Vorlage von Studienprotokoll und SAP              |
| Unterausschuss Arzneimittel | 23. Mai 2023                 | Beratung zum Ergebnis der Überprüfung der Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Vorlage von Studienprotokoll und SAP |
| Plenum                      | 1. Juni 2023                 | Beschlussfassung zur Überprüfung der Verpflichtung des pharmazeutischen Unternehmers zur Vorlage von Studienprotokoll und SAP      |

Berlin, den 1. Juni 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken