

# Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b Sozialgesetzbuch Fünftes Buch (SGB V):  
Etranacogene Dezaparvovec (Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel))

Vom 4. August 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>4</b>
<b>4.</b>	<b>Verfahrensablauf.....</b>	<b>4</b>

## **1. Rechtsgrundlage**

Nach § 35a Absatz 3b Satz 9 SGB V kann der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) bei den folgenden Arzneimitteln vom pharmazeutischen Unternehmer innerhalb angemessener Frist die Vorlage anwendungsbegleitender Datenerhebungen und Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung fordern:

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

## **2. Eckpunkte der Entscheidung**

Mit dem vorliegenden Beschluss leitet der G-BA ein Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Abs.3b Satz 1 SGB V zu dem Wirkstoff Etranacogene Dezaparvovec ein.

Das Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen gliedert sich nach 5. Kapitel § 51 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) in

1. die Beurteilung der Erforderlichkeit nach § 54,
2. den verfahrenseinleitenden Beschluss des Plenums nach § 55 und von Auswertungen nach § 56,
3. die Vorbereitung eines Konzepts für die Anforderungen an eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen unter Beteiligung sachverständiger Stellen nach § 57 sowie
4. den Beschluss des Plenums über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 58 vom pharmazeutischen Unternehmer.

Die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen setzt nach 5. Kapitel § 54 der VerfO voraus, dass die anwendungsbegleitende Datenerhebung zum Zweck der Nutzenbewertung eines Arzneimittels als erforderlich angesehen wird. Die Beurteilung der Erforderlichkeit erfolgt auf der Grundlage von Unterlagen zu diesem Arzneimittel, insbesondere aus einem Nutzenbewertungsverfahren des G-BA nach § 35a SGB V, dem Zulassungsverfahren bei der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA), einer Beratungsanforderung nach § 7 sowie

weiteren Unterlagen zu klinischen Studien als auch einer systematischen Recherche nach Indikationsregistern.

Das zentrale Zulassungsverfahren der EMA für den Wirkstoff Etranacogene Dezaparvovec im Anwendungsgebiet „Behandlung von Erwachsenen mit Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel) und mit einem vorbestehenden neutralisierenden Anti-AAV5-Antikörpertiter unter 1 : 700 um die Häufigkeit von Blutungsepisoden und den Bedarf für eine FIX-Ersatztherapie zu reduzieren“ ist im März 2022 gestartet.<sup>1</sup> Etranacogene Dezaparvovec wird im Rahmen eines beschleunigten Zulassungsverfahrens evaluiert.<sup>2</sup> Für den Wirkstoff Etranacogene Dezaparvovec liegt eine Orphan Designation der EMA vom März 2018 (EU/3/18/1999) vor.

Für die Beurteilung der Erforderlichkeit wurde eine Studienrecherche in öffentlich zugänglichen Studienregistern zum Wirkstoff Etranacogene Dezaparvovec für das für die Zulassung beantragte Indikationsgebiet der „Behandlung der Hämophilie B“ durchgeführt.

Die im Rahmen der Studienrecherche durch den G-BA identifizierte einarmige Phase-III-Studie (HOPE-B) läuft entsprechend der öffentlich einsehbaren Angaben im Studienregister [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov)<sup>3</sup> vornehmlich in einer Population, die Erwachsene mit angeborener Hämophilie B umfasst. Darüber hinaus wurde die einarmige Phase IIb-Studie (CSL222\_2001) identifiziert, in der ebenfalls Erwachsene mit angeborener Hämophilie B eingeschlossen wurden.

Auf Basis des den Internetseiten der EMA zu entnehmenden beantragten Anwendungsgebietes sowie der Studienpopulation der HOPE-B Studie werden Erwachsene mit Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel) und mit einem vorbestehenden neutralisierenden Anti-AAV5-Antikörpertiter unter 1:700 als relevante Patientenpopulation für die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung für den Wirkstoff Etranacogene Dezaparvovec festgelegt.

Im Rahmen der Studienrecherche wurden ausschließlich einarmige Studien identifiziert. Auf Basis dieser Datenlage ist davon auszugehen, dass zum jetzigen Zeitpunkt keine vergleichenden Daten für eine Behandlung mit Etranacogene Dezaparvovec gegenüber bestehenden Therapiealternativen für die vom G-BA konkretisierte Patientenpopulation vorliegen und dass unter Berücksichtigung der derzeitigen Studienplanungen keine Verbesserung der Evidenzlage erwartet werden kann. Daher hält der G-BA es für erforderlich, durch die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung zu prüfen, inwieweit die Evidenzgrundlage für die Bewertung des Zusatznutzens des vorliegenden Arzneimittels durch die Erhebung von Daten aus der Versorgung verbessert werden kann.

Der G-BA kann selbst ein Konzept für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung erstellen oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Erstellung eines Konzepts für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung beauftragen. Die

---

<sup>1</sup> [https://www.ema.europa.eu/en/documents/minutes/minutes-chmp-meeting-21-24-march-2022\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/minutes/minutes-chmp-meeting-21-24-march-2022_en.pdf)

<sup>2</sup> [https://www.ema.europa.eu/en/documents/minutes/minutes-chmp-meeting-8-11-november-2021\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/minutes/minutes-chmp-meeting-8-11-november-2021_en.pdf)

<sup>3</sup> <https://clinicaltrials.gov/>

Vorbereitung eines Konzepts soll grundsätzlich einen Zeitraum von 6 Monaten nicht überschreiten. Im vorliegenden Fall wird das IQWiG mit der Erstellung des Konzepts beauftragt.

### **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 Vorbereitung einer Beschlussempfehlung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung gemäß § 35a Absatz 3b SGB V hat der Unterausschuss Arzneimittel eine Arbeitsgruppe 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 Beschlussempfehlung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 26.07.2022 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 4. August 2022 die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung gemäß § 35a Absatz 3b SGB V beschlossen.

### Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG EGL/AG AbD	9. Juni 2022 18. Juli 2022	Beratung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen
Unterausschuss Arzneimittel	26. Juli 2022	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage
Plenum	4. August 2022	Beschlussfassung

Berlin, den 4. August 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken