

# 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 des Fünften Buch Sozialgesetzbuch (SGB V)

Etranacogen Dezaparvovec (Hämophilie B); Beschränkung der Versorgungsbefugnis

Vom 21. Februar 2023

## Inhalt

<b>1.</b>	<b>Rechtsgrundlage.....</b>	<b>2</b>
<b>2.</b>	<b>Eckpunkte der Entscheidung.....</b>	<b>2</b>
<b>3.</b>	<b>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 (G-BA) 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 Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 21. Februar 2023 beschlossen, ein Stellungnahmeverfahren zu einem Beschluss über die Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V zur Anwendung von Etranacogen Dezaparvovec zur Behandlung der Hämophilie B einzuleiten. Der Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec zur Behandlung der Hämophilie B wird 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, hat das Ziel, 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 Etranacogen Dezaparvovec hat sich die Fragestellung nach einem Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie für die nach Zulassung zu erwartende Patientenpopulation ergeben. Eine Recherche des IQWiG nach laufenden und geplanten Datenerhebungen für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec im Rahmen der Konzepterstellung für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung hat ergeben, dass die laufenden und geplanten Studien nicht geeignet sind, die bestehenden Evidenzlücken zu beheben. Für die Fragestellung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung bedarf es einer Erhebung vergleichender Daten.

Die erwartete infrage kommende Anzahl an Personen, die mit Etranacogen Dezaparvovec behandelt werden können, ist gering, da es sich bei der Hämophilie B um eine seltene Erkrankung handelt und weitere Therapieoptionen im vorliegenden Anwendungsgebiet vorhanden sind.

Zur Sicherstellung eines für die anwendungsbegleitende Datenerhebung zureichenden Datenbestandes ist es erforderlich, dass jedenfalls aus dem Bereich der Versorgung von Versicherten mit Etranacogen Dezaparvovec 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 Anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD)) 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 13. Februar 2023 über die Änderung der AM-RL beraten.

Der Beschlussentwurf zur Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens wurde in der Sitzung des Unterausschusses Arzneimittel am 21. Februar 2023 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Der Unterausschuss hat in der Sitzung am 21. Februar 2023 nach 1. Kapitel § 10 Absatz 1 der Verfahrensordnung des G-BA die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens einstimmig beschlossen.

### **Zeitlicher Beratungsverlauf**

<b>Sitzung</b>	<b>Datum</b>	<b>Beratungsgegenstand</b>
AG AbD	13. Februar 2023	Beratung über die Änderung der AM-RL

Unterausschuss Arzneimittel	21. Februar 2023	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 Ärztesellschaften 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:

<b>Organisation</b>	<b>Straße</b>	<b>Ort</b>
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 Holzau 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.

Die Einleitung des Stimmnahmeverfahrens wird auf den Internetseiten des G-BA unter [www.g-ba.de](http://www.g-ba.de) veröffentlicht.

Berlin, den 21. Februar 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken