



# Zusammenfassende Dokumentation

über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL):  
Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen  
Wirkstoffen nach § 35a SGB V  
Risdiplam (Spinale Muskelatrophie)  
Beschränkung der Versorgungsbefugnis

Vom 21. Juli 2022

## Inhalt

<b>A. Tragende Gründe und Beschluss .....</b>	<b>2</b>
1. Rechtsgrundlage .....	2
2. Eckpunkte der Entscheidung .....	2
3. Bürokratiekostenermittlung .....	3
4. Verfahrensablauf .....	3
5. Beschluss.....	5
6. Veröffentlichung im Bundesanzeiger .....	8
<b>B. Bewertungsverfahren .....</b>	<b>11</b>
<b>C. Dokumentation des gesetzlich vorgeschriebenen Stellungnahmeverfahrens .....</b>	<b>13</b>
1. Unterlagen des Stellungnahmeverfahrens.....	13
1.1 Schriftliches Stellungnahmeverfahren .....	13
1.2 Mündliche Anhörung .....	13
2. Übersicht der eingegangenen Stellungnahmen .....	13
2.1. Übersicht der eingegangenen schriftlichen Stellungnahmen .....	13
2.2. Übersicht der Anmeldung zur mündlichen Anhörung.....	14
2.3 Zusammenfassende Angaben der Offenlegungserklärung .....	15
3. Wortprotokoll der mündlichen Anhörung.....	16
4. Auswertung der Stellungnahmen.....	27
<b>D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation .....</b>	<b>31</b>

## **A. Tragende Gründe und Beschluss**

### **1. Rechtsgrundlage**

Nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V kann der Gemeinsame Bundesausschuss zu einem Arzneimittel, welches Gegenstand eines Beschlusses nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V ist oder sein wird, beschließen, dass die Befugnis zur Versorgung der Versicherten mit einem solchen Arzneimittel zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung auf solche Leistungserbringer beschränkt wird, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V mitwirken (Beschränkung der Versorgungsbefugnis von Leistungserbringern). Der Beschluss ist im Internet zu veröffentlichen und ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL).

### **2. Eckpunkte der Entscheidung**

Der G-BA hat in seiner Sitzung am 21. Juli 2022 die Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V zur Anwendung von Risdiplam beschlossen. Der Wirkstoff Risdiplam bei spinaler Muskelatrophie ist Gegenstand eines Beschlusses über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V.

Die Beschränkung der Versorgungsbefugnis auf solche Leistungserbringer, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V mitwirken, dient dazu, vollständige und valide Daten aus der Versorgung von Versicherten mit dem Arzneimittel zu erhalten und eine nur fragmentarische Datenerfassung zu verhindern, um damit aussagekräftige, geeignete Daten für die Zwecke der Nutzenbewertung zu erlangen.

Aus dem Informationsbedarf für eine Nutzenbewertung von Risdiplam hat sich die Fragestellung nach einem (langfristigen) Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie für die zugelassene Patientenpopulation ergeben. Die entsprechenden Datenerhebungen des IQWiG im Rahmen der Konzepterstellung für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung haben ergeben, dass die laufenden und geplanten Studien einschließlich der Extensionsstudien nicht geeignet sind, bestehende Evidenzlücken zu beheben. In den festgestellten drei interventionellen Studien wird kein Vergleich durchgeführt. Sie decken zudem nur einen Teil der Population des zugelassenen Anwendungsgebietes von Risdiplam ab. Die drei zugeordneten Extensionsstudien zur Weiterbeobachtung der Patienten beziehen keine weiteren Patienten ein und teilen damit das Manko der jeweils zugehörigen Interventionsstudien. Für die Fragestellung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung bedarf es einer Erhebung vergleichender Daten.

Die erwartete infrage kommende Anzahl an Patienten, die mit Risdiplam behandelt werden können, ist gering, da es sich bei der spinalen Muskelatrophie um eine seltene genetische Erkrankung handelt, eine Behandlung mit Risdiplam laut Zulassung nicht für alle Patienten mit spinaler Muskelatrophie infrage kommt und eine zugelassene Therapiealternative existiert.

Zur Sicherstellung eines für die anwendungsbegleitende Datenerhebung zureichenden Datenbestandes ist es erforderlich, dass jedenfalls aus dem Bereich der Versorgung von Versicherten mit Risdiplam eine möglichst vollständige Datenerfassung erfolgt.

Leistungserbringer im Sinne des 5. Kapitel § 60 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) sind an der vertragsärztlichen Versorgung teilnehmende Ärztinnen und Ärzte, medizinische

Versorgungszentren und Einrichtungen nach § 95 SGB V sowie zur Versorgung zugelassene Krankenhäuser nach § 108 SGB V.

Eine Mitwirkung an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung wird durch die ordnungsgemäße (schriftlich nachgewiesene) Teilnahme des (versorgungsbefugten) Leistungserbringers an der Datenerhebung für die geforderte anwendungsbegleitende Datenerhebung auf Basis des bestätigten Studienprotokolls des pharmazeutischen Unternehmers gewährleistet. Hierbei ist auch auf eine möglichst vollständige Datenübermittlung hinzuwirken.

### **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**

Zur Beratung und Vorbereitung einer Beschlussempfehlung zur Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V hat der Unterausschuss Arzneimittel eine Arbeitsgruppe (AG §35a) beauftragt, die sich aus den von den Spitzenorganisationen der Leistungserbringer benannten Mitgliedern, der vom GKV-Spitzenverband benannten Mitglieder sowie Vertreter(innen) der Patientenorganisationen zusammensetzt. Darüber hinaus nehmen auch Vertreter(innen) des IQWiG an den Sitzungen teil. Die Arbeitsgruppe hat in ihrer Sitzung am 22.03.2022 über die Änderung der AM-RL beraten.

Der Beschlussentwurf zur Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens wurde in der Sitzung des Unterausschusses Arzneimittel am 29.03.2022 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Der Unterausschuss hat in der Sitzung am 29.03.2022 nach 1. Kapitel § 10 Absatz 1 der Verfahrensordnung des G-BA die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens einstimmig beschlossen.

Im Rahmen des schriftlichen Stellungnahmeverfahrens sind Stellungnahmen eingegangen. Die mündliche Anhörung wurde am 24.05.2022 durchgeführt.

Die Auswertung der eingegangenen Stellungnahmen sowie der mündlichen Anhörung wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 12.07.2022 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 21. Juli 2022 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

## Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG § 35a	22. März 2022	Beratung über die Änderung der AM-RL
Unterausschuss Arzneimittel	29. März 2022	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage Beschluss zur Einleitung des Stellungnahmeverfahrens zur Änderung der AM-RL Terminierung der mündlichen Anhörung
AG § 35a	18. Mai 2022	Beratung der eingegangenen Stellungnahmen
Unterausschuss Arzneimittel	24. Mai 2022	Durchführung der mündlichen Anhörung
AG § 35a	1. Juni 2022 15. Juni 2022 6. Juli 2022	Beratung der Beschlussvorlage, sowie Auswertung des Stellungnahmeverfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	12. Juli 2022	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	21. Juli 2022	Beschlussfassung über die Änderung der Anlage XII AM-RL

Berlin, den 21. Juli 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

## **5. Beschluss**

**Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL):**

**Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V  
Risdiplam (Spinale Muskelatrophie);  
Beschränkung der Versorgungsbefugnis**

Vom 21. Juli 2022

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 21. Juli 2022 beschlossen, die Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), die zuletzt durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom 7. Juli 2022 (BAnz AT 02.08.2022 B1) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

- I. In Anlage XII werden den Angaben zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen von Risdiplam gemäß dem Beschluss vom 21. Juli 2022 nach Nummer 3 folgende Angaben angefügt:**

## **Risdiplam**

Beschluss vom: 21. Juli 2022

In Kraft getreten am: 21. Juli 2022

BAnz AT 17.08.2022 B4

### **Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 Sozialgesetzbuch Fünftes Buch (SGB V)**

Für den Wirkstoff Risdiplam in der Behandlung von:

„Patientinnen und Patienten mit einer 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA) ab einem Alter von 2 Monaten, mit einer klinisch diagnostizierten Typ-1-, Typ-2- oder Typ-3-SMA oder mit einer bis vier Kopien des SMN2-Gens“

wird die Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V auf solche Leistungserbringer beschränkt, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken.

Leistungserbringer im Sinne dieses Beschlusses sind an der vertragsärztlichen Versorgung teilnehmende Ärztinnen und Ärzte, medizinische Versorgungszentren und Einrichtungen nach § 95 SGB V sowie zur Versorgung zugelassene Krankenhäuser nach § 108 SGB V.

Leistungserbringer, die nicht zur Versorgung mit dem Arzneimittel befugt sind, können das Arzneimittel ausnahmsweise zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung verordnen, sofern die Verordnung ausschließlich zum Zweck der Weiterverordnung des Arzneimittels und zur Sicherung des Therapieerfolgs nach vorheriger Abstimmung mit dem versorgungsbefugten Leistungserbringer erfolgt und der versorgungsbefugte Leistungserbringer weiterhin für die Datenerhebung zuständig ist und dadurch der Zweck der Beschränkung der Versorgungsbefugnis, valide Daten aus der Versorgung der Versicherten mit Arzneimittel zu erhalten, nicht gefährdet wird.

Eine Mitwirkung an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung wird durch die ordnungsgemäße (schriftlich nachgewiesene) Teilnahme des (versorgungsbefugten) Leistungserbringers an einem Indikationsregister, welches die Daten für die geforderte anwendungsbegleitende Datenerhebung auf Basis des bestätigten Studienprotokolls des pharmazeutischen Unternehmers erhebt, gewährleistet.

## **II. Inkrafttreten**

Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung im Internet auf den Internetseiten des G-BA am 21. Juli 2022 in Kraft.

Die im Beschluss geregelte Beschränkung der Versorgungsbefugnis auf solche Leistungserbringer, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken, entfaltet ihre Wirkung erst mit dem Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung, der in einem gesonderten Beschluss festgelegt wird.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter [www.g-ba.de](http://www.g-ba.de) veröffentlicht.

Berlin, den 21. Juli 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

## **6. Veröffentlichung im Bundesanzeiger**





## Bundesministerium für Gesundheit

**Bekanntmachung**  
**eines Beschlusses des Gemeinsamen Bundesausschusses**  
**über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL):**  
**Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen**  
**nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V)**  
**Risdiplom**  
**(Spinale Muskelatrophie);**  
**Beschränkung der Versorgungsbefugnis**

Vom 21. Juli 2022

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 21. Juli 2022 beschlossen, die Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008/22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), die zuletzt durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom 7. Juli 2022 (BAnz AT 02.08.2022 B1) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

I.

In Anlage XII werden den Angaben zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen von Risdiplom gemäß dem Beschluss vom 21. Juli 2022 nach Nummer 3 folgende Angaben angefügt:

**Risdiplom**

Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 Sozialgesetzbuch Fünftes Buch (SGB V)

Für den Wirkstoff Risdiplom in der Behandlung von:

„PatientInnen und Patienten mit einer 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA) ab einem Alter von zwei Monaten, mit einer klinisch diagnostizierten Typ-1-, Typ-2- oder Typ-3-SMA oder mit einer bis vier Kopien des SMN2-Gens“

wird die Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V auf solche Leistungserbringer beschränkt, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken.

Leistungserbringer im Sinne dieses Beschlusses sind an der vertragsärztlichen Versorgung teilnehmende Ärztinnen und Ärzte, medizinische Versorgungszentren und Einrichtungen nach § 95 SGB V sowie zur Versorgung zugelassene Krankenhäuser nach § 108 SGB V.

Leistungserbringer, die nicht zur Versorgung mit dem Arzneimittel befugt sind, können das Arzneimittel ausnahmsweise zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung verordnen, sofern die Verordnung ausschließlich zum Zweck der Weiterverordnung des Arzneimittels und zur Sicherung des Therapieerfolgs nach vorheriger Abstimmung mit dem versorgungsbefugten Leistungserbringer erfolgt und der versorgungsbefugte Leistungserbringer weiterhin für die Datenerhebung zuständig ist und dadurch der Zweck der Beschränkung der Versorgungsbefugnis, valide Daten aus der Versorgung der Versicherten mit Arzneimittel zu erhalten, nicht gefährdet wird.

Eine Mitwirkung an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung wird durch die ordnungsgemäße (schriftlich nachgewiesene) Teilnahme des (versorgungsbefugten) Leistungserbringers an einem Indikationsregister, welches die Daten für die geforderte anwendungsbegleitende Datenerhebung auf Basis des bestätigten Studienprotokolls des pharmazeutischen Unternehmers erhebt, gewährleistet.



### II.

#### Inkrafttreten

Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung im Internet auf den Internetseiten des G-BA am 21. Juli 2022 in Kraft.

Die im Beschluss geregelte Beschränkung der Versorgungsbefugnis auf solche Leistungserbringer, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken, entfaltet ihre Wirkung erst mit dem Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung, der in einem gesonderten Beschluss festgelegt wird.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter [www.g-ba.de](http://www.g-ba.de) veröffentlicht.

Berlin, den 21. Juli 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V

Der Vorsitzende  
Prof. Hecken

## B. Bewertungsverfahren

Gemäß § 92 Abs. 3a SGB V wird den Sachverständigen der medizinischen und pharmazeutischen Wissenschaft und Praxis sowie den für die Wahrnehmung der wirtschaftlichen Interessen gebildeten maßgeblichen Spitzenorganisationen der pharmazeutischen Unternehmer, den betroffenen pharmazeutischen Unternehmern, den Berufsvertretungen der Apotheker und den maßgeblichen Dachverbänden der Ärztesellschaften der besonderen Therapierichtungen auf Bundesebene sowie den für die Wahrnehmung der Interessen der Industrie maßgeblichen Bundesverbänden aus dem Bereich der Informationstechnologie vor der Entscheidung des Gemeinsamen Bundesausschusses Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben. Zu diesem Zweck werden die entsprechenden Entwürfe den folgenden Organisationen sowie den Verbänden der pharmazeutischen Unternehmen mit der Bitte um Weiterleitung zugesendet.

Folgende Organisationen wurden angeschrieben:

Organisation	Straße	Ort
Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI)	Friedrichstr. 148	10117 Berlin
Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa)	Hausvogteiplatz 13	10117 Berlin
Bundesverband der Arzneimittel-Importeure e. V. (BAI)	EurimPark 8	83416 Saaldorf-Surheim
Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller e. V. (BAH)	Friedrichstr. 134	10117 Berlin
Biotechnologie-Industrie-Organisation Deutschland e. V. (BIO Deutschland e. V.)	Schützenstraße 6a	10117 Berlin
Verband der Arzneimittelimporteure Deutschlands e. V. (VAD)	Im Holzhau 8	66663 Merzig
Pro Generika e. V.	Unter den Linden 32 - 34	10117 Berlin
Bundesverband Medizintechnologie e. V. (BVMed)	Reinhardtstraße 29b	10117 Berlin
Arzneimittelkommission der Deutschen Ärzteschaft (AkdÄ)	Herbert-Lewin-Platz 1	10623 Berlin
Arzneimittelkommission der Deutschen Zahnärzteschaft (AK-Z) c/o Bundeszahnärztekammer	Chausseestr. 13	10115 Berlin
Bundesvereinigung Deutscher Apothekerverbände e. V. (ABDA)	Heidestr. 7	10557 Berlin
Deutscher Zentralverein Homöopathischer Ärzte e. V.	Axel-Springer-Str. 54b	10117 Berlin
Gesellschaft Anthroposophischer Ärzte e. V.	Herzog-Heinrich-Str. 18	80336 München

<b>Organisation</b>	<b>Straße</b>	<b>Ort</b>
Gesellschaft für Phytotherapie e. V.	Postfach 10 08 88	18055 Rostock

Gemäß § 91 Absatz 5a SGB V wurde zudem dem Bundesbeauftragten für den Datenschutz und die Informationsfreiheit (BfDI) und nach § 91 Absatz 5 SGB V i. V. m. 1. Kapitel § 11 Absatz 2 der VerFO des G-BA der Bundesärztekammer Gelegenheit zur Abgabe einer Stellungnahme gegeben, da die Regelungen die Erhebung und Verarbeitung personenbezogener Daten voraussetzen sowie die Berufsausübung der Ärzte betreffen.

Darüber hinaus wurde die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens im Bundesanzeiger bekanntgemacht (BAnz AT 06.04.2022 B3).

(siehe D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation)

## **C. Dokumentation des gesetzlich vorgeschriebenen Stellungnahmeverfahrens**

### **1. Unterlagen des Stellungnahmeverfahrens**

#### **1.1 Schriftliches Stellungnahmeverfahren**

(siehe D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation)

#### **1.2 Mündliche Anhörung**

Mit Datum vom 10. Mai 2022 wurden die pharmazeutischen Unternehmer/Organisationen, die berechtigt sind, zu einem Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses Stellung zu nehmen und eine schriftliche Stellungnahme abgegeben haben, zu der mündlichen Anhörung eingeladen.

### **2. Übersicht der eingegangenen Stellungnahmen**

#### **2.1. Übersicht der eingegangenen schriftlichen Stellungnahmen**

<b>Organisation</b>	<b>Eingangsdatum</b>
Roche Pharma AG	03.05.2022
Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI)	27.04.2022
Der Bundesbeauftragte für den Datenschutz und die Informationsfreiheit (BFDI)	28.04.2022
BIO Deutschland e.V.	02.05.2022
vfa	04.05.2022
DGN - Gesellschaft für Neurologie	04.05.2022
GNP - Gesellschaft für Neuropädiatrie e.V.	04.05.2022

## 2.2. Übersicht der Anmeldung zur mündlichen Anhörung

Organisation	Name
Roche Pharma AG	Frau Daniela Groß Herr Dr. Michael Schöttler
Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI)	Frau Christine Lietz
BIO Deutschland e.V.	Herr Michael Kahnert
vfa	Herr Paul Bussilliat
DGN - Gesellschaft für Neurologie	Frau Prof. Dr. Maggie Walter Herr Prof. Dr. Tim Hagenacker
GNP - Gesellschaft für Neuropädiatrie e.V.	Herr Dr. Janbernd Kirschner Herr Dr. Andreas Ziegler

### 2.3 Zusammenfassende Angaben der Offenlegungserklärung

Organisation, Name	Frage 1	Frage 2	Frage 3	Frage 4	Frage 5	Frage 6
Roche Pharma AG						
Frau Daniela Groß	ja	ja	nein	nein	nein	ja
Herr Dr. Michael Schöttler	ja	nein	nein	nein	nein	ja
Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI)						
Frau Christine Lietz	ja	nein	nein	nein	nein	nein
BIO Deutschland e.V.						
Herr Michael Kahnert	ja	nein	nein	nein	nein	nein
vfa						
Herr Paul Bussilliat	ja	nein	nein	nein	nein	nein
DGN - Gesellschaft für Neurologie						
Frau Prof. Dr. M. Walter	nein	ja	ja	ja	ja	nein
Herr Prof. Dr. T. Hagenacker	nein	ja	ja	ja	nein	nein
GNP - Gesellschaft für Neuropädiatrie e.V.						
Herr Prof. Dr. J. Kirschner	nein	ja	ja	ja	ja	nein
Herr Dr. A. Ziegler	nein	ja	ja	ja	nein	nein

### 3. Wortprotokoll der mündlichen Anhörung



**Gemeinsamer  
Bundesausschuss**

# Mündliche Anhörung

gemäß § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V  
**des Gemeinsamen Bundesausschusses**

**hier: Risdiplom (2021-AbD-004) - Beschränkung der  
Versorgungsbefugnis)**

Videokonferenz im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin  
am 24. Mai 2022  
von 11:21 Uhr bis 12:01 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –



Angemeldete Teilnehmende der Firma **Roche Pharma AG:**

Frau Groß

Herr Dr. Schöttler

Angemeldeter Teilnehmender von **Bio Deutschland e. V.:**

Herr Kahnert

Angemeldete Teilnehmende der **Gesellschaft für Neurologie e. V. (DGN):**

Frau Prof. Dr. Walter

Herr Prof. Dr. Hagenacker

Angemeldete Teilnehmende der **Gesellschaft für Neuropädiatrie e. V. (DNP)**

Herr Dr. Kirschner

Zerr Dr. Ziegler

Angemeldete Teilnehmende des **Bundesverbandes der Pharmazeutischen Industrie (BPI):**

Frau Lietz

Angemeldeter Teilnehmender des **Verbandes Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa):**

Herr Bussilliat

Beginn der Anhörung: 11:21 Uhr

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Meine sehr verehrten Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschusses Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses zur Anhörung Einschränkung der Verordnungsbefugnis Risdiplam. Zunächst Entschuldigung, dass wir 20 Minuten nach der Zeit sind. Wir hatten vorher eine Anhörung zu einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung mit einer Vielzahl von Teilnehmern, die sich ein wenig länger hingezogen hat. Ich bitte um Verständnis und Entschuldigung. Jetzt Risdiplam, Behandlung der SMA, Beschränkung der Versorgungsbefugnis. Im Stellungnahmeverfahren sind schriftliche Stellungnahmen eingereicht worden zum einen vom pharmazeutischen Unternehmer, Roche Pharma AG, von der Deutschen Gesellschaft für Neurologie, der Gesellschaft für Neuropädiatrie, vom Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie, vom Branchenverband der Biotechnologie-Industrie Deutschland e. V., vom Verband Forschender Arzneimittelhersteller und vom Bundesbeauftragten für den Datenschutz und die Informationsfreiheit.

Ich muss zunächst, weil wir auch in dieser Anhörung ein Wortprotokoll führen, die Anwesenheit feststellen. Für den pharmazeutischen Unternehmer Roche Pharma AG müssten Frau Groß und Herr Dr. Schöttler anwesend sein, für die Gesellschaft für Neurologie Frau Professor Dr. Walter und Herr Professor Dr. Hagenacker, für die Gesellschaft für Neuropädiatrie Herr Dr. Kirschner und Herr Dr. Ziegler – Fragezeichen –, für den Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie Frau Lietz, für BIO Deutschland Herr Kahnert und für den Verband Forschender Arzneimittelhersteller Herr Bussilliat. Ich frage noch einmal nach Herrn Dr. Ziegler. – Er ist nicht zu sehen. Dann haben wir die Anwesenheit festgestellt. Ist sonst noch jemand zugeschaltet, der sich einer Identifizierung entzogen hat? – Das ist nicht der Fall.

Dann erteile ich zunächst dem pharmazeutischen Unternehmer das Wort, und danach würden wir eine kurze Frage-und-Antwort-Runde machen. Wer macht das für Roche? – Herr Dr. Schöttler, bitte, Sie haben das Wort.

**Herr Dr. Schöttler (Roche Pharma):** Danke schön. – Wir sprechen heute über eine mögliche Versorgungseinschränkung für Menschen mit spinaler Muskelatrophie, über Babys, Kleinkinder, Jugendliche und Erwachsene. Dabei dürfen wir deren Familien nicht vergessen. Menschen mit SMA stehen voll im Leben, gehen zum Kindergarten, besuchen die Schule, machen eine Ausbildung, gehen einem Beruf nach und haben auch eine eigene Familie. Aber für ein möglichst normales Leben brauchen Menschen mit spinaler Muskelatrophie wegen ihrer Muskelschwäche und häufigen Rollstuhlpflichtigkeit viel Hilfe von der Familie und zusätzlichem Hilfspersonal. Jede stationäre Behandlung bedeutet für die Menschen mit spinaler Muskelatrophie und ihre Familien zwei bis drei Tage enormen Aufwand, raus aus dem Alltag, raus aus der Arbeit und viel Organisation und hohe Kosten. Mit der Pandemie kommt dabei die Ansteckungsgefahr noch hinzu.

Deshalb hat Roche Risdiplam entwickelt, wirksam, sicher und als Saft zu Hause anwendbar und wohnortnah behandelbar. Wir haben für Risdiplam als Hersteller und mit dem Orphan Drug-Status versehen initial ein Volldossier eingereicht. Wir unterstützen eine gut funktionierende anwendungsbegleitende Datenerhebung. Roche ist sehr wohl für robuste Daten, aber gegen eine Einschränkung der Versorgung, die auf Kosten der Patienten geht. – So weit das Statement des Herstellers Roche.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herzlichen Dank. – Dann würde ich sofort in die Frage-und-Antwort-Runde eintreten. Ich beginne mit einer Frage an die Fachgesellschaften und die Kliniker, die das naturgemäß etwas anders sehen, als es der pharmazeutische Unternehmer tut. Wir wollen die Beschränkung der Verordnungsbefugnis nicht implementieren, um das Leben der Kinder und ihrer Eltern zu erschweren, sondern um anwendungsbegleitend Evidenz

zu generieren, die wir in dieser Form in diesem Therapiegebiet leider noch nicht haben. Deshalb geht es uns darum, dass hier zum einen eine saubere Diagnosestellung und zum anderen eine saubere Therapieüberwachung erfolgen. Deshalb spiegelt sich das in der Position der Fachgesellschaften wieder, die sagen, dass die Verordnung von Risdiplam nur durch Zentren geschehen soll, die am SMARtCARE-Register beteiligt sind und gewisse Qualitätskriterien gewährleisten.

Deshalb meine Frage an die Fachgesellschaften: Welche Probleme sehen Sie, wenn eine Verordnung durch Leistungserbringer, die nicht zur Verordnung befugt sind, ausnahmsweise und ausschließlich zum Zweck der Weiterverordnung nach vorheriger Abstimmung mit dem versorgungsbefugten Leistungserbringer erfolgt? Das ist ein Stück weit das, was Roche adressiert. Wenn man eine Erstverordnung an der Charité oder wo auch immer gemacht hat und dann mit einem in der Region beheimateten Kinderarzt in bestimmten Intervallen Weiterverordnungen, aber dann auch regelmäßige Wiedervorstellungen an der Charité implementieren würde, könnte das möglicherweise das Problem etwas entschärfen, das Sie beschreiben.

Für mich wäre wichtig: Ist es für Sie wichtig, die Patientinnen und Patienten in sehr kurzen Intervallen, die jeweils mit einer Wiederverordnung korrespondieren, zu sehen, oder welche anderen Gründe könnten gegen eine solche – ich sage einmal – Delegation unter Überwachung sprechen? – Frau Walter, Sie haben als erstes die Hand gehoben, damit haben Sie auch das Wort. Bitte schön.

**Frau Prof. Dr. Walter (DGN):** Danke schön. – Wenn es so wäre, wie Sie es gerade geschildert haben, im idealen Leben, ist alles gut. Nur, so wird es nicht sein. In dem Moment, wenn das der Hausarzt oder der niedergelassene Neurologe verordnet, ist die Wahrscheinlichkeit, dass die Patienten zu den Verlaufskontrollen kommen, ob die alle vier Monate oder einmal im Jahr sind, deutlich reduziert. Roche wirbt gezielt mit der Therapie für zu Hause. Man muss quasi keinen Doktor sehen. Diesen Ansatz finden wir falsch, weil es wichtig ist, dass die Therapie überprüft wird. Es ist kein Medikament, das seit hundert Jahren auf dem Markt ist. Man muss die Nebenwirkungen beobachten. Man muss die Wirksamkeit beobachten, sonst könnten wir nie irgendwann klar dazu Stellung nehmen, welche Therapie für wen am besten geeignet ist. Wann hört man auf? Wann switcht man die Therapie? Das geht nur mit einer kontrollierten Datensammlung. Es reicht nicht, dass der Patient, wenn er noch etwas anderes als ein Rezept braucht, zu uns kommt, sondern das muss wirklich zu definierten Zeiträumen sein. Die Zeiträume müssen wegen der Vergleichbarkeit zwischen allen Medikamenten für SMA entsprechend abgestimmt sein.

Die Compliance der Patienten – das sind Patienten, die zum Teil eingeschränkt sind. Wenn sie nicht ins Zentrum kommen müssen, dann machen sie das nicht. Bei Spinraza ist es durch die intrathekale Gabe vorgegeben. Da kommt man nicht aus, aber bei Risdiplam käme man aus, und das halten wir nicht für gut, auch wegen der wirklich notwendigen Überwachung der Therapie und der entsprechend nötigen Datensammlung dazu. Es gibt sonst keine ordentlichen Daten mehr, glaube ich.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herzlichen Dank, Frau Walter. – Für mich ist das eine neue Erkenntnis. Ich hatte mir nicht die Vorstellung gemacht, dass diese Patientinnen und Patienten bzw. deren Eltern, wenn wir über SMA-I-Kinder sprechen, nicht die Compliance haben, regelmäßig optimierte Zentrumsbehandlung oder Zentrumsbeobachtung in Anspruch zu nehmen. Insofern scheint meine Wahrnehmung oder Vorstellung mit der Lebenswirklichkeit nicht übereinzustimmen. – Herr Professor Hagenacker, Sie haben sich auch dazu gemeldet.

**Herr Prof. Dr. Hagenacker (DGN):** Genau. Es ist so, dass in Ergänzung zu dem, was Frau Professor Walter gesagt hat, die orale Anwendung hier rein die praktische Behandlung am Patienten am Tag einbezieht. Damit ist das Medikament mitnichten unkomplizierter. Mitnichten haben wir hier mehr Erfahrung oder Ähnliches. Die sind in der SMA alle first in class. Beim Spinraza und Zolgensma ergibt es sich naturgemäß über die Applikationsform.

Aber es sind alle Medikamente, die, nur weil sie oral gegeben werden, in dem Fall hier nicht weniger wirksam oder nicht weniger pharmakologisch aktiv sind.

Deshalb halten wir das für einen wichtigen Punkt, weil wir keine vergleichende Erfahrung mit den Medikamenten haben, dass wir da kontrolliert eine Datenerhebung und Ähnliches nur so gewährleisten können. In der Tat ist der Punkt mit der Compliance auch aus der praktischen Erfahrung. Es ist so, dass bei uns die Nusinersen-Patienten regelmäßig zu dem Termin kommen, die Risdiplam-Patienten, das ist auch verständlich, fangen inzwischen ein Stück weit an, zu verhandeln: Kann ich nicht erst zum übernächsten Termin kommen? Der Weg ist so weit. – Das ist alles nachvollziehbar, aber es macht es schwierig, die Patienten nachzuverfolgen. Bei der Anzahl der Patienten, die es auf Dauer sind, geht vielleicht doch der eine oder andere verloren oder ist ein Stück weit Lost for follow-up und gilt für eine Datenerhebung zwischenzeitlich als verloren.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Ja, klar. Wir müssen hier immer im Blick behalten, dass wir diese Einschränkung der Verordnungsbefugnis gerade als gesetzliches Instrumentarium haben, um eine Vollständigkeit der Datenerhebung aller Komparatoren im Anwendungsgebiet sicherzustellen. Ansonsten wäre der Wert geschmälert jenseits der Beeinträchtigungen oder der Unbequemlichkeiten, die für die Patientinnen und Patienten damit verbunden sind. – Herr Jantschak, Kassenärztliche Bundesvereinigung, bitte.

**Herr Dr. Jantschak:** Ich habe eine Rückfrage an Frau Walter. Das heißt also, eine quartalsweise Wiedervorstellung des Patienten ist in jedem Fall notwendig? Das heißt, diese notwendigen Daten, auch für das SMARtCARE, werden im Prinzip regelmäßig quartalsweise erhoben?

**Frau Prof. Dr. Walter (DGN):** Das kam aus der Verabreichungsform von Nusinersen, weil das alle vier Monate intrathekal gegeben werden muss. Daran ist nicht zu rütteln. Deshalb haben wir die Intervalle auf diese Viermonatsintervalle für alle Substanzen festgelegt. Wenn wir die Patienten über Jahre beobachtet haben, kann man sich vorstellen, dass sie einmal ein Rezept bekommen und alle acht Monate zum Beispiel kommen. An dem Punkt sind wir aktuell nicht. Wie Professor Hagenacker gerade richtig gesagt hat, bei der oralen Verabreichung gibt es ständig Diskussionen: Muss ich wirklich kommen? Könnt ihr mir das Rezept nicht schicken? In dem Moment, wenn das jeder verschreiben kann, kommen die nicht mehr.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön. – Herr Jantschak, ist die Frage beantwortet? – Also eine willkürliche Grenze, die ausgehend von Nusinersen gesetzt worden ist, um Vergleichbarkeit herzustellen, war der bestimmende Faktor für diese vier Monate. Herr Jantschak, okay?

**Herr Dr. Jantschak:** Die Frage, die sich für mich stellt, ist: Ich verstehe, dass die Patienten für den Zeitraum der AbD regelmäßig zu Untersuchungen und zur Nachverfolgbarkeit an das Zentrum gebunden werden sollten. Aber die Frage ist: Werden alle drei Monate Daten für die AbD erhoben und eingepflegt?

**Frau Prof. Dr. Walter (DGN):** Alle vier Monate, ja.

**Herr Dr. Jantschak:** Okay. Alle vier Monate.

**Frau Prof. Dr. Walter (DGN):** Die kommen auch alle vier Monate.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Das war eben das Datum. Frau Walter hatte Sie insoweit korrigiert, Herr Jantschak, als sie nicht von quartalsweiser, sondern von viermonatlicher Erhebung und Datengenerierung oder Dokumentation gesprochen hat, weil das die Applikationsfrequenz von Nusinersen ist. – Alle vier Monate.

**Herr Dr. Jantschak:** Darf ich dazu noch an den pharmazeutischen Unternehmer nachfragen, Herr Hecken?

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Ja, bitte.

**Herr Dr. Jantschak:** Wie lange reicht eine Abpackung von Risdiplam?

**Frau Prof. Dr. Walter (DGN):** Wir verschreiben genau so viel, dass es für die vier Monate reicht.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Okay. Alles klar. – Frau Teupen.

**Frau Teupen:** Ich habe an Frau Walter eine kurze Nachfrage: Bei Nusinersen leuchtet es durch die Applikationsform ein. Sehen Sie diese Probleme auch ein wenig bei Patienten, die mit Onasemnogene behandelt worden sind? Bei der Einmalgabe ist die Frage: Wie kann man die motivieren, regelmäßig zu kommen?

**Frau Prof. Dr. Walter (DGN):** Das muss, denke ich, Herr Professor Kirschner beantworten.

**Herr Dr. Kirschner (GNP):** Die Erfahrung mit der Gentherapie ist noch relativ jung. In den ersten Jahren sind die Patienten noch sehr an die Zentren gebunden und kommen regelmäßig. Aber wir machen uns Gedanken, ob es im längerfristigen Verlauf, was bei der Gentherapie wichtig ist, zu Problemen kommt. Die Fragen kommen schon: Muss ich wirklich kommen? Gerade bei dem Neugeborenenenscreening, bei dem sich die Kinder fast symptomfrei weiterentwickeln, muss man den Familien die Risiken und warum wir die Überwachung brauchen, klar erklären. Das ist auch da ein Thema.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön, Herr Kirschner. – Jetzt habe ich Herrn Schöttler von Roche.

**Herr Dr. Schöttler (Roche Pharma):** Ich möchte richtigstellen, dass wir von Herstellerseite nicht falsch verstanden werden: Wir unterstützen die anwendungsbegleitende Datenerhebung absolut. Nach unseren Erkenntnissen werden aktuell mehr als 85 Prozent aller mit Risdiplam behandelten Patienten in den 50 aktuellen SMARtCARE-Zentren behandelt. Auch in der Zulassung mit Fachinformation, das ist uns ebenfalls wichtig, ist niedergeschrieben, dass die Behandlung in Hände von Ärzten mit Erfahrung im Umgang von SMA gehört. Damit sehen wir mit den mit Risdiplam behandelten Patienten, die bereits in SMARtCARE-Zentren in Behandlung sind, eine ausreichende Datenerhebung im SMARtCARE gesichert. – Danke.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön, wobei „ausreichend“ immer eine Frage der Definition ist. Wir streben eine möglichst vollständige Erhebung an. Wenn die alle in den SMA-Zentren wären, dann wäre es kein Problem. Es geht jetzt um die Frage: Wie können wir hier einen größeren Dropout verhindern? Wenn man – ich sage es jetzt, obwohl ich weiß, dass es protokolliert wird, einmal ungeschützt – den Hebel des Rezeptes hat und damit die Patienten zum Aufsuchen des Zentrums zwingen kann, dann hat man wesentlich mehr in der Hand als bei Zolgensma. Herr Kirschner hat das angesprochen. Am Anfang hat man sicherlich noch eine Compliance, nur da interessiert es die Patienten am Ende des Tages nicht, wenn wir in unserer Qualitätssicherungsrichtlinie für Zolgensma stehen haben, dass die alle vier Monate kommen sollen. Toll, das steht da drin. Nur, ob das Bindungswirkung für die Eltern und Kinder erzeugt, und Herr Kirschner oder sonst jemand etwas tun kann, um die dahin zu zwingen, ist eine andere Frage. Insofern, sage ich einmal, ist das Rezept ein schönes Instrument, um eine gewissen Compliance zu erzeugen. – Jetzt hat sich Frau Walter noch einmal gemeldet.

**Frau Prof. Dr. Walter (DGN):** Die Patienten sind alle untereinander vernetzt. Wenn ich höre, 85 Prozent sind in SMARtCARE, die anderen bekommen es so, dann dauert es nicht lange, bis sie das untereinander besprechen. Dann sagen die einen: Bin ich blöd? Ich fahre alle vier Monate dort hin und der andere muss das nicht. Das entfaltet für mich eine fatale Sogwirkung.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön. – Jetzt habe ich noch einmal Herrn Jantschak und Herrn Hagenacker.

**Herr Prof. Dr. Hagenacker (DGN):** Ich wollte an der Stelle ergänzen: 85 Prozent sind tatsächlich zu wenig. Wir sprechen hier über eine Rare Disease, bei der es um jeden einzelnen Datensatz geht. Dann ist noch der entscheidende Punkt: Die 15 Prozent können vielleicht auch die sein, für die es compliancetechnisch besonders kompliziert ist, die vielleicht besonders

eingeschränkt sind. Das sind dann Patientengruppen, die uns fehlen. Das ist, glaube ich, ein wichtiger Punkt. In Bezug auf die Fachinformation: Ja, darin steht Behandler, die Erfahrung mit SMA haben, aber es ist mitnichten definiert, wenn das der einzelne Behandler für sich entscheidet, dass er sagt: Ich habe einen SMA-Patienten, dann bin ich offensichtlich erfahren, und es ist darüber gedeckt. Das ist zu wenig.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Ja. Da möchte ich Sie absolut unterstützen. 15 Prozent Dropout wäre fatal, dann können wir das ganze Ding vergessen, weil möglicherweise das die interessantesten 15 Prozent wären, möglicherweise aber auch die 15 Prozent, die man aus welchen Gründen auch immer, lieber vielleicht nicht vollständig drin hätte, weil hier die Behandlungsverläufe vielleicht nicht so optimal waren, wie man sich das in irgendwelchen Verlautbarungen erträumt hätte. Das ist ganz wesentlich.

An die Adresse des pharmazeutischen Unternehmers: Wir sind hier aufgrund der gesetzlichen Ermächtigung befugt, über die Fachinformation hinausgehende Limitationen zu beschließen. Nur deshalb sitzen wir hier zusammen. Das ist keine Spaßveranstaltung. Vor diesem Hintergrund ist die Rechtsgrundlage gegeben. Die Frage ist – das war der Ausgangspunkt -: Kann man den Leuten das Leben leichter machen? Wenn die, wie eben von Frau Walter gesagt worden ist, alle vier Monate kommen, bekommen sie ein Viermonatsrezept mit. Dann ist es nicht erforderlich, dass sie zwischendurch noch zweimal antanzen, um sich jeweils ein Rezept abzuholen. Damit ist die maximale Erleichterung geschaffen, um die Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung auf der anderen Seite nicht zu gefährden. Meine Vorstellung war: Die bekommen alle drei, vier Monate einen Vorstellungstermin, und zwischendrin brauchen sie jeden Monat ein Rezept und müssten jeden Monat in die Charité oder wohin auch immer gehen. Das ist natürlich nicht der Fall. – Herr Jantschak, Sie hatten noch eine Frage.

**Herr Dr. Jantschak:** Die Frage geht an den Vertreter des vfa: In der Stellungnahme wurde angemerkt, dass es unklar sei, ob alle Kliniken, die Daten an das SMARtCARE melden, eine Ermächtigung besitzen, Risdiplam zu verschreiben. Dazu würde ich noch einmal um Ausführungen bitten.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herr Bussilliat.

**Herr Bussilliat (vfa):** Das war ein Punkt, der im Austausch mit dem pharmazeutischen Unternehmer kommuniziert wurde. Ich weiß nicht, ob der pU das vielleicht ausführen möchte.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herr Schöttler, bitte.

**Herr Dr. Schöttler (Roche Pharma):** Gerne. – Wir haben in Nordrhein-Westfalen eine Situation auf § 119 SGB V beruhend, dass dort die pädiatrischen Kliniken, die sozialpädiatrischen Zentren keine Ermächtigung haben und schon heute dahin gehend verfahren müssen, dass die Verordnung nicht in diesen pädiatrischen Zentren passiert, sondern von anderer ärztlicher Stelle, aber in engem Austausch mit den neuromuskulär erfahrenen pädiatrischen Zentren. Hier können diese Zentren, was eben angesprochen wurde, das Rezept auch heute schon nicht ausstellen. Das ist im größten Bundesland in Deutschland der Fall. Darauf möchten wir an der Stelle aufmerksam machen.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Jetzt habe ich eine Wissensfrage: Können Sie mir erklären, was konkret in einem sozialpädiatrischen Zentrum gemacht wird?

**Herr Dr. Schöttler (Roche Pharma):** Wir haben die pädiatrischen Zentren für die kleinen SMA und die Erwachsenen. Die pädiatrischen Zentren, die ich unter dem genannten Paragraphen genannt habe, das sind die neuromuskulären Zentren, die die Babys und Kleinkinder in Nordrhein-Westfalen behandeln.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Das verstehe ich jetzt nicht. Das ist mir neu. – Herr Kirschner, bitte.

**Herr Dr. Kirschner (GNP):** In der Pädiatrie werden chronisch kranke, behinderte Kinder über die sozialpädiatrischen Zentren versorgt. Das gilt aber, das kann ich aus meiner Erfahrung in Bonn sagen, nicht für alle sozialpädiatrischen Zentren. Aber es gibt einzelne sozialpädiatrische Zentren in Nordrhein-Westfalen, wo in den Vereinbarungen mit den Krankenkassen zur Vergütung eine Rezeptierung von Medikamenten ausgeschlossen ist. Ich weiß es von Essen, ich weiß nicht, ob es noch ein anderes SPZ gibt. Bei dem SPZ in Essen, glaube ich, ist in der Ermächtigungsvereinbarung die Verordnung von Medikamenten ausgeschlossen. Das heißt, an dem Standort gibt es tatsächlich ein Problem. Die sind zwar neuromuskuläres Zentrum, dürfen aber im Rahmen der SPZ-Versorgung, was für den ambulanten Bereich genutzt wird, keine Rezepte ausstellen. Aber das ist meines Wissens ein lokales Problem. Ich kenne das zumindest nur von Essen.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön. – Frau Teupen.

**Frau Teupen:** Dort ist eine ziemlich komplizierte Versorgungssituation der SPZ, die unterschiedliche Aufgaben haben. Aber noch einmal an den Hersteller: Wir haben die ASV erweitert, um die muskulären Erkrankungen und um diese Indikation zu machen. Das wäre eigentlich der Mittelweg dafür, wenn die über die Ermächtigung nicht verordnen dürfen. Ich glaube nicht, dass die SPZ in Berlin Risdiplom verordnen. Das wäre mir, ehrlich gesagt, auch neu. Diesen Weg über die ASV haben wir eröffnet. Das müsste eigentlich darüber gehen. Das ist nur ein Hinweis.

**Herr Dr. Schöttler (Roche Pharma):** Meines Wissens sind noch keine ASV-Zentren in der spinalen Muskelatrophie angemeldet.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Das ist aber jetzt nicht das Thema. Entschuldigung, wenn ich das sage. Ich warte auch nicht darauf, bis es einen 116 b-Vertrag für die spinale Muskelatrophie gibt. Für mich ist die Frage: Wenn ein spezielles SPZ keine Befugnis hat, Medikationen zu verordnen, behandelt dieses Zentrum dann primär auch SMA-Patienten, zum Beispiel in Essen? Herr Kirschner, wie kann ich mir das vorstellen? Sitzt dort ein ausgewachsener Professor oder eine Professorin oder ein Doktor oder eine Doktorin und behandelt Patienten und sagt dann: So, jetzt stelle ich fest, das Kind mit der spinalen Muskelatrophie, chronisch krank, behindert, braucht ein Medikament und schickt es irgendwo zu einem anderen, der dann behelfsmäßig ein Rezept ausstellt, oder sind das andere Behandlungssituationen, die dort stattfinden? Findet dort dann eine Betreuung statt?

Für mich gehört zu einer Primärbehandlung in einem solchen Therapiegebiet, dass ich auch einen Rezeptblock oder eine Krankenhausapotheke habe. Ich verstehe diese Lex Essen nicht. Machen die Krankenbehandlung im engeren Sinne, indem sie diagnostizieren, indem sie dann aus der Diagnose abgeleitet eine Therapieentscheidung treffen und diese Therapie dann auch umsetzen, und wie setzen sie die um, wenn sie selber nicht Arzneimittel verordnen können? Oder haben die vielleicht eine Zwitterstellung? Das ist das, was mich bei diesen sozialmedizinischen Zentren immer nervös macht, weil ich nie so richtig weiß, ob das eher eine allgemeine Unterstützungs- und Überwachungsfunktion ist, die die haben, oder eher eine medizinische. – Herr Kirschner.

**Herr Dr. Kirschner (GNP):** Ich kann über einen anderen Standort nicht im Detail sprechen, aber die machen in Essen über das SPZ die komplette Versorgung von Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen. Es ist nicht nachvollziehbar, auch den Beteiligten vor Ort nicht, warum sie nicht die Erlaubnis haben, Medikamente zu verordnen. Das war schon mehrfach Thema, sodass sie jeweils ein anderes Konstrukt für den Patienten finden müssen, um die notwendigen Medikamente zu verordnen, entweder über andere Ambulanzen oder niedergelassene Ärzte. Aber warum diese Kliniken, die quasi eine Komplettversorgung von neuromuskulären oder anderen seltenen Erkrankungen machen, keine Medikamente rezeptieren dürfen, ist nicht verständlich.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Da wäre für mich die Conclusio, vielleicht denke ich wieder zu einfach, dass man über diese zwei oder drei Kliniken spricht und die Kassen dazu animiert, zu sagen, dann lasst die Arzneimittel verordnen, wenn sie die sonstigen Qualitätsanforderungen erfüllen, als darüber nachzudenken, dass die behelfsmäßig den Hausarzt in der Nähe konsultieren, sofern er an diesem Tag die Praxis aufhat, damit er auf ihr Geheiß und in ihrem Namen ein Rezept ausstellt. Das ist, glaube ich, die bessere Lösung. Aber wir diskutieren das weiter. – Frau Teupen dazu und Herr Schöttler.

**Frau Teupen:** Das hat sich erledigt. Vielen Dank.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön, Frau Teupen. – Herr Schöttler.

**Herr Dr. Schöttler (Roche Pharma):** Ich wollte noch ausführen: An dem SPZ in Essen ist das Frau Professor Schara, die eine der renommiertesten Neurologen, neuromuskulärer Pädiater ist.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Die kennen wir. Sie weiß auch, wie es geht. Ich hätte kein Problem, den Kassen zu sagen, dass ich, ohne über die Befugnis, Befugnisse zu verteilen, und ohne über medizinischen Sachverstand zu verfügen, davon ausgehe, dass Frau Schara das kann. Sie ist uns hier hinlänglich bekannt, hat das aber noch nie als Problem adressiert. Wir werden dafür sorgen – ich nehme das auf die Agenda –, dass wir uns darum kümmern, dass Frau Professor Schara irgendwann einen Rezeptblock bekommt. – Herr Jantschak.

**Herr Dr. Jantschak:** Ich habe noch eine Frage zu den im Beschlussentwurf dargestellten Positionen A und B zur Mitwirkung an der AbD. In den Stellungnahmen wurde scheinbar nicht direkt darauf eingegangen. Es geht um den Nachweis der Mitwirkung an der AbD, ob letzten Endes ein Nachweis über die Teilnahme an einem Indikationsregister ausreichend ist oder ob dort möglicherweise weitergehende Nachweise notwendig sind, die mit Pflichten und möglichen Sanktionen einhergehen.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön, Herr Jantschak. – Wer kann dazu etwas sagen? Herr Kirschner, bitte.

**Herr Dr. Kirschner (GNP):** Es gibt, glaube ich, verschiedene Stellen, an denen man Kriterien festlegen kann. Für die Teilnahme an dem SMArtCARE-Register: Dort nehmen nur Zentren teil, die mit der SMA-Versorgung Erfahrung und entsprechende Therapeuten haben, um die Evaluation zu machen. Aber wir haben für die Teilnahme am SMArtCARE – wir wollen inklusiv sein und möglichst alle Patienten erfassen – keine strengen Kriterien, wer bei uns im Sinne von Mindestpatientenzahlen oder solchen Dingen mitmachen kann.

Das Zweite ist: Man wird für die AbD ein Protokoll festlegen. In diesem Protokoll kann man sich vorstellen, Kriterien festzulegen, wer sich an der AbD beteiligen darf. Dann wäre das quasi eine indirekte Festlegung, oder man legt die Kriterien direkt bei der Versorgungsfähigkeit fest. Ich sehe da drei verschiedene Ebenen. Ich kann nur sagen, für das SMArtCARE-Register gibt es keine strikten Kriterien, vergleichbar mit den Kriterien, die wir vorgeschlagen haben. Das heißt, wenn man nur die Teilnahme am SMArtCARE-Register als Voraussetzung nimmt, dann könnte vielleicht – ich sage es einmal übertrieben – ein Hausarzt postulieren, ich habe eine Physiotherapeutin, ich will auch bei SMArtCARE mitmachen. Deshalb muss man sich überlegen, an welcher Stelle man diese Kriterien definieren will. Man kann auch beim Protokoll definieren und bei dem AbD-Protokoll festlegen, welche Zentren berücksichtigt werden. Aber dann würde man nur indirekt über das AbD-Protokoll die Verordnungsfähigkeit festlegen. Ich weiß nicht, ob ich mich klar ausgedrückt habe.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herr Jantschak.

**Herr Dr. Jantschak:** Es ist letzten Endes, zumindest in dem Konstrukt, wie es schon einmal verschriftlicht worden ist, von einer engen Anbindung an die Zentren auszugehen. Dort stellt sich für mich die Frage: Gibt es bei dem Status quo, den wir hinsichtlich der Zentren/MVZ haben, die an das SMArtCARE melden, bisher Probleme mit der Datenerhebung bzw. mit



unvollständigen Daten? Sehen Sie dort Handlungsbedarf, oder ist, wenn an das SMARTCARE gemeldet wird, die Teilnahme bisher aus den Zentren derartig – ich nenne es einmal – pflichtbewusst, dass eigentlich keine Probleme bestehen, dass man hier auch nicht nachschärfen müsste?

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön, Herr Jantschak. – Herr Kirschner, können Sie dazu eine Einschätzung abgeben?

**Herr Dr. Kirschner (GNP):** Ich glaube, es gibt Nachschärfungsbedarf. Wie vorhin gesagt, würden wir gern 100 Prozent der Patienten langfristig erfassen. Das schaffen wir nicht. Das hat verschiedene Gründe. Das kann die Compliance der Patienten sein. Das kann teilweise die Kapazität oder das Engagement der Zentren sein, die Verfügbarkeit von Physiotherapeuten, sodass im Moment unsere Datenerfassung nicht hundertprozentig ist, was eigentlich angestrebt werden soll. Von daher gibt es da schon, denke ich, Bedarf, weiter Instrumente zu nutzen, damit möglichst viele Patienten erfasst werden.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön, Herr Dr. Kirschner. – Herr Jantschak, okay?

**Herr Dr. Jantschak:** Nein. Konkret ging meine Frage eigentlich dahin, bezogen auf den Nachweis auf Einzelpatientenebene möglicherweise. Ich verstehe vollkommen, dass eine vollständige Datenerhebung der Patienten notwendig ist, die mit Risdiplam behandelt werden sollen. Aber es geht hier um die Datenqualität auf Einzelpatientenebene. Gibt es dort Probleme?

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herr Kirschner.

**Herr Dr. Kirschner (GNP):** Auch bei einzelnen Patienten fehlen teilweise Visiten, oder sie sind Lost to follow-up. Ich weiß nicht, ob ich Ihre Frage richtig verstanden habe. Es gibt auf allen Ebenen teilweise Gründe, warum die Datenerfassung nicht hundertprozentig ist, sowohl auf Einzelpatientenebene wie auch auf Zentrebene.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Okay. Herr Jantschak? – Alles klar. Danke. Gibt es weitere Fragen? – Das sehe ich nicht. Dann gebe ich dem pharmazeutischen Unternehmer, Herrn Schöttler, noch einmal die Möglichkeit, abschließend Stellung zu nehmen, wenn Sie das möchten, Herr Schöttler.

**Herr Dr. Schöttler (Roche Pharma):** Ich würde das Wort gern meiner Kollegin, Frau Groß, weitergeben.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Bitte schön, Frau Groß.

**Frau Groß (Roche Pharma):** Herzlichen Dank. – Ich möchte gern noch einmal auf zwei Punkte eingehen, die aus unserer Sicht wichtig sind. Das ist zum einen der Punkt: Wir sprechen darüber, ob die Einschränkung der Verordnungsbefugnis wirklich verhältnismäßig ist. Wir meinen, das lässt sich im Hinblick auf das SMARTCARE-Register und darauf, dass bereits 85 Prozent der Daten von Risdiplam-Patienten gesammelt werden, durchaus bezweifeln. Aus unserer Sicht ist bereits eine ausreichende Datenerhebung möglich, ohne dass es eines zusätzlichen Verordnungs Ausschlusses bedürfte, ohne dass es zusätzliche Konsequenzen für die Patienten bedeutet.

Dazu gern noch einige Worte zur Angemessenheit; denn die eingehenden Belastungen dürfen nicht außer Verhältnis zum verfolgten Ziel, sprich: der besseren Datenbasis stehen. Hierzu noch einmal, was mein Kollege eingangs gesagt hat, weil es für den konkreten Einzelfall Risdiplam wichtig ist: Risdiplam ist das einzig verfügbare Arzneimittel in Deutschland, das im Gegensatz zu Spinraza nicht stationär verabreicht werden muss, sondern ambulant wohnortnah verabreicht werden kann.

Für die wirklich motorisch schwer eingeschränkten Patienten, das lässt sich nicht bestreiten, bedeutet das eine Erleichterung ihres Alltags, hoffentlich auch eine Unterstützung ihrer Therapiecompliance. Obwohl das Arzneimittel an sich verfügbar wäre, würde die

wohnortnahe Versorgung der mobil eingeschränkten Patienten zum Zwecke einer besseren Datenvollständigkeit eingeschränkt werden. Das hätte vor allem auf strukturschwache Regionen Auswirkungen oder auch auf das, was wir am Beispiel Essen besprochen haben. Das Ergebnis wäre aus unserer Sicht eine bedingt bessere Datenlage, allerdings nicht bei gleichzeitig bestmöglicher Verfügbarkeit des Arzneimittels, sondern vielmehr auf Kosten der Verfügbarkeit des Arzneimittels für die Patienten und ihre wohnortnahe Versorgung. Deshalb möchten wir noch einmal daran appellieren, zu prüfen, ob die Einschränkung der Verordnungsbefugnis von Risdiplam im Einzelfall wirklich erforderlich und angemessen ist. – Danke schön.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herzlichen Dank, Frau Groß. – Ich möchte das nicht kommentieren, sondern an der Stelle nur sagen: Es ist nicht nur eine bedingt bessere Datenlage, wenn man die Erhebung von 85 Prozent auf einen Stand von vielleicht 95 Prozent oder Gott weiß was steigern könnte. Des Weiteren muss bei jeder Verhältnismäßigkeitsbetrachtung, die Sie angestellt haben, auch immer das Interesse der Solidargemeinschaft an der Generierung von Daten für in ihren Wirkungen noch nicht ganz ergründete Wirkstoffe in Betracht gezogen und berücksichtigt werden.

Vor diesem Hintergrund hat der Gesetzgeber ausdrücklich eine entsprechende Ermächtigungsgrundlage geschaffen, die über die sonstigen Möglichkeiten zur Verordnungseinschränkung hinausgeht. Insofern hat der Gesetzgeber diese für Patienten möglicherweise mit Inkommoditäten verbundenen Belastungen als jedenfalls dem Grunde nach – das ersetzt nie die Verhältnismäßigkeitsprüfung im Einzelfall – für gerechtfertigt und angemessen erklärt. Das sind Gesichtspunkte, die Sie nicht in Ihre Verhältnismäßigkeitsprüfung einbezogen haben, die ich aber, sofern es hier zu gerichtlichen oder sonstigen Auseinandersetzungen käme, selbstverständlich in die Waagschale werfen würde.

Damit sei aber nicht antizipiert, wie der G-BA entscheidet. Ich möchte das nur der Vollständigkeit halber an dieser Stelle noch zu Protokoll geben, damit es insgesamt kein schräges Bild gibt.

Herzlichen Dank an alle, die sich an dieser Anhörung beteiligt haben. Wir verabschieden uns von den Teilnehmern dieser Anhörung. Ich wünsche Ihnen noch einen schönen Tag. – Danke schön.

Schluss der Anhörung: 12:01 Uhr

## 4. Auswertung der Stellungnahmen

### 4.1.1. Einwände allgemein

#### Deutsche Gesellschaft für Neurologie (DGN) und Gesellschaft für Neuropädiatrie e.V. (GNP):

Wie begrüßen die Beschränkung der Versorgungsbefugnis grundsätzlich, halten aber die vorgeschlagenen Einschränkungen nicht für ausreichend. Bei dem Medikament Risdiplam handelt es sich um ein hochpreisiges Orphan Drug mit genmodifizierender Wirkung. Inzwischen gibt es drei zugelassene Therapien zur Behandlung der Spinalen Muskelatrophie, so dass die Indikationsstellung für und das Monitoring dieser Therapien komplex ist und Zentren mit entsprechender Expertise vorbehalten sein sollte. Nur so kann eine qualifizierte Indikationsstellung sowie eine valide Verlaufsdokumentation und Bewertung der Therapie mit Risdiplam sowohl für den Einzelfall wie auch für die Gesamtkohorte sichergestellt werden. Dies ist auch Voraussetzung, um hochwertige Daten für eine potentielle Anwendungsbegleitende Datenerhebung, AbD, zu generieren. Die orale Applikation von Risdiplam sollte nicht dazu führen, dass für die Verordnung und Überwachung der Therapie andere bzw. reduzierte Qualitäts- und Sicherheitsstandards angesetzt werden.

#### BIO Deutschland e.V.:

In Deutschland existiert bereits ein Register (SMARtCARE <https://www.smartcare.de/en/>), das Daten für die Mehrheit der behandelten SMA Patienten in Deutschland erhebt. Anstatt die Versorgung der Patienten im Zuge einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung von vorneherein einzuschränken, sollte zunächst geprüft werden, ob die im Register dokumentierten Patientinnen und Patienten für die anwendungsbegleitende Datenerhebung ausreichend sind. Würde dies bejaht, wäre eine Versorgungseinschränkung (im Sinne eines Ausschlusses der wohnortnahen Versorgung) nicht notwendig und damit unverhältnismäßig.

Weiterhin sollte geprüft werden, wie Ärzten und Patienten, die aktuell noch nicht am Register teilnehmen, der Zugang zu diesem schnell und unkompliziert ermöglicht werden kann. Damit könnte die Datenbasis und somit die Datensammlung gezielt erweitert werden, ohne die Versorgung einschränken zu müssen. Ziel muss eine schnelle und einfache Aufnahme von neuen Ärzten und Patienten sein, wodurch mehr Daten erhoben werden können.

Eine Einschränkung der Versorgung geht immer zu Lasten der Betroffenen und sollte deshalb nur in absoluten Ausnahmefällen erfolgen. Dies gilt insbesondere für die Versorgung mit Risdiplam, was als einzige zugelassene Therapie eine Versorgung außerhalb von Versorgungszentren ermöglicht. Ansonsten sind diejenigen sofort betroffen, die trotz Zulassung nicht oder nur unter Inkaufnahme von Umständen in die Versorgung mit Risdiplam eingebunden werden können. Langfristig gesehen fehlen für die Bewertung zudem auch Daten von denjenigen Patientinnen und Patienten die nicht eingeschlossen werden konnten, z. B. weil aufgrund der Schwere der Erkrankung eine Versorgung in nicht wohnortnahen Zentren nicht ohne weiteres möglich war.

#### Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V.:

Der G-BA sollte bei der - aus Sicht des BPI nicht erforderlichen - Beschränkung der Versorgungsbefugnis auf Leistungserbringer, die an der awD teilnehmen, prüfen, ob die

spezifischen Bedürfnisse der Patienten und insbesondere die wohnortnahe Versorgung gewährleistet werden können.

Risdiplam kann die Versorgung von SMA-Patienten standortunabhängig (ambulant und heimatnah) gewährleisten. Durch eine mögliche Einschränkung der Versorgungsbefugnis sind hier Einschränkungen zu befürchten, sodass die Versorgung von SMA-Patienten erschwert werden kann. So kann bspw. ein Arztwechsel notwendig werden, dies kann zu einer deutlichen Einschränkung im Alltag des Patienten führen durch längere Anfahrtswege und eine aufwändigere Organisation der Anreise zu einer größeren Klinik.

Die wohnortnahe Versorgung ist speziell in der Indikation SMA notwendig, da durch das Neugeborenen-Screening auf die SMA zukünftig eine überwiegende Behandlung von Kleinkindern unter dem 1. Lebensjahr erwartet wird. Diesen Kleinkindern sollte eine wohnortnahe Versorgung ermöglicht werden, da die Belastung für das Kleinkind und die Eltern je nach Reiseaufwand erheblich sein kann. Aber auch für länger erkrankte, motorisch eingeschränkte Patienten im Rollstuhl kann die Anreise einen erheblichen Aufwand darstellen.

Zur Sicherstellung der geforderten kontinuierlichen und langfristigen Therapie ist eine wohnortnahe Versorgung entscheidend und unterstützt die Patienten und ggf. deren Eltern in ihrer Compliance. Statt eine Versorgungseinschränkung zu diskutieren, sollte die Aufnahme von neuen Ärzten in das Register gefördert werden. Dies ist auch im Sinne der awD, da die Erhebung von validen Daten eine hohe Compliance und Mitwirkung der Patienten und ggf. deren Eltern voraussetzt.

#### Roche Pharma AG:

Roche lehnt eine Beschränkung der Versorgungsbefugnis als unverhältnismäßig ab, weil diese zu einer nicht tragbaren Einschränkung in der Versorgung von SMA-Patienten führen würde. Betroffen wären dabei sowohl die Therapiefreiheit der Ärzte, als auch der Versorgungsanspruch der gesetzlich Krankenversicherten.

Eine Einschränkung der Versorgungsbefugnis würde insbesondere Patienten, deren Mobilität durch die Erkrankung stark eingeschränkt ist (z.B. bettlägerige Patienten oder Patienten, die auf einen medizinischen Transportdienst oder einen Rollstuhl angewiesen sind) benachteiligen und deren Versorgung mit Risdiplam, dem einzig oral und ambulant verabreichbaren Arzneimittel in der SMA, deutlich erschweren. Eine Fortführung der Behandlung wäre mit einem Arztwechsel verbunden, was in Gegenden mit geringer Repräsentation der an SMARTCARE partizipierenden Zentren (siehe Karte der teilnehmenden Zentren; <https://www.smartcare.de/>) zu langen Anfahrtswegen führen würde. Die Teilnahme an SMARTCARE orientiert sich nicht an gesetzlich verankerten Prinzipien der Bedarfsplanung, die dazu dienen eine Unterversorgung zu verhindern. Durch eine mögliche Beschränkung der Versorgungsbefugnis könnte eine ausreichende flächendeckende Versorgung von Patienten mit SMA nicht mehr garantiert werden. Dies würde den Alltag von Patienten und Betreuungspersonen erheblich erschweren und einen erhöhten Aufwand an (medizinischen) Transporten verursachen. Dies ist als Konsequenz mit dem Risiko assoziiert, dass sich Patienten gegen eine Fortführung ihrer krankheitsmodifizierenden Therapie entscheiden und nicht ausreichend versorgt sind.

Die Einschränkung der Versorgung von SMA-Patienten kann dadurch verstärkt werden, dass nicht sichergestellt ist, dass alle Kliniken, die Daten für SMARTCARE erheben, eine Ermächtigung besitzen, um ein ambulantes Präparat verschreiben zu können (z.B. im Rahmen der Versorgung an Sozialpädiatrischen Zentren in Nordrhein-Westfalen gemäß §119 SGB V).

Ein Großteil der aktuell mit Risdiplam behandelten Patienten in Deutschland wird bereits zum gegenwärtigen Zeitpunkt in SMARtCARE dokumentiert. Um eine Einschränkung der Versorgungsbefugnis fundiert zu begründen, sollte überprüft werden, ob diese zu einer relevanten Verbesserung der Aussagekraft der erhobenen Evidenz führen würde, die die gravierende Einschränkung in der Versorgung von SMA-Patienten rechtfertigen würde. Die Roche Pharma AG sieht dies im vorliegenden Sachverhalt als nicht gegeben und die Einschränkung der Versorgungsbefugnis deshalb als unverhältnismäßig an. Für eine möglichst vollständige Datenerhebung ist viel mehr die schnelle Aufnahme weiterer Ärzte in SMARtCARE anzustreben.

#### Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa):

Die Beschränkung der Versorgungsbefugnis ist ein fundamentaler Eingriff, der im Einzelfall gut begründet und so ausgestaltet sein muss, dass der wohnortnahe Patientenzugang zu innovativen Arzneimitteln nicht gefährdet wird. Die Bedeutung versorgungsnaher Daten für die evidenzbasierte Medizin ist zwar unstrittig, die gute Versorgung der Patientinnen und Patienten sollte sich jedoch nicht zum Zweck der Datengenerierung verschlechtern. Daher sollte stets gründlich geprüft werden, ob eine ausreichende Datengenerierung nicht auch ohne Beschränkung der Versorgungsbefugnis realisierbar ist.

Es ist zu begrüßen, dass Leistungserbringer sowohl aus dem ambulanten als auch dem stationären Sektor an der anwendungsbegleitenden Datenerhebung teilnehmen können und versorgungsbefugt sind. Es ist jedoch unklar, ob alle Kliniken, die Daten in das SMARtCARE-Register melden, eine Ermächtigung besitzen, um ein ambulantes Präparat zu verschreiben.

Es ist nicht ersichtlich, inwiefern ausreichend geprüft wurde, ob die bereits im SMARtCARE-Register dokumentierenden Ärzte nicht ohnehin eine Fallzahl dokumentieren würden, die für die Durchführung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung ausreicht. Davon abgesehen ist eine umfangreiche Dokumentation – im Sinne der Verwertbarkeit für die Nutzenbewertung – förderlich. Eine Grundvoraussetzung dafür ist, dass Leistungsbringer, die an der Datenerhebung teilnehmen möchten, schnell und unkompliziert Daten melden können. Bürokratische Hürden müssen vermieden werden.

Falls eine Beschränkung der Versorgungsbefugnis entschieden werden sollte, wäre ein Start mit Beginn der entsprechenden anwendungsbegleitenden Datenerhebung sachgerecht.

#### **Bewertung:**

Die erwartete infrage kommende Anzahl an Patienten, die mit Risdiplam behandelt werden können, ist gering, da es sich bei der spinalen Muskelatrophie um eine seltene genetische Erkrankung handelt, eine Behandlung mit Risdiplam laut Zulassung nicht für alle Patienten mit spinaler Muskelatrophie infrage kommt und eine zugelassene Therapiealternative existiert.

Zur Sicherstellung eines für die anwendungsbegleitende Datenerhebung zureichenden Datenbestandes ist es erforderlich, dass jedenfalls aus dem Bereich der Versorgung von Versicherten mit Risdiplam eine möglichst vollständige Datenerfassung erfolgt.

In der mündlichen Anhörung wurde seitens des pharmazeutischen Unternehmers Roche Pharma AG ausgeführt, dass nach seinen Erkenntnissen aktuell mehr als 85 Prozent aller mit Risdiplam behandelten Patientinnen und Patienten in den 50 aktuellen SMARtCARE-Zentren behandelt werden und der Unternehmer daher durch die mit Risdiplam behandelten

Patientinnen und Patienten, die bereits in SMArtCARE-Zentren in Behandlung sind, eine ausreichende Datenerhebung im SMArtCARE als gesichert ansieht.

Seitens der klinischen Sachverständigen wurde hingegen in der mündlichen und schriftlichen Beteiligung ausgeführt, dass eine anwendungsbegleitende Datenerhebung aller in Deutschland mit Risdiplam behandelten Patientinnen und Patienten angestrebt werden sollte und 85 Prozent entsprechend nicht ausreichend seien. Der G-BA sieht es Sicherstellung eines für die anwendungsbegleitende Datenerhebung zureichenden Datenbestandes ebenfalls als erforderlich an, dass eine möglichst vollständige Datenerfassung der mit Risdiplam in Deutschland behandelten Patientinnen und Patienten erfolgt.

Da derzeit noch offen ist, ob und inwieweit sich die Beschränkung der Versorgungsbefugnis im vorliegenden Fall auf eine wohnortnahe Nachsorge auswirkt, ist eine konkrete diesbezügliche Diskussion zu einem späteren Zeitpunkt möglich.

## **D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation**

Bekanntmachung des Beschlusses im Bundesanzeiger

1. Unterlagen des Stellungnahmeverfahrens

1.1 Schriftliches Stellungnahmeverfahren

1.2 Mündliche Anhörung (Einladung)



## Bundesministerium für Gesundheit

### Bekanntmachung des Gemeinsamen Bundesausschusses gemäß § 91 des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V)

Vom 29. März 2022

Der Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) hat am 29. März 2022 beschlossen, ein Stellungnahmeverfahren zur Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) einzuleiten:

– Anlage XII (Nutzenbewertung nach § 35a SGB V) – Risdiplam (spinale Muskelatrophie); Beschränkung der Versorgungsbefugnis

Beschränkung der Befugnis zur Versorgung auf Leistungserbringer, die an einer geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V mitwirken – Anwendungsbegleitende Datenerhebung für den Wirkstoff Risdiplam in der Behandlung von:

„Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA) bei Patienten ab einem Alter von 2 Monaten, mit einer klinisch diagnostizierten Typ-1-, Typ-2- oder Typ-3-SMA oder mit einer bis vier Kopien des SMN2-Gens.“

Gemäß § 92 Absatz 3a SGB V ist den Sachverständigen der medizinischen und pharmazeutischen Wissenschaft und Praxis sowie den für die Wahrnehmung der wirtschaftlichen Interessen gebildeten maßgeblichen Spitzenorganisationen der pharmazeutischen Unternehmer, den betroffenen pharmazeutischen Unternehmern, den Berufsvertretungen der Apotheker und den maßgeblichen Dachverbänden der Ärztegesellschaften der besonderen Therapierichtungen auf Bundesebene zu den beabsichtigten Änderungen der Arzneimittel-Richtlinie Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben.

Der entsprechende Entwurf zur Änderung der Arzneimittel-Richtlinie wird zu diesem Zweck folgenden Organisationen und Verbänden mit der Bitte um Abgabe sachverständiger Stellungnahmen mit Schreiben vom 4. April 2022 zugeleitet:

Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ), Arzneimittelkommission der Deutschen Zahnärzteschaft (AK-Z), Bundesvereinigung deutscher Apothekerverbände (ABDA), Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI), Verband Forschender Arzneimittelhersteller (VFA), Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller e.V. (BAH), Pro Generika e.V., Bundesverband Medizintechnologie e.V. (BVMed), Bundesverband der Arzneimittelimporteure e.V. (BAI), Biotechnologie-Industrie-Organisation Deutschland e.V. (BIO Deutschland e.V.), Verband der Arzneimittelimporteure Deutschlands e.V. (VAD), Deutscher Zentralverein Homöopathischer Ärzte e.V., Gesellschaft Anthroposophischer Ärzte e.V., Gesellschaft für Phytotherapie e.V.

Das Stellungnahmerecht des BVMed ist beschränkt auf Änderungen der Arzneimittel-Richtlinie, die sonstige in die Arzneimittelversorgung nach § 31 SGB V einbezogene Leistungen betreffen.

Stellungnahmen zu diesem Entwurf einschließlich Literatur sowie Literatur- bzw. Anlagenverzeichnis sind in elektronischer Form (z. B. per CD/DVD oder per E-Mail) als Word-Dateln bzw. die Literatur als PDF-Dateln

bis zum 4. Mai 2022

zu richten an:

Gemeinsamer Bundesausschuss  
Abteilung Arzneimittel  
Gutenbergstraße 13  
10587 Berlin

E-Mail: [nutzenbewertung35a@g-ba.de](mailto:nutzenbewertung35a@g-ba.de) mit der Betreffzeile „Risdiplam – Beschränkung der Versorgungsbefugnis“

Einreichung über das Portal für Unterlagen nach § 35a SGB V: <https://extern.portal.g-ba.de/>

Betroffene pharmazeutische Unternehmen, die nicht Mitglieder der oben genannten Verbände sind, erhalten den Entwurf sowie die Tragenden Gründe bei der Geschäftsstelle des G-BA.

Der Beschluss und die Tragenden Gründe können auf den Internetseiten des G-BA unter [www.g-ba.de](http://www.g-ba.de) eingesehen werden.

Berlin, den 29. März 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V

Der Vorsitzende  
Prof. Hecken





**Gemeinsamer  
Bundesausschuss**

Gemeinsamer Bundesausschuss, Postfach 12 06 06, 10596 Berlin

An die  
Stellungnahmeberechtigten  
nach § 92 Absatz 3a SGB

**per E-Mail**

gemäß § 91 SGB V  
Unterausschuss  
Arzneimittel

Besuchsadresse:  
Gutenbergstr. 13  
10587 Berlin

Ansprechpartnerin:  
Dr. Annelie Blumrich  
Abteilung Arzneimittel

Telefon:  
030 275838210

Telefax:  
030 275838205

E-Mail:  
arzneimittel@g-ba.de

Internet:  
www.g-ba.de

Unser Zeichen:  
Blu/jg

Datum:  
4. April 2022

**Stellungnahmeverfahren zur Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL):  
Anlage XII (Nutzenbewertung nach § 35a SGB V) – Risdiplam (spinale Muskelatrophie);  
Beschränkung der Versorgungsbefugnis**

Sehr geehrte Damen und Herren,

der Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses hat in seiner Sitzung am 29. März 2022 beschlossen, ein Stellungnahmeverfahren zur Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) einzuleiten:

- **Anlage XII (Nutzenbewertung nach § 35a SGB V) – Risdiplam (spinale Muskelatrophie); Beschränkung der Versorgungsbefugnis**

Im Rahmen Ihres Stellungnahmerechts nach § 92 Absatz 3a SGB V erhalten Sie bis zum

**4. Mai 2022**

Gelegenheit zur Abgabe Ihrer Stellungnahme. Später bei uns eingegangene Stellungnahmen können nicht berücksichtigt werden.

Bitte begründen Sie Ihre Stellungnahme durch Literatur (z. B. relevante Studien). Die zitierte Literatur ist obligat im Volltext inklusive einem standardisierten und vollständigen Literatur- bzw. Anlagenverzeichnis der Stellungnahme beizufügen. Anbei erhalten Sie das Begleitblatt „Literaturverzeichnis“. Wir weisen darauf hin, dass nur Literatur, die im Volltext vorliegt, berücksichtigt werden kann.

Mit Abgabe einer Stellungnahme erklären Sie sich einverstanden, dass diese in den Tragenden Gründen bzw. in der Zusammenfassenden Dokumentation wiedergegeben werden kann. Diese Dokumente werden jeweils mit Abschluss der Beratungen im Gemeinsamen Bundesausschuss erstellt und in der Regel der Öffentlichkeit via Internet zugänglich gemacht.

Der Gemeinsame Bundesausschuss ist eine juristische Person des öffentlichen Rechts nach § 91 SGB V. Er wird gebildet von:  
Deutsche Krankenhausgesellschaft, Berlin · GKV Spitzenverband, Berlin ·  
Kassenärztliche Bundesvereinigung, Berlin · Kassenzahnärztliche Bundesvereinigung, Köln

Ihre Stellungnahme einschließlich Literatur sowie Literatur- bzw. Anlagenverzeichnis richten Sie bitte in elektronischer Form (z. B. per CD/DVD, per E-Mail, über das AMNOG-Portal) als Word-Datei bzw. die Literatur als PDF-Datei an:

**Gemeinsamer Bundesausschuss  
Abteilung Arzneimittel  
Gutenbergstraße 13  
10587 Berlin**

per E-Mail:

[nutzenbewertung35a@g-ba.de](mailto:nutzenbewertung35a@g-ba.de)

mit der **Betreffzeile: „Risdiplam – Beschränkung der Versorgungsbefugnis“**

über das AMNOG-Portal:

<https://extern.portal.g-ba.de/>

Für Rückfragen stehen wir Ihnen gern zur Verfügung.

Mit freundlichen Grüßen

gez.

i. A. Dr. Annelie Blumrich  
Referentin  
Abteilung Arzneimittel

# Beschluss

des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens zur Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL): Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V:

Risdiplam (spinale Muskelatrophie); Beschränkung der Versorgungsbefugnis

Vom 29. März 2022

Der Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) hat in seiner Sitzung am 29. März 2022 die Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens zur Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), zuletzt geändert am TT. Monat JJJJ (BAnz AT TT.MM.JJJJ BX), beschlossen:

**I. In Anlage XII werden den Angaben zur Nutzenbewertung von Risdiplam gemäß dem Beschluss vom 21. Oktober 2021 nach Nr. 4 folgende Angaben angefügt:**

**„Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 Sozialgesetzbuch Fünftes Buch (SGB V)**

Für den Wirkstoff Risdiplam in der Behandlung von:

„Patientinnen und Patienten mit einer 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA) ab einem Alter von 2 Monaten, mit einer klinisch diagnostizierten Typ-1-, Typ-2- oder Typ-3-SMA oder mit einer bis vier Kopien des SMN2-Gens“

wird die Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V auf solche Leistungserbringer beschränkt, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken.

Leistungserbringer im Sinne dieses Beschlusses sind an der vertragsärztlichen Versorgung teilnehmende Ärztinnen und Ärzte, medizinische Versorgungszentren und Einrichtungen nach § 95 SGB V sowie zur Versorgung zugelassene Krankenhäuser nach § 108 SGB V.

Leistungserbringer, die nicht zur Versorgung mit dem Arzneimittel befugt sind, können das Arzneimittel ausnahmsweise zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung verordnen, sofern die Verordnung ausschließlich zum Zweck der Weiterverordnung des Arzneimittels und zur Sicherung des Therapieerfolgs nach vorheriger Abstimmung mit dem versorgungsbefugten Leistungserbringer erfolgt und der versorgungsbefugte Leistungserbringer weiterhin für die Datenerhebung zuständig ist und dadurch der Zweck der Beschränkung der

Versorgungsbefugnis, valide Daten aus der Versorgung der Versicherten mit Arzneimittel zu erhalten, nicht gefährdet wird.

Position A:	Position B:
<p>Eine Mitwirkung an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung wird durch die (schriftlich nachgewiesene) Teilnahme des (versorgungsbefugten) Leistungserbringers an einem Indikationsregister, welches die Daten für die geforderte anwendungsbegleitende Datenerhebung auf Basis des bestätigten Studienprotokolls des pharmazeutischen Unternehmers erhebt, gewährleistet.“</p>	<p>Eine Mitwirkung an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung wird durch die ordnungsgemäße (schriftlich nachgewiesene) Teilnahme des (versorgungsbefugten) Leistungserbringers an einem Indikationsregister, welches die Daten für die geforderte anwendungsbegleitende Datenerhebung auf Basis des bestätigten Studienprotokolls des pharmazeutischen Unternehmers erhebt, gewährleistet. Dabei hat der versorgungsbefugte Leistungserbringer die vollständige Datenerhebung zu gewährleisten, sofern der teilnehmende Patient beziehungsweise die teilnehmende Patientin der Datenübermittlung zustimmt.“</p>

## II. Inkrafttreten

Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 31. März 2022 in Kraft.

Die im Beschluss geregelte Beschränkung der Versorgungsbefugnis auf solche Leistungserbringer, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken, entfaltet ihre Wirkung erst mit dem Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung, der in einem gesonderten Beschluss festgelegt wird.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter [www.g-ba.de](http://www.g-ba.de) veröffentlicht.

Berlin, den 29. März 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

# Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über  
die Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens zur Änderung  
der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL):

Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen  
Wirkstoffen nach § 35a SGB V

Risdiplam (spinale Muskelatrophie); Beschränkung der  
Versorgungsbefugnis

Vom 29. März 2022

## 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>Bürokratiekostenermittlung .....</b>	<b>3</b>
<b>4.</b>	<b>Verfahrensablauf.....</b>	<b>3</b>

## **1. Rechtsgrundlage**

Nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V kann der Gemeinsame Bundesausschuss zu einem Arzneimittel, welches Gegenstand eines Beschlusses nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V ist oder sein wird, beschließen, dass die Befugnis zur Versorgung der Versicherten mit einem solchen Arzneimittel zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung auf solche Leistungserbringer beschränkt wird, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V mitwirken (Beschränkung der Versorgungsbefugnis von Leistungserbringern). Der Beschluss ist im Internet zu veröffentlichen und ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL).

## **2. Eckpunkte der Entscheidung**

Am 29. März 2022 hat der Unterausschuss Arzneimittel in seiner Sitzung beschlossen, ein Stellungnahmeverfahren zu einem Beschluss über die Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V zur Anwendung von Risdiplam bei spinaler Muskelatrophie einzuleiten. Der Wirkstoff Risdiplam bei spinaler Muskelatrophie wird Gegenstand eines Beschlusses über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V.

Die Beschränkung der Versorgungsbefugnis von solchen Leistungserbringern, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V mitwirken, dient dazu, vollständige und valide Daten aus der Versorgung von Versicherten mit dem Arzneimittel zu erhalten und eine nur fragmentarische Datenerfassung zu verhindern, um damit aussagekräftige, geeignete Daten für die Zwecke der Nutzenbewertung zu erlangen.

Aus dem Informationsbedarf für eine Nutzenbewertung von Risdiplam hat sich die Fragestellung nach einem Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie für die zugelassene Patientenpopulation ergeben. Eine Recherche des IQWiG nach laufenden und geplanten Datenerhebungen für den Wirkstoff Risdiplam im Rahmen der Konzepterstellung für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung hat ergeben, dass die laufenden und geplanten Studien für die anwendungsbegleitende Datenerhebung für Risdiplam zum Zwecke der Nutzenbewertung nicht geeignet sind. In den festgestellten drei nicht interventionellen Beobachtungsstudien wird kein Vergleich durchgeführt. Die Extensionsstudien der Interventionsstudien, deren Bewertung Gegenstand der frühen Nutzenbewertung von Risdiplam waren, beziehen keine weiteren Patientinnen und Patienten ein und können das Defizit der nicht untersuchten Patientenpopulationen und des fehlenden Vergleichs gegenüber einer bestehenden zweckmäßigen Therapiealternative nicht beheben. Für die Fragestellung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung bedarf es einer Erhebung vergleichender Daten.

Die erwartete infrage kommende Anzahl an Patientinnen und Patienten, die mit Risdiplam behandelt werden können, ist gering, da es sich bei spinaler Muskelatrophie um eine seltene genetische Erkrankung handelt, eine Behandlung mit Risdiplam laut Zulassung nicht für alle Patientinnen und Patienten mit spinaler Muskelatrophie infrage kommt und zugelassene Therapiealternative existieren.

Zur Sicherstellung eines für die anwendungsbegleitende Datenerhebung zureichenden Datenbestandes ist es erforderlich, dass jedenfalls aus dem Bereich der Versorgung von Versicherten mit Risiko eine vollständige Datenerfassung erfolgt.

Leistungserbringer im Sinne des 5. Kapitel § 60 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) sind an der vertragsärztlichen Versorgung teilnehmende Ärztinnen und Ärzte, medizinische Versorgungszentren und Einrichtungen nach § 95 SGB V sowie zur Versorgung zugelassene Krankenhäuser nach § 108 SGB V.

Leistungserbringer, die nicht zur Versorgung mit dem Arzneimittel befugt sind, können das Arzneimittel ausnahmsweise zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung verordnen, sofern die Verordnung ausschließlich zum Zweck der Weiterverordnung des Arzneimittels und zur Sicherung des Therapieerfolgs nach vorheriger Abstimmung mit dem versorgungsbefugten und an der anwendungsbegleitenden Datenerhebung teilnehmenden Leistungserbringer erfolgt und der versorgungsbefugte Leistungserbringer weiterhin für die Datenerhebung zuständig ist und dadurch der Zweck der Beschränkung der Versorgungsbefugnis, valide Daten aus der Versorgung der Versicherten mit Arzneimittel zu erhalten, nicht gefährdet wird.

Der Leistungserbringer, der an der anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirkt und versorgungsbefugt ist, ist der primäre Leistungserbringer. Änderungen der Therapie, beispielsweise Dosisanpassungen, dürfen nur vom primären Leistungserbringer vorgenommen werden.

### **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**

Zur Beratung und Vorbereitung einer Beschlussempfehlung zur Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V hat der Unterausschuss Arzneimittel eine Arbeitsgruppe (AG §35a) beauftragt, die sich aus den von den Spitzenorganisationen der Leistungserbringer benannten Mitgliedern, der vom GKV-Spitzenverband benannten Mitglieder sowie Vertreter(innen) der Patientenorganisationen zusammensetzt. Darüber hinaus nehmen auch Vertreter(innen) des IQWiG an den Sitzungen teil. Die Arbeitsgruppe hat in ihrer Sitzung am 22.03.2022 über die Änderung der AM-RL beraten.

Der Beschlussentwurf zur Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens wurde in der Sitzung des Unterausschusses Arzneimittel am 29.03.2022 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Der Unterausschuss hat in der Sitzung am 29.03.2022 nach 1. Kapitel § 10 Absatz 1 der Verfahrensordnung des G-BA die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens einstimmig beschlossen.

### **Zeitlicher Beratungsverlauf**

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG § 35a	22. März 2022	Beratung über die Änderung der AM-RL
Unterausschuss Arzneimittel	29. März 2022	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage Beschluss zur Einleitung des Stellungnahmeverfahrens zur Änderung der AM-RL

Zum Zeitpunkt der Einleitung des Stellungnahmeverfahrens stellen die vorliegenden Tragenden Gründe den aktuellen Stand der Zusammenfassenden Dokumentation dar, welche den stellungnahmeberechtigten Organisationen zur Verfügung zu stellen sind (1. Kapitel § 10 Abs. 2 VerFO).

Als Frist zur Stellungnahme ist ein Zeitraum von 4 Wochen vorgesehen.

Eine Stellungnahme zur Richtlinienänderung ist durch Literatur (z. B. relevante Studien) zu begründen. Die zitierte Literatur ist obligat im Volltext inklusive einem standardisierten und vollständigen Literatur- bzw. Anlagenverzeichnis der Stellungnahme beizufügen. Nur Literatur, die im Volltext beigefügt ist, kann berücksichtigt werden.

Mit Abgabe einer Stellungnahme erklärt sich der Stellungnehmer einverstanden, dass diese in den Tragenden Gründen bzw. in der Zusammenfassenden Dokumentation wiedergegeben werden kann. Diese Dokumente werden jeweils mit Abschluss der Beratungen im Gemeinsamen Bundesausschuss erstellt und in der Regel der Öffentlichkeit via Internet zugänglich gemacht.

Gemäß § 92 Absatz 3a SGB V ist den Sachverständigen der medizinischen und pharmazeutischen Wissenschaft und Praxis sowie den für die Wahrnehmung der wirtschaftlichen Interessen gebildeten maßgeblichen Spitzenorganisationen der pharmazeutischen Unternehmer, den betroffenen pharmazeutischen Unternehmern, den Berufsvertretungen der Apotheker und den maßgeblichen Dachverbänden der Ärztesgesellschaften der besonderen Therapierichtungen auf Bundesebene Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben.

Der maßgeblichen Spitzenorganisation der Medizinprodukte-Hersteller wird beschränkt auf Richtlinienänderungen bezogen auf sonstige in die Arzneimittelversorgung einbezogene Leistungen nach § 31 SGB V Gelegenheit zur Stellungnahme gegeben.

Folgende Organisationen werden angeschrieben:

Organisation	Strasse	Ort
Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI)	Friedrichstr. 148	10117 Berlin
Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa)	Hausvogteiplatz 13	10117 Berlin
Bundesverband der Arzneimittel-Importeure e. V. (BAI)	EurimPark 8	83416 Saaldorf-Surheim



Bundesverband der Arzneimittel-Hersteller e. V. (BAH)	Friedrichstr. 134	10117 Berlin
Biotechnologie-Industrie-Organisation Deutschland e. V. (BIO Deutschland e. V.)	Schützenstraße 6a	10117 Berlin
Verband der Arzneimittelimporteure Deutschlands e. V. (VAD)	Im Holzhau 8	66663 Merzig
Bundesverband Medizintechnologie e.V. (BVMed)	Reinhardtstraße 29b	10117 Berlin
Pro Generika e. V.	Unter den Linden 32 - 34	10117 Berlin
Arzneimittelkommission der Deutschen Ärzteschaft (AkdÄ)	Herbert-Lewin-Platz 1	10623 Berlin
Arzneimittelkommission der Deutschen Zahnärzteschaft (AK-Z) c/o Bundeszahnärztekammer	Chausseestr. 13	10115 Berlin
Bundesvereinigung Deutscher Apothekerverbände e.V. (ABDA)	Heidestr. 7	10557 Berlin
Deutscher Zentralverein Homöopathischer Ärzte e. V.	Axel-Springer-Str. 54b	10117 Berlin
Gesellschaft Anthroposophischer Ärzte e. V.	Herzog-Heinrich-Str. 18	80336 München
Gesellschaft für Phytotherapie e. V.	Postfach 10 08 88	18055 Rostock

Gemäß § 91 Absatz 5a SGB V wird zudem dem Bundesbeauftragten für den Datenschutz und die Informationsfreiheit und nach § 91 Absatz 5 SGB V i. V. m. 1. Kapitel § 11 Absatz 2 der Verfahrensordnung des Gemeinsame Bundesausschuss wird zudem der Bundesärztekammer Gelegenheit zur Abgabe einer Stellungnahme gegeben, da die Regelungen die Erhebung und Verarbeitung personenbezogener Daten voraussetzen sowie die Berufsausübung der Ärzte betreffen.

Darüber hinaus wird die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens im Bundesanzeiger bekanntgemacht.

Berlin, den 29. März 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

## Erläuterungen zur Erstellung von Literaturlisten als Anlage Ihrer Stellungnahme

Bitte verwenden Sie zur Auflistung der zitierten Literatur die beigefügte Tabellen-Vorlage „Literaturverzeichnis“.

Für jede Literaturstelle sind immer 3 Felder (Zeilen) vorgegeben. Bitte tragen Sie Autoren, Titel und Quellenangabe in die dafür vorgesehenen Zeilen entsprechend des u.a. Musters ein.

Nr.	Feldbezeichnung	Text
Muster	AU:	(Autoren, Körperschaft, Herausgeber: getrennt durch Semikolon)
	TI:	(Titel)
	SO:	(Quelle, d.h. Zeitschrift oder Internetadresse oder Ort: Verlag. Jahr)

Bitte verwenden Sie diese Tabellenstruktur unverändert inklusive der vorgegebenen Feldbezeichnungen.

Die korrekte Eingabe für unterschiedliche Literaturtypen finden Sie im folgenden Beispiel:

### Literaturliste [Institution/Firma]

Beispiel	Nr.	Feldbezeichnung	Text
<i>Zeitschriften- artikel</i>	1	AU:	Bruno MJ
		TI:	Endoscopic ultrasonography
		SO:	Endoscopy; 35 (11); 920-932 /2003/
<i>Zeitschriften- artikel</i>	2	AU:	National Guideline Clearinghouse; National Kidney Foundation
		TI:	Clinical practice guidelines for nutrition in chronic renal failure
		SO:	Am J Kidney Dis; 35 (6 Suppl 2); S1-140 /2000/
<i>Buch</i>	3	AU:	Stein J; Jauch KW (Eds)
		TI:	Praxishandbuch klinische Ernährung und Infusionstherapie
		SO:	Berlin: Springer. 2003
<i>Internet- dokument</i>	4	AU:	National Kidney Foundation
		TI:	Adult guidelines. Maintenance Dialysis. Nutritional Counseling and Follow-Up
		SO:	<a href="http://www.kidney.org/professionals/doqi/doqi/nut_a19.html">http://www.kidney.org/professionals/doqi/doqi/nut_a19.html</a>
<i>HTA-Doku- ment</i>	5	AU:	Cummins C; Marshall T; Burls A
		TI:	Percutaneous endoscopic gastrostomy (PEG) feeding in the enteral nutrition of dysphagic stroke patients
		SO:	Birmingham: WMHTAC. 2000

**Stellungnahmeverfahren zum Thema Änderung der Arzneimittel-Richtlinie**

Literaturliste [Hier Institution / Firma eingeben] Indikation [Hier zutreffende Indikation eingeben]

Nr.	Feldbezeichnung	Text
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	
	AU:	
	TI:	
	SO:	



**Gemeinsamer  
Bundesausschuss**

Gemeinsamer Bundesausschuss, Postfach 12 06 06, 10596 Berlin

An die  
Stellungnahmeberechtigten  
nach § 91 Absatz 9 Satz 1 SGB V

**per E-Mail**

**gemäß § 91 SGB V  
Unterausschuss**

**Arzneimittel**

**Besuchsadresse:**  
Gutenbergstr. 13  
10587 Berlin

**Ansprechpartner:**  
Abteilung Arzneimittel

**Telefon:**  
030 275838210

**Telefax:**  
030 275838205

**E-Mail:**  
nutzenbewertung35a@g-ba.de

**Internet:**  
www.g-ba.de

**Unser Zeichen:**  
Blu/jg

**Datum:**  
5. Mai 2022

## **Sachverständigen-Anhörung gemäß § 91 Absatz 9 Satz 1 SGB V zur Änderung der Anlage XII der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL)**

Sehr geehrte Damen und Herren,

nach § 91 Absatz 9 Satz 1 SGB V i. V. m. 1. Kapitel § 12 Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses ist vor einer Entscheidung des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie jedem, der berechtigt ist, zu einem Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses Stellung zu nehmen und eine schriftliche Stellungnahme abzugeben hat, in der Regel auch Gelegenheit zu einer mündlichen Stellungnahme zu geben.

Der Vorsitzende des zuständigen Unterausschusses Arzneimittel hat demzufolge zur Änderung der Arzneimittel-Richtlinie bezüglich

- **Anlage XII (Nutzenbewertung nach § 35a SGB V) – Risdiplam (spinale Muskelatrophie); Beschränkung der Versorgungsbefugnis**

eine mündliche Anhörung anberaumt.

Die Anhörung findet statt:

**am 24. Mai 2022  
um 11:00 Uhr  
als eMeeting**

Zu dieser Anhörung laden wir Sie hiermit herzlich ein.

An der Anhörung können für jeden mündlich Stellungnahmeberechtigten höchstens jeweils zwei Sachverständige teilnehmen.

Bitte teilen Sie uns bis zum **16. Mai 2022** per E-Mail (nutzenbewertung35a@g-ba.de) mit, ob Sie an der mündlichen Anhörung teilnehmen werden und benennen Sie in dem Fall bitte auch die teilnehmenden Personen und deren E-Mail-Adressen.

Es steht Ihnen frei, auf Ihr mündliches Stellungnahmerecht zu verzichten.

Voraussetzung für die Teilnahme an der mündlichen Anhörung ist die Abgabe einer vollständig ausgefüllten Offenlegungserklärung. Bitte prüfen Sie deshalb, ob Sie alle Fragen beantwortet haben und unterschreiben Sie die Offenlegungserklärung mit Datumsangabe zweimalig im dafür vorgesehen Abschnitt auf Seite 3.

Die Offenlegungserklärung ist im Original zur mündlichen Anhörung vorzulegen.

Die mündliche Anhörung dient in erster Linie dazu, die sich aus der schriftlichen Stellungnahme ergebenden Fragen zu klären und neuere Erkenntnisse, die sich zeitlich nach Abschluss des schriftlichen Stellungnahmeverfahrens ergeben haben, einzubringen. PowerPoint-Präsentationen sind jedoch leider nicht möglich. Bitte beachten Sie, dass die mündliche Anhörung in deutscher Sprache stattfindet. Ausführungen in anderen Sprachen werden nicht protokolliert.

Die Einwahldaten erhalten Sie rechtzeitig vor der Sitzung per E-Mail.

Für Rückfragen stehen wir Ihnen gerne zur Verfügung.

Mit freundlichen Grüßen

gez.

i. A. Dr. Annelie Blumrich  
Referentin